



Effet de la thalidomide sur les malformations artérioveineuses sporadiques du système nerveux central

Yu J. et al., Science Bulletin, Juin 2026

Pour en savoir plus :

<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2095927326006316?via%3Dihub>

Résumé en 10 points

1. L'étude explore la **thalidomide comme traitement médicamenteux potentiel des MAV cérébrales et médullaires.**
2. Les chercheurs ont développé un **modèle de MAV cérébrale chez la souris**, reproduisant plusieurs caractéristiques de la maladie humaine.
3. Chez la souris, la thalidomide a permis de **réduire le volume des MAV, d'améliorer la stabilité des vaisseaux et d'augmenter la survie.**

4. Son action pourrait notamment passer par une **meilleure stabilisation de la paroi des vaisseaux** et une diminution d'ANGPT2, une protéine impliquée dans le remodelage vasculaire.

5. Une première étude clinique, exploratoire, a ensuite inclus **30 patients présentant une MAV cérébrale ou médullaire**. Il s'agissait spécifiquement de patients dont la MAV était jugée **réfractaire aux traitements habituels ou qui avaient refusé ces traitements**, après évaluation multidisciplinaire.

6. **Parmi les 28 patients**, enfants et adultes, ayant terminé le traitement et le suivi angiographique (11 MAV cérébrales et 17 médullaires), **17 (61 %) ont présenté une régression radiologique de leur MAV**, tandis que 11 sont restés stables.

7. L'âge <18 ans était associé dans cette étude à une plus grande probabilité de régression.

8. Des effets indésirables ont été rapportés chez la quasi-totalité des patients (27/30, soit 90 %). Ils étaient toutefois de grade léger à modéré.

9. Ces résultats sont **encourageants** et justifient de poursuivre les recherches, mais ils **ne permettent pas encore de conclure à l'efficacité ou la sécurité** de la thalidomide dans les MAV.

10. Cette étude ouvre donc une **nouvelle piste vers un traitement médicamenteux des MAV**, qui devra bien sûr être confirmée.

