

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-etude-spinraza-associe-zolgensmar-preparation-140420>

SMA : une étude du Spinraza® associé au Zolgensma® démarre

Le démarrage de l'étude RESPOND associant deux traitements autorisés dans l'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 vient d'être annoncé. Le premier patient a été traité.

Le laboratoire Biogen a annoncé dans un communiqué de presse daté du 8 janvier 2021 le démarrage de l'étude RESPOND qui va évaluer les effets du **Spinraza® (nusinersen)** chez de très jeunes enfants atteints d'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA) déjà traités par **Zolgensma® (onasemnogene abeparvovec)** avec des effets qui n'ont pas été suffisamment satisfaisants. Cette étude en ouvert sur une durée de 2 ans devrait inclure 2 groupes de participants selon l'âge de la première injection du Spinraza® : moins de 9 mois pour 40 nourrissons et moins de 3 ans pour 20 enfants. Les pays concernés par cette étude n'ont pas encore été communiqués.

Deux mécanismes d'action différents pour fabriquer la protéine SMN

Pour rappel, le Spinraza®, autorisé aux États-Unis depuis décembre 2016 et en Europe depuis juin 2017, est un oligonucléotide antisens développé dans le but d'augmenter la production de la protéine SMN - manquante dans la SMA - en agissant sur la maturation du gène *SMN2*. Le Zolgensma® est un produit de thérapie génique constitué d'un vecteur viral (un virus adéno-associé) transportant le gène *SMN1* qui va coder la protéine SMN ; il est autorisé aux États-Unis depuis mai 2019 et en Europe depuis mai 2020. Ensemble, les deux traitements pourraient mieux cibler la totalité des motoneurons de l'organisme en vue d'augmenter la production de protéine SMN.

Le Zolgensma	Le Spinraza	Étude RESPOND
		
<ul style="list-style-type: none">• Un produit de thérapie génique qui apporte, à l'aide d'un vecteur viral, le gène <i>SMN1</i>, défectueux dans la SMA• Administré par voie intraveineuse	<ul style="list-style-type: none">• Un oligonucléotide antisens qui agit sur la maturation du gène <i>SMN2</i>.• Administré par voie intrathécale	<ul style="list-style-type: none">• Zolgensma + Spinraza• Pour augmenter la production de protéine SMN dans les motoneurons• Lancement prévu début 2021

Source

Voir [le communiqué de presse de Biogen](#)