

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Actualité AFM

[SMA de type II ou III : l'essai SAPPHIRE démarre en France, à I-Motion à Paris | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

SMA de type II ou III : l'essai SAPPHIRE démarre en France, à I-Motion à Paris

Cet essai va évaluer les effets d'un traitement qui cible le muscle, l'apitegromab, utilisé en complément d'un autre traitement qui agit sur la production de SMN, le nusinersen ou le risdiplam.

Associer deux traitements aux mécanismes d'action différents pour optimiser leur efficacité dans le traitement de [l'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 \(SMA\)](#)? Tel est l'objectif de l'essai international SAPPHIRE dont le recrutement démarre en novembre 2022 en France, à I-Motion (Paris).



Un anti-myostatine...

L'apitegromab (SRK-015) est un anti-myostatine : il va venir bloquer cette protéine - un inhibiteur naturel de la croissance musculaire - dans le but d'améliorer la force et augmenter la masse musculaire des patients atteints de SMA.

Évalué dans **un essai en ouvert de phase II appelé TOPAZ**, chez 58 participants atteints de SMA de type II ou III, âgés de 2 à 21 ans, il a démontré [ses capacités à améliorer leur fonction motrice](#).

...comme traitement complémentaire

Dans l'**essai SAPPHIRE, de phase III**, l'efficacité de l'apitegromab va être évaluée en complément d'un traitement par [nusinersen \(Spinraza\)](#) ou [risdiplam \(Evrysdi\)](#), qui agissent tous deux sur la production de protéine SMN, manquante dans la maladie. Le but est d'ainsi renforcer les effets de ces derniers en ciblant également directement le muscle des patients.

Cet essai [randomisé, en double aveugle](#), contre placebo concerne deux groupes de participants qui se distinguent par leur âge et vont recevoir l'apitegromab ou le placebo toutes les 4 semaines en intraveineuse pendant un an, en plus de leur traitement par nusinersen ou risdiplam :

- 156 participants atteints de SMA de type II ou III, âgés de 2 à 12 ans et non marchants,
- 48 participants atteints de SMA de type II ou III, âgés 13 à 21 ans et non marchants.

Source

Clinicaltrials.gov : [NCT05156320](#)

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2022/11/18/demarrage-de-lessai-sapphire-a-i-motion/>

Démarrage de l'essai SAPPHIRE à I-Motion

L'essai SAPPHIRE est un essai international de phase III, randomisé, en double aveugle, contre placebo qui va évaluer les effets d'un double traitement :

- l'apitegromab (un anti-myostatine développé par *Scholar Rock*) injecté en intraveineuse toutes les 4 semaines pendant un an,

- en complément d'un traitement par nusinersen ou risdiplam,
- chez des patients atteints de SMA de type II ou III et non marchants, 156 âgés de 2 à 12 ans et 48 âgés de 13 à 21 ans.

L'apitegromab a déjà montré [des résultats positifs sur la fonction motrice](#) au cours de l'essai TOPAZ auprès de 58 patients atteints de SMA de type II ou III, âgés de 2 à 21 ans.

Source

Clinicaltrials.gov : [NCT05156320](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05156320)