

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Pas de brève AFM

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/06/07/une-compilation-tres-utile-des-etudes-medico-economiques-dans-la-sma/>

Une compilation très utile des études médico-économiques dans la SMA

L'amyotrophie spinale proximale liée à *SMN1* (ou SMA pour *spinal muscular atrophy*) connaît depuis peu une accélération spectaculaire au niveau thérapeutique. Génétiquement déterminée, cette maladie neuromusculaire entraîne des paralysies en rapport avec la dégénérescence des motoneurones périphériques et, pour certains enfants atteints, un décès à un âge prématuré. L'arrivée sur le marché de trois médicaments, le Spinraza[®], le Zolgensma[®], et l'Evrysdi[®] bouleverse l'histoire naturelle de la maladie et fait se poser de nombreuses questions aux familles, aux cliniciens et aux payeurs, le dénominateur commun de ces trois produits étant un prix très élevé.

Dans un article publié en janvier 2021, des chercheurs du Benelux ont parcouru toute la littérature médico-économico-scientifique récente en rapport avec la SMA. Ils se sont intéressés dans un premier temps aux coûts en lien avec la maladie et ont fait le constat d'une grande disparité des coûts moyens, faute de standardisation des études et du fait de la variabilité de la sévérité, et donc de la charge en soins selon les sous-types de SMA. Le coût pouvait ainsi varier, pour une population pourtant plus homogène comme les types I, de 75 000 à 196 000 dollars à l'année. Des études portant sur l'impact des thérapies innovantes sur ces coûts commencent seulement à être publiées mais sont difficiles à comparer entre elles. Seule certitude, les thérapies citées, au niveau de prix pratiqué, ne sont pas de nature à diminuer en l'état les coûts de façon significative quand elles sont administrées à un stade post-symptomatique. Un autre enjeu majeur résidera dans l'évaluation de l'impact des programmes de dépistage néonatal en cours.

Source

[Systematic literature review of the economic burden of spinal muscular atrophy and economic evaluations of treatments](#)

T Dangouloff, C Botty, C Beaudart et al.

Orphanet J Rare Dis. 2021 (Janv).16(1):47.