

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Pas d'actualité AFM

Actualité AIM

Retour d'expérience de la thérapie génique chez des enfants atteints d'amyotrophie spinale proximale liée à *SMN1* de plus de 8,5 kg

Les essais thérapeutiques ayant conduit à l'approbation de l'onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) se sont déroulés chez des enfants pesant moins de 8,5 kg. Dans le cadre d'un programme d'accès compassionnel mis en place par le laboratoire Novartis pour cette thérapie innovante (programme *GMAP*), cette limite de poids a pu être dépassée :

- 102 enfants ont été traités depuis septembre 2021 selon cette indication plus large ;
- cinq d'entre eux pesaient même plus de 13,5 kg au moment de l'injection ;
- pour 53% des enfants traités, des effets secondaires, majoritairement mineurs, ont été rapportés ;
- trois patients sont décédés d'infection respiratoire mais sans rapport, semble-t-il, avec le traitement lui-même ;
- toxicité hépatique, thrombocytopenie, vomissements et fièvre ont également été signalés de manière transitoire.

Ces résultats confirment une bonne tolérance du produit de thérapie génique au-delà de 8,5kg.

Source

[Safety of Onasemnogene Abeparvovec for Patients With Spinal Muscular Atrophy 8.5 kg or Heavier in a Global Managed Access Program.](#)

Chand DH, Mitchell S, Sun R et al.

Pediatr Neurol. 2022 Jul;132:27-32.