

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Pas d'actualité AFM

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2023/02/13/comment-concilier-calendrier-vaccinal-et-therapie-genique-chez-les-nourrissons-atteints-de-sma/>

Comment concilier calendrier vaccinal et thérapie génique chez les nourrissons atteints d'amyotrophie spinale ?

La thérapie génique est devenue une option thérapeutique pour de nombreux nourrissons atteints de formes graves d'amyotrophie spinale (SMA) et demain pour ceux qui auront été diagnostiqués à un stade présymptomatique grâce au dépistage néonatal. Des chercheurs polonais se sont penchés sur les conséquences pratiques d'une telle approche thérapeutique sur la façon de vacciner ces enfants.

- Aucune recommandation en la matière n'existe à l'échelle internationale.
- Or, les enfants traités par thérapie génique reçoivent une corticothérapie prolongée (d'une durée minimum d'un mois, parfois beaucoup plus) afin d'éviter une réaction immunitaire et/ou une toxicité hépatique.
- Le comité chargé des vaccinations en Pologne a émis ses premières recommandations en la matière et celles-ci pourraient faire école ailleurs dans le monde.
- Sont particulièrement concernées les mesures de protection contre la tuberculose, le BCG étant pratiquée ordinairement dans les premiers mois de vie des enfants.

Source

[*Newborn screening and gene therapy in SMA: Challenges related to vaccinations.*](#)

Kotulska K, Jozwiak S, Jedrzejowska M et al.

Front Neurol. 2022 (Nov).