

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Actualité AFM

[SMA : la moxifloxacin, un antibiotique plein de promesses ! | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

SMA : la moxifloxacin, un antibiotique plein de promesses !

Une équipe d'I-STEM, soutenue par l'AFM-Téléthon, a identifié un antibiotique efficace sur la production de protéine SMN dans des souris modèles d'amyotrophie spinale proximale. Un repositionnement de médicament qui semble bien parti.

L'antibiotique moxifloxacin, injecté en sous-cutané quotidiennement à des souris modèles d'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA), augmente la production de protéine SMN, retarde la dégénérescence des neurones et allonge la durée de vie. Ces conclusions positives sont issues de travaux publiés par des chercheurs d'I-STEM, le laboratoire spécialisé dans la thérapie cellulaire créé par l'AFM-Téléthon.

Un médicament déjà commercialisé

Les chercheurs ont opté pour une stratégie de repositionnement de médicament : ils ont passé au crible, dans des modèles cellulaires, des composés déjà autorisés sur le marché qui seraient capables d'augmenter la production de SMN. L'avantage ? Un gain de temps considérable pour arriver à un nouveau traitement, car son innocuité a déjà été prouvée chez l'homme.

C'est ainsi que la moxifloxacin, un antibiotique utilisé dans le traitement de sinusites et de bronchites notamment, a été identifiée : elle agit sur l'exon 7 du gène SMN2 et augmente la production de SMN dans des cultures de cellules. Un mécanisme un peu similaire à celui du risdiplam (Évrysdi®), l'un des trois médicaments autorisés dans le traitement de la SMA, et avec une augmentation de protéine SMN qui serait même plus élevée, même si cela reste à confirmer !

Efficace in vitro et in vivo

Après avoir fait ses preuves sur différents modèles cellulaires, la moxifloxacin a ensuite été étudiée dans des modèles de souris atteintes de SMA. Les effets bénéfiques se sont confirmés tant au niveau physiologique (meilleur fonctionnement des jonctions neuromusculaires, moindre dégénérescence des motoneurones) que cliniques (amélioration de la motricité et allongement de la durée de vie).

Le profil de ce médicament étant déjà bien connu, son repositionnement dans la SMA pourrait en faire un bon candidat pour de potentiels essais cliniques.

Source

[Moxifloxacin rescues SMA phenotypes in patient-derived cells and animal model.](#)

Januel C, Menduti G, Mamchaoui K et al.

Cell Mol Life Sci. 2022 Jul 22;79(8):441.

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2022/09/29/la-moxifloxacin-un-antibiotique-dinteret-dans-la-sma/>

La moxifloxacin, un antibiotique d'intérêt dans l'amyotrophie spinale proximale

Une équipe d'I-STEM a identifié la moxifloxacin pour ses capacités à augmenter la production de protéine SMN lors d'un criblage sur des modèles cellulaires de molécules déjà commercialisées. Administré quotidiennement en sous-cutané à des souris modèles d'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA), cet antibiotique de la famille des quinolones :

- augmente la production de protéine SMN dans la moelle épinière et les muscles squelettiques,
- améliore le fonctionnement des jonctions neuromusculaire et réduit la neuroinflammation,
- améliore les performances motrices des souris et allonge leur durée de vie.

Voir aussi « [SMA : la moxifloxacin, un antibiotique plein de promesses !](#) »

Source

[Moxifloxacin rescues SMA phenotypes in patient-derived cells and animal model.](#)

Januel C, Menduti G, Mamchaoui K et al.

Cell Mol Life Sci. 2022 Jul 22;79(8):441.