

Actu AFM

<https://www.afm-telethon.fr/fr/actualites/sma-un-suivi-de-3-mois-en-vie-reelle-du-zolgensma-en-relai-du-spinraza>

SMA : un suivi de 3 mois en vie réelle du Zolgensma en relai du Spinraza

Une équipe italienne montre que le Zolgensma maintient l'effet thérapeutique chez des enfants atteints de SMA de type I ayant déjà reçu du Spinraza et améliore le bénéfice clinique chez ceux n'ayant pas bien répondu au Spinraza.

Le produit de thérapie génique Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) chez des enfants atteints d'[amyotrophie spinale proximale \(SMA\)](#) de type I ayant déjà reçu du Spinraza (nusinersen) s'avère efficace, y-compris lorsque le Spinraza a eu peu d'effet. Ces résultats proviennent d'une petite étude italienne menée chez neuf enfants et devront toutefois être confirmés sur un plus grand nombre de participants.

Des critères pour une meilleure réponse au Zolgensma

Atteints de SMA de type I, les neuf participants étaient âgés de 1 mois à 4 ans. Sept d'entre eux avaient reçu régulièrement du Spinraza. Au terme d'un trimestre de suivi, ils ont vu leurs performances motrices s'améliorer sous Zolgensma. Les progrès par Zolgensma sont significatifs, même s'ils s'avèrent de moins grande ampleur que ceux induits initialement par le Spinraza (ce qui pourrait s'expliquer par le fait que le Spinraza a permis des progrès dont la cinétique ne peut être maintenue au même rythme compte tenu des progrès engrangés). Néanmoins chez deux participants pour lesquels le Spinraza n'était pas efficace, le Zolgensma a pu développer une efficacité très significative.

Cette étude a également identifié deux critères associés à un intérêt particulier du Zolgensma : une faible efficacité préalable du Spinraza et l'âge des malades, le Zolgensma étant d'autant plus efficace que le malade est jeune (ce qui est connu aussi dans le cas du Spinraza).

Source

[Onasemnogene abeparvovec gene replacement therapy for the treatment of spinal muscular atrophy: a real-world observational study.](#)

Bitetti I, Lanzara V, Margiotta G et al.
Gene Ther. 2022 Mai.

Actu AIM

Une réponse au Zolgensma plus efficace chez les patients qui répondent peu au Spinraza ?

Une étude italienne en vie réelle conduite pendant 3 mois chez neuf enfants atteints d'amyotrophie spinale proximale (SMA) de type I (1,7 à 48 mois) sous Zolgensma, dont sept avaient reçu régulièrement du Spinraza, a montré que :

- les performances motrices des participants se sont améliorées au cours des trois mois de suivi,
- cette amélioration sous Zolgensma s'avère moins importante que celle induite initialement par le Spinraza, ce qui pourrait s'expliquer par le fait que le Spinraza a permis des progrès dont la cinétique ne peut être maintenue au même rythme compte tenu des progrès engrangés,
- en revanche, les deux patients qui avaient peu répondu au Spinraza répondent très significativement au Zolgensma,
- l'âge du patient semble entrer en compte, avec une amélioration plus grande chez les patients les plus jeunes,
- le Zolgensma a été bien toléré.

Ces premières données en vie réelle d'un double traitement resteront toutefois à confirmer à plus grande échelle et à plus long terme.

Source

[Onasemnogene abeparvovec gene replacement therapy for the treatment of spinal muscular atrophy: a real-world observational study.](#)

Bitetti I, Lanzara V, Margiotta G et al.
Gene Ther. 2022 Mai.