

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Actualité AFM

Pas d'actualité AIM

[SMA : coup de projecteur sur six essais cliniques en cours | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

SMA : coup de projecteur sur six essais cliniques en cours

Bien que l'amyotrophie spinale proximale dispose désormais de trois médicaments, différents essais cliniques continuent d'évaluer ces traitements ainsi que d'autres candidats-médicaments. Zoom sur certains d'entre eux.

Des traitements dans la SMA présymptomatique

De nouveaux résultats d'essais cliniques avec les trois traitements autorisés ont été récemment dévoilés dans [l'amyotrophie spinale proximale \(SMA\)](#) présymptomatique, c'est-à-dire avant l'apparition des premiers symptômes de la maladie

3 essais cliniques dans la SMA présymptomatique

Essai NURTURE

- 25 nouveau-nés
- Traités par **Spinraza**
- Avant l'âge de 6 semaines
- En cours à l'étranger

Essai SPR1NT

- 30 nouveau-nés
- Traités par **Zolgensma**
- Avant l'âge de 6 semaines
- Terminé (à l'étranger)

Essai RAINBOWFISH

- 25 nouveau-nés
- Traités par **Evrysdi**
- Avant l'âge de 6 semaines
- En cours à l'étranger

© AFM-Téléthon

Essai NURTURE

De nouveaux résultats confirment les bénéfices du Spinraza dans le temps : tous les enfants, âgés de 4,9 ans en moyenne, sont vivants et aucun n'a besoin d'une assistance respiratoire permanente.

- [Voir le résumé de l'article](#) (en anglais).

- En savoir plus sur [le Spinraza](#).

Essai SPR1NT

Une sous-analyse de ses résultats met en évidence des effets positifs du produit de thérapie génique Zolgensma sur la fonction bulbaire : tous les participants sont capables d'avaler normalement, de s'alimenter par voie orale, avec maintien d'une stabilité respiratoire.

- [Voir le résumé de l'article](#) (en anglais).

- En savoir plus sur [le Zolgensma](#).

Essai RAINBOWFISH

Après un an de traitement, une grande majorité (80%) des jeunes enfants sont capables de s'asseoir seul pendant au moins 30 secondes. Par ailleurs, tous les nourrissons peuvent avaler et se nourrir par voie orale ; aucun n'a recours à une ventilation permanente.

- [Voir le communiqué de presse de Roche](#) (en anglais).

- En savoir plus sur [l'Evrysdi](#).

Des molécules ne ciblant pas directement SMN

En parallèle des traitements agissant directement sur la production de SMN - la protéine manquante dans la SMA - d'autres traitements sont développés pour cibler directement le muscle par exemple, à l'image des anti-myostatines, ou d'un nouveau candidat-médicament qui vise un canal chlore.

3 essais cliniques ciblant le muscle

Essai SAPPHERE

- 188 participants SMA II ou III, non marchants, déjà sous Spinraza ou Evrysdi
- Traités par **l'apitegromab (anti-myostatine)**
- En France et à l'étranger

Essai RESILIENT

- 269 participants SMA déjà sous Spinraza ou Zolgensma ou Evrysdi
- Traités par **taldefgrobep alfa (anti-myostatine)**
- À l'étranger

Essai SYNAPSE-SMA

- 54 adultes SMA III, marchants
- Traités par **NMD670 (inhibiteur de CIC-1)**
- À l'étranger

© AFM-Téléthon

Essai SAPPHIRE

Le recrutement des participants, âgés de 2 à 21 ans, a été annoncé comme terminé. Alors que cet essai de phase III évalue les effets sur un an d'un double traitement associant le Spinraza ou l'Evrysdi avec l'apitegromab, celui-ci est également évalué seul dans le cadre de l'essai TOPAZ, de phase II, où il continue de montrer des effets positifs sur l'amélioration de la fonction motrice après trois ans de traitement.

- [Voir le communiqué de presse de Scholar Rock](#) (en anglais)
- [Voir les informations sur l'essai SAPPHIRE](#) (en anglais).

Essai RESILIENT

Cet essai, de phase III, a lui aussi terminé de recruter ses participants afin d'évaluer pendant un an la sécurité et l'efficacité du taldefgrobep alfa en complément de l'un des trois traitements autorisés.

- [Voir le communiqué de presse de Biohaven](#) (en anglais)
- [Voir les informations sur l'essai RESILIENT](#) (en anglais).

Essai SYNAPSE-SMA

Ce nouvel essai, de phase II, a démarré récemment afin de déterminer la sécurité d'utilisation, la tolérance et l'efficacité d'un inhibiteur du canal chlore CIC-1, le NMD670, contre placebo pendant 21 jours. Déjà évalué dans [la myasthénie auto-immune](#), il devrait cibler le muscle et améliorer la transmission neuromusculaire.

- [Voir le communiqué de presse de NMD](#) (en anglais)
- [Voir les informations sur l'essai SYNAPSE-SMA](#) (en anglais).

■ Pour en savoir plus sur [les essais dans la SMA en cours ou en préparation en France](#)