

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Pas de Brève AFM

Brève AIM

Les variations de la MFM32 vues par le patient atteint de SMA

Un consortium international comprenant des cliniciens, des représentants d'associations de patients et des membres du laboratoire Roche, a conduit une étude visant à apprécier le point de vue des malades quant à la pertinence et la significativité de la MFM32, un score fonctionnel très largement utilisé dans les maladies neuromusculaires et l'amyotrophie spinale proximale liée au gène *SMN1* (SMA) en particulier :

- 40 patients SMA ont fait l'objet d'entretiens semi-dirigés et 217 autres ont participé à une enquête en ligne réalisée dans huit pays ;
- l'objectif était de déterminer le seuil de signification des changements tels qu'observés par la MFM32 et le ressenti d'un éventuel changement par le patient lui-même ;
- les données de la MFM32 ont été comparées à celles acquises lors d'essais cliniques ;
- l'étude a permis de déterminer des seuils de changements ressentis par le patient, lesquels devront être confirmés par des analyses complémentaires par sous-groupe d'âge et de sévérité.

Source

[*A Patient-Centered Evaluation of Meaningful Change on the 32-Item Motor Function Measure in Spinal Muscular Atrophy Using Qualitative and Quantitative Data.*](#)

Duong T, Staunton H, Braid J, et al.

Front Neurol. 2022 Jan 17;12:770423.