

## Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

### Actualité AFM

[SMA : des résultats mitigés pour l'essai de l'amifampridine | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

### SMA : des résultats mitigés pour l'essai de l'amifampridine

***L'amifampridine, une molécule qui agit sur la jonction neuromusculaire, améliore certains paramètres moteurs évalués dans un essai mené chez des adultes atteints de SMA de type III, ambulants.***

La plupart des stratégies thérapeutiques étudiées dans [l'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1](#) visent à augmenter la protéine SMN. L'amifampridine, elle, cible la jonction entre le nerf et le muscle (ou [jonction neuromusculaire](#)), qui est aussi altérée dans la SMA. Sous le nom de Firdapse®, elle est déjà utilisée comme médicament pour le syndrome myasthénique de Lambert-Eaton et pour certaines formes de syndrome myasthénique congénital, des maladies neuromusculaires présentant un dysfonctionnement de la jonction neuromusculaire.

En Italie, l'amifampridine a été évaluée pendant deux mois dans le cadre d'un essai de [phase II, randomisé](#), croisé, contre placebo, chez 13 malades atteints de SMA de type III, âgés de 18 à 53 ans, ambulants et n'ayant jamais reçu une autre thérapie innovante.

Le traitement a été bien toléré. Une amélioration significative de la fonction motrice mesurée par l'échelle fonctionnelle motrice de Hammersmith (HFMSE) a été observée chez les participants traités par amifampridine par rapport à ceux qui ont reçu le placebo. La fatigue a également été améliorée. En revanche, l'amifampridine n'a pas montré de différence significative, *versus* placebo, sur les autres paramètres moteurs étudiés, à savoir le test de marche de 6 minutes, la capacité à se relever du sol ou d'une chaise, à monter des marches ou à marcher 10 minutes.

### Sources

[Amifampridine safety and efficacy in spinal muscular atrophy ambulatory patients: a randomized, placebo-controlled, crossover phase 2 trial](#)

Bonanno S, Giossi R, Zanin R et al.

J Neurol. 2022 Juin.

Sur [Clinicaltrials.gov](#) : [NCT03781479](#)

---

### Actualité AIM

### Publication des résultats de l'essai de phase II de l'amifampridine dans l'amyotrophie spinale proximale

Un essai italien de phase II, randomisé, croisé, contre placebo, a évalué la sécurité d'utilisation et l'efficacité de l'amifampridine, une molécule qui améliore le fonctionnement de la jonction neuromusculaire, auprès de 13 adultes atteints de SMA de type III. Ils étaient âgés de 34 ans en moyenne, ambulants et n'avaient pas reçu d'autres thérapies innovantes auparavant. Les résultats publiés en juin 2022 montrent qu'en comparaison avec le placebo, l'amifampridine :

- améliore significativement la fonction motrice sur le test HFMSE et la fatigue,
- n'a pas d'effet significatif sur le test de marche de 6 minutes, la capacité à se relever du sol ou d'une chaise, à monter des marches ou à marcher 10 minutes.
- est bien toléré, l'effet indésirable principal rapporté étant des paresthésies transitoires.

Voir aussi « [SMA : des résultats mitigés de l'essai de l'amifampridine](#) »

### Source

[Amifampridine safety and efficacy in spinal muscular atrophy ambulatory patients: a randomized, placebo-controlled, crossover phase 2 trial](#)

Bonanno S, Giossi R, Zanin R et al.

J Neurol. 2022 Juin.