

Lieu : Réunion virtuelle Zoom

Titre : 254ème atelier international de l'ENMC : Formation d'un réseau européen pour initier une collecte de données européenne, ainsi que le développement et le partage de directives de traitement pour les patients adultes atteints de SMA.

Organisateurs : Prof. Pascal Laforêt (France), Prof. Elena Pegoraro (Italie), Prof. Ludo van der Pol (Pays-Bas) et Prof. Maggie Walter (Allemagne).

Participants : Shahram Attarian (France), Bart Bartels (Pays-Bas), Kristl Claeys (Belgique), Ana Ferreiro (France), Nathalie Goemans (Belgique), Ksenija Gorni (Suisse), Nicole Gusset (Suisse), Tim Hagenacker (Allemagne), Victoria Hodgkinson (Canada), Jan Kirschner (Allemagne), Andrea Klein (Suisse), Anna Kostera-Pruszczyk (Pologne), Hanns Lochmueller (Canada), Chiara Marini Bettolo (Royaume-Uni), Eugenio Mercuri (Italie), Robert Muni-Lofra (UK), David Orlikowski (France), Laetitia Ouilade (France), Constantinos Papadopoulos (Grèce), Helene Prigent (France), Ros Quinlivan (UK), Emmanuelle Salort-Campana (France), Valeria Sansone (Italie), Piera Smeriglio (France), Rivka Smit (Pays-Bas), Simone Thiele (Allemagne), Ben Tichler (Suisse), Peter van den Bergh (Belgique), John Vissing (Danemark), Juan Vázquez (Espagne).

29 chercheurs cliniques de 12 pays différents (Belgique, Canada, Danemark, France, Allemagne, Grèce, Italie, Pays-Bas, Pologne, Espagne, Suisse, Royaume-Uni), 2 patients atteints de SMA, un représentant d'un groupe de défense des patients et 2 représentants de Biogen et Roche se sont réunis pour un atelier virtuel le week-end du 28-30 janvier 2022. L'atelier visait à la formation d'un réseau européen pour initier une collecte de données européenne, ainsi que le développement et le partage de directives de traitement pour les patients adultes atteints de SMA. Cet atelier a été soutenu par les 10 organisations partenaires de l'ENMC.

Dans le monde entier, les collectes de données et les registres, tels que les registres de patients TREAT-NMD, iSMAC et SMArtCARE, ont été mis en œuvre comme des outils importants pour mieux comprendre l'historique de la SMA chez les patients n'ayant jamais reçu de traitement, en particulier à un âge avancé, et chez les patients traités par DMT. La documentation dans les registres de la SMA permet le développement systématique d'une base de données pour la poursuite du développement du nouveau paradigme de traitement. Des experts internationaux ont discuté des aspects pertinents du traitement actuel et futur de la SMA, des preuves concrètes, du mode d'application, des biomarqueurs, des critères de début et d'arrêt du traitement, de la transition des soins pédiatriques aux soins pour adultes, de la gestion des attentes, des attentes des patients et de l'industrie, des questions réglementaires et pratiques en Europe et au Canada, ainsi que des évaluations de suivi des registres de patients et des initiatives de l'ERN et TREAT-NMD.

Pour harmoniser les registres et les collectes de données, les participants rempliront un formulaire dans lequel seront identifiés les dénominateurs communs. Le groupe a également convenu d'un ensemble de données minimales réalistes liées au phénotype pour le suivi des patients, avec différents tests pour les non-assis, les assis et les marcheurs, ainsi qu'un projet de protocole consensuel pour le suivi de la sécurité et de l'efficacité du traitement.

En outre, des recommandations spécifiques pour la transition des soins pédiatriques aux soins pour adultes ont été discutées. Le groupe s'est mis d'accord sur la nécessité d'un atelier de suivi sur les directives pour adultes et le développement de normes de soins ; sur les activités futures du

consortium telles que l'accès au traitement à travers l'Europe ; sur la mise en œuvre de mesures de résultats rapportés par les patients ; et sur une collecte de données européenne.

Un rapport complet sera publié dans Neuromuscular Disorders (PDF).

Le bureau de l'ENMC s'assurera de créer un lien vers la page NMD Elsevier, une fois que votre article complet sera publié dans NMD.