

## Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

### Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-type-ii-nouvel-essai-zolgensma-prevision-140947>

### SMA de type II : un nouvel essai du Zolgensma en prévision

*Après l'évaluation de la voie intraveineuse, c'est au tour de l'administration intrathécale d'être à l'étude.*

Le laboratoire Novartis a annoncé la préparation d'un nouvel essai de sa thérapie génique dans l'[amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 \(SMA\)](#) de type II.

### L'essai STEER : une étude de l'administration intrathécale

Plus de 100 participants atteints de SMA de type II, âgés de 2 à 18 ans, capables de s'asseoir mais n'ayant jamais marché, et naïfs de tout traitement vont pouvoir être inclus dans cet essai STEER. [Randomisé](#), contre une procédure factice (l'équivalent d'un [placebo](#)), il va évaluer la tolérance, la sécurité et l'efficacité d'une injection intrathécale au niveau du bas du dos comme pour une ponction lombaire du Zolgensma (onasemnogene abeparvovec). Jusqu'à présent, ce produit n'est administré que par voie intraveineuse.

### L'essai STRONG : des données encourageantes

Cette annonce fait suite à la levée récente de la suspension partielle de l'essai STRONG par les autorités réglementaires américaines (FDA). Celui-ci avait été suspendu du fait de résultats précliniques montrant une inflammation de ganglions spinaux chez l'animal. L'analyse des données de l'essai STRONG a montré une amélioration significative de la réponse clinique chez les participants âgés de 2 à 5 ans.

Le Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) - 08/09/2021		
<p><b>Dans le monde</b></p>  <ul style="list-style-type: none"><li>• Plus de 1 400 patients traités</li><li>• Disponible dans 41 pays</li><li>• En Europe : Autorisation de mise sur le marché (AMM) conditionnelle</li></ul>	<p><b>En France</b></p>  <ul style="list-style-type: none"><li>• ATU de cohorte</li><li>• Avis favorable au remboursement : SMA I et II, ou pré-symptomatique avec jusqu'à 3 copies de SMN2</li></ul>	<p><b>Mode d'administration</b></p>  <ul style="list-style-type: none"><li>• Une injection unique par perfusion intraveineuse (à l'hôpital)</li></ul>

### Source

[Novartis announces lift of partial clinical trial hold and plans to initiate a new, pivotal Phase 3 study of intrathecal OAV-101 in older patients with SMA](#)

Communiqué de presse de Novartis du 3 août 2021.

### Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/09/21/un-essai-du-zolgensma-par-voie-intrathecale-en-preparation-dans-lamyotrophie-spinale-proximale-de-type-ii-lessai-steer/>

### Un essai du Zolgensma par voie intrathécale en préparation dans l'amyotrophie spinale proximale de type II : l'essai STEER

- Le Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) est le premier traitement de thérapie génique autorisé dans l'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA). Son administration s'effectue par **voie intraveineuse**.

- Un nouvel essai du produit de thérapie génique par **voie intrathécale** est en prévision chez un peu plus de 100 participants atteints de SMA de type II, naïfs de tout traitement et âgés de 2 à 18 ans, capables de s'asseoir mais n'ayant jamais marché. Cet **essai STEER** de phase III, randomisé, en double aveugle, contre une procédure factice (*sham procedure*) se déroulera sur une première période d'un an. À ce terme, les patients qui ont reçu la procédure factice recevront le traitement et inversement.
- Cet essai s'appuie sur les données obtenues dans l'**essai STRONG**, qui montrent une amélioration significative de la force motrice et de la réponse clinique des participants (âgés de 2 à 5 ans). Cet essai de phase I/II avait été partiellement suspendu suite à une inflammation de ganglions spinaux chez les primates non humains mais la FDA vient de lever cette suspension.

■ Voir aussi « [SMA de type II : un nouvel essai de thérapie génique en prévision](#) »

#### **Source**

[Novartis announces lift of partial clinical trial hold and plans to initiate a new, pivotal Phase 3 study of intrathecal OAV-101 in older patients with SMA](#)

Communiqué de presse de Novartis du 3 août 2021.