

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 (31/01/2018)

- **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

→ 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 inexplicquée 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.

04/2019 : EMA/MAJ EPAR relative à la mention du risque de méningite aseptique (EI post commercialisation, fréquence indéterminée, pas de conduite à tenir spécifique à ce jour). Cette mise à jour fait suite aux recommandations du PRAC (cf [EMA/CHMP/161360/2019](#)).

04/2019 : DGOS/ NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N° DGOS/PF2/DSS/1C/2019/90 du 15 avril 2019 relative aux modalités de prise en charge de Spinraza® → **prise en charge à titre dérogatoire de la SMA de type III.**

04/2019 : JO 18/04/2019

- **Agrément aux collectivités de la SMA de types I, II et III**
- **Inscription sur la liste en sus de la SMA de type I et II**
- **Tarif de responsabilité**

09/2019 : EMA/MAJ EPAR relative à la mention du risque d'hypersensibilité (angio-oedème, urticaire et éruption cutanée) (EI post commercialisation, fréquence indéterminée, pas de conduite à tenir spécifique à ce jour). Cette mise à jour fait suite aux recommandations du PRAC (cf [EMA/404821/2019](#)).

12/2019 : Revue Cochrane relative aux traitements médicamenteux de l'amyotrophie spinale de type I.

09/2020 : HAS/Avis CT (22/07/2020) relatif à une sous-partie de l'indication d'AMM, à savoir le « traitement de l'amyotrophie spinale 5q des nourrissons et enfants au stade pré-symptomatiques ».

- SMR important uniquement chez les nourrissons et enfants pré-symptomatiques avec une amyotrophie spinale 5q **génétiquement confirmée** et ayant **2 à 3 copies du gène SMN2**.
- ASMR III (modéré) chez les enfants pré-symptomatiques avec une amyotrophie spinale 5q génétiquement confirmée et ayant 2 à 3 copies du gène SMN2.

La commission ne s'était pas prononcée sur la population des nourrissons et enfants au stade pré-symptomatique lors de l'avis initial du 31/07/2018.

10/2020 : JO 13/10/2020 relatif à l'indication de Spinraza® dans le traitement des « **nourrissons et enfants pré-symptomatiques atteints d'amyotrophie spinale 5q génétiquement diagnostiquée avec 2 ou 3 copies du gène SMN2** ».

- **Agrément aux collectivités**
- **Inscription sur la liste en sus**

02/2022 : EMA/MAJ EPAR relatives

- **Aux recommandations en cas d'omission ou de report d'une dose**
- **Aux effets indésirables**