

## Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

### Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-hydrocephalie-nusinersen-disculpe-140876>

### SMA et hydrocéphalie : le nusinersen disculpé ?

**Une étude de grande ampleur montre qu'un événement rare (l'hydrocéphalie) jusqu'ici attribué aux injections de Spinraza pourrait être lié à la SMA elle-même.**

Depuis l'autorisation de mise sur le marché du nusinersen (ou Spinraza®), de rares cas d'hydrocéphalie (une accumulation excessive de liquide cérébro-spinal dans le cerveau) ont été rapportés avec ce produit, sans démonstration formelle d'un lien de cause à effet.

La fréquence de l'hydrocéphalie dans la SMA en dehors de tout traitement par nusinersen n'était pas connue. Pour la déterminer, le laboratoire Biogen a utilisé une grande base de données de santé (100 millions de personnes incluses) aux États-Unis et comparé 5 354 personnes atteintes de SMA à une population contrôle de même âge, de début 2007 à fin 2016 soit avant la mise à disposition du nusinersen. Cette analyse met en évidence une fréquence très faible d'hydrocéphalie dans les deux groupes, mais quatre fois supérieure en cas de SMA : 15,5 cas pour 100 000 *versus* 4,7 pour 100 000 dans la population contrôle. Ces résultats tendent donc à mettre hors de cause le nusinersen dans la survenue d'une telle complication.

### Source

[The incidence of hydrocephalus among patients with and without spinal muscular atrophy \(SMA\): Results from a US electronic health records study.](#)

Viscidi E, Wang N, Juneja M et al.

Orphanet J Rare Dis. 2021 (Mai).16(1):207.

---

### Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/07/07/hydrocephalie-et-amyotrophie-spinale-proximale-liee-a-smn1-une-etude-americaine-tend-a-mettre-le-nusinersen-hors-de-cause/>

### Hydrocéphalie et amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 : une étude américaine tend à mettre le nusinersen hors de cause

L'amyotrophie spinale proximale liée au gène *SMN1* (ou SMA) est une maladie dégénérative du motoneurone donnant lieu à des paralysies de survenue et d'intensité variables. Elle est classée en quatre types, le type I, d'apparition précoce chez le nourrisson constituant le groupe le plus important

. Ces dernières années ont vu l'arrivée de thérapies innovantes sur le marché dont le nusinersen (ou Spinraza), un produit à base d'oligonucléotides antisens. Quelques cas d'hydrocéphalie ont été rapportés dans les suites d'injections intrathécales de nusinersen.

Dans un article publié en mai 2021, le laboratoire Biogen, qui développe le nusinersen, rapporte les résultats d'une étude, diligentée par lui-même et destinée à établir la prévalence de cette anomalie cérébrale aussi bien chez des patients atteints de SMA que dans une population contrôle du même âge. Les auteurs ont analysé une base de données de santé anonymisée concernant 100 millions de personnes aux États-Unis et ce, sur une période de dix ans (début 2007 à fin 2016, avant donc la mise à disposition du nusinersen). Ainsi, 5354 cas de SMA ont été répertoriés et comparés à une population contrôle appariée. L'incidence de l'hydrocéphalie, bien que très faible (15,5 cas pour 100 000), était quatre fois plus élevée que celle relevée dans la population contrôle (incidence de 4,7 pour 100 000). Les résultats de cette étude seraient de nature à mettre le nusinersen hors de cause dans la survenue d'une telle complication.

### Source

[The incidence of hydrocephalus among patients with and without spinal muscular atrophy \(SMA\): Results from a US electronic health records study.](#)

*Viscidi E, Wang N, Juneja M et al.*  
*Orphanet J Rare Dis. 2021 (Mai).16(1):207.*