

## Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

### Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-publication-resultats-essai-embrace-140757>

### SMA : publication des résultats de l'essai EMBRACE

**Les résultats de cet essai du nusinersen chez des personnes atteintes de SMA ne pouvant participer aux essais ENDEAR et CHERISH montrent une amélioration de leur fonction motrice.**

Les résultats de l'essai EMBRACE, qui a évalué le nusinersen (Spinraza®) chez des nourrissons et enfants atteints [d'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1](#) (SMA) ne pouvant participer aux essais [ENDEAR](#) et [CHERISH](#), viennent d'être publiés. Avec un suivi de l'ordre de 28 mois, les participants sous nusinersen ont bien toléré le traitement et ont vu leur développement moteur s'améliorer. Ils continuent de recevoir le nusinersen dans le cadre de [l'essai SHINE](#).

### Retour sur l'essai EMBRACE

L'essai EMBRACE s'est adressé à des nourrissons et enfants atteints de SMA symptomatiques et non éligibles aux essais ENDEAR ou CHERISH, en raison de leur âge ou de leur nombre de copies de SMN2.

Dans la première partie de cet essai, d'une durée initialement prévue de 14 mois, 14 participants ont reçu le nusinersen et 7 une procédure factice qui imite l'injection du nusinersen mais sans produit (comme un placebo). Cette première partie s'est terminée prématurément suite à l'obtention de résultats positifs du nusinersen dans d'autres essais cliniques ([l'essai ENDEAR notamment](#)). Vingt participants ont alors reçu le nusinersen pendant 28 mois environ dans la seconde partie de l'essai EMBRACE avant d'intégrer la phase d'extension en ouvert de l'étude SHINE qui devrait durer 5 ans.

### Du nusinersen pour tous les nourrissons et enfants atteints de SMA?

Le petit nombre de participants et la courte durée de la première partie de l'essai EMBRACE n'ont pas permis de mettre en évidence une différence significative entre ceux sous nusinersen et ceux avec la procédure factice. Cependant, sur le long terme (seconde partie) le nusinersen s'est montré efficace sur le développement moteur des nourrissons et des enfants.

### Source

[Safety and efficacy of nusinersen in spinal muscular atrophy: the EMBRACE study](#)

G Acsadi, T O Crawford, W Müller-Felber et al.

Muscle Nerve. 2021 (Jan).

---

### Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/03/15/de-nouveaux-resultats-positifs-du-nusinersen-avec-lessai-embrace/>

### De nouveaux résultats positifs du nusinersen avec l'essai EMBRACE

Le nusinersen (ou Spinraza®) a été le premier médicament à obtenir une autorisation de mise sur le marché dans l'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA). Elle repose en grande partie sur les résultats positifs obtenus dans le cadre des essais ENDEAR (chez des nourrissons atteints de SMA âgés de 7 mois maximum et avec deux copies de SMN2) et CHERISH (chez des enfants atteints de SMA âgés de 2 à 12 ans).

### Des résultats positifs de l'essai EMBRACE à long terme

L'essai EMBRACE a concerné les nourrissons et enfants atteints de SMA symptomatiques qui n'étaient pas éligibles aux essais ENDEAR ou CHERISH, en raison de leur âge ou de leur nombre de copies de SMN2. Initialement composé de deux parties, il devait comparer dans une première partie en double aveugle et randomisée l'effet du nusinersen chez 14 participants à celui d'une procédure factice (ou « sham procedure ») chez 7 participants pendant 14 mois. Celle-ci s'est achevée plus tôt que prévu en raison de résultats positifs du nusinersen obtenus dans l'essai ENDEAR afin que les participants puissent tous recevoir du nusinersen dans la deuxième partie de cet essai puis en intégrant la phase d'extension SHINE.

Aucun effet indésirable lié au traitement n'a été rapporté lors de cet essai. Les résultats après un suivi d'environ 28 mois ont montré une amélioration fonctionnelle des participants sous nusinersen ; celle-ci est d'autant plus élevée que la prise de nusinersen a été initiée dès le début de l'essai (lors de la première partie de l'essai) par rapport à ceux qui ont d'abord reçu la procédure factice avant le nusinersen. Un participant qui recevait la procédure factice dans la première partie de l'essai est décédé avant d'avoir pu bénéficier du traitement par nusinersen.

**Source**

[Safety and efficacy of nusinersen in spinal muscular atrophy: the EMBRACE study](#)

G Acsadi, T O Crawford, W Müller-Felber et al.

*Muscle Nerve*. 2021 (Jan).