

Traitement à l'idébénone de patients avec une atrophie optique dominante de type OPA1

Barboni P. , Valentino ML, La Morgia C., et al. Idebenone treatment in patients with OPA1-mutant dominant optic atrophy. Brain 2013 ; 136 ; 1-5 [doi:10 1093/brain/aws280]

Introduction

[Zanna et al. \(2008\)](#) ont rapporté que les mutations d'OPA1 entraînent un défaut de la synthèse de l'ATP qui suggère un mécanisme pathogène commun avec la maladie de Leber (NOHL), une neuropathie optique qui est due à des mutations de l'ADN mitochondrial.

[Carelli et al. \(2011\)](#) rapportent un essai thérapeutique avec l'idébénone, un anti oxydant, sur des patients atteints d'une NOHL avec des résultats positifs.

Population

L'essai de traitement porte sur 7 patients porteurs de 4 mutations différentes du gène OPA1. Les patients ont entre 12 et 47 ans. L'acuité visuelle, la perception des couleurs, le champ visuel présentent des anomalies de degrés différents selon les cas.

Méthode

Produit utilisé : Mnésis (idébénone), Takeda Italie, comprimés de 45 mg. Les doses journalières administrées sont différentes selon les patients (entre 1000 mg/jour et 675mg/jour). Les résultats sont basés sur l'amélioration ressentie par les patients et sur la comparaison des mesures initiales et finales de la vue de chaque patient.

Résultats

Après 18 mois de traitement, 5 patients ont la sensation de mieux voir. Parmi eux, 4 présentent une amélioration objective de l'acuité visuelle. Parmi ceux-ci, un seul présente une amélioration de la perception des couleurs. Les deux autres patients, malgré l'absence de ressenti, ont une meilleure acuité visuelle pour un et un meilleur champ visuel pour l'autre.

Conclusion

Ces résultats, sont positifs et encourageants. Ils ont cependant une portée limitée notamment parce qu'ils sont recueillis sur un très petit nombre de personnes, qu'il n'y a pas eu de groupe témoin constitué et que le dosage de l'idébénone est différent selon les patients.

BRAIN

A JOURNAL OF NEUROLOGY

LETTER TO THE EDITOR

Idebenone treatment in patients with OPA1-mutant dominant optic atrophy

Piero Barboni,^{1,2} Maria Lucia Valentino,^{2,3} Chiara La Morgia,^{2,3} Michele Carbonelli,¹ Giacomo Savini,⁴ Annamaria De Negri,⁵ Francesca Simonelli,⁶ Federico Sadun,⁷ Leonardo Caporali,^{2,3} Alessandra Maresca,^{2,3} Rocco Liguori,^{2,3} Agostino Baruzzi,^{2,3} Massimo Zeviani⁸ and Valerio Carelli^{2,3}

1 Studio Oculistico d'Azeglio, Via d'Azeglio 5, 40123 Bologna, Italy

2 Department of Biomedical and NeuroMotor Sciences, University of Bologna, Via Ugo Foscolo 7, 40123 Bologna, Italy

3 IRCCS, Istituto delle Scienze Neurologiche, Via Ugo Foscolo 7, 40123 Bologna, Italy

4 IRCCS Fondazione Bietti, Via Livorno 3, 00198 Roma, Italy

5 Azienda Ospedaliera San Camillo-Forlanini, Via Portuense 332A, 00151 Roma, Italy

6 Department of Ophthalmology, Second University of Naples, Via S. Pansini 5, 80131 Naples, Italy

7 Ospedale San Giovanni Evangelista, Via A. Parrozzani 3, 00019 Tivoli, Italy

8 IRCCS Istituto Besta, via Temolo 4, 20126 Milano, Italy

Correspondence to: Valerio Carelli, MD, PhD,
IRCCS Istituto delle Scienze Neurologiche di Bologna,
Department of Biomedical and NeuroMotor Sciences,
University of Bologna,
Via Ugo Foscolo 7,
40123 Bologna, Italy
E-mail: valerio.carelli@unibo.it



Cliquer sur le logo pour suivre les liens [doi] des publications