



Vaincre l'Amyotrophie Spinale

**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 « Familles SMA France »  
Mail : fsma.france@gmail.com

*Le 20/03/2018*

**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 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 de nos craintes et de nos attentes.

Pour rappel, l'amyotrophie spinale est une maladie génétique fortement évolutive qui détruit les moto-neurones 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.

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 car nous sommes surpris et particulièrement inquiets par l'avis émis par la HAS, qui ne va pas dans le sens des suggestions et remarques que nous avons transmises à la HAS en octobre dernier, lors de la phase de consultation des associations (cf. nos réponses à l'enquête : <https://www.fsma.fr/fsma-spinraza-has> ).

En particulier, nous ne sommes pas d'accord avec les réserves formulées pour les patients SMA de type 3 et nous ne comprenons pas l'exclusion des patients SMA de type 4. 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.

Par ailleurs, nous contestons le nombre de 300 patients SMA indiqué dans l'avis de la HAS comme étant la population cible des patients SMA pour le SPINRAZA. Selon notre association, la cible est l'ensemble du périmètre des patients SMA en France (soit environ plus de 1 500 patients). Au sein de ce périmètre, nous estimons que plus de la moitié d'entre eux souhaiterait bénéficier de ce traitement et en aurait besoin.

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 et qui en ont un besoin vital, conformément aux recommandations et à l'avis rendu par l'EMA ( European Medicines Agency ) le 1<sup>er</sup> 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. Du reste, de nombreux pays européens ont déjà adopté ces recommandations européennes concernant le SPINRAZA (Italie, Allemagne, Espagne, Norvège, etc...). C'est pourquoi, dans l'hypothèse où les décisions des autorités de santé françaises viendraient à différencier les patients SMA selon une quelconque typologie, notre association serait alors amenée à engager une procédure de recours au niveau européen.

Nous sommes à votre disposition pour vous rencontrer afin de vous exposer plus en détails cette situation qui relève, selon nous, d'une réelle problématique de santé publique

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"



Site web de Familles SMA France : <http://www.fsma.fr>