

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/sma-atu-cohorte-pour-risdiplam-france-140771>

SMA : une ATU de cohorte pour le risdiplam en France

Avec l'obtention de l'ATU de cohorte dans la SMA de type I, II et III, un plus grand nombre de patients pourrait bénéficier du risdiplam (Evrysdi) en attendant sa commercialisation en France.

À compter du 6 avril 2021, le risdiplam (Evrysdi) pourra être prescrit pour l'[amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 \(SMA\)](#) de type I, II et III en France dans le cadre d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) de cohorte.

D'après le [Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations](#) qui accompagne cette ATU, elle concerne les patients âgés de 2 mois et plus « en cas d'échec, d'intolérance ou d'impossibilité d'administration des alternatives thérapeutiques disponibles » [comme le nusinersen (Spinraza)] et « après avis d'une Réunion de Concertation Pluridisciplinaire (RCP) nationale de la filière [Filnemus](#) ». Cela signifie qu'en attendant la commercialisation du risdiplam en France, celui-ci pourrait être utilisé quand les traitements ayant une autorisation de mise sur le marché (AMM) ne sont pas efficaces, pas tolérés ou ne peuvent pas être administrés. Mais il est également nécessaire d'avoir un avis positif issu d'une analyse collective faite au cas par cas par la RCP nationale de Filnemus.

Jusqu'à présent, ce traitement par voie orale était prescrit via des [ATU nominatives dans la SMA de type I et II](#) : le médecin prescripteur déposait une demande du traitement auprès de l'[Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé \(ANSM\)](#) pour un patient, nommé désigné.

Avec l'ATU de cohorte, un plus grand nombre de patients sera concerné puisqu'elle concerne aussi la SMA de type III et que l'hôpital pourra faire la demande directement auprès du laboratoire qui produit le risdiplam, à condition de remplir les différents critères médicaux et d'avoir un avis positif de la RCP de Filnemus.

Une instance de l'Agence Européenne du Médicament (EMA), le [Comité des Médicaments à Usage Humain \(CHMP\)](#), a donné récemment [un avis positif à l'autorisation du risdiplam sur le marché européen](#). Celle-ci concerne les patients âgés de plus de deux mois avec un diagnostic clinique de SMA de type I, II ou III ou avec une à quatre copies de SMN2. La Commission européenne devrait confirmer cet avis dans un délai de deux mois environ et accorder l'autorisation de mise sur le marché (AMM) pour l'ensemble des pays de l'Union européenne. De longs mois seront ensuite nécessaires pour que ce médicament fasse l'objet d'une évaluation de son intérêt thérapeutique et médico-économique, puis qu'une négociation de prix puisse aboutir. Mais pendant toute cette période, avant que la décision finale soit prise, les malades français pourront avoir accès à ce médicament.

Le risdiplam (11 mars 2021)		
Dans le monde  <ul style="list-style-type: none">• Plus de 2 500 patients traités.• AMM aux États-Unis, Brésil, Chili, en Corée du Sud, Géorgie, Russie et Ukraine.	En Europe  <ul style="list-style-type: none">• AMM recommandée par le CHMP.• En attente de la décision de la Commission européenne.	En France  <ul style="list-style-type: none">• ATU de cohorte dans la SMA de type I, II et III à compter du 6 avril 2021.

Source

ANSM [En ligne]. [Autorisation temporaire d'utilisation dite de cohorte - Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations Risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable. Mars 2021 version 1 \[consulté le 09/03/21\]](#)

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/03/22/atu-de-cohorte-pour-le-risdiplam-dans-la-sma-de-type-i-ii-et-iii/>

ATU de cohorte pour le risdiplam dans la SMA de type I, II et III

L'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) vient d'octroyer une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) de cohorte pour le risdiplam (Evrysdi) laquelle concerne les « *patients âgés de 2 mois et plus avec un diagnostic clinique de SMA de type I, II ou III en cas d'échec, d'intolérance ou d'impossibilité d'administration des alternatives thérapeutiques disponibles, après avis d'une Réunion de Concertation Pluridisciplinaire (RCP) nationale de la filière [Filnemus](#)* ». Celle-ci sera effective à partir du 6 avril prochain. Jusqu'à cette date, seules les personnes atteintes de SMA de type I et II bénéficient de ce traitement par voie orale par le biais d'une ATU nominative.

Cette décision repose sur des résultats positifs du risdiplam obtenus lors des essais FIREFISH et SUNFISH, sur lesquels s'appuie également l'avis positif émis par le Comité des Médicaments à Usage Humain (CHMP) de l'Agence européenne du médicament (EMA) qui recommande la commercialisation du risdiplam en Europe pour les personnes âgées d'au moins deux mois avec un diagnostic clinique de type I, II ou III ou avec une à quatre copies de SMN2. La Commission européenne doit maintenant statuer sur cette autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne dans un délai d'environ deux mois.

Source

ANSM [En ligne]. [Autorisation temporaire d'utilisation dite de cohorte - Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations Risdiplam 0,75 mg/mL, poudre pour solution buvable. Mars 2021 version 1 \[consulté le 09/03/21\]](#)