

## **Appel à volontaires pour la première étape de l'essai riluzole dans l'amyotrophie spinale infantile (30/11/2005)**

L'objectif global de cet essai est d'évaluer l'efficacité et la tolérance du riluzole chez des enfants et de jeunes adultes atteints d'amyotrophie spinale (SMA) de type II ou III. Cet essai se déroule en 2 temps.

Premier temps : mesurer la quantité de riluzole dans le sang, chez l'enfant, dans le cadre d'un essai ouvert. Dans la mesure où le produit n'a pas été largement utilisé chez l'enfant, ceci est un préalable nécessaire afin de savoir si la dose, donnée oralement, fournit une quantité de riluzole dans le sang compatible avec une bonne efficacité et ne provoquant pas d'effets inappropriés. Après 7 jours de prise du riluzole (50mg par jour) au minimum, une journée d'hospitalisation sera nécessaire afin d'effectuer des prélèvements sanguins (6 prélèvements répartis sur 24 heures) permettant de doser le riluzole.

Cette première phase étant complexe à mener, elle se fera uniquement à l'hôpital Raymond Poincaré de Garches, dans le service du Pr Brigitte Estournet.

Les personnes malades volontaires, atteints d'une SMA de type II ou III, dont le diagnostic est confirmé par une analyse génétique, âgées de 6 à 15 ans, sans trouble du foie, du rein ou du cœur, sans infection pulmonaire en cours et sans intervention orthopédique programmée ou ayant eu lieu dans l'année, présentent les principaux « critères d'inclusion ».

Si votre enfant présente ces critères d'inclusion, si lui et vous êtes volontaires, vous pouvez contacter le médecin responsable de cette recherche, le Pr Brigitte Estournet, qui analysera précisément si l'entrée de votre enfant dans ce premier temps de l'essai est possible ou pas. Vous pouvez la joindre par téléphone au 01.47.10.78.90 ou par mail : [brigitte.estournet@rpc.ap-hop-paris.fr](mailto:brigitte.estournet@rpc.ap-hop-paris.fr)

Les données de cette première étape seront analysées et permettront d'ajuster les doses de Riluzole pour le deuxième temps.

Deuxième temps : Généralisation aux enfants et jeunes adultes dans les centres prévus en France dans le cadre d'un essai randomisé, en double aveugle contre placebo. Le deuxième temps consistera en la poursuite de la prise du riluzole ou du Placebo (selon un tirage au sort) et ceci sera généralisé aux centres prévus dans l'essai afin d'évaluer la tolérance et l'efficacité du riluzole dans la SMA en France. Les personnes qui auront participé à la première étape et qui le souhaitent poursuivront, sans interruption, la prise de riluzole ou d'un placebo.

Merci pour votre engagement!

Pour en savoir plus sur le déroulement d'un essai, visionnez [l'infographie](#).