

Avis n°2025.0005/AC/SEM du 06 février 2025 du collège de la Haute Autorité de santé relatif au projet d'arrêté visant à limiter l'utilisation de médicaments de thérapie génique indiqués dans le traitement des patients atteints d'amyotrophie spinale (SMA) 5q avec une mutation bi-allélique du gène SMN1 et ayant un diagnostic clinique de SMA de type 1 ou des patients atteints de SMA 5q avec une mutation bi-allélique du gène SMN1 et jusqu'à trois copies du gène SMN2 à certains établissements de santé en application des dispositions de l'article L. 1151-1 du code de la santé publique

Le collège de la Haute Autorité de santé ayant valablement délibéré en sa séance du 6 février 2025,

Vu le code de la santé publique, notamment son article L.1151-1 ;

Vu les avis de la Commission de la transparence du 16 décembre 2020, du 8 septembre 2021 et du 10 mai 2023 relatifs à la spécialité ZOLGENSMA ;

Vu la demande d'avis de la Direction générale de l'offre de soins du Ministère du travail, de la santé, et des solidarités adressée le 12 mars 2024 sur le projet d'arrêté visant à limiter l'utilisation de médicaments de thérapie génique indiqués dans le traitement des patients atteints d'amyotrophie spinale (SMA) 5q avec une mutation bi-allélique du gène SMN1 et ayant un diagnostic clinique de SMA de type 1 ou des patients atteints de SMA 5q avec une mutation bi-allélique du gène SMN1 et jusqu'à trois copies du gène SMN2 à certains établissements de santé en application des dispositions de l'article L. 1151-1 du code de la santé publique ;

ADOPTE L'AVIS SUIVANT :

Le collège de la Haute Autorité de santé est favorable au projet d'arrêté visant à limiter l'utilisation de médicaments de thérapie génique indiqués dans le traitement des patients atteints d'amyotrophie spinale (SMA) 5q avec une mutation bi-allélique du gène SMN1 et ayant un diagnostic clinique de SMA de type 1 ou des patients atteints de SMA 5q avec une mutation bi-allélique du gène SMN1 et jusqu'à trois copies du gène SMN2 à certains établissements de santé en application des dispositions de l'article L. 1151-1 du code de la santé publique.

Le présent avis sera publié au Bulletin officiel de la Haute Autorité de santé.

Fait le 6 février 2025.

Pour le collège :
Le président de la Haute Autorité de santé,
Pr Lionel COLLET
Signé