

Chers membres de la communauté SMA,

En réponse à votre demande d'information, nous sommes heureux de vous informer que la Commission européenne a octroyé ce jour l'autorisation de mise sur le marché du SPINRAZA® (nusinersen) indiqué dans le traitement de l'amyotrophie spinale 5q (SMA), forme la plus courante de la maladie qui représente environ 95 % des cas de SMA. Le SPINRAZA® (nusinersen), premier traitement de la SMA approuvé dans l'Union européenne, a fait l'objet d'une procédure d'évaluation accélérée par l'Agence européenne du médicament afin de répondre au plus vite aux besoins des patients.

Cette autorisation se fonde principalement sur les données issues de deux essais pivots contrôlés, ENDEAR (SMA infantile ; individus ayant ou étant le plus à même de développer une SMA de type 1) et CHERISH (SMA plus tardive ; individus ayant ou étant le plus à même de développer une SMA de type 2 ou 3), qui ont démontré l'efficacité cliniquement significative et le rapport bénéfices/risques positif du Nusinersen. En outre, les données provenant des essais en ouvert concernant les sujets symptomatiques et pré-symptomatiques ayant ou à même de développer une SMA de type 1, 2 ou 3 étaient conformes aux résultats des essais pivots et ont permis d'étayer l'indication approuvée. Les conclusions des essais corroborent l'efficacité et la sécurité du nusinersen chez des individus ayant une SMA aux profils divers et semblent aller dans le sens d'une instauration précoce du traitement par SPINRAZA.

En septembre 2016, en réponse au besoin urgent de traitement des patients les plus gravement atteints, Biogen a lancé l'un des programmes d'accès élargi (EAP, « expanded access program ») avant AMM les plus vastes pour une maladie rare, et ce gracieusement. Plus de 350 personnes éligibles ayant une SMA infantile (à même de développer une SMA de type 1) ont ainsi bénéficié d'un traitement par SPINRAZA dans 17 pays européens.

Biogen reconnaît que le coût et l'accès au traitement sont des points importants pour les patients, les professionnels de santé, les organismes payeurs et les autorités. Malgré l'autorisation de mise sur le marché, la disponibilité du traitement variera d'un pays à l'autre en fonction de la procédure de chaque pays en matière d'accès et de remboursement. Nous travaillons dès à présent avec les systèmes de santé et les autorités publiques dans l'UE pour garantir un accès large au nusinersen. Pour assurer une continuité de traitement entre la délivrance de l'AMM et l'accès au nusinersen, l'EAP restera ouvert en Europe pour les nouveaux patients pendant un certain temps une fois l'AMM obtenue, dans la mesure où la réglementation locale le permet. La date de clôture sera définie par Biogen pays par pays.

Nous vous remercions du soutien que nous recevons de la part de la communauté SMA. Nous n'aurions pu atteindre ce moment historique sans vous et vos familles et sans les médecins et les chercheurs qui ont soutenu le programme d'essais portant sur le nusinersen. Cette étape

Communication à destination de la communauté SMA concernant l'AMM européenne, 8 mai 2017

importante constitue un nouvel espoir pour les patients, les familles et la communauté SMA et illustre notre volonté d'améliorer la vie des patients atteints de maladies neurologiques graves. Notre engagement envers la communauté SMA reste entier. Maintenant que nous avons obtenu l'AMM pour l'Union européenne, il nous reste encore beaucoup de chemin à parcourir et nous continuerons de travailler avec vous, avec la communauté et avec les systèmes de santé pour garantir l'accès au nusinersen pour les patients qui en ont besoin. Nous continuerons à vous tenir informés des faits nouveaux.

Cordialement,

Biogen