

**AVIS SUR LES  
MÉDICAMENTS**

risdiplam

**EVRYSDI 5 mg,**

comprimé pelliculé

Inscription : primo-inscription

Complément de gamme

Adopté par la Commission de la transparence le 18 février 2026

- Amyotrophie spinale
- Adulte / Adolescent / Enfant / Nourrissons / Nouveau-nés
- Secteurs : Ville et Hôpital

**Synthèse de l'avis**

**Avis favorable au remboursement en ville et à l'hôpital uniquement dans « le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA) 5q chez les patients avec un diagnostic clinique de SMA de Type 1, Type 2 ou Type 3 ou avec une à quatre copies du gène SMN2. »**

**Avis défavorable au remboursement dans les autres situations couvertes par l'indication AMM (à savoir les patients avec un diagnostic clinique d'amyotrophie spinale de Type 4).**

**Pas de progrès de la nouvelle présentation en comprimé pelliculé par rapport à la présentation déjà disponible en poudre pour solution buvable.**

Ce document ainsi que sa référence bibliographique sont téléchargeables sur [www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr) 

Le présent avis est publié sous réserve des droits de propriété intellectuelle

Haute Autorité de santé – Service communication et information

5 avenue du Stade de France – 93218 SAINT-DENIS LA PLAINE CEDEX. Tél. : +33 (0)1 55 93 70 00

© Haute Autorité de santé – Février 2026

# 1. Contexte

<b>DCI (code ATC)</b>	Risdiplam (M09AX10)
<b>Présentations concernées</b>	<b>EVRYSDI 5 mg, comprimé pelliculé</b> – 1 plaquette OPA/Alu/PVC de 28 comprimés (CIP : 34009 303 164 5 0)
<b>Demandeur</b>	ROCHE
<b>Motif de la demande</b>	<b>Inscription</b>
<b>Listes concernées</b>	Sécurité Sociale (article L.162-17 du CSS) Collectivités (article L.5123-2 du CSP)
<b>Précisions sur la nature de la demande</b>	Cette spécialité présentée en comprimé pelliculé est un complément de gamme de la spécialité EVRYSDI (risdiplam) en poudre pour solution buvable déjà disponible. Dans son avis du 23/04/2025 <sup>1</sup> , la Commission a octroyé à EVRYSDI (risdiplam) un service médical rendu important, uniquement dans « le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA) 5q chez les patients avec un diagnostic clinique de SMA de Type 1, Type 2 ou Type 3 ou avec une à quatre copies du gène SMN2. »
<b>Indication de l'Autorisation de mise sur le marché (AMM) visée par la demande</b>	« EVRYSDI est indiqué dans le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA) 5q chez les patients avec un diagnostic clinique de SMA de Type 1, Type 2 ou Type 3 ou avec une à quatre copies du gène SMN2. »
<b>Périmètre de remboursement sollicité</b>	Indication restreinte par rapport à l'AMM <sup>2</sup> : « dans le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA) 5q chez les patients avec un diagnostic clinique de SMA de Type 1, Type 2 ou Type 3 ou avec une à quatre copies du gène SMN2. » Bien que le laboratoire sollicite le remboursement dans un périmètre restreint de l'AMM, la commission rend un avis dans l'entièreté de l'AMM.
<b>Précisions sur l'AMM</b>	Date initiale (procédure centralisée) : 26/03/2021 Date du rectificatif et teneur : 02/06/2025, nouvelle présentation en comprimé pelliculé. Engagements dans le cadre de l'AMM : Étude d'efficacité post-autorisation (PAES) prospective observationnelle pour mieux évaluer la progression de la maladie à long terme chez les patients atteints de SMA (pré-symptomatiques et symptomatiques) avec 1 à 4 copies du gène SMN2 traités par risdiplam par rapport à l'histoire naturelle de la maladie chez les patients non traités. Plan de Gestion des Risques (PGR) Plan d'investigation pédiatrique associé à l'AMM : Oui
<b>Conditions et statuts</b>	<b>Conditions de prescription et de délivrance</b> – Liste I – Médicament à prescription hospitalière (PH) – Médicament de prescription réservée à certains médecins spécialistes (PRS) : en neurologie ou neuropédiatrie – ATU nominatives dérogatoires délivrées par l'ANSM du 24 mars 2020 au 30 novembre 2020, ATU nominatives protocolisées du 1er décembre 2020 au 5 avril 2021 dans l'indication : « amyotrophie spinale (SMA) de type 1 et

<sup>1</sup> Avis de la Commission de la Transparence – EVRYSDI – 23 avril 2025

<sup>2</sup> L'indication AMM inclut les patients avec un diagnostic clinique d'amyotrophie spinale de Type 4).

	<p>2, en cas d'échec, d'intolérance ou d'impossibilité d'administration des alternatives thérapeutiques disponibles, après avis d'une réunion de concertation pluridisciplinaire nationale (pédiatrique ou adulte) de la filière Filnemus ».</p> <p>– ATU de cohorte du 6 avril 2021 au 25 juin 2021 dans l'indication : « traitement de l'amyotrophie spinale (SMA) 5q chez les patients âgés de 2 mois et plus avec un diagnostic clinique de SMA de Type 1, Type 2 ou Type 3 en cas d'échec, d'intolérance ou d'impossibilité d'administration des alternatives thérapeutiques disponibles, après avis d'une RCP nationale (pédiatrique ou adulte) de la filière Filnemus ».</p>
<b>Evaluation par la Commission</b>	<p>– Calendrier d'évaluation :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Date d'examen et d'adoption : 18 février 2026.</li> </ul>

## 2. Complément d'information

Selon le RCP, la dose quotidienne unique recommandée de risdiplam comprimé pelliculé, pour les patients âgés de  $\geq 2$  ans et ayant un poids corporel de  $\geq 20$  kg est de 5 mg. Une autre forme pharmaceutique en solution buvable est disponible pour les patients de tous les groupes d'âge ou qui peuvent nécessiter l'utilisation d'une sonde nasogastrique ou d'une sonde de gastrostomie. Le médecin doit prescrire la forme pharmaceutique appropriée en fonction de la dose requise et des besoins du patient, y compris la capacité du patient à avaler. Pour les patients ayant des difficultés à avaler un comprimé entier, le comprimé peut être dispersé ou la poudre pour solution buvable peut être prescrite.

## 3. Conclusions de la Commission de la Transparence

**Considérant l'ensemble de ces informations, la Commission estime :**

### 3.1 Comparateurs cliniquement pertinents

Les comparateurs cliniquement pertinents sont les mêmes que ceux identifiés pour l'autre présentation d'EVERYSDI (risdiplam) en poudre pour solution buvable (cf. avis de la Commission de la transparence du 23 avril 2025).

### 3.2 Service Médical Rendu

- ➔ L'amyotrophie spinale 5q est une maladie grave impactant le pronostic vital, principalement pour les types 1 et 2 (dont la quasi-totalité des patients ont 1 à 3 copies du gène SMN2) avec un retentissement important sur la qualité de vie des patients et des aidants comme cela a été fortement relayé par les associations de patients et d'usagers.
- ➔ La spécialité EVERYSDI (risdiplam) est un médicament à visée curative.
- ➔ Le rapport efficacité/effets indésirables est important, excepté dans l'amyotrophie spinale (SMA) 5q de type 4, où il est mal établi faute de données cliniques.
- ➔ Il s'agit d'un traitement de 1<sup>ère</sup> intention au regard des thérapies disponibles, excepté dans l'amyotrophie spinale (SMA) 5q de type 4 dans laquelle EVERYSDI (risdiplam) n'a pas de place dans la stratégie thérapeutique, faute de données cliniques fournies.

### → Intérêt de santé publique

EVRYSDI (risdiplam), comprimé pelliculé, n'est pas susceptible d'avoir un impact supplémentaire sur la santé publique par rapport à la spécialité déjà inscrite, EVRYSDI (risdiplam) en poudre pour suspension buvable.

Compte tenu de l'ensemble de ces éléments, la Commission considère que le service médical rendu par EVRYSDI 5 mg (risdiplam), comprimé pelliculé, est :

- important uniquement dans le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA) 5q chez les patients avec un diagnostic clinique de SMA de Type 1, Type 2 ou Type 3 ou avec une à quatre copies du gène SMN2,
- insuffisant pour justifier d'une prise en charge par la solidarité nationale dans les autres situations couvertes par l'indication AMM (à savoir les patients avec un diagnostic clinique d'amyotrophie spinale de Type 4).

La Commission donne un avis :

- favorable à l'inscription d'EVRYSDI 5 mg (risdiplam), comprimé pelliculé, sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux et sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités uniquement dans traitement de l'amyotrophie spinale (SMA) 5q chez les patients avec un diagnostic clinique de SMA de Type 1, Type 2 ou Type 3 ou avec une à quatre copies du gène SMN2 et aux posologies de l'AMM,
- défavorable à l'inscription d'EVRYSDI 5 mg (risdiplam), comprimé pelliculé, sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux et sur la liste des spécialités dans les autres situations couvertes par l'indication AMM (à savoir les patients avec un diagnostic clinique d'amyotrophie spinale de Type 4).

### → Taux de remboursement proposé pour l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux : 65 %

## 3.3 Amélioration du Service Médical Rendu

Cette spécialité est un complément de gamme qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à la présentation déjà inscrite, EVRYSDI (risdiplam) en poudre pour solution buvable.

## 3.4 Population cible

L'introduction de ce complément de gamme dans la stratégie thérapeutique de l'amyotrophie spinale n'est pas de nature à modifier la population cible déjà estimée par la Commission (cf. avis de la Commission de la transparence du 23 avril 2025 de la spécialité EVRYSDI (risdiplam) en poudre pour solution buvable).

## 3.5 Autres recommandations de la Commission

### → Conditionnement

Il n'est pas adapté aux conditions de prescription selon l'indication, la posologie et la durée de traitement. La Commission recommande pour les traitements d'une durée d'un mois, une harmonisation de la taille des conditionnements à 30 jours de traitement.