

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-donnees-rassurantes-sur-zolgensma-140961>

SMA : des données rassurantes sur le Zolgensma

Si la thérapie génique avec le Zolgensma peut provoquer, dans de très rares cas, des effets indésirables graves, ceux-ci sont maintenant mieux connus et sont donc pris en charge.

Une première analyse exhaustive des résultats du Zolgensma (ou onasemnogene abeparvovec) montre que les risques liés à ce produit de thérapie génique, s'il y en a, peuvent être **anticipés ou pris en charge**, parfois par le biais d'une intervention médicale. Ces conclusions ont été publiées par des cliniciens américains qui ont passé en revue toutes les données précliniques, cliniques et de post-commercialisation obtenus jusqu'au 12 novembre 2020 : de la souris en passant par le singe, jusque chez l'homme avec plus de 760 personnes atteintes d'[amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 \(SMA\)](#) traitées.

Un bénéfice reconnu

Le Zolgensma, qui s'administre en une injection intraveineuse unique, a démontré au travers de toutes ces études des [effets positifs, rapides et durables sur le développement moteur](#) : amélioration des performances motrices et respiratoires, allongement de la durée de vie... Une longue liste de bénéfices qui plaide pour un [rapport bénéfice/risque en faveur du Zolgensma](#).

Des risques de mieux en mieux connus

Des effets secondaires graves transitoires sont toutefois apparus dans de très rares cas : insuffisance hépatique, microangiopathie thrombotique, problèmes cardiaques... Une surveillance accrue et des mesures préventives systématiques, comme la prise transitoire de corticoïdes pour prévenir l'atteinte hépatique, sont maintenant mises en place pour les limiter. Si besoin, des traitements spécifiques sont instaurés.

Source

[Clinical Trial and Postmarketing Safety of Onasemnogene Abeparvovec Therapy.](#)

Day JW, Mendell JR, Mercuri E et al.

Drug Saf. 2021 (Oct). 44(10):1109-1119.

Brève AIM

Les risques du Zolgensma mieux connus

- Le Zolgensma (ou onasemnogene abeparvovec), premier traitement de thérapie génique dans l'amyotrophie spinale proximale (SMA), bénéficie d'une autorisation conditionnelle de mise sur le marché européen depuis mai 2020.
- Différents [effets indésirables graves ont été rapportés avec ce produit](#) : hépatotoxicité, thrombocytopénie transitoire, troubles cardiaques, microangiopathie thrombotique...
- Une analyse exhaustive des données issues des études précliniques, des essais cliniques (une centaine de patients atteints de SMA au total) ou après sa commercialisation (665 patients) montre que ces risques sont rares et peuvent être anticipés ou pris en charge :
 - La prise de prednisolone permet de résorber l'hépatotoxicité,
 - La baisse du taux de plaquettes est transitoire,
 - La microangiopathie thrombotique peut nécessiter une intervention médicale.

Voir aussi « [SMA : des données rassurantes sur le Zolgensma](#) »

Source

[Clinical Trial and Postmarketing Safety of Onasemnogene Abeparvovec Therapy.](#)

Day JW, Mendell JR, Mercuri E et al.

Drug Saf. 2021 (Oct). 44(10):1109-1119.