

SANTÉ

PHARMACIE

Pharmacie humaine

MINISTÈRE DES SOLIDARITÉS
ET DE LA SANTÉ

MINISTÈRE DE L'ACTION
ET DES COMPTES PUBLICS

Direction de la sécurité sociale

Sous-direction du financement du système de soins

Bureau des produits de santé

Direction générale de l'offre de soins

Sous-direction du pilotage de la performance
des acteurs de l'offre de soins

Bureau qualité et sécurité des soins (PF2)

Note d'information interministérielle n° DGOS/PF2/DSS/1C/2019/90 du 15 avril 2019 relative à la prise en charge de la spécialité pharmaceutique SPINRAZA® (nusinersen) dans « le traitement de l'amyotrophie spinale 5q »

NOR : SSAH1911375N

Date d'application : immédiate.

Validée par le CNP le 12 avril 2019. – Visa CNP 2019. – n° 34.

Catégorie : directives adressées par les ministres aux services chargés de leur application, sous réserve, le cas échéant, de l'examen particulier des situations individuelles.

Résumé : la présente note précise les conditions et les modalités de prise en charge de la spécialité SPINRAZA® dans son AMM.

Mots clés : médicaments – prescription – établissement de santé – indications – liste en sus – dispositif dérogatoire.

Référence :

Article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale.

La ministre des solidarités et de la santé et le ministre de l'action et des comptes publics à Mesdames et Messieurs les directeurs généraux des agences régionales de santé ; Mesdames et Messieurs les directeurs d'établissements de santé ; Mesdames et Messieurs les coordinateurs des observatoires des médicaments, des dispositifs médicaux et de l'innovation thérapeutique (OMEDIT) ; Monsieur le directeur général de l'Union nationale des caisses d'assurance maladie (UNCAM) ; Monsieur le directeur général de la Caisse nationale de l'assurance maladie (CNAM) ; Monsieur le directeur général de la caisse centrale de la Mutualité sociale agricole (CCMSA).

I. – CONTEXTE ET OBJECTIF

SPINRAZA® (nusinersen sodique) est un médicament orphelin qui dispose d'une autorisation de mise sur la marché (AMM) dans le traitement étiologique de l'amyotrophie spinale 5q depuis le 30 mai 2017.

Cette maladie héréditaire qui se caractérise par une faiblesse musculaire liée à une paralysie plus ou moins importante comprend quatre niveaux de gravité :

- type I ou amyotrophie spinale infantile sévère qui apparaît avant l'âge de 6 mois et qui se caractérise par une absence d'acquisition de la station assise ;
- type II ou amyotrophie spinale infantile intermédiaire qui apparaît à l'âge de 6 à 18 mois et qui se caractérise par l'absence d'acquisition de la marche ;
- type III aussi appelé amyotrophie spinale juvénile survenant après l'âge d'acquisition de la marche ;
- type IV ou amyotrophie spinale adulte se manifeste à l'âge adulte.

SPINRAZA[®] a bénéficié d'autorisations temporaires d'utilisation (ATU) nominatives dès septembre 2016 puis d'une ATU de cohorte à compter du 12 mai 2017 dans le « Traitement des patients symptomatiques atteints d'amyotrophie spinale (SMA) 5q et n'ayant jamais atteint un stade de marche autonome ». Ainsi, le traitement des patients de type I, II et III était pris en charge au titre des dispositifs ATU puis du post-ATU.

En vue de l'inscription de SPINRAZA[®] sur les listes de remboursement et de prise en charge par l'assurance maladie, la commission de la transparence (CT) de la Haute Autorité de santé (HAS) a procédé à l'évaluation de cette spécialité dans « le traitement de l'amyotrophie spinale 5q » concluant dans son avis du 31 janvier 2018 à :

- un service médical rendu (SMR) important pour la prise en charge par la solidarité nationale des patients de type I, II et III ;
- un SMR insuffisant pour justifier d'une prise en charge des patients de type IV.

II. – CONDITIONS ET MODALITÉS DE PRISE EN CHARGE DE LA SPÉCIALITÉ SPINRAZA[®]

A. – LE TRAITEMENT DE L'AMYOTROPHIE SPINALE 5Q DE TYPES I ET II

SPINRAZA[®] fait l'objet d'une prise en charge en sus des prestations d'hospitalisation visée à l'article L. 162-22-7 du code de la sécurité sociale dans « le traitement de l'amyotrophie spinale 5q de types I, II ».

L'arrêté des ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale du 15 avril 2019 prévoit l'inscription de SPINRAZA[®] sur la « liste en sus » dans le traitement de l'amyotrophie spinale de types I et II.

Le référentiel des indications des spécialités pharmaceutiques inscrites sur la liste en sus disponible sur le site du ministère prévoit deux codes spécifiques pour SPINRAZA[®] :

- un dans « le traitement de l'amyotrophie spinale 5q de type I » ;
- et un autre dans « le traitement de l'amyotrophie spinale 5q de type II ».

B. – LE TRAITEMENT DE L'AMYOTROPHIE SPINALE 5Q DE TYPE III

La spécialité SPINRAZA[®] est inscrite sur la liste des spécialités pharmaceutiques agréées à l'usage des collectivités et divers services publics dans « le traitement de l'amyotrophie spinale 5q de type III ».

Dans cette sous-population, SPINRAZA[®] n'est pas éligible à une inscription sur la « liste en sus ». En effet, dans son avis susmentionné, la commission de la transparence a reconnu à cette spécialité :

- une absence d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) dans la prise en charge ;
- une absence de comparateurs médicamenteux cliniquement pertinents.

Cependant, les ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale ont souhaité une prise en charge de SPINRAZA[®] « à l'euro, l'euro » pour le traitement des patients atteints d'une amyotrophie spinale 5q de type III. Par conséquent, un code indication spécifique dans « le traitement de l'amyotrophie spinale 5q de type III » est disponible afin de permettre la valorisation des facturations. Ce code relevant d'un dispositif dérogatoire est précisé dans le référentiel suscité disponible sur le site du ministère¹.

¹ <https://solidarites-sante.gouv.fr/soins-et-maladies/autres-produits-de-sante/dispositifs-medicaux/la-liste-en-sus/article/referentiel-des-indications-des-specialites-pharmaceutiques-inscrites-sur-la>

C. – LE TRAITEMENT DE L'AMYOTROPHIE SPINALE 5Q DE TYPE IV

Compte-tenu du SMR insuffisant attribué par la CT, la spécialité SPINRAZA® n'est pas prise en charge par l'assurance maladie dans « le traitement de l'amyotrophie spinale 5q de type IV ».

Nous remercions les ARS de bien vouloir transmettre cette note d'information aux directeurs d'établissements de santé.

Les observatoires du médicament, des dispositifs médicaux et des innovations thérapeutiques (OMEDIT) pourront procéder à l'accompagnement des établissements de santé dans la mise en œuvre de ce dispositif.

Les établissements sont invités à faire part à l'agence régionale de santé dont ils relèvent des éventuelles difficultés rencontrées.

Vu au titre du CNP par la secrétaire générale des ministères chargés des affaires sociales,

Pour la ministre et par délégation :

La directrice de la sécurité sociale,
MATHILDE LIGNOT-LELOUP

La directrice générale de l'offre de soins,
C. COURREGES