

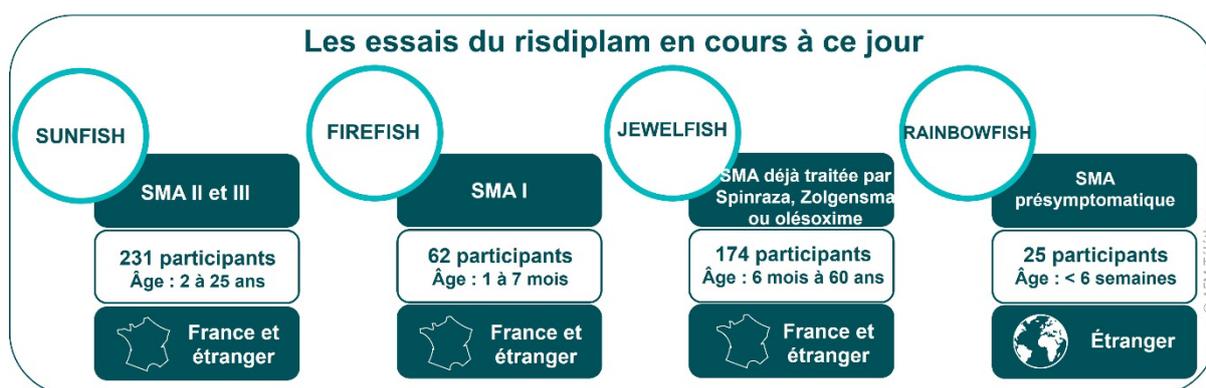
Amyotrophie spinale proximale

Actualité AFM

[SMA : les effets bénéfiques du risdiplam \(Evrysdi\) se confirment dans le temps | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

SMA : les effets bénéfiques du risdiplam (Evrysdi) se confirment dans le temps
Les essais cliniques évaluant le médicament dans différents types d'amyotrophie spinale proximale continuent d'apporter des résultats positifs, jusqu'à deux ans de suivi.

Bien que [le risdiplam \(Evrysdi\)](#) soit disponible sur le marché, ses effets au long cours continuent d'être évalués dans le cadre de quatre essais cliniques conduits auprès de différentes populations de personnes atteintes d'[amyotrophie spinale proximale liée à SMN1](#).



L'essai SUNFISH : résultats à 2 ans

Après une première partie de [l'essai SUNFISH](#), d'une durée de trois mois, qui a permis d'identifier la dose optimale du produit à utiliser, une deuxième partie a évalué l'efficacité du risdiplam à plus long terme dans la SMA de type II et III : certains participants ont reçu le traitement pendant deux ans, alors que d'autres ont reçu d'abord le placebo pendant un an puis le risdiplam pendant un an.

Une nouvelle publication vient de montrer que [les améliorations de la fonction motrice obtenues après un an de traitement sont maintenues \(pour 58% des participants\) ou augmentées \(pour 32%\) après deux ans sous risdiplam](#). Même si elle est moins forte qu'après deux ans de traitement par risdiplam, une amélioration ou une stabilisation de la fonction motrice a aussi été notée chez les patients qui ont reçu le placebo pendant un an avant de bénéficier du risdiplam pendant un an.

L'essai FIREFISH : résultats à 2 ans

[L'essai FIREFISH](#), dans la SMA de type I, comporte également deux parties, une première d'une durée d'un mois et une seconde, en ouvert, au cours de laquelle tous les participants ont reçu le risdiplam pendant deux ans. Au terme de ces deux années de suivi, un peu moins de la moitié (44% des participants) étaient capables de **s'asseoir sans soutien pendant au moins 30 secondes**. Les gains de fonction motrice obtenus après un an de traitement perdurent après deux ans. En revanche, aucun participant n'était capable de tenir debout seul ou de marcher seul, ce qui pourrait s'expliquer par un âge médian au moment de l'inclusion à l'essai relativement tardif, de 5 mois.

L'essai JEWELFISH : résultats à 1 an

Évaluant le risdiplam pendant deux ans chez des participants atteints de SMA de type I, II et III, âgés de 6 mois à 60 ans et déjà traités par nusinersen (Spinraza), olésoxime ou onasemnogene abeparvovec (Zolgensma), l'essai JEWELFISH a livré ses premiers résultats : **après un an de traitement, le risdiplam a été bien toléré par les participants**.

Pour en savoir plus : [les médicaments autorisés dans la SMA](#)

L'essai RAINBOWFISH : résultats à 1 an

Des résultats préliminaires après un an de traitement de bébés présymptomatiques âgés de moins de 6 semaines à la première dose ont montré qu'ils étaient **tous vivants et ne nécessitaient pas de ventilation permanente**. Leurs capacités à s'alimenter et déglutir étaient également maintenues.

[Dépistage... - Groupe d'intérêt Amyotrophies Spinales SMA | Facebook](#)

Source

[Two-year efficacy and safety of risdiplam in patients with type 2 or non-ambulant type 3 spinal muscular atrophy \(SMA\).](#)

Oskoui M, Day JW, Deconinck N et al.
J Neurol. 2023 Feb.

[Safety and efficacy of risdiplam in patients with type 1 spinal muscular atrophy \(FIREFISH part 2\): secondary analyses from an open-label trial.](#)

Masson R, Mazurkiewicz-Beldzińska M et al.
Lancet Neurol. 2022 Dec.

[Risdiplam in Patients Previously Treated with Other Therapies for Spinal Muscular Atrophy: An Interim Analysis from the JEWELFISH Study.](#)

Chiriboga CA, Bruno C, Duong T et al.
Neurol Ther. 2023 Feb.

[Roche to present new data from its expanding neuromuscular disease portfolio at World Muscle Society 2022.](#) Roche. Communiqué de presse du 5 octobre 2022

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2023/03/31/nouveaux-resultats-de-lessai-sunfish-et-jewelfish-avec-le-risdiplam-dans-la-sma/>

Nouveaux résultats de l'essai SUNFISH et JEWELFISH avec le risdiplam dans l'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Dans deux publications de février 2023, les résultats de deux essais cliniques évaluant le risdiplam (Evrysdi) dans la SMA de type II et III (essai SUNFISH) et chez des participants déjà traités par nusinersen (Spinraza), onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) ou olésoxime (essai JEWELFISH) montrent :

- pour l'essai SUNFISH : les gains de la fonction motrice obtenus après 12 mois de traitement ont été maintenus ou améliorés après 24 mois de traitement.
- pour l'essai JEWELFISH : après un an, le traitement est bien toléré par les 174 participants.

Voir aussi « [SMA : les effets bénéfiques du risdiplam \(Evrysdi\) se confirment dans le temps](#) »

Source

[Two-year efficacy and safety of risdiplam in patients with type 2 or non-ambulant type 3 spinal muscular atrophy \(SMA\).](#)

Oskoui M, Day JW, Deconinck N et al.
J Neurol. 2023 Feb.

[Risdiplam in Patients Previously Treated with Other Therapies for Spinal Muscular Atrophy: An Interim Analysis from the JEWELFISH Study.](#)

Chiriboga CA, Bruno C, Duong T et al.
Neurol Ther. 2023 Feb.