

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-bientot-autorisation-risdiplam-europe-140767>

SMA : bientôt une autorisation du risdiplam en Europe ?

Après une première autorisation aux États-Unis en août 2020, le risdiplam (Evrysdi®) se rapproche à présent du marché européen avec l'avis positif du CHMP.

Par le biais de son [Comité des Médicaments à Usage Humain \(CHMP\)](#), l'[Agence Européenne du Médicament \(EMA\)](#) vient de rendre un avis positif concernant le risdiplam (ou Evrysdi®) : elle recommande l'autorisation de mise sur le marché de ce traitement de l'[amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 \(SMA\)](#) par voie orale pour les personnes âgées d'au moins deux mois avec un diagnostic clinique de type I, II ou III ou avec une à quatre copies de SMN2.

Cet avis doit être confirmé dans un délai d'environ deux mois par la Commission européenne pour obtenir une autorisation de mise sur le marché en Europe. Le cas échéant, les autorités réglementaires de chaque pays rendront ensuite leur avis. En France, ce rôle revient à la [Haute Autorité de Santé \(HAS\)](#).

Sur quoi se base cet avis ?

La prise de position des autorités de santé européennes fait suite aux résultats positifs du risdiplam chez des nourrissons de 2 à 7 mois atteints de SMA de type I symptomatiques ([essai FIREFISH](#)) et chez des personnes atteintes de SMA de type II ou III âgées de 2 à 25 ans ([essai SUNFISH](#)).

Des résultats préliminaires de ces essais ont montré que le produit améliore la fonction motrice [dans la SMA de type I](#), mais aussi [de type II et III](#).

Des résultats à un an de l'essai FIREFISH

Les résultats chez les 21 premiers participants de l'essai FIREFISH viennent d'être publiés et complètent ces données : le risdiplam augmente le taux dans le sang de la protéine SMN fonctionnelle, la protéine codée par le gène *SMN1* et manquante dans la SMA. Après un an de traitement, 90% des nourrissons n'ont pas besoin d'assistance respiratoire permanente et un tiers est capable de tenir assis sans aide au moins cinq secondes.

Quelle disponibilité du risdiplam actuellement ?

Plus de 2 500 patients dans le monde ont reçu le risdiplam à ce jour. Pour le moment, il est [disponible aux États-Unis](#) ainsi qu'au Brésil, au Chili, en Corée du Sud, en Géorgie, en Russie et en Ukraine. En France, il peut déjà être prescrit via une [autorisation temporaire d'utilisation \(ATU\) nominative](#) dans la SMA de type I et II.

Sources

[« First oral treatment for spinal muscular atrophy \(SMA\) recommended for approval », EMA, 26 février 2021 \[Site internet de l'EMA consulté le 01/03/21\]](#)

[« Roche announces results from Evrysdi \(risdiplam\) study in infants with Type 1 spinal muscular atrophy \(SMA\) published in New England Journal of Medicine » Roche, Communiqué de presse du 25 février 2021](#)

[Risdiplam in Type 1 Spinal Muscular Atrophy](#)

G Baranello, B T. Darras, J W. Day et al.

N Engl J Med. 2021 (Fév).

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/03/17/sma-le-chmp-de-lema-donne-un-avis-positif-au-risdiplam-evrydsi/>

SMA : le CHMP de l'EMA donne un avis positif au risdiplam (Evrysdi®)

Petite molécule administrée par voie orale, le risdiplam (ou Evrysdi®) corrige l'épissage du gène de *SMN2* pour fabriquer la protéine SMN manquante dans l'amyotrophie spinale proximale liée à *SMN1* (SMA). Il dispose depuis août 2020 d'une autorisation de mise sur le marché aux États-Unis. S'en est suivi une AMM au Brésil, au Chili, en Corée du Sud, en Géorgie, en Russie et en Ukraine. À ce jour, plus de 2 500 patients ont reçu le risdiplam dans le monde.

Le CHMP donne son feu vert

Le Comité des Médicaments à Usage Humain (CHMP) de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) vient de rendre son avis concernant le risdiplam ; il recommande son autorisation de mise sur le marché pour les patients âgés de plus de deux mois avec un diagnostic clinique de SMA de type I, II ou III ou avec une à quatre copies de *SMN2*. La Commission européenne confirmera ou non cet avis dans un délai de deux mois environ.

La première partie de l'essai FIREFISH montre des résultats positifs à 12 mois

Cet avis s'appuie sur l'amélioration de la fonction motrice obtenue lors des essais SUNFISH (chez des personnes atteintes de SMA de type II ou III âgées de 2 à 25 ans) et FIREFISH (chez des nourrissons symptomatiques atteints de SMA de type I âgés de 2 à 7 mois). Ces deux essais, qui ont aussi lieu en France, comportent chacun deux parties, l'une pour évaluer la tolérance et trouver la dose optimale du produit et la seconde pour tester l'efficacité de la dose optimale sélectionnée dans la première partie. Les résultats à 12 mois de la première partie de l'essai FIREFISH qui a concerné 21 nourrissons viennent d'être publiés :

- 90% des nourrissons n'ont pas de ventilation permanente,
- aucun n'a de trouble de déglutition,
- un tiers parvient à tenir assis sans aide au moins 5 secondes,
- le risdiplam augmente le taux sanguin de protéine SMN fonctionnelle.

Sources

[« First oral treatment for spinal muscular atrophy \(SMA\) recommended for approval », EMA, 26 février 2021 \[Site internet de l'EMA consulté le 01/03/21\]](#)

[« Roche announces results from Evrysdi \(risdiplam\) study in infants with Type 1 spinal muscular atrophy \(SMA\) published in New England Journal of Medicine » Roche, Communiqué de presse du 25 février 2021](#)

[Risdiplam in Type 1 Spinal Muscular Atrophy](#)

G Baranello, B T. Darras, J W. Day et al.
N Engl J Med. 2021 (Fév).