

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Pas d'actualité AFM

Actualité AIM

Un nouveau type de complication liée à la thérapie génique de l'amyotrophie spinale proximale

Des cliniciens italiens rapportent le cas d'un enfant de trois ans atteint de SMA de type 1 ayant développé une lymphohistiocytose hémophagocytaire (HLH) trois jours après une injection intraveineuse d'onasemnogène aboparvovec (Zolgensma®).

- Cette complication immunitaire rarissime s'est traduite par de la fièvre, un rash cutané, une hépato-splénomégalie et des perturbations biologiques (hypoplaquettose, leucopénie, augmentation de la LDH et des D-dimères).
- L'ensemble du tableau remplissait les critères diagnostiques d'une HLH.
- L'évolution a été favorable après augmentation de la dose journalière de corticothérapie.

L'HLH constitue donc un nouveau type de complication systémique de la thérapie génique de la SMA. Elle s'ajoute au risque de défaillance hépatique et à la microangiopathie thrombotique (MAT), deux effets indésirables précédemment rapportés.

Source

[Hemophagocytic lymphohistiocytosis following gene replacement therapy in a child with type 1 spinal muscular atrophy.](#)

Galletta F, Cucinotta U, Marseglia L, et al.

J Clin Pharm Ther. 2022 Sep;47(9):1478-1481.