

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Pas de brève AFM

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2022/06/17/un-effet-secondaire-inattendu-de-la-therapie-genique-de-la-sma/>

Un effet secondaire inattendu de la thérapie génique de l'amyotrophie spinale proximale liée au gène *SMN1*

Si les effets secondaires de l'onasemnogène abeparvovec (OA), le produit de référence pour la thérapie génique des nourrissons atteints d'amyotrophie spinale proximale liée au gène *SMN1* (SMA), sont rares, ils n'en sont pas moins potentiellement préoccupants. Des cliniciens italiens rapportent le cas d'un enfant diagnostiqué à trois semaines de vie, traité d'abord par nusinersen puis par OA à l'âge de 5 mois et demi.

- Le patient a présenté un épisode fébrile avec vomissements et perte d'appétit peu de temps après l'injection de l'OA.
- Le taux de CPK est passé de 369 unités internationales par litre jusqu'à un pic transitoire de 1 755 UI/l au quatrième jour, l'état de l'enfant s'étant amélioré entre temps.
- Les auteurs qualifient cet épisode de myosite même si certains signes évoquaient également une micro-angiopathie thrombotique *a minima*.

Source

[Acute Benign Myositis Following Onasemnogene Abeparvovec Therapy in Type 1 Spinal Muscular Atrophy.](#)

Dosi C, Tozzo A, Masson R.

Pediatr Neurol. 2022 Jun;131:23-24.