

Chers membres de la communauté SMA,

Afin de répondre à vos demandes d'information, nous souhaitons vous faire part des grandes avancées relatives au programme de développement de notre molécule. Aujourd'hui nous avons franchi une étape cruciale en vue de l'autorisation de mise sur le marché de nusinersen. Nous avons déposé le dossier de demande d'AMM auprès de la Food and Drug Administration (FDA) américaine avant de le faire auprès de l'Agence européenne du médicament (EMA) dans le courant des prochaines semaines.

Une fois la demande reçue, une période de validation ou d'examen débutera au cours de laquelle la demande sera examinée pour s'assurer que le dossier est complet et suffisant pour y donner suite. Nous remercions la FDA qui a fait preuve d'une attitude collaborative pendant le programme de développement et qui, plus récemment, nous a soutenus dans la présentation de notre demande d'AMM « en continu » (« rolling submission »). Cette demande en continu nous a donné l'opportunité d'établir un dialogue plus approfondi avec la FDA ces derniers mois, et nous a permis de mettre les documents à la disposition de la FDA aussi rapidement que possible. De plus, le Comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'EMA vient d'accorder une procédure d'évaluation accélérée à nusinersen, ce qui permettra de réduire le délai normal d'examen par l'UE. Nous sommes très reconnaissants de la collaboration de ces deux agences réglementaires en ce moment important que constituent le dépôt des dossiers et l'examen de ces derniers.

Nous sommes également profondément reconnaissants envers l'ensemble de la communauté SMA pour son soutien permanent. Nous avons encore d'autres étapes à franchir avant d'obtenir l'autorisation et l'indication du produit, mais nous sommes sur le bon chemin. L'indication vise à informer les médecins sur le cadre d'utilisation d'un traitement et l'indication définitive est décidée à la fin de la procédure par chaque autorité réglementaire du pays ou à de la région où l'AMM a été demandée. Pour chaque demande d'autorisation réglementaire, nous fournissons toutes les données que nous avons au moment du dépôt du dossier, et nous sollicitons une indication large pour le traitement de l'amyotrophie spinale. Encore une fois, si l'AMM est accordée, l'indication finale incombe aux agences réglementaires et se fonde sur les évaluations qu'elles effectuent à partir des données que nous leur fournissons. Nous savons bien que nous continuerons à recevoir de nombreuses questions, notamment sur les délais de la procédure de délivrance de l'AMM, sur le RCP tel qu'il serait si le nusinersen était approuvé et sur les mesures que nous prévoyons de prendre pour élargir l'accès au nusinersen. Nous nous engageons à assurer une communication transparente et régulière et restons à votre disposition pour fournir toute information sur demande, au fur et à mesure que le programme avance.

Biogen et Ionis vous adressent leurs sincères salutations.