



Vaincre l'Amyotrophie Spinale Infantile (SMA)

Familles SMA France

Association loi 1901

BP 600 87

78570 CHANTELOUP les VIGNES PDC

Madame Agnès BUZYN
Ministre des Solidarités et de la Santé
14, avenue Duquesne
75007 PARIS

Interlocuteur : L. SOUBIELLE,
Président de l'association « Familles SMA France »
Mail : fsma.france@gmail.com

Objet : processus de validation du médicament SPINRAZA
Traitement de l'Amyotrophie Spinale Infantile (SMA)

Le 15/02/2019

Madame la Ministre,

Président de l'association « Familles SMA France » qui regroupe une part importante des patients et des familles concernés par la pathologie neuro-dégénérative Amyotrophie Spinale (SMA – Spinal Muscular Atrophy), je me permets de vous contacter à nouveau suite à l'avis prononcé le 31/01/2018 par la Commission de la Transparence HAS relatif au traitement SPINRAZA, du laboratoire BIOGEN, délivré actuellement en Post-ATU à un nombre limité de patients atteints d'amyotrophie spinale.

L'instruction de ce dossier est actuellement en cours dans vos services et nous tenons à vous faire part une nouvelle fois des inquiétudes grandissantes de notre communauté, inquiétudes que nous vous avons déjà exprimées par courrier les 20/03/2018 et 29/04/2018.

Pour rappel, l'amyotrophie spinale est une maladie génétique fortement évolutive qui détruit les motoneurons et provoque la perte irrémédiable de toutes les fonctions motrices jusqu'à la paralysie totale des patients atteints. Cette dégradation progressive et inéluctable peut engager très rapidement le pronostic vital pour les patients atteints par les formes les plus précoces (nourrissons ou jeunes enfants), et conduit presque toujours les patients plus âgés vers une situation de handicap très sévère. Il existe 4 formes principales de la maladie, notées du type 1 au type 4 en fonction de l'âge d'apparition et de la sévérité du handicap.

Aujourd'hui, le SPINRAZA est le seul et unique traitement disponible sur le marché mondial pour cette maladie. Il stoppe le processus évolutif de cette pathologie et permet la récupération partielle, voire totale, de certaines capacités motrices chez un grand nombre de patients traités. Ce traitement bénéficie depuis 2017 d'une AMM délivrée par la FDA (Food and Drug Administration) aux USA et par l'EMA (European Medicines Agency) en Europe.

Nous nous permettons de vous interpeller à nouveau car nous constatons que dans le cadre de la procédure Post ATU mise en place, les patients SMA font l'objet d'une différence de traitement en fonction de leur type de SMA. En particulier, les patients SMA de type 3 sont pour la plupart exclus du traitement SPINRAZA par les cliniciens, au prétexte que ce traitement, dans un proche avenir, pourrait ne pas être remboursé aux patients SMA de type 3. A ce titre, nous avons effectivement recueilli des témoignages de patients SMA type 3 qui ont reçu une fin de non-recevoir à leur demande de pouvoir bénéficier du traitement ... Certaines familles concernées par la SMA de type 3 ont même fait le choix de s'expatrier à l'étranger (Belgique par exemple) afin de bénéficier du traitement.

Nous souhaitons par la présente insister sur le fait que nous sommes très inquiets des conséquences de cette non prise en charge des patients SMA de type 3. Par ailleurs, nous en profitons pour renouveler notre désaccord quant à l'exclusion des patients SMA de type 4 par la HAS. Segmenter ainsi les malades atteints de SMA pourrait laisser penser qu'il existe plusieurs maladies différentes. Or, l'amyotrophie spinale, dans sa forme potentiellement concernée par le SPINRAZA (amyotrophie spinale 5q), est une maladie génétique unique. De plus, cette maladie étant évolutive, les fonctions motrices des patients se dégradent de façon inéluctable tout au long de leur vie, modifiant les symptômes de la maladie. De fait, statuer, a priori, sur la non-nécessité de délivrer le traitement SPINRAZA à une ou plusieurs sous-catégories de malades SMA nous semble inadapté, voire discriminatoire, pour la vie ou la survie des patients atteints.

Dans ce contexte, nous souhaitons que les autorités de santé adoptent une position qui permettra la délivrance et la prise en charge du traitement SPINRAZA **pour tous les patients SMA** qui le souhaitent, conformément aux recommandations et à l'avis rendu par l'EMA (European Medicines Agency) le 1^{er} juin 2017, donnant accès au traitement SPINRAZA pour tous les patients SMA, **quel que soit le type de SMA et quel que soit l'âge du patient.**

Notre association, qui représente, en France, les patients et les familles concernés par la SMA, attend donc des décisions qui permettront de répondre aux attentes de notre communauté.

Nous vous prions, Madame la Ministre, d'accepter l'expression de nos salutations dévouées et respectueuses.



L. SOUBIELLE - Président de l'association "Familles SMA France"

