



27 février 2020

Lettre circulaire AI n° 397

Prise en charge des coûts du Spinraza® (Nusinersen) :

L'AI rembourse les coûts du Spinraza® (nusinersen) pour les patients présymptomatiques ou ceux souffrant d'une amyotrophie spinale (SMA) de type I, II ou III au prix (prix public) de 90'063.70 CHF par flacon (flacon de 12mg/5ml catégorie de remise A). Un accord correspondant, valable jusqu'au 31 décembre 2022, a été conclu avec le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché. Le prix public a été adapté à la comparaison de prix avec l'étranger (CPE) actuelle et est valable pour tous les traitements à partir du 21 février 2020.

Les conditions de prise en charge des coûts (limitation) de Spinraza® ont également été actualisées.

Les conditions (limitations) suivantes doivent être respectées pour un traitement et les médecins spécialistes traitants doivent en être informés.

Critères d'inclusion

Spinraza® ne peut être prescrit et administré que par des spécialistes en neurologie ou en neuropédiatrie dans des centres hospitaliers spécialisés dans les maladies neuromusculaires et appartenant au réseau Myosuisse (voir par ex. <http://www.fsrm.ch/fr/projets/le-reseau-myosuisse/>). Le traitement doit impérativement être dispensé par du personnel médical expérimenté dans le diagnostic et le traitement de patients atteints d'amyotrophie spinale et dans l'exécution d'administrations intrathécales par ponction lombaire.

Le médecin traitant est tenu d'enregistrer toutes les données requises dans le Registre suisse des maladies neuromusculaires SwissReg-NMD (<https://www.swiss-reg-nmd.ch/>).

La garantie de prise en charge par l'office AI est accordée après consultation préalable du service médical régional (SMR).

Pour prolonger le traitement au-delà de douze mois, une demande spécifique en ce sens doit être établie par le médecin traitant et soumise à nouveau à l'office AI.

Pour le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA) 5q chez les patients pédiatriques pour lesquels le diagnostic est établi avant le 20^e anniversaire (pour les patients de plus de 20 ans, voir la LMIC).

Documentation d'une délétion homozygote, d'une mutation homozygote ou d'une hétérozygotie complexe (par ex. délétion dans l'exon 7 du gène SMN1 [allèle 1] et mutation du gène SMN1 [allèle 2] avec au moins 2 copies du gène SMN2).

Chez les patients présymptomatiques :

- ≥ 2 copies du gène SMN2.

Chez les patients SMA type I (forme infantile) :

- ≥ 2 copies du gène SMN2.
- Apparition des symptômes et des indices cliniques ≤ 6 mois (180 jours).

En cas de SMA apparue plus tardivement (types II et III) :

- ≥ 2 copies du gène SMN2.
- Apparition des symptômes > 6 mois.

Tous les patients traités avec Spinraza® doivent être examinés régulièrement par le médecin traitant dans un centre hospitalier spécialisé suivant les paramètres d'évaluation définis respectivement quant à la réponse au traitement ; dans ce cadre sont effectuées des évaluations selon l'âge et les capacités motrices (entre autres : CHOP-INTEND HINE, HFMSE, RULM, 6MWT) et la fonction pulmonaire est mesurée.

Critères d'exclusion

- Sont exclues les SMA de types 0 et IV, et toutes les atrophies musculaires spinales et neurales qui ne sont pas dues à une délétion ou à une mutation génétique sur le chromosome 5q.
- Sont exclus les patients pour lesquels une administration intrathécale par ponction lombaire n'est pas possible pour des raisons de santé ou de difficultés techniques (par ex. status après fusion rachidienne).
- Spinraza® ne doit pas être utilisé avant, après ou en même temps qu'une thérapie génique spécifique pour SMA. Spinraza® ne doit pas être administré en même temps qu'un autre traitement médicamenteux de l'amyotrophie spinale (SMA) agissant sur l'expression de la protéine SMN.

Critères d'interruption

- Détérioration générale de la fonction motrice, confirmée par deux mesures successives, sans raison alternative permettant de justifier les détériorations :
 - réduction de plus de 2 points sur l'échelle pour « donner des coups de pieds » ou de 1 sur d'autres scores de l'échelle HINE sans préhension volontaire ;
 - diminution de plus de 4 points sur l'échelle CHOP-INTEND (Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders scale) ;
 - diminution de plus de 3 points sur l'échelle révisée Hammersmith (HFMSE).
- Ventilation permanente (16 heures ou plus par jour pendant 21 jours consécutifs, s'il n'y a aucune infection aiguë réversible) ou nécessité d'une trachéotomie permanente en cas de détérioration simultanée des fonctions motrices ;
- Non-respect du programme de traitement.