Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-acces-anticipe-risdiplam-pour-sma-type-2-france-140508>

SMA : accès anticipé au risdiplam pour les SMA de type 2 en France

Les ATU nominatives pour un accès anticipé au risdiplam (Evrysdi™) en France sont étendues aux patients atteints de SMA de type 2. Ceux atteints de SMA de type 1 pouvaient déjà en bénéficier.

Le 7 août 2020, les laboratoires Roche/Genentech et PTC Therapeutics [ont annoncé l'autorisation de mise sur le marché du risdiplam](#) (Evrysdi™) dans [l'amyotrophie spinale proximale liée au gène SMN1 \(SMA\)](#) de type 1, 2 et 3, aux États-Unis. Ce traitement oral peut être administré dès l'âge de 2 mois et à tous les âges, quelle que soit l'évolution de la maladie. Le risdiplam est une petite molécule qui agit sur le gène SMN2 pour permettre de fabriquer la protéine SMN manquante dans la SMA.

SMA de type 1 et 2 : prescription possible sous ATU nominative

En Europe, l'Evrysdi™ n'est pas encore autorisé. Mais en France, l'Evrysdi™ peut être prescrit via des [ATU nominatives](#) dans la SMA de type 1 et, désormais, dans la SMA de type 2, à la demande du médecin et après accord des autorités compétentes.

La demande d'AMM européenne en examen à l'EMA

Par ailleurs, le dossier de demande d'AMM européenne pour le Risdiplam est maintenant entre les mains de l'Agence Européenne du médicament (l'EMA). Le dossier a été accepté et son évaluation par le CHMP, le Comité d'évaluation des produits de santé à usage humain, peut commencer, et devrait durer environ 9 mois.

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2020/08/26/le-risdiplam-evrysditm-autorise-aux-etats-unis-peut-desormais-etre-prescrit-en-france-dans-la-sma-de-type-2-sous-atu-nominative-comme-cela-etait-deja-le-cas-pour-la-sma-de-type-1/>

Le risdiplam (Evrysdi™) autorisé aux États-Unis peut désormais être prescrit, en France, dans la SMA de type 2 sous ATU nominative, comme cela était déjà le cas pour la SMA de type 1.

Le 7 août 2020, les laboratoires Roche/Genentech et PTC Therapeutics [ont annoncé l'autorisation de mise sur le marché du risdiplam](#) (Evrysdi™) dans [l'amyotrophie spinale proximale liée au gène SMN1 \(SMA\)](#) de type 1, 2 et 3, aux États-Unis. Ce traitement oral peut être administré dès l'âge de 2 mois et à tous les âges, quelle que soit l'évolution de la maladie.

- En France, des ATU nominatives permettent désormais de prescrire l'Evrysdi™ aux patients atteints de la SMA de type 2, comme cela était déjà le cas pour ceux atteints de SMA de type 1.
- Par ailleurs, le dossier de demande d'AMM européenne pour le Risdiplam a été déposé à l'EMA et validé. Son évaluation par le CHMP peut commencer et devrait durer environ 9 mois.