

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-congres-wms2021-140979>

La SMA au congrès de la WMS2021

Des résultats encourageants de l'essai RAINBOWFISH (risdiplam) et de l'essai TOPAZ (apitegromab) ont été présentés lors du congrès annuel de la World Muscle Society.

L'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA) a fait l'objet, lors de la 25^{ème} édition du congrès de la WMS (20-24 septembre 2021), de plusieurs présentations orales et près de 60 posters sur des données d'histoire naturelle, le dépistage néonatal, les registres de la maladie et des résultats d'essais cliniques.

Le risdiplam, chez les nourrissons présymptomatiques

Des résultats intermédiaires de l'essai RAINBOWFISH, en cours à l'étranger chez 25 nourrissons pré-symptomatiques âgés de moins de 6 semaines, ont ainsi été discutés. Ils concernent cinq nourrissons traités pendant au moins un an par l'Evrysdi (ou risdiplam), en traitement oral : quatre sont capables de se mettre debout et de marcher de façon autonome. Les cinq participants peuvent également déglutir et se nourrir normalement.

L'apitegromab, dans la SMA de type II ou III

L'apitegromab (ou SRK-015) est un candidat-médicament qui agit directement dans le muscle en bloquant l'activité de la myostatine, un inhibiteur naturel de la croissance musculaire.

À l'essai chez 58 personnes atteintes de SMA de type II ou III, âgées de 2 à 21 ans, pendant un an (essai TOPAZ), l'apitegromab a amélioré leur fonction motrice.

Sources

[Roche presents new data at World Muscle Society \(WMS\) 2021 highlighting new advances for people living with rare neuromuscular disorders.](#) Communiqué de presse de Roche du 24 septembre 2021.

[Scholar Rock Presents Additional Data Analyses from the Apitegromab TOPAZ Phase 2 Trial at the World Muscle Society 2021 Virtual Congress.](#) Communiqué de presse de Scholar Rock du 23 septembre 2021.

Brève AIM

WMS2021 et SMA : entre thérapie innovante et biothérapie

- De nouvelles données d'essais cliniques dans l'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA) ont été discutées lors de la dernière édition du congrès de la *World Muscle Society (WMS)* du 20 au 24 septembre 2021.
- Sur cinq nourrissons pré-symptomatiques âgés de moins de 6 semaines, traités par **Evrysdi (risdiplam)** pendant au moins un an dans le cadre de l'essai RAINBOWFISH, tous sont capables de déglutir et de se nourrir exclusivement par voie orale, quatre parviennent à se mettre debout et à marcher de façon autonome.
- Évalué par l'essai TOPAZ, l'apitegromab (ou SRK-015) améliore la fonction motrice des participants atteints de SMA de type II ou III, âgés de 2 à 21 ans, sur un an.

Voir aussi « [La SMA au congrès de la WMS2021](#) »

Sources

[Roche presents new data at World Muscle Society \(WMS\) 2021 highlighting new advances for people living with rare neuromuscular disorders.](#) Communiqué de presse de Roche du 24 septembre 2021.

[Scholar Rock Presents Additional Data Analyses from the Apitegromab TOPAZ Phase 2 Trial at the World Muscle Society 2021 Virtual Congress.](#) Communiqué de presse de Scholar Rock du 23 septembre 2021.