

## Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

### **Pas de brève AFM**

### **Brève AIM**

<https://www.institut-myologie.org/2021/01/20/pas-besoin-de-suivi-ophtalmologique-avec-le-risdiplam-evrysdi-dans-la-sma/>

### **Pas besoin de suivi ophtalmologique avec le risdiplam (Evrysdi®) dans la SMA**

Le risdiplam (ou Evrysdi®) a obtenu en août dernier une autorisation de mise sur le marché américain pour les patients atteints d'amyotrophie spinale proximale liée à *SMN1* (SMA) âgés de plus de 2 mois. En cours d'examen par les autorités réglementaires européennes, il est toujours évalué par différents essais cliniques menés dans la SMA de type II ou III ([essai SUNFISH](#)), de type I ([essai FIREFISH](#)), chez des patients âgés de 6 mois à 60 ans et ayant déjà reçu un autre traitement de la SMA ([essai JEWELFISH](#)) et chez des nourrissons pré-symptomatiques âgés de moins de 6 semaines ([essai RAINBOWFISH](#)).

### **Une toxicité rétinienne rapportée chez le singe...**

Des études précliniques publiées en 2018 et menées chez le macaque, avec plusieurs doses de risdiplam avaient mis en évidence une toxicité rétinienne après 5 à 6 mois de traitement. Cette toxicité s'est traduite par une dégénérescence de la macula ainsi que des photorécepteurs périphériques. Dans les deux cas, les singes avaient reçu des doses plus fortes que la dose utilisée chez l'homme. Selon les auteurs, le risdiplam aurait une forte capacité à se lier à la mélanine, ce qui pourrait expliquer sa rétention dans les cellules de la rétine pigmentaire. Cette toxicité rétinienne paraît néanmoins spécifique au singe.

### **...mais pas chez l'homme**

Un suivi ophtalmologique a été réalisé tous les 2 à 6 mois chez 245 personnes recevant du risdiplam dans le cadre des essais SUNFISH, FIREFISH et JEWELFISH. Aucune anomalie de la rétine, ni fonctionnelle ni structurelle, n'a été rapportée, y compris chez les plus jeunes patients dont la maturation rétinienne s'est avérée normale.

Une surveillance ophtalmologique ne serait pas nécessaire pour les patients, enfants comme adultes, recevant le risdiplam à la dose thérapeutique.

### **Source**

[Risdiplam treatment has not led to retinal toxicity in patients with spinal muscular atrophy](#)

*R C Sergott, G M Amorelli, G Baranello et al.*

*Ann Clin Transl Neurol. 2020 (Nov).*