

Sommaire



Dossier du CNHIM
2018 Tome XXXIX, 6

Le CNHIM est une association indépendante à but non lucratif (loi 1901) dont la vocation est de réaliser et diffuser une information rigoureuse et scientifique sur le médicament. Tous les articles publiés dans Dossier du CNHIM sont le fruit d'un travail collectif, sur le fond et sur la forme, entre les rédacteurs signataires, le comité de rédaction, et la rédaction du CNHIM d'une part, le comité de lecture et certains experts, spécialistes du sujet traité, d'autre part. Sur chaque sujet, Dossier du CNHIM ne publie donc pas les opinions de tel ou tel, mais réalise une analyse scientifique critique, la plus objective possible. Malgré tout le soin apporté à l'élaboration de Dossier du CNHIM, une erreur peut se glisser dans les informations diffusées. Les lecteurs doivent donc conserver la plus grande vigilance dans l'exploitation des données à leur disposition.

Directeur de la Publication : Xavier Dode

Rédaction

Rédactrice en chef : Marie- Caroline Husson

Comité de rédaction : Mathieu Boulin (Dijon), Marie-Laure Brandely (Paris), Agnès Bonnin (Paris), Isabelle Fusier (Paris), Isabelle Jolivet (Paris), Véronique Lecante (Paris), Emmanuelle Radideau (Corbeil), Corinne Tollier (Paris).

Comité de lecture : Jean-Eudes Fontan (Paris), Corinne Guérin (Paris), Christine Le Beller (Paris), Virginie Nerich (Besançon).

Experts relecteurs pour ce numéro :

Brigitte Chabrol (Marseille), Claude Cancès (Toulouse), Yann Péréon (Nantes), Sylviane Peudenié (Brest).

Rythme de parution : 6 numéros par an
N° ISSN 0223,5242.

N° de commission paritaire 0423 G 82049

IMPRESSION : Imprimerie Megatop - Groupe Capelitis
13, av du Cerisier Noir - 86530 NAINTRÉ.

CENTRE NATIONAL HOSPITALIER D'INFORMATION SUR LE MÉDICAMENT

www.cnhim.org

CNHIM - 75/77, rue du Père Coirentin - CS 91425
75993 PARIS CEDEX 14
Tél. : 01 56 53 51 05 - Fax : 01 57 05 96 03
Courriel : secretariat@theriaque.org

Président : Xavier Dode

Président fondateur : André Mangeot †

Secrétariat abonnement : Béatrice Valente

Conseil d'Administration :

Titulaires : P. Bedouch (Grenoble), J. Calop (Grenoble), D. Dardelle (Suresnes), E. Dufay (Lunéville), X. Dode (Lyon), J. E. Fontan (Bondy), I. Fusier (Paris), T. Le Marec (Paris), I. Madelaine (Paris), F. Mille (Paris), M.-L. Mottier (Annecy), R. Passemard (Strasbourg).

Suppléants : C. Billon (Versailles), O. Bourdon (Paris), D. Cauet (Quimperlé), J. Coutet (Chalon-sur Saône), C. Curty (Marseille), B. Demore (Nancy), M. Detavernier (Grenoble), D. Goeury (Saint-Mandé), M.-C. Husson (Paris), C. Lebeller (Paris), T. Tritz (Boulogne-Billancourt), J.-M. Trivier (Lille).

Amyotrophie spinale 5q : nouveau traitement par un oligonucléotide antisens

Carole Therasse, Isabelle Desguerre, Isabelle Fusier, Céline Magneux et le comité de rédaction

Echos du CNHIM Marie-Caroline Husson **3**

En bref Marie-Caroline Husson **7**

Introduction **9**

1. Amyotrophie spinale 5q **9**

1.1 Définition des maladies rares **9**

1.2 Définition de l'amyotrophie spinale 5q **10**

1.3 Épidémiologie **10**

1.4 Étiologie et génétique **10**

1.5 Clinique et classification **11**

1.6 Diagnostic **13**

1.7 Prise en charge thérapeutique et besoin médical **14**

2. Traitement par un oligonucléotide antisens : le nusinersen **15**

2.1 Renseignements généraux **15**

2.2 Renseignements pharmacologiques **16**

2.3 Indication **16**

2.4 Posologie et mode d'administration **16**

2.5 Renseignements pharmacocinétiques **16**

2.6 Contre-indications **17**

2.7 Examens et suivi recommandés **17**

2.8 Effets indésirables **17**

2.9 Interactions **17**

2.10 Plan de gestion des risques **17**

2.11 Évaluation de l'efficacité et de la sécurité : études cliniques de phase III et post-AMM **17**

2.12 Accès au traitement en France **26**

2.13 Prise en charge du nusinersen en Europe **27**

2.14 Perspectives dans la prise en charge de l'amyotrophie spinale 5q **28**

Conclusion **28**

Acronymes et abréviations **29**

Glossaire **29**

Références bibliographiques **30**

Annexe **32**

Cas clinique **37**

Insuffisance cardiaque avancée : prise en charge par assistance circulatoire et greffe

Marie Tran-Luy, Isabelle Jolivet, Shaïda Varnous et le comité de rédaction

Résumés des derniers numéros parus **51**

Au sommaire de Dossier du CNHIM **52**

Bulletin d'abonnement 2018 **53**

Bulletin d'abonnement 2019 **54**

P
o
i
n
t
s
u
r

F
i
c
h
e



Dossier du CNHIM participe à l'ISDB, réseau international de revues indépendantes de formation thérapeutique.

Le CNHIM a la propriété des textes publiés dans ce numéro et se réserve tous les droits de reproduction (même partielle), d'adaptation, de traduction, pour tous les pays et par quelque procédé que ce soit (loi du 11 mars 1957, art. 40 et 41 du Code Pénal art. 425).