

# REGISTRE FRANCAIS DES PATIENTS AVEC UNE AMYOTROPHIE SPINALE (REGISTRE SMA FRANCE)

## Newsletter Janvier 2025

**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 Rocio Garcia Uzquiano et Dr Juliette Ropars

**Cheffes de projet étude** : Mr Achraf Ettaqi / Mmes Nawal Derridj / Amel Ouslimani

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

### Mot de l'équipe

Chers tous,

Grâce à l'implication de tous les participants, à la date du 05 février 2025, **1394 patients ont accepté de participer, au moins à minima, au registre SMA (1371 patients ayant consenti à participer pleinement et 23 patients participants par un nombre minimal de données anonymisées)**. Il s'agit de **644 enfants et 750 adultes**.

**Avec aujourd'hui 62 centres ouverts dont 61 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](mailto:sma.team@aphp.fr)) pour toute question ou besoin.**

## Nouveauté

**Retour sur la première Journée SMA France** : Le 24 janvier dernier, à l'Hôpital Européen Georges Pompidou – Paris a eu lieu la première Journée scientifique et académique sur la SMA France, cela a été un événement clé pour la communauté scientifique et médicale engagée dans la lutte contre l'amyotrophie spinale. Cet événement a réuni environ 150 participants, incluant des investigateurs, ARC/TEC de différents centres, ainsi que nos partenaires Biogen, Roche, Novartis et l'Association ECLAS.

Ce fut une journée riche en interventions et discussions sur les avancées de la recherche ainsi que différents échanges sur les enjeux du registre SMA FRANCE, et les perspectives d'amélioration de la prise en charge des patients.

Nous tenons à remercier chaleureusement tous les participants pour leur engagement et leur contribution à la réussite de cette journée.



## ➔ Situation actuelle sur les centres participants :

Actuellement 65 centres ont donné leur accord de participation :

32 centres pédiatriques, 30 centres adultes et 3 centres mixtes.

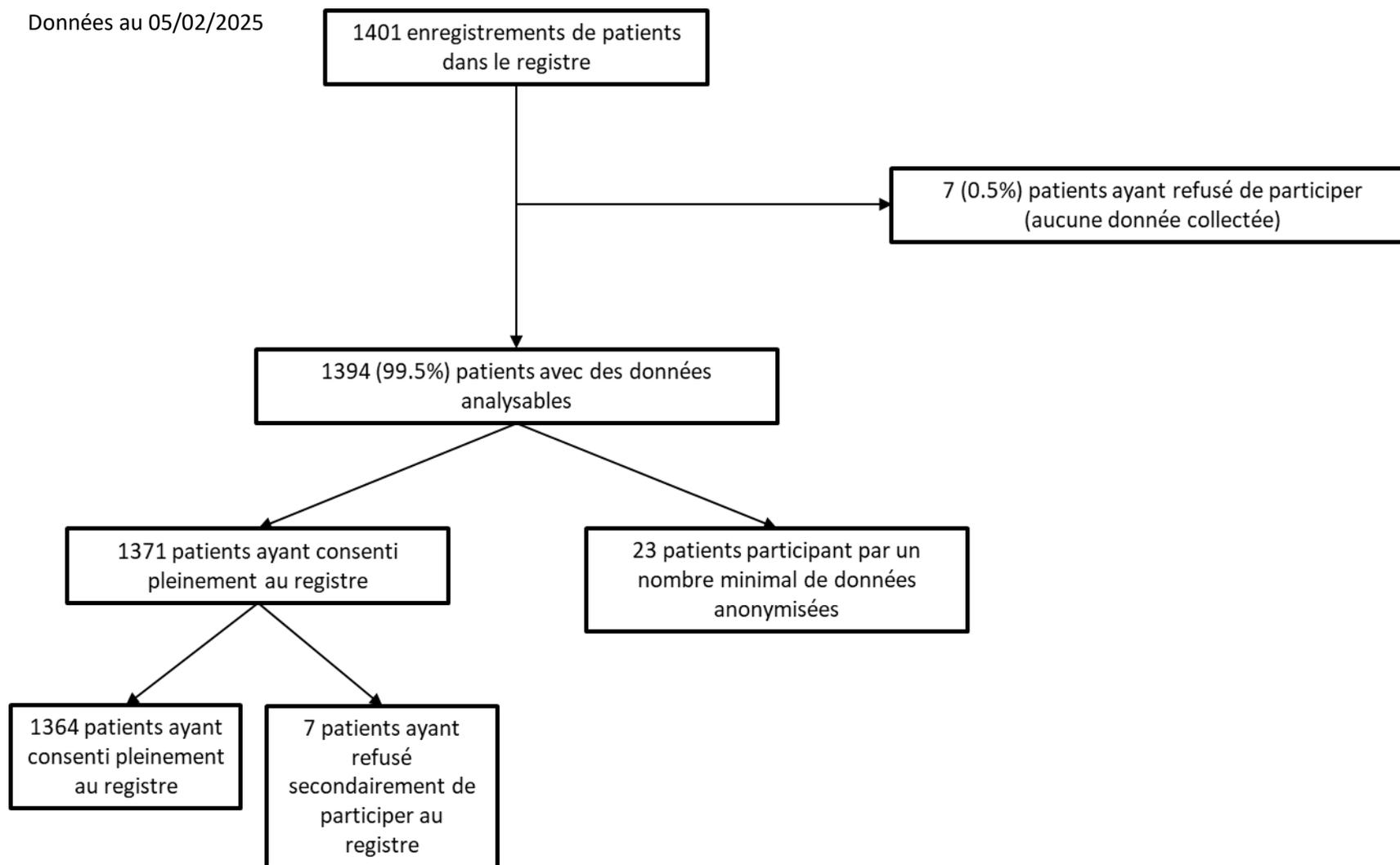
Sur ces 65 centres sélectionnés initialement, l'ouverture du registre SMA a eu lieu dans les 62 centres suivants :

Centres ouverts	Nom du centre	Date de MEP
001	Garches (RPC) -Pédiatrie	30/01/20
002	Garches (RPC) -Adultes	12/02/20
003	Paris (SLP) - Adultes	14/04/20
004	Paris (NCK) -Pédiatrie	13/03/20
005	Paris (HMN) - Adultes	30/10/20
006	Paris (TRS) -Pédiatrie	21/02/20
007	Brest- Pédiatrie	13/10/20
008	Montpellier - Pédiatrie	26/11/20
009	Montpellier - Adultes	26/11/20
010	Bordeaux - Pédiatrie	11/12/20
011	Bordeaux - Adultes	02/11/20
012	Nantes - Adultes / Pédiatrie	15/09/20
013	Lille -Adultes	03/08/20
014	Strasbourg - Pédiatrie	14/12/20
015	Strasbourg - Adultes	14/12/20
016	Lyon - Pédiatrie	22/09/20
017	Lyon - Adulte	22/09/20
018	Marseille - Adultes	25/09/20
019	La Réunion - Adultes	22/01/21
021	Dijon - Pédiatrie/Adultes	06/07/20
022	Nancy -Pédiatrie	25/08/20
023	Nancy -Adultes	07/07/20
024	Rouen -Pédiatrie	30/06/20
025	Caen -Pédiatrie	18/06/20
026	Grenoble -Pédiatrie/Adultes	23/09/20
027	Toulouse -Adultes	06/10/20
028	Toulouse -Pédiatrie	10/08/20
029	Tours -Pédiatrie	17/04/20
030	Bicêtre -Pédiatrie	01/04/20
031	Bicêtre -Adultes	30/06/20

Centres ouverts	Nom du centre	Date de MEP
033	Nice - Adultes	24/09/20
034	Reims - Pédiatrie	08/10/20
035	Martinique - Adulte	16/03/21
036	La Réunion - Pédiatrie	22/01/21
037	Marseille - Pédiatrie	25/09/20
038	Angers - Pédiatrie	01/10/20
039	Martinique - Pédiatrie	16/03/21
040	Lille - Pédiatrie	09/12/20
041	La Réunion - Pédiatrie 2	28/04/22
042	Garches (RPC) -Réanimation	24/08/20
044	Brest - Adultes	23/02/21
045	Limoges - Adultes	23/02/21
046	Nice - Pédiatrie	16/09/21
047	Besançon - Pédiatrie	26/04/22
048	Amiens - Pédiatrie	22/03/21
049	Amiens - Adulte	27/09/24
050	Angers - Adulte	08/03/21
051	Bayonne - Pédiatrie	04/05/21
052	Bayonne - Adulte	04/05/21
053	Limoges - Pédiatrie	30/03/21
054	Clermont-Ferrand - Pédiatrie	05/05/21
055	Saint-Etienne - Pédiatrie	15/11/21
056	Reims - Adulte	28/06/22
057	Saint-Etienne - Adulte	15/11/21
058	Rouen - Adulte	07/10/21
059	Caen - Adulte	14/09/21
060	Pau - Pédiatrie	28/10/21
061	Rennes - Adulte	27/09/21
062	Rennes - Pédiatrie	27/09/21
063	Besançon - Adulte	05/05/22
064	Clermont-Ferrand - Adulte	20/03/23
065	Cayenne - Pédiatrie	05/10/23

## ➔ Diagramme de flux – patients inclus

Données au 05/02/2025



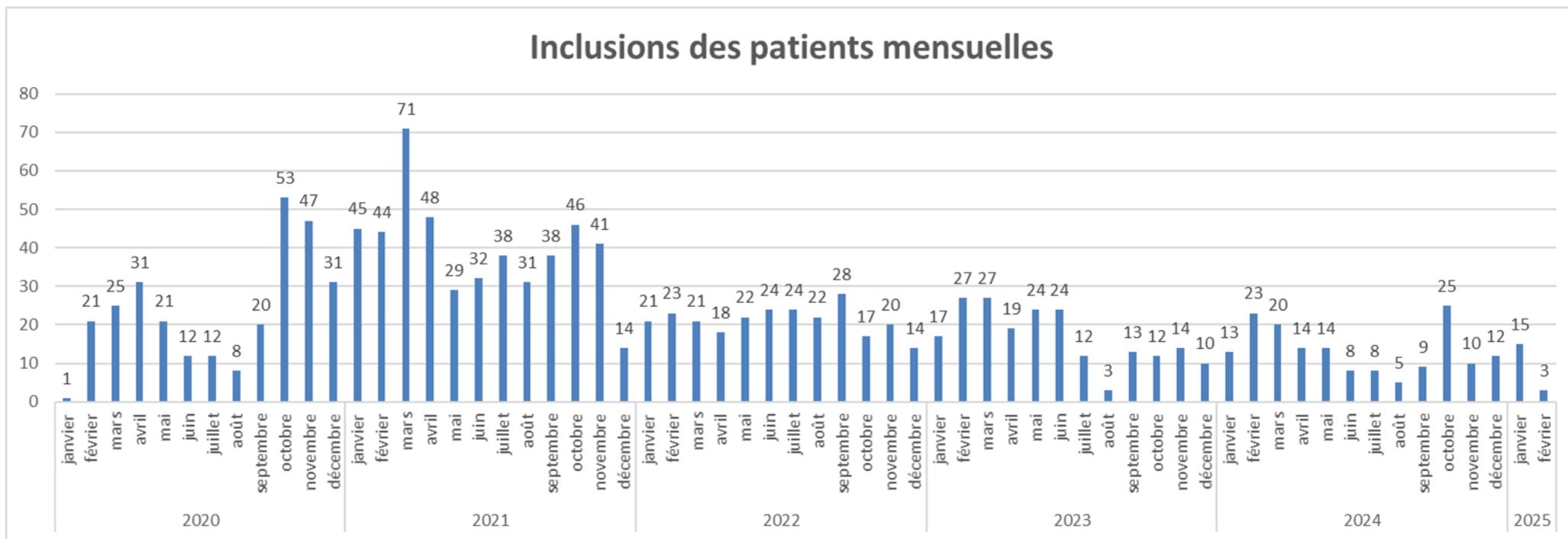
## ➔ Situation actuelle sur les inclusions dans l'étude :

Données au 05/02/2025: analyse faite sur 1394 patients.

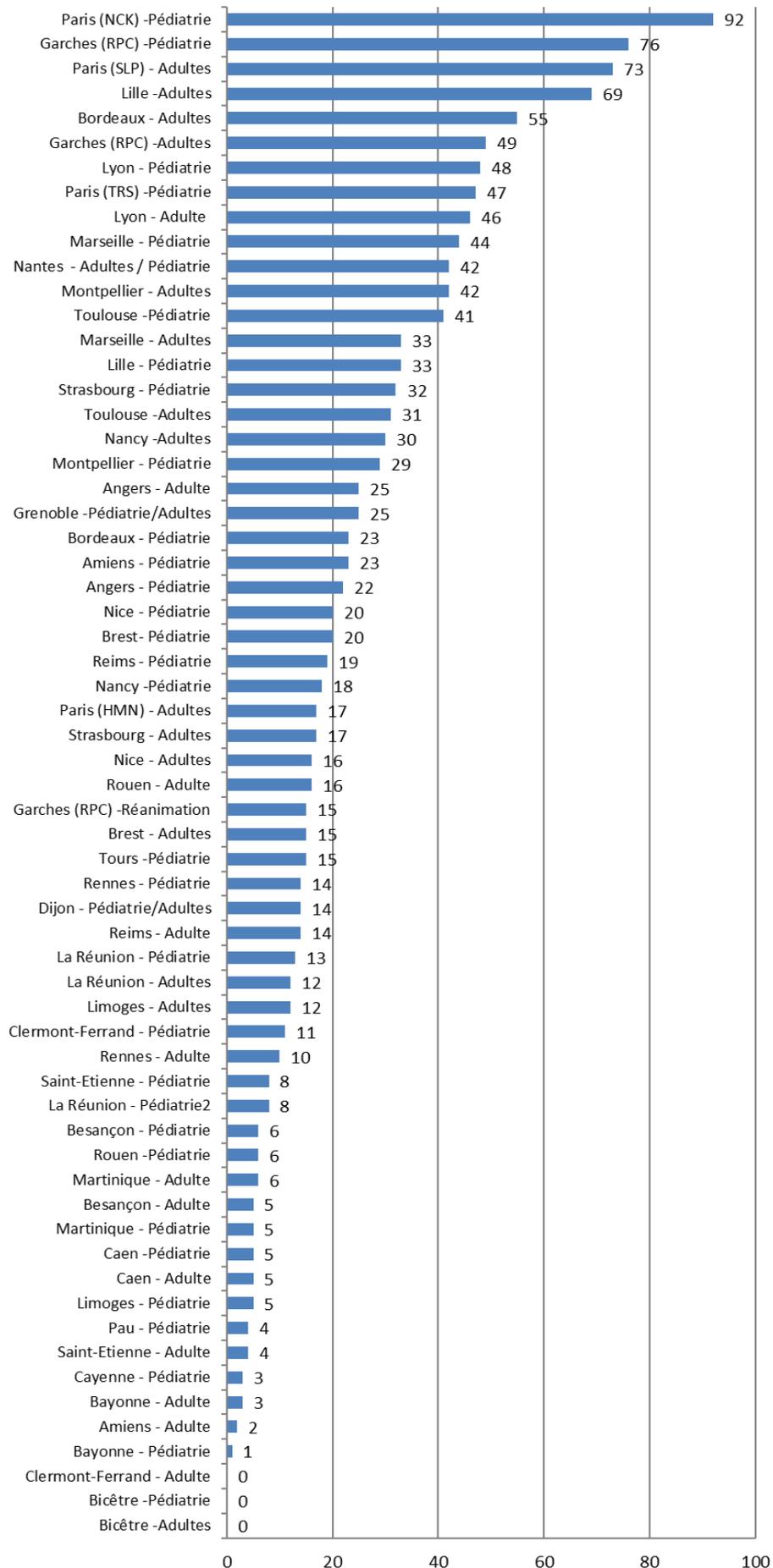
### ✓ Nombre de patient inclus au 05/02/2025:

1394 patients dans la base : 644 (46%) enfants et 750 (54%) adultes :

- Dont 169 patients décédés

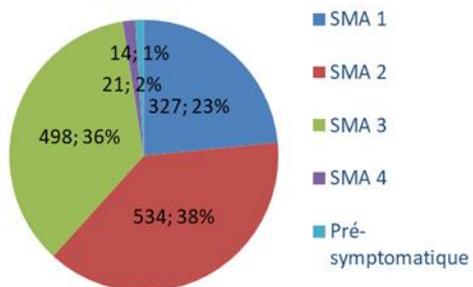


## Répartition des patients par centre

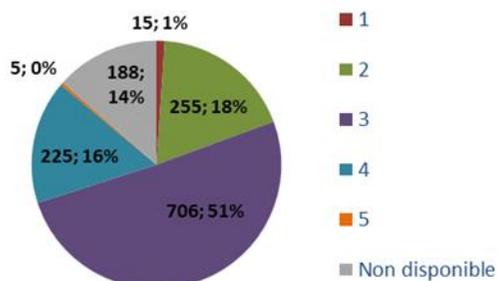


## ➔ Profil des patients dans le registre

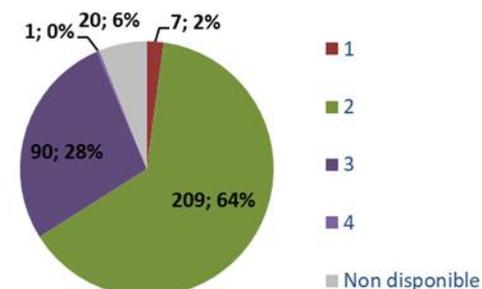
Répartition du type de SMA sur 1394 patients



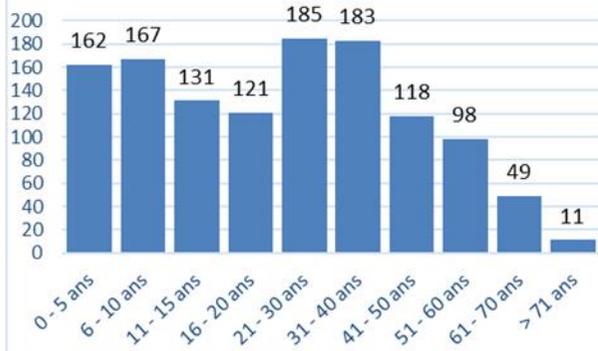
Répartition du nombre de copie SMN2 sur 1394 patients



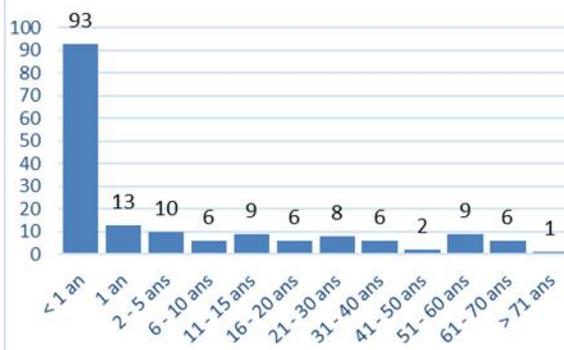
Répartition du nombre de copie SMN2 sur les 327 patients de type 1



Répartition de l'âge des patients sur 1225 patients vivants



Répartition de l'âge de décès des patients sur 169 patients décédés



Répartition des traitements sur 1394 patients  
NB : 237 patients ont reçu des traitements différents

