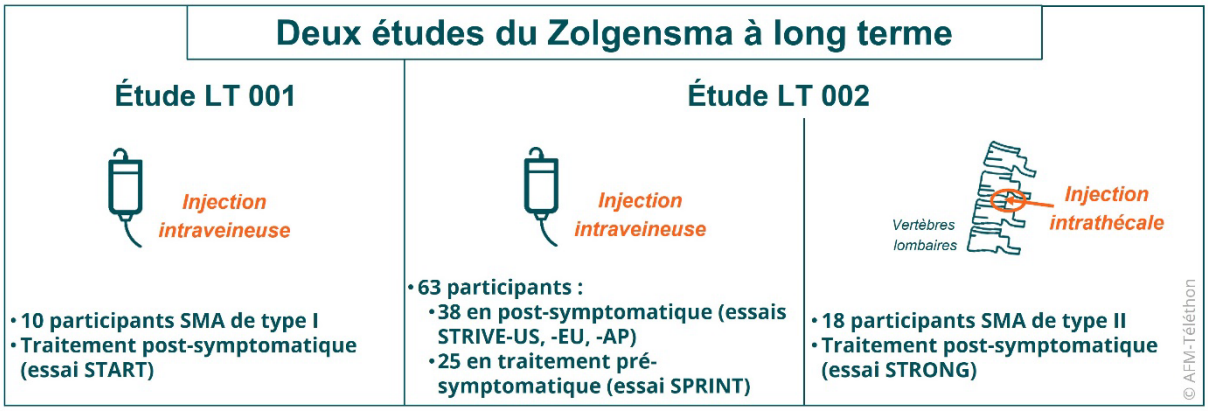
Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Actualité AFM
SMA : des effets positifs durables pour le Zolgensma | AFM Téléthon (afm-telethon.fr)

SMA : des effets positifs durables pour le Zolgensma

Alors que plus de 3000 enfants atteints d'amyotrophie spinale proximale ont été traités à ce jour par Zolgensma (dont 80 en France), de nouveaux résultats des études de suivi avec le produit de thérapie génique confirment son efficacité au long cours, plus particulièrement s'il est injecté avant l'apparition des premiers symptômes de la maladie.

Selon un communiqué de presse du laboratoire *Novartis* publié le 20 mars 2023, les résultats intermédiaires de deux études de suivi du Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) montrent que ses effets bénéfiques se maintiennent sur le long terme, quel que soit le mode d'injection étudié.



Résultats de l'étude LT 001
Cette étude concerne 10 des 15 nourrissons du tout premier essai clinique du Zolgensma, l'essai START, qui se poursuit sur une durée de 15 ans. Ces participants atteints de SMA de type I avaient été traités par Zolgensma avant l'âge de 6 mois, mais après l'apparition des premiers symptômes (en post-symptomatique).
Après un suivi moyen de 6,86 ans, tous les enfants sont en vie. Leur développement moteur est maintenu ou continue de s'améliorer. Aucun n'a besoin d'une ventilation permanente et tous sont capables de s'alimenter par la bouche (dont 40% sans aucune aide). Trois participants sont capables de se mettre debout avec une aide.

Résultats de l'étude LT 002
Cette étude de suivi au long cours, sur 15 ans également, regroupe des participants de plusieurs essais cliniques, traités en pré- ou en post-symptomatique, par voie intraveineuse ou intrathécale.
Après un suivi moyen de 3,4 ans est observé chez tous les participants, quel que soit l'essai, un maintien au cours du temps des acquisitions motrices obtenues. Concernant les 25 participants traités avant l'apparition des premiers symptômes (en présymptomatique), avant l'âge de 6 semaines, tous ont continué de progresser dans leur développement moteur et sont capables de marcher seuls.
Près de 90% des participants traités en post-symptomatique par voie intraveineuse sont capables de s'assoir de façon autonome. Les 18 participants atteints de SMA de type II traités en post-symptomatique par voie intrathécale ont tous vu leur développement moteur se stabiliser ou s'améliorer.

Fait important, une majorité des participants (57 sur 81) n'a pas reçu d'autres traitements innovants complémentaires (Spinraza ou Evrysdi). La prise d'un second traitement par 22 participants ne semble améliorer le développement moteur que pour la moitié d'entre eux.

Source
Novartis shares Zolgensma long-term data demonstrating sustained durability up to 7.5 years post-dosing; 100% achievement of all assessed milestones in children treated prior to SMA symptom onset.
Novartis. Communiqué de presse du 20 mars 2023.

Actualité AIM
https://www.institut-myologie.org/2023/03/24/de-nouveaux-resultats-du-zolgensma-sur-le-long-terme/

De nouveaux résultats du Zolgensma sur le long terme

Dans un communiqué de presse en date du 20 mars 2023, le laboratoire *Novartis* présente de nouveaux résultats du Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) provenant de deux études de suivi sur 15 ans :
- l'étude LT 001 est menée chez 10 participants de l'essai START qui avaient été traités en post-symptomatique par voie intraveineuse avant l'âge de 6 mois : tous sont en vie, capables de s'alimenter par voie orale et n'ont pas besoin de ventilation permanente. Six d'entre eux se mettent debout avec une assistance.
- l'étude LT 002 concerne des participants traités par voie intraveineuse (provenant des différents essais STR1VE en post-symptomatique et de l'essai SPR1NT en présymptomatique) ou par voie intrathécale (provenant de l'essai STRONG en post-symptomatique) : dans tous les cas, le développement moteur s'est maintenu ou s'est amélioré et tous les participants traités en présymptomatique ont la capacité de marcher seul.

Voir aussi « SMA: des effets positifs durables pour le Zolgensma »

Source
Novartis shares Zolgensma long-term data demonstrating sustained durability up to 7.5 years post-dosing; 100% achievement of all assessed milestones in children treated prior to SMA symptom onset.
Novartis. Communiqué de presse du 20 mars 2023.