

## SPINRAZA<sup>MC</sup> – Amyotrophie spinale 5q

NOVEMBRE 2018

**Marque de commerce :** Spinraza

**Dénomination commune :** Nusinersen

**Fabricant :** Biogen

**Forme :** Solution injectable intrathécale

**Teneur :** 2,4 mg/ml (5 ml)

### Décision de la ministre : Inscrire à la Liste Établissements – Médicament d'exception

La présente a pour objet de vous informer de l'inscription de Spinraza<sup>MC</sup> pour le traitement de l'amyotrophie spinale 5q de type 1. Cette inscription fait suite à une entente d'inscription entre la ministre et le fabricant. L'indication reconnue est la suivante.

- ◆ pour le traitement de l'amyotrophie spinale 5q de type I confirmée par un test génétique montrant une mutation ou une délétion du gène SMN1. Lors de l'instauration du traitement, la personne :
  - doit présenter des symptômes de la maladie;  
et
  - ne doit pas dépendre d'une ventilation permanente. La ventilation permanente est définie par le recours à un support de ventilation 16 heures ou plus par jour pendant plus de 21 jours consécutifs.

Lors des demandes subséquentes, le médecin doit fournir les données qui permettent de démontrer les effets bénéfiques du traitement par l'absence de détérioration significative des fonctions motrices ainsi que par l'absence de ventilation permanente.

L'autorisation est donnée pour une dose maximale de 12 mg par injection à raison de 4 doses au cours des 2 premiers mois du traitement puis d'une dose d'entretien tous les 4 mois.

La durée maximale de chaque autorisation est de 12 mois.

Notez que les informations caviardées sont des renseignements fournis par le fabricant et jugés confidentiels. Conséquemment, nous ne pouvons les publier en raison des restrictions prévues par la Loi sur l'accès aux documents des organismes publics et sur la protection des renseignements personnels (L.R.Q., chapitre A-2.1).