

04/2012 : EMA/Attribution du statut de Médicament Orphelin

04/2017 : EMA/Renouvellement du statut de Médicament orphelin

05/2017 : EMA/AMM européenne

06/2017 : ANSM/Début d'une ATU de cohorte pour le traitement des patients symptomatiques atteints d'amyotrophie spinale (SMA) 5q et n'ayant jamais atteint un stade de marche autonome.

06/2017 : HAS avis n° 2017.0066 relatif aux indications de SPINRAZA®, n'ayant pas fait l'objet d'une ATU (traitement des patients symptomatiques atteints d'une SMA avec délétion 5q et ayant atteint un stade de marche autonome ou des patients non symptomatiques atteints d'une SMA avec délétion 5q) → **la HAS n'a pas identifié d'alternatives thérapeutiques prises en charge par les régimes obligatoires de sécurité sociale.**

08/2017 : ANSM/Fin de l'ATUc et prise en charge dans le cadre du dispositif post-ATU.

12/2017 : HAS/Avis d'efficience de la CEESP (avis du 12/12/2017)

01/2018 : HAS/Avis CT

- **SMR/ASMR rendus :**
 - **SMA de types I et II : SMR important, ASMR III.**
 - **SMA de type III : SMR important, ASMR V.**
 - **SMA de type IV : SMR insuffisant.**
- **Place dans la stratégie thérapeutique :**
 - **Traitement de 1^{ère} intention à réserver aux patients ayant une SMA de type I dont les symptômes ont débutés après l'âge de 3 mois, ainsi qu'aux patients ayant une SMA de type II.**
 - **La décision de prescription doit être discutée au cas par cas :**
 - **dans la SMA de type I sévère, ayant débuté avant l'âge de 3 mois, en prenant en compte notamment l'existence d'un syndrome restrictif respiratoire sévère,**
 - **dans la SMA de type III précoce, en prenant en compte la capacité de marche,**
 - **Pas de place dans la stratégie thérapeutique de prise en charge la SMA de type IV.**
 - **L'instauration et les décisions d'arrêts de traitement** devront être prises lors de **RCP au sein des centres de référence et de compétence des maladies neuromusculaires.**
 - **La durée de traitement dans la SMA de types I, II ou III ainsi que les conditions d'arrêt ne sont pas connues** → arrêt du traitement notamment devant une inefficacité thérapeutique sur la fonction motrice et/ou respiratoire **à envisager et discuter de façon collégiale, au cas par cas, au sein des centres de référence et de compétence des maladies neuromusculaires.**
 - **Un suivi à plus long terme, au titre d'un registre** demandé par la Commission, est indispensable pour évaluer l'effet sur la fonction respiratoire, la fonction motrice et la mortalité.

2018 : Laboratoire Biogen/Note d'information relative aux futures conditions de financement des indications de SPINRAZA® :

→ SMA de types I et II seront inscrites sur la liste en sus

→ SMA de type III ne sera pas inscrite sur la liste en sus

07/2018 : ANSM/ lettre aux professionnels de santé

Risque d'hydrocéphalie communicante, non liée à une méningite ou à une hémorragie

VEILLE

Dénomination Commune Internationale :

Nusinersen

Nom commercial :

SPINRAZA®

Médicament orphelin

OMEDIT IDF 2018

Version : 5

Création : Juin 2017
Révision : Juillet 2018

- Informer les patients des signes évocateurs d'hydrocéphalie et de la nécessité de consulter un médecin en cas de vomissements ou céphalées persistants, d'altération inexpliquée de la conscience et, chez les enfants, en cas d'augmentation du périmètre crânien.
- Prise en charge par dérivation ventriculo-péritonéale : dans ce cas, le maintien de l'efficacité du traitement par Spinraza® n'est pas connu et une évaluation du traitement doit être réalisée.