

Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1

Brève AFM

<https://www.afm-telathon.fr/actualites/sma-nouvelle-etape-dans-commercialisation-evrysdi-france-140997>

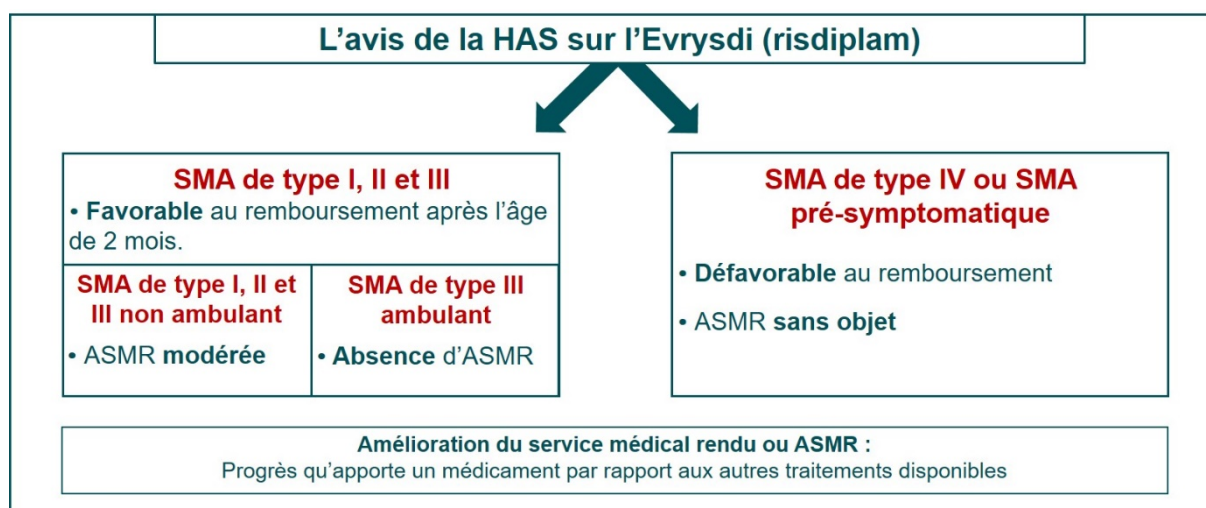
SMA : une nouvelle étape dans la commercialisation d'Evrysdi en France

La HAS a rendu un avis sur le remboursement de l'Evrysdi (risdiplam) : favorable pour la SMA de type I, II et III – défavorable pour la SMA de type IV et les pré-symptomatiques.

Le parcours réglementaire de l'Evrysdi (risdiplam) se poursuit avec la publication de l'avis de la Commission de la Transparence de la [Haute Autorité de Santé \(HAS\)](#) concernant le remboursement de ce traitement oral dans l'[amyotrophie spinale proximale \(SMA\)](#).

S'en suivront des étapes de négociation de prix et de remboursement qui prendront encore quelques mois avant la mise à disposition officielle du produit sur le marché français. Dans cette attente, l'Evrysdi peut, après avis positif d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) nationale, être prescrit et pris en charge pour les malades chez lesquels les injections de Spinraza (nusinersen) ne sont pas possibles.

Un avis différencié



La place de l'Evrysdi parmi les traitements déjà disponibles

Selon cet avis, l'Evrysdi est un traitement de première intention à utiliser :

- dans la SMA de type I, symptomatique : au même titre que le Spinraza (nusinersen) et le Zolgensma (onasemnogene abeparvovec).
- dans la SMA de type II et III : au même titre que le Spinraza (nusinersen).

La HAS recommande également que toute décision de traitement soit prise au cas par cas lors de réunions de concertation pluridisciplinaires (RCP) organisées par la filière des maladies rares neuromusculaires [FILNEMUS](#).

Le cas des malades pré-symptomatiques

À ce jour, la HAS n'est pas favorable à un remboursement pour les formes pré-symptomatiques de la maladie étant donné la disponibilité d'alternatives thérapeutiques et le manque de données disponibles à ce jour avec le risdiplam dans cette indication. Cette position pourra évoluer lors de la publication des résultats de l'[essai RAINBOWFISH du risdiplam](#), en cours à l'étranger, chez 25 nourrissons pré-symptomatiques âgés de moins de 6 semaines.

Source

[EVRYSDI - Avis sur les Médicaments - Mis en ligne le 30 septembre 2021.](#)

Haute Autorité de Santé [En ligne] [consulté le 12 octobre 2021]

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/10/26/avis-de-la-has-pour-levrysdi-risdiplam/>

Avis de la HAS pour l'Evrysdi (risdiplam)

L'avis de la Commission de Transparence concernant le remboursement de l'Evrysdi (ou risdiplam) vient d'être publié.

- **Dans la SMA de type I, II et III**, l'Evrysdi obtient un avis favorable au remboursement chez les patients de plus de 2 ans, avec un SMR important et une ASMR :
 - III (ou modérée) pour les patients atteints de SMA de type II et III non ambulants,
 - V (ou absence) pour les patients atteints de SMA de type III ambulants.
- **Dans la SMA de type IV ou chez les patients pré-symptomatiques**, l'avis est défavorable au remboursement, avec un SMR insuffisant (en l'absence de données, à ce jour, pour les patients pré-symptomatiques).
- La décision de traitement doit être prise au cas par cas lors de réunions de concertation pluridisciplinaires (RCP) organisées au niveau national par la filière des maladies rares neuromusculaires FILNEMUS.

Voir aussi « [SMA : vers un remboursement de l'Evrysdi pour les types I, II et III](#) »

Source

[EVRYSDI - Avis sur les Médicaments - Mis en ligne le 30 septembre 2021.](#)
Haute Autorité de Santé [En ligne] [consulté le 12 octobre 2021]