

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Actualité AFM

[SMA : le Zolgensma est-il efficace chez des enfants plus âgés et de plus de 8,5 kg ? | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

SMA : le Zolgensma est-il efficace chez des enfants plus âgés et de plus de 8,5 kg ?
Les résultats de l'essai SMART démontreraient de nouveaux bénéfices cliniques du produit de thérapie génique chez des enfants âgés de 5 ans en moyenne, pesant jusqu'à 21 kg et, pour la première fois, pouvant avoir bénéficié d'un autre médicament innovant au préalable.

À ce jour, [le Zolgensma](#) est disponible en Europe par le biais d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle pour les bébés et jeunes enfants pesant moins de 21 kg et présentant une [amyotrophie spinale proximale \(SMA\)](#) de type I ou ayant moins de trois copies du gène SMN2. Cependant, la majorité des données disponibles sur ce produit de thérapie génique concernait des jeunes enfants, de moins de deux ans et pesant moins de 13,5 kg.

Plus largement efficace

Dans le cadre de l'essai SMART d'une durée d'un an, le Zolgensma a été administré par voie intraveineuse chez 24 enfants symptomatiques, âgés entre 1,5 et 9 ans, d'un poids allant de 8,5 à 21 kg et qui pour certains (87,5% des participants) avaient bénéficié avant d'une autre thérapie innovante ([Spinraza](#) ou [Evrystdi](#)).

De nouveaux résultats de cet essai, publiés par un communiqué de presse le 4 mars 2024 du laboratoire Novartis et présentés à l'occasion du congrès annuel de la *Muscular Dystrophy Association* (MDA), mettent en évidence après un an de traitement la bonne tolérance et l'efficacité du produit dans cette population pédiatrique : les fonctions motrices de la plupart des participants sont restées stables ou se sont améliorées. Trois participants ont acquis la capacité à se mettre debout avec une aide et un autre, à marcher avec une aide. Les six participants capables de marcher au début de l'essai ont gardé cette faculté jusqu'à la fin de l'étude.

Source

[Novartis presents new data on safety and efficacy of Zolgensma, including maintained and improved motor milestones in older and heavier children with SMA.](#) Novartis. Communiqué de presse du 4 mars 2024.

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2024/03/12/nouveaux-resultats-de-lessai-smart-avec-le-zolgensma-dans-lamyotrophie-spinale-proximale/>

Nouveaux résultats de l'essai SMART avec le Zolgensma dans l'amyotrophie spinale proximale

Les résultats de l'essai SMART, d'une durée d'un an, avec le produit de thérapie génique Zolgensma ont été annoncés par Novartis par voie de communiqué de presse et présentés au congrès annuel de la *Muscular Dystrophy Association* (MDA) :

- cet essai a concerné 24 enfants atteints d'amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 (SMA) symptomatiques, âgés de 1,5 à 9 ans, pesant entre 8,5 et 21 kg et ayant, pour 87,5% d'entre eux, arrêté une autre thérapie innovante avant leur inclusion.
- au bout d'un an, les fonctions motrices de la plupart des participants ont été maintenues ou améliorées avec une augmentation des scores RULM et HFMSE.
- une grande majorité (95,8 %) des participants qui pouvait s'asseoir avec un léger soutien ont gardé cette capacité jusqu'à la fin de l'étude.
- trois patients ont acquis la capacité à se mettre debout avec aide et un à marcher avec aide.
- les six participants qui pouvaient marcher au début de l'essai étaient toujours marchants à la fin de l'étude.
- des augmentations des transaminases ou des thrombocytopénies transitoires asymptomatiques ont été observées chez plus de la moitié des participants et ont bénéficié d'un traitement approprié.

Source

[Novartis presents new data on safety and efficacy of Zolgensma, including maintained and improved motor milestones in older and heavier children with SMA.](#) Novartis. Communiqué de presse du 4 mars 2024.