

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-type-i-zolgensma-continue-etre-efficace-cinq-ans-apres-140846>

SMA de type I : le Zolgensma continue d'être efficace cinq ans après

Des premiers résultats à long terme confirment la bonne tolérance du Zolgensma et le maintien au cours du temps des acquisitions motrices

Le tout premier essai de thérapie génique avec le Zolgensma (onasemnogene abeparvovec), appelé « essai START », s'est déroulé aux États-Unis de mai 2014 à décembre 2017 chez 15 nourrissons atteints d'[amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 \(SMA\)](#) de type I, âgés de moins de 6 mois et symptomatiques. En 2019, la publication des résultats de cet essai sur deux ans avait mis en évidence [un pourcentage de survie de 100% pour le groupe traité par Zolgensma®](#) (alors qu'il était de 38% pour le groupe non traité), ainsi qu'une amélioration de la fonction motrice et du développement moteur.

Cette étude, maintenant intitulée « Étude de suivi à long terme START », se poursuit afin d'évaluer la tolérance et la durée de la réponse au traitement pendant 15 ans. Des premiers résultats après un suivi de 5 ans viennent d'être publiés chez 13 participants parmi lesquels trois avaient reçu une faible dose de Zolgensma et 10 la dose thérapeutique. Huit participants (un sous faible dose et sept sous dose thérapeutique) ont rapporté avoir rencontré des événements indésirables graves (insuffisance respiratoire aiguë, pneumonie, déshydratation, détresse respiratoire, bronchiolite). Cependant, ces événements ont tous été considérés sans lien avec le Zolgensma.

Tous les participants sont vivants et une grande majorité (12 sur 13) n'a pas besoin de ventilation permanente. Deux des participants ayant reçu la dose thérapeutique sont capables de tenir debout sans assistance.

Source

[Five-Year Extension Results of the Phase 1 START Trial of Onasemnogene Abeparvovec in Spinal Muscular Atrophy](#)

J R Mendell, S A Al-Zaidy, K J Lehman et al.
JAMA Neurol. 2021 (Mai).

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/06/03/un-bon-bilan-pour-le-plus-long-suivi-a-ce-jour-du-zolgensma-dans-la-sma/>

Un bon bilan pour le plus long suivi à ce jour du Zolgensma dans la SMA

Après avoir obtenu des résultats positifs sur le développement moteur de 15 nourrissons atteints de SMA de type I, âgés de moins de 6 mois et symptomatiques lors du premier essai de thérapie génique d'une durée de deux ans (étude START), le Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) continue d'être évalué sur le long terme pendant 15 ans (Étude de suivi à long terme START).

Les résultats publiés après cinq ans de suivi chez 13 participants (3 sous faible dose et 10 sous dose thérapeutique) montrent qu'ils sont tous vivants et que 12 d'entre eux n'ont aucun recours à une ventilation permanente. Deux d'entre eux sont capables de tenir debout sans assistance.

Soixante-deux pour cent d'entre eux ont présenté des événements indésirables graves mais indépendants du traitement et n'entraînant pas l'arrêt de l'étude. Il s'agissait principalement d'insuffisance respiratoire aiguë, de pneumonie, de déshydratation, de détresse respiratoire et de bronchiolite. Aucune élévation des enzymes de la fonction hépatique ou de tumeurs malignes ou troubles hématologiques n'ont été rapportés.

Source

[Five-Year Extension Results of the Phase 1 START Trial of Onasemnogene Abeparvovec in Spinal Muscular Atrophy](#)

J R Mendell, S A Al-Zaidy, K J Lehman et al.
JAMA Neurol. 2021 (Mai).