

Comment les recommandations ont-elles été élaborées ?

Un groupe de travail composé de professionnels de santé issus des États-Unis et d'Europe de l'Ouest s'est réuni pour examiner l'évolution des traitements approuvés pour la SMA depuis les recommandations de 2018 sur la prise en charge de la SMA. De plus, un groupe de membres de la communauté de patients atteints de SMA a partagé ses expériences et ses idées sur les traitements, les ressources et les informations nécessaires pour une prise de décision éclairée et partagée. Les conclusions des deux groupes ont débouché sur une mise à jour des recommandations, qui ont été élaborées et publiées pour la communauté de patients atteints de SMA.

Recommandation principale

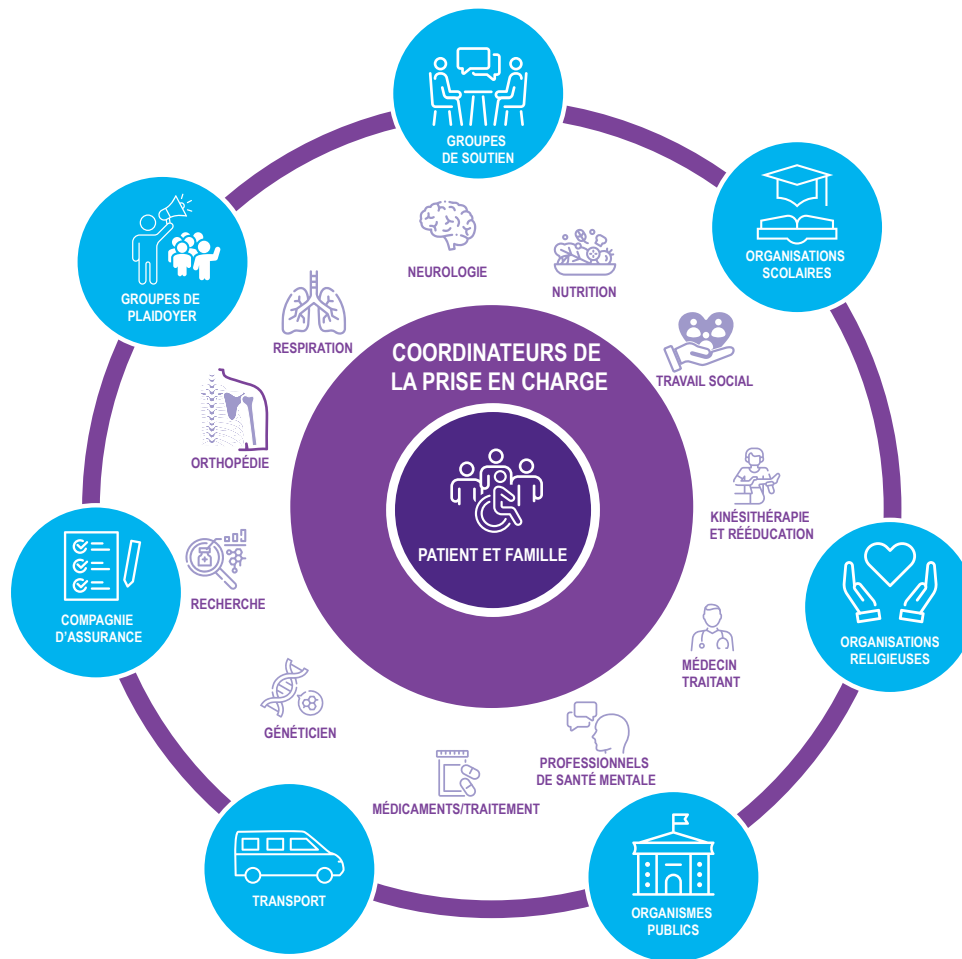
Les points de vue des patients et de leur famille, ainsi que la sécurité d'emploi et les effets indésirables du traitement, constituent des considérations essentielles lors de la prise de décisions concernant l'instauration, la modification ou l'arrêt d'un traitement contre la SMA.

Les patients et leurs familles sont invités à collaborer avec leur équipe de professionnels de santé pour obtenir des réponses à leurs questions relatives à la SMA et à discuter des traitements disponibles, notamment le mécanisme d'action des médicaments, le mode et la fréquence d'administration, les préoccupations relatives à la sécurité d'emploi, les effets indésirables potentiels et la surveillance nécessaire, ainsi que les attentes en matière de délais de réponse au traitement. Les informations sur les traitements sont accessibles à partir de plusieurs autres sources, notamment le site www.curesma.org. Une discussion franche quant à votre capacité à respecter certaines exigences après la prise d'un traitement est essentielle et peut permettre de déterminer le traitement le mieux adapté à votre cas. Les questions peuvent inclure la fréquence des visites médicales et les déplacements nécessaires, ainsi que les examens continus effectués pour le suivi de la réponse au traitement et des effets indésirables. Chaque traitement nécessite des suivis continus et des évaluations cliniques. En général, les traitements apportent une amélioration, mais aucun des traitements actuels ne permet de guérir la SMA.

CONSIDÉRATIONS THÉRAPEUTIQUES SELON LES CARACTÉRISTIQUES DES PATIENTS

	PATIENTS NOUVELLEMENT DIAGNOSTIQUÉS (DÉPISTAGE NÉONATAL OU DIAGNOSTIC EN RAISON DE SYMPTÔMES)	PATIENTS NON NOUVELLEMENT DIAGNOSTIQUÉS	ADOLESCENT ET ADULTE
Facteurs qui influent sur le choix du traitement	Instauration du traitement <ul style="list-style-type: none"> • Nombre de copies du SMN2 • Âge au moment du diagnostic • Âge au début des symptômes de la SMA • Résultats d'analyses de laboratoire de dépistage Instaurer un traitement d'amélioration de l'atrophie musculaire spinale (SMA) dès que possible pour les meilleurs résultats	Instauration, modification ou ajout d'un traitement : <ul style="list-style-type: none"> • État clinique actuel et autres problèmes médicaux, par exemple anatomie complexe de la colonne vertébrale ou maladie hépatique • Perte de fonction après stabilisation sous traitement (qui peut être due à un ralentissement de la perte de fonction grâce au traitement, qui n'empêche toutefois pas la détérioration) 	<ul style="list-style-type: none"> • Intolérance au traitement • Qualité de vie • Bénéfices par rapport au fardeau • Effets indésirables du traitement • Perte de fonction • Préoccupations concernant procréation • Grossesse • Progression de la maladie malgré traitement • Point de vue du/de la patient(e)
Plan de traitement [des efforts partagés pour identifier les objectifs de traitement du/de la patient(e) et les éléments qui seront fournis pour le traitement ou la prise en charge de la SMA]	Surveillance pendant 6 à 12 mois SAUF : <ul style="list-style-type: none"> • Effets indésirables ou intolérance au médicament inacceptable pour le/la patient(e) ou le professionnel de santé • Intolérance au mode d'administration du médicament, par exemple, par voie intrathécale, orale ou intraveineuse 	<ul style="list-style-type: none"> • Progression de la maladie significative selon l'avis du professionnel de santé et des patients/soignants • Perte de jalons moteurs chez un nourrisson ou un enfant en bas âge : 	<ul style="list-style-type: none"> • Résultats d'analyses de laboratoire anormaux lors de la surveillance des effets indésirables • Grossesse
Résultats escomptés	<ul style="list-style-type: none"> • Amélioration de la fonction motrice et de la survie par rapport à la SMA non traitée 	<ul style="list-style-type: none"> • Variables et peuvent inclure un ralentissement de la progression de la SMA, un maintien de la fonction motrice actuelle, ou une restauration ou une augmentation de certaines fonctions pour effectuer les activités de la vie quotidienne et optimiser l'indépendance 	
Autres recommandations de prise en charge	Soins multidisciplinaires de soutien : <ul style="list-style-type: none"> • Développement moteur et résistance • Colonne vertébrale et hanches 	<ul style="list-style-type: none"> • Respiration • Nutrition 	<ul style="list-style-type: none"> • Coordination de la prise en charge • Santé mentale et émotionnelle

Coordination du traitement pour la SMA : mettre en relation le patient, la famille, les soignants et la communauté



Qui peut faciliter la navigation dans le parcours de soins ?

L'accès à une prise en charge coordonnée et des soins interdisciplinaires/multidisciplinaires sont essentiels pour réussir à fournir un traitement qui améliore l'atrophie musculaire spinale (SMA) des personnes vivant avec la SMA. Une prise en charge pluridisciplinaire continue est également importante pour bénéficier des traitements contre la SMA. La coordination de la prise en charge est essentielle pour s'assurer que les familles et les équipes de soins œuvrent ensemble pour suivre les progrès et remédier à d'éventuelles préoccupations médicales qui pourraient survenir. Des soins médicaux multidisciplinaires de soutien sont nécessaires pour optimiser les résultats du traitement, notamment la physiothérapie, l'ergothérapie, l'orthophonie, les évaluations et le soutien respiratoires, la santé des os et le soutien nutritionnel. De plus, il est important d'être à jour avec toutes les vaccinations pour rester en bonne santé.

Ressources supplémentaires

Avez-vous reçu un diagnostic de SMA, vous-même ou quelqu'un que vous connaissez ? Veuillez envoyer un e-mail à l'adresse infopack@curesma.org en indiquant votre nom et votre adresse postale, afin que nous puissions vous faire parvenir un dossier d'information complet et impartial sur la SMA. Le dossier d'information comprend notre série de brochures sur la prise en charge de l'amyotrophie spinale qui abordent un éventail de sujets et d'informations nécessaires pour pouvoir prendre des décisions de traitement et de prise en charge. Elles abordent également la génétique et les tests, les mises à jour sur les recherches actuelles, la gestion de la vie quotidienne, et bien plus encore. Dès réception de votre e-mail, un membre de notre équipe vous contactera pour vous fournir des ressources et de l'aide pendant votre navigation dans le parcours de diagnostic.

Pour de plus amples informations, veuillez consulter ces ressources supplémentaires.

[Formulaire de demande du Guide des ressources](#)

[Comprendre la SMA](#)

[Mise à jour des rapports de synthèse sur les bonnes pratiques](#)

[Informations relatives aux traitements spécifiques de la SMA](#)

Pour consulter le manuscrit publié sur les recommandations de traitement :

[Mise à jour des bonnes pratiques sur l'amyotrophie musculaire spinale : Recommandations pour les considérations thérapeutiques](#)