

Evry, le 20 juin 2018

## **SMA DE TYPE 3 : DES RISQUES POUR L'ACCES AU SPINRAZA ?**

Après avoir reçu une autorisation de mise sur le marché européenne en mai 2017, le Spinraza (nusinersen), premier traitement disponible dans l'amyotrophie spinale proximale liée à *SMN1* (5Q), est prescrit pour le moment en France dans le cadre du « dispositif post-ATU » pour la SMA de type 1, 2 et 3.

En janvier 2018, la HAS a attribué un SMR (Service Médical Rendu) important pour les amyotrophies spinales 5Q de types 1, 2 et 3. **Cela signifie que la HAS recommande que, pour ces trois types, ce médicament puisse être pris en charge par la solidarité nationale.**

Elle a attribué une ASMR 3 (Amélioration du Service Médical Rendu), c'est-à-dire « modérée » pour les types 1 et 2. Mais au vu des données existantes portant sur un nombre limité de malades concernés par une SMA de type 3, elle n'a attribué qu'une ASMR 5, c'est-à-dire « inexistante » (absence de progrès thérapeutique) pour les types 3.

Le laboratoire Biogen ayant des prétentions de prix très élevées, a demandé que le Spinraza soit inscrit sur la « liste en sus » pour les types 1,2 et 3. Cette liste permet aux médicaments innovants très coûteux d'être intégralement remboursés en plus des forfaits qui habituellement financent l'achat des médicaments par les hôpitaux.

Le laboratoire Biogen vient de diffuser une note, relayée par la filière FILNEMUS, annonçant que sur la base de l'application de la réglementation en vigueur et des niveaux d'ASMR obtenus, **le Ministère de la Santé aurait décidé d'inscrire le Spinraza sur la liste en sus pour la SMA de type 1 et 2, mais de l'exclure pour les types 3.**

Si cette décision était confirmée, cela signifierait que les hôpitaux pourraient continuer à prescrire le Spinraza pour les types 3 mais qu'ils devraient le financer sur leurs propres budgets. Vu les niveaux de prix excessivement élevés revendiqués par Biogen il est très probable qu'aucun hôpital ne serait en mesure de le faire.

**Pour l'instant, cette décision n'a aucune conséquence pour les hôpitaux et les malades en cours de traitement. Le dispositif post ATU existant continue à s'appliquer tant que la négociation de prix n'aura pas abouti. Les hôpitaux continuent de pouvoir se faire rembourser intégralement leurs achats de Spinraza, quel que soit le type de la maladie. Tous les traitements pour des nouveaux patients de type 1, 2 et 3 peuvent être initiés et pris en charge.**

Il existe cependant un risque très important que dans les prochains mois le financement du Spinraza pour les types 3 ne soit plus possible.

L'AFM-Téléthon dénonce vivement cette situation et le risque important qu'elle fait peser sur les malades et l'inquiétude créée pour les familles. **Elle a demandé à la Ministre de la Santé d'intervenir personnellement afin d'éviter que des malades SMA de type 3 ne se voient refuser, ou ne soient contraints d'arrêter le Spinraza, un traitement innovant sans alternative dont la HAS a pourtant reconnu qu'il apportait un Service Médical Rendu important.**

Pour toute question n'hésitez pas à envoyer un mail

à la Cellule d'info sur l'accès au médicament :

[medicaments-essaiscliniques@afm-telethon.fr](mailto:medicaments-essaiscliniques@afm-telethon.fr)