

## Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

### Actualité AFM

[SMA et thérapie génique : quel taux d'anticorps anti-AAV9 chez l'adulte ? | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

### SMA et thérapie génique : quel taux d'anticorps anti-AAV9 chez l'adulte ?

**Une nouvelle étude montre que, comme les enfants, les adultes atteints d'amyotrophie spinale proximale présentent un faible taux d'anti-AAV9. Un résultat important dans la perspective d'une éventuelle thérapie génique avec le Zolgensma.**

Présenter un taux trop élevé d'anticorps anti-AAV peut être un critère d'exclusion d'un essai de [thérapie génique](#) utilisant un virus adéno-associé, ou AAV, comme moyen de transport pour apporter le gène thérapeutique. Le risque est que le système immunitaire du malade reconnaisse à tort cet AAV comme néfaste et diminue l'efficacité du produit de thérapie génique. Ce risque n'est pas anodin puisque nous sommes régulièrement exposés aux AAV dans la vie de tous les jours ; il augmenterait ainsi avec l'âge.

### Chez les adultes atteints de SMA

Dans [l'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1](#), l'un des traitements désormais autorisés est le produit de thérapie génique [Zolgensma \(ou onasemnogene abeparvovec\)](#). Il est composé d'un AAV9 qui cible plus particulièrement le système nerveux central et, ainsi, les motoneurons qui sont endommagés dans la SMA. Une étude avait montré que [les jeunes enfants atteints de SMA présentent un faible taux d'anti-AAV9](#), les rendant éligibles à recevoir du Zolgensma.

Pour savoir ce qu'il en est chez les adultes, des médecins allemands ont calculé le taux d'anticorps anti-AAV9 chez 69 adultes atteints de SMA de type II et III. Contrairement à ce qu'on aurait pu penser, ce taux est très faible dans la grande majorité des cas (94,7%) et n'augmente pas avec l'âge. Cette population pourrait donc elle aussi recevoir du Zolgensma, au vu de ce paramètre.

[Francesco Muntoni – Traitements de l'amyotrophie spinale et myopathie de Duchenne | #Myology2022 - YouTube](#)

### Source

[Prevalence of Anti-Adeno-Associated Virus Serotype 9 Antibodies in Adult Patients with Spinal Muscular Atrophy.](#)

*Stolte B, Schreiber-Katz O, Günther R et al.*

*Hum Gene Ther. 2022 Sep;33(17-18):968-976.*

---

### Actualité AIM

### Des faibles taux d'anti-AAV9 et ne dépendant pas de l'âge chez les adultes atteints de SMA

Des cliniciens allemands ont déterminé le taux d'anticorps anti-AAV9 chez 69 adultes atteints de SMA de type II et III. S'appuyant sur un seuil supérieur à 1/50 comme critère d'exclusion aux essais de thérapie génique du Zolgensma, ils ont mis en évidence :

- une faible prévalence de ce critère chez les adultes : seuls trois patients (4,3%) ont un taux supérieur à 1/50 ;

- une prévalence qui n'augmente pas avec l'âge ;

- un taux d'anti-AAV9 chez les adultes qui ne serait donc pas un frein à la prise du Zolgensma.

Un faible taux d'anti-AAV9 avait déjà été [démontré chez les jeunes enfants atteints de SMA](#).

Voir aussi « [SMA : quel taux d'anti-AAV9 présentent les adultes avant la thérapie génique ?](#) »

### Source

[Prevalence of Anti-Adeno-Associated Virus Serotype 9 Antibodies in Adult Patients with Spinal Muscular Atrophy.](#)

*Stolte B, Schreiber-Katz O, Günther R et al.*

*Hum Gene Ther. 2022 Sep;33(17-18):968-976.*