

Registre SMA France - Billet du lundi n° 66 (C-FR)

Date de génération du document : 02/09/2025

Date d'extraction de base : 31/08/2025

REGISTRE FRANÇAIS DES PATIENTS AVEC AMYOTROPHIE SPINALE

Responsable :	APHP - URC APHP Paris Saclay Ouest
Coordinateur médical et scientifique :	Pr. Susana Quijano-Roy
Responsable scientifique et méthodologique :	Pr. Lamiae Grimaldi
Président du comité de pilotage :	Dr Andoni Urtizberea
Médecins curateurs :	Dr Rocío García Uzquiano & Dr Juliette Ropars
Chefs de projet étude :	Achraf Ettaqi / Nawal Derridj / Amel Ouslimani
ARC :	Christophe Brebant / Charles Cousin / Nouara Massout / Adel Rekouche
Data managers :	Nicolás Gutiérrez Melo / Damien Pires
Statisticienne :	Lionelle Nkam, Ph.D.

Ce registre est promu par l'APHP et réalisé grâce au soutien de Biogen, Roche et Novartis.

Informations préliminaires

Chers tous,

Grâce à l'implication de tous les participants, à la date du 31/08/2025, **1460 patients ont accepté de participer**, au moins à minima, au registre SMA (**1437 patients ayant consenti à participer pleinement** et 23 patients participants par un nombre minimal de données anonymisées). Il s'agit de **673 enfants et 787 adultes**.

Avec aujourd'hui **62 centres ouverts** dont **62 actifs**, le registre SMA se compose d'une grande équipe investie au quotidien pour obtenir un registre avec une base de données de très grande qualité. Notre objectif est de parvenir au fait que le Registre SMA France soit à jour en termes de données recueillies, quasi simultanément que dans le soin et de manière régulière afin de permettre une exploitation rapide et efficace des données de l'ensemble des patients inclus par les médecins, les chercheurs et les autorités publiques.

N'hésitez pas à contacter l'équipe SMA (sma.team@aphp.fr) pour toute question ou besoin

Date de la première inclusion	30/01/2020
Date de la dernière inclusion avant l'extraction	28/08/2025
Nombre d'enregistrements de patients dans le registre	1467
Nombre de patients ayant refusé de participer (aucune donnée collectée)	7
Nombre de patients avec des données analysables	1460
Nombre de patients ayant consenti pleinement au registre	1437
Nombre de patients participant par un nombre minimal de données anonymisées	23
Nombre de centres ouverts	62 / 64

Situation actuelle sur le registre

Centres participants

Actuellement 64 centres ont donné leur accord de participation :

- 32 centres pédiatriques
- 29 centres adultes
- 3 centres mixtes

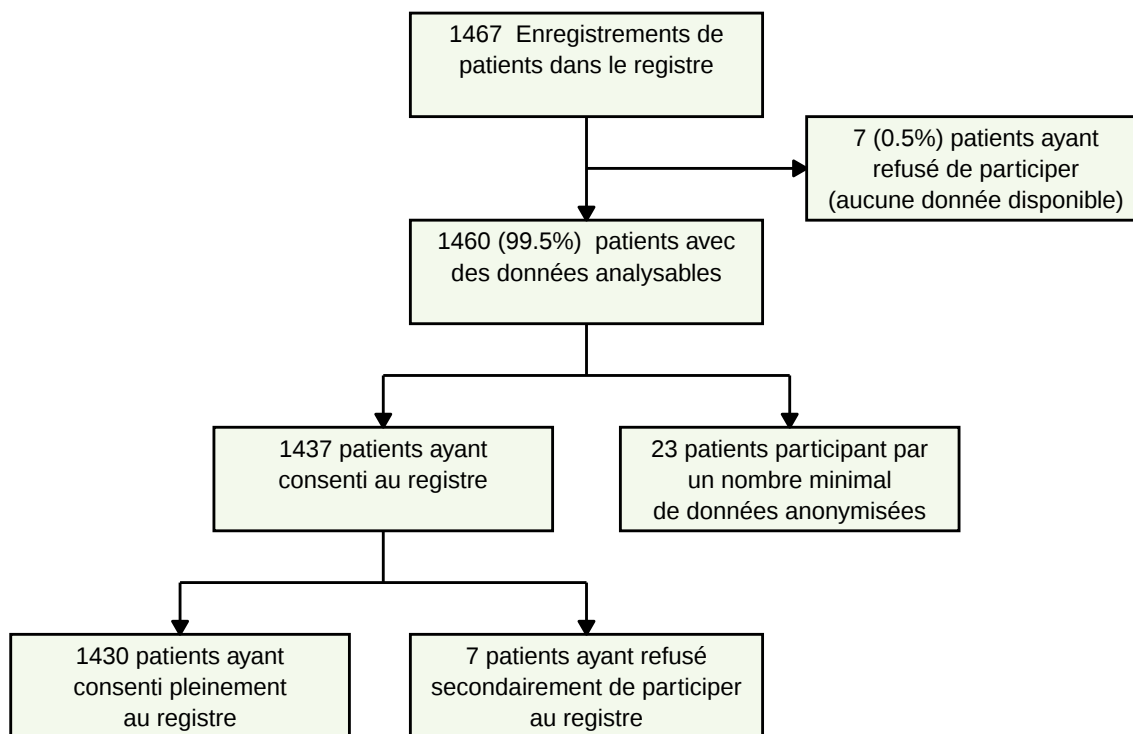
Sur ces 64 centres sélectionnés initialement, l'ouverture du registre SMA a eu lieu dans les 62 suivants :

Code	Nom du centre	Date de mise en place	Code	Nom du centre	Date de mise en place
001	Garches (RPC) - Pédiatrie	30/01/2020	034	Reims - Pédiatrie	08/10/2020
002	Garches (RPC) - Adultes	12/02/2020	035	Martinique - Adultes	16/03/2021
003	Paris (PSL) - Adultes	14/04/2020	036	La Réunion - Pédiatrie 1	03/02/2021
004	Paris (NCK) - Pédiatrie	13/03/2020	037	Marseille - Pédiatrie	22/09/2020
005	Créteil (HMN) - Adultes	23/08/2021	038	Angers - Pédiatrie	01/10/2020
006	Paris (TRS) - Pédiatrie	21/02/2020	039	La Martinique - Pédiatrie	16/03/2021
007	Brest - Pédiatrie	21/10/2020	040	Lille - Pédiatrie	09/12/2020
008	Montpellier - Pédiatrie	26/11/2020	041	La Réunion - Pédiatrie 2	28/04/2022
009	Montpellier - Adultes	26/11/2020	042	Garches (RPC) - Réanimation	24/08/2020
010	Bordeaux - Pédiatrie	11/12/2020	044	Brest - Adultes	23/02/2021
011	Bordeaux - Adultes	02/11/2020	045	Limoges- Adultes	23/02/2021
012	Nantes - Adultes/Pédiatrie	14/09/2020	046	Nice - Pédiatrie	13/11/2020
013	Lille - Adultes	03/08/2020	047	Besançon - Pédiatrie	26/04/2022
014	Strasbourg - Pédiatrie	14/12/2020	048	Amiens - Pédiatrie	22/04/2021
015	Strasbourg - Adultes	14/12/2020	049	Amiens - Adultes	30/09/2024
016	Lyon - Pédiatrie	22/09/2020	050	Angers - Adultes	08/03/2021
017	Lyon - Adultes	29/04/2021	051	Bayonne - Pédiatrie	04/05/2021
018	Marseille - Adultes	22/09/2020	052	Bayonne - Adultes	04/05/2021
019	La Réunion - Adultes	03/02/2021	053	Limoges - Pédiatrie	20/05/2021
021	Dijon - Adultes/Pédiatrie	03/07/2020	054	Clermont-Ferrand - Pédiatrie	21/06/2021
022	Nancy - Pédiatrie	03/07/2020	055	Saint-Etienne - Pédiatrie	15/11/2021
023	Nancy - Adultes	03/07/2020	056	Reims - Adultes	28/06/2022
024	Rouen - Pédiatrie	18/06/2020	057	Saint-Etienne - Adultes	15/11/2021
025	Caen - Pédiatrie	18/06/2020	058	Rouen - Adultes	07/10/2021
026	Grenoble - Adultes/Pédiatrie	23/09/2020	059	Caen - Adultes	14/09/2021
027	Toulouse - Adultes	06/10/2020	060	Pau - Pédiatrie	28/10/2021
028	Toulouse - Pédiatrie	13/08/2020	061	Rennes - Pédiatrie	27/09/2021
029	Tours - Pédiatrie	17/04/2020	062	Rennes - Neurologie	27/09/2021
030	Bicêtre (BCT) - Pédiatrie	01/04/2020	063	Besançon - Adultes	05/05/2022
031	Bicêtre (BCT) - Adultes	01/04/2020	064	Clermont-Ferrand - Adultes	20/03/2023
033	Nice - Adultes	24/09/2020	065	Cayenne - Pédiatrie	10/10/2023

Inclusions

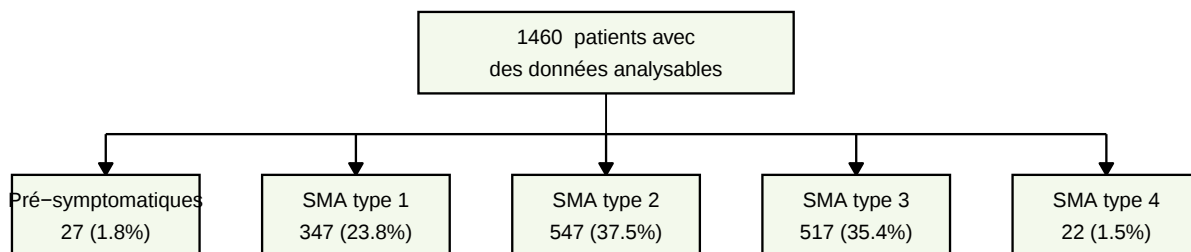
A. Diagram de flux général

Données au 31/08/2025



B. Diagram de flux par type de SMA

Données au 31/08/2025

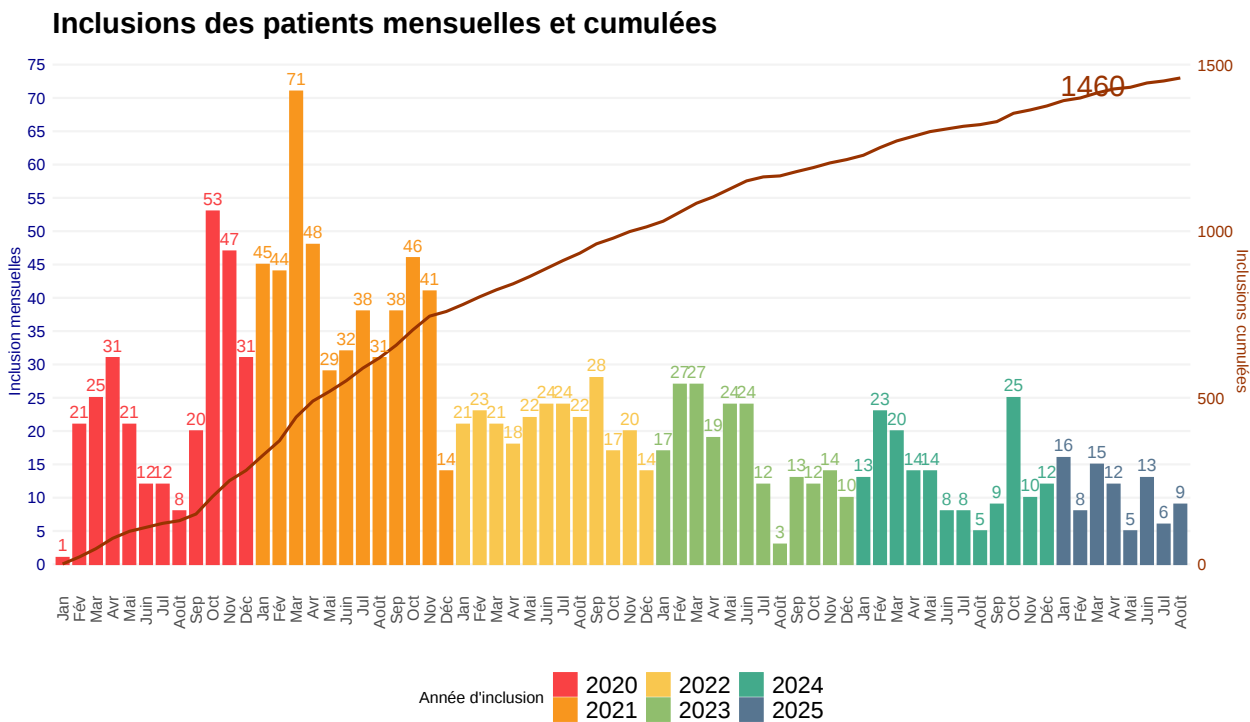


Situation actuelle sur les inclusions dans l'étude

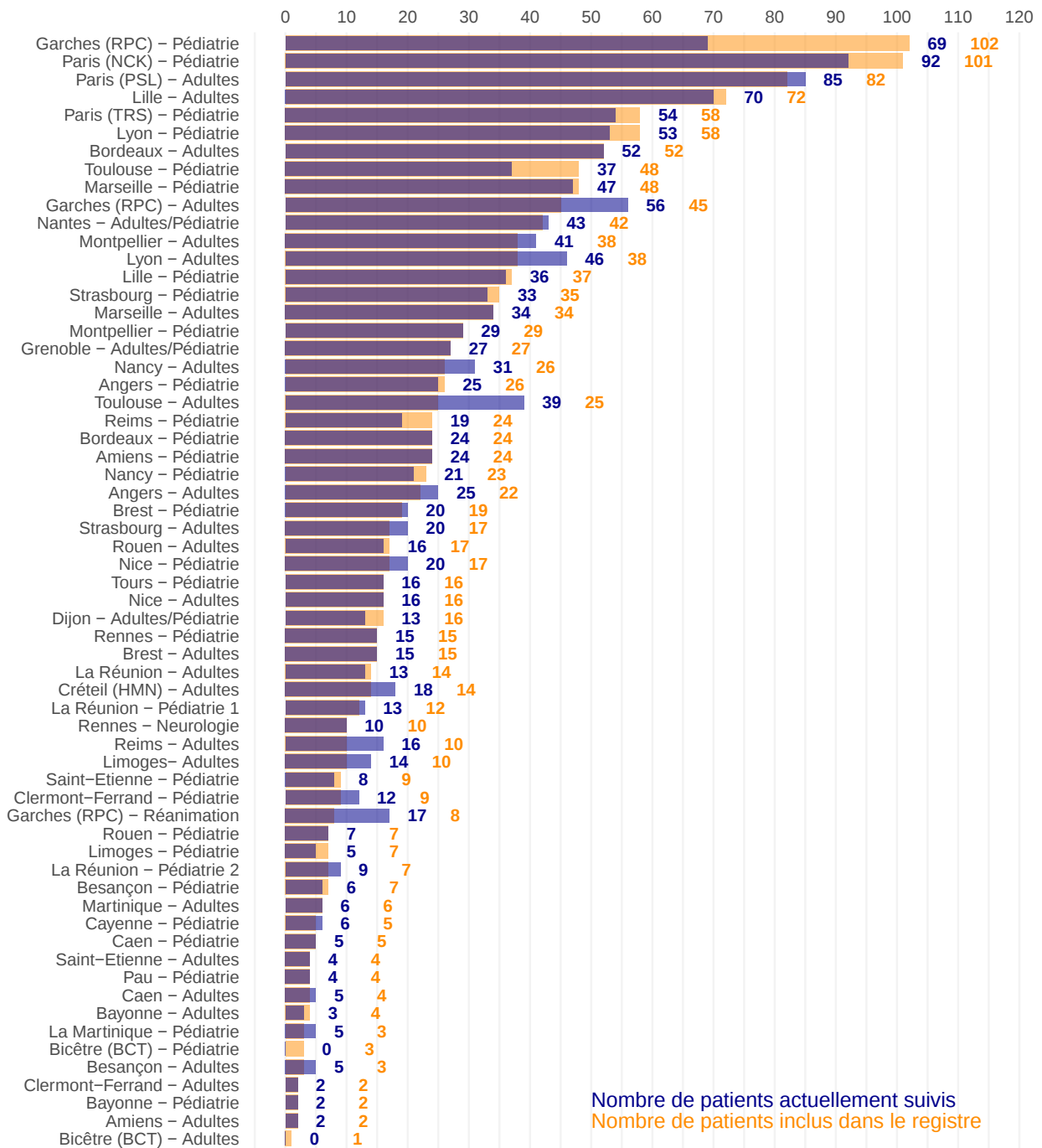
Extraction de la base réalisée le : 2025-08-31

Analyse fait sur 1460 (dont 184 décédés) :

- 787 (54%) adultes
- 673 (46%) enfants

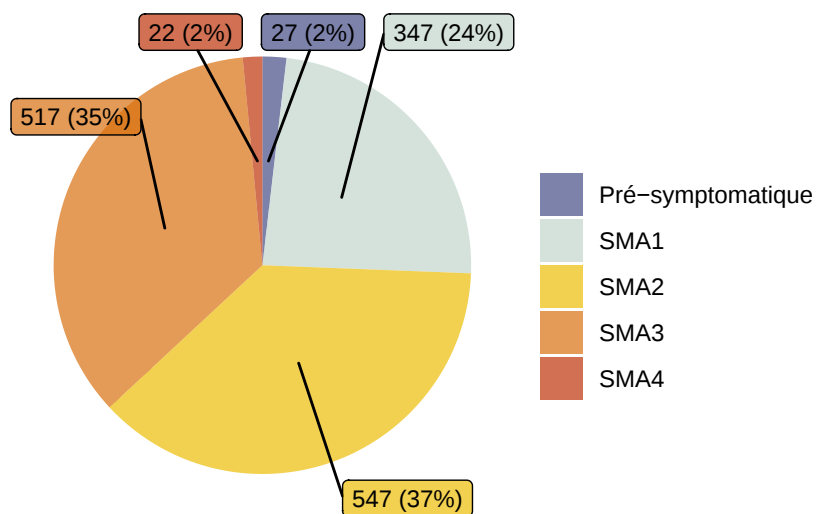


Répartition des patients par centre

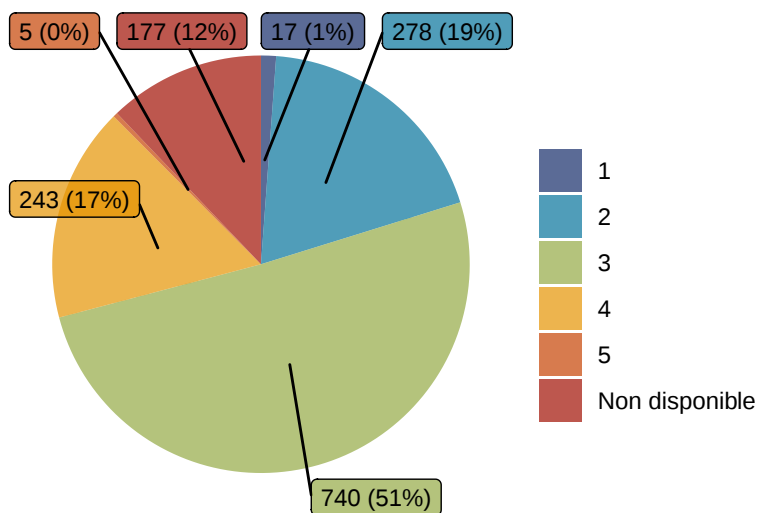


Profil des patients dans le registre

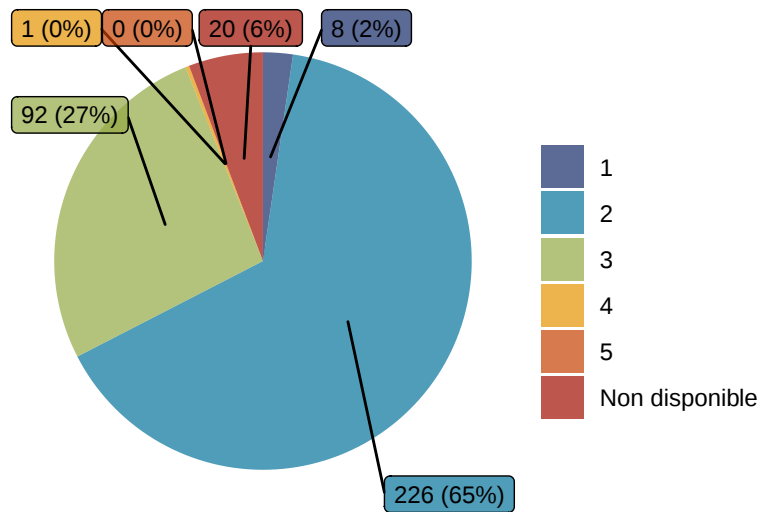
Répartition du type de SMA sur 1460 patients



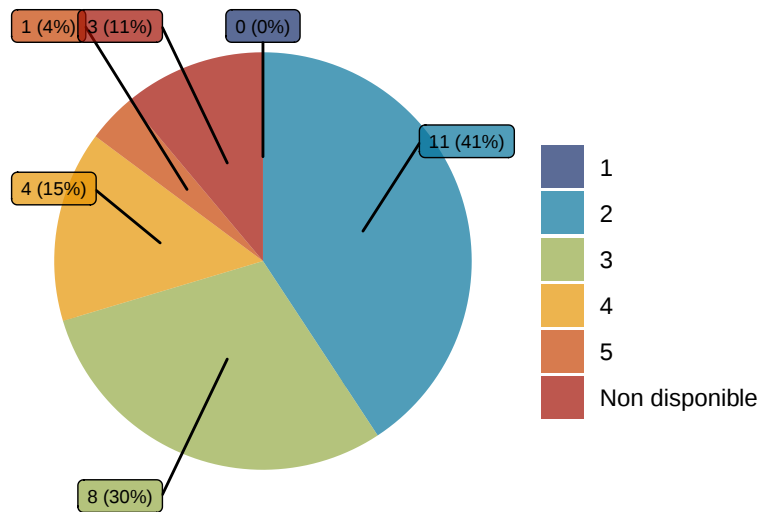
Répartition du nombre de copies SMN2 sur 1460 patients



Répartition du nombre de copies SMN2 sur 347 patients de type 1

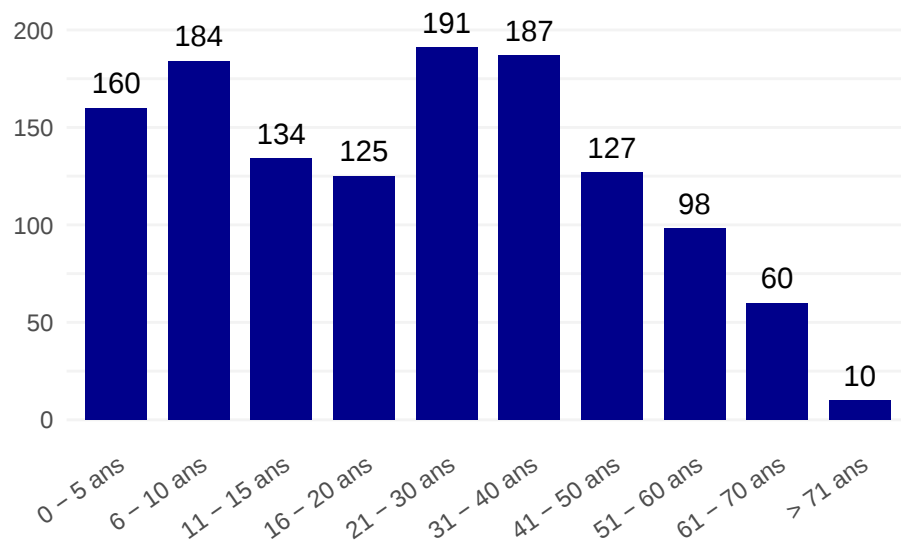


Répartition du nombre de copies SMN2 sur 27 patients pré-symptomatiques

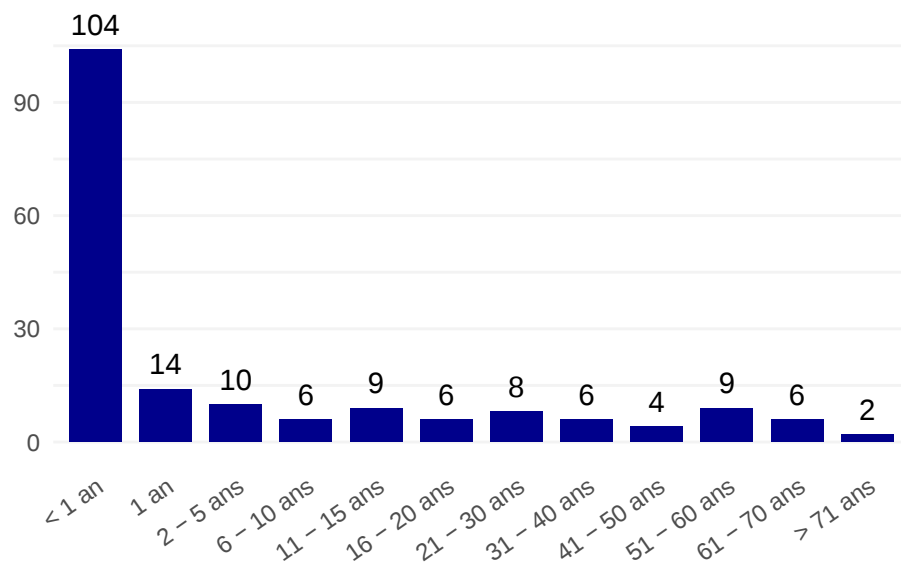


Répartition de l'âge

Répartition de l'âge des patients sur 1276 patients vivants



Répartition de l'âge de décès des patients sur 184 patients décédés

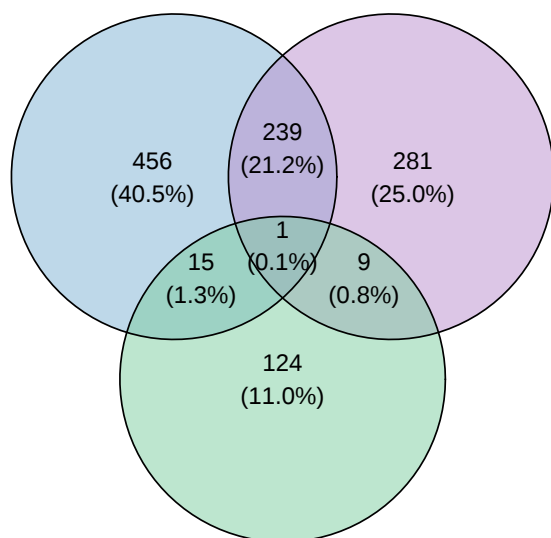


Répartition des traitements SMA

ATTENTION ! INFORMATION A NE PAS DIFFUSER EN DEHORS DES MEDECINS HOSPITALIERS PRENANT EN CHARGE LES PATIENTS SMA ET LEURS EQUIPES

Répartition des traitements sur 1125 patients*

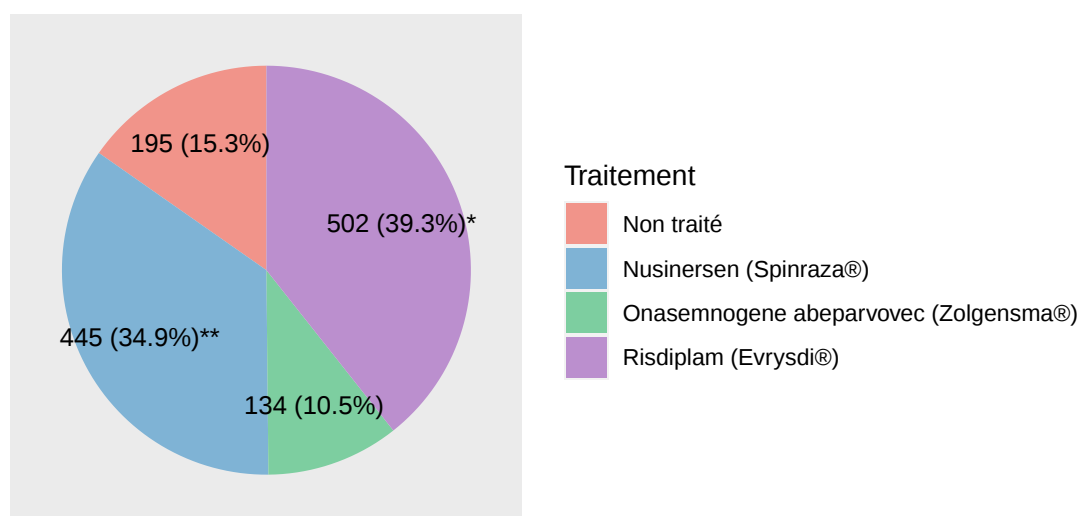
Spinraza® (Nusinersen) Evrysdi® (Risdiplam)



Zolgensma® (Onasemnogene abeparvovec)

*335 patients dans le registre, dont 140 décédés, n'ont pas reçu aucun traitement spécifique à la SMA.

Répartition du dernier traitement reçu pour les 1276 patients vivants



* Nombre de patients traités par Zolgensma® avant Evrysdi® : 10

** Nombre de patients traités par Zolgensma® avant Spinraza® : 2