



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

SYNTHÈSE D'AVIS

22 JUILLET 2020

nusinersen
SPINRAZA 12 mg, solution injectable

Nouvel examen

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement chez les nourrissons et enfants pré-symptomatiques atteints d'amyotrophie spinale 5q génétiquement diagnostiquée et ayant 2 à 3 copies du gène SMN2.

► Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge des nourrissons et enfants pré-symptomatiques atteints d'amyotrophie spinale 5q génétiquement diagnostiquée et ayant 2 à 3 copies du gène SMN2.

► Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge d'un patient ayant une amyotrophie spinale antérieure (ASA) est symptomatique et nécessite une approche pluridisciplinaire neurologique, orthopédique, respiratoire, digestive, éducationnelle, psychologique et sociale. Les spécialistes des centres de références ou de compétences doivent coordonner l'instauration du traitement et sa poursuite en prenant en compte : les indications de traitement et de non-traitement, les conditions d'arrêt (fonction respiratoire, souhait du patient ou des parents, mauvaise tolérance, aggravation de l'état de santé, absence d'efficacité...) et la qualité de vie des patients.

Il est établi que la prise en charge doit être faite le plus tôt possible notamment dans les types I et II afin d'anticiper les complications thoraciques et pulmonaires (hypoventilation nocturne, toux inefficace, sous-développement et déformation de la cage thoracique, risque d'infections).

Il n'existe pas de traitement dans la prise en charge pré symptomatique de l'ASA, hormis ZOLGENSMA (onasemnogene abeparvovec) disponible via une ATU (en date du 15/05/2020), et ayant obtenu l'AMM le 18/05/2020 chez les patients atteints de SMA 5q avec une mutation bi-allélique du gène SMN1 et jusqu'à trois copies du gène SMN2, que la Commission n'a pas encore évalué.

Place du médicament

Compte-tenu :

- des résultats d'efficacité suggérant une modification de l'histoire naturelle de la maladie notamment en termes de survie sans ventilation, de survie et d'acquisition de fonctions motrices, telles que la capacité à s'asseoir sans support ;
- des incertitudes sur l'évolution de ces patients, avec une progression plus favorable qu'en l'absence de traitement, mais sans guérison de la maladie ;
- de la voie d'administration intrathécale ;
- de l'absence de données chez les patients ayant 4 copies ou plus du gène SMN2,

SPINRAZA est un traitement de première intention chez les nourrissons et enfants pré-symptomatiques ayant une amyotrophie spinale génétiquement confirmée avec 2 à 3 copies du gène SMN2.

► Recommandations particulières

En raison de la complexité de la prise en charge de cette maladie rare, la Commission rappelle qu'elle recommande que l'instauration et les décisions d'arrêts de traitement par SPINRAZA (nusinersen) soient prises lors de réunions de concertation pluridisciplinaires au sein des centres de référence et de compétence des maladies neuromusculaires.

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence disponible sur www.has-sante.fr