



ASSEMBLÉE NATIONALE

17ème législature

Prise en charge et traitement du syndrome de Smith Magenis

Question écrite n° 5592

Texte de la question

M. Didier Le Gac attire l'attention de M. le ministre auprès de la ministre du travail, de la santé, de la solidarité et des familles, chargé de la santé et de l'accès aux soins, sur la prise en charge du syndrome de Smith Magenis. Interpellé sur ce sujet par la représentante pour la région Bretagne de l'association « Pas à Pas avec Alexia, Smith Magenis solidarité France » qui existe depuis bientôt 15 ans, l'attention de M. le député a été attirée sur les conditions actuelles de prise en charge des personnes, notamment les enfants, touchées par le syndrome de Smith Magenis. Le syndrome de Smith Magenis est une maladie génétique rare, orpheline, découverte en 1982 et se manifestant par un déficit intellectuel, des troubles du comportement et des troubles du sommeil, parfois accompagnés d'autres anomalies concernant le cœur, les yeux, les oreilles, le dos ou le système urinaire. Les troubles du sommeil, en particulier, sont dus à une inversion du rythme circadien de la mélatonine. L'inversion de l'horloge biologique chez les personnes atteintes du syndrome de Smith Magenis les maintient en état de veille la nuit et de sommeil le jour. C'est à ce jour l'unique syndrome présentant cette particularité particulièrement invalidante qui a des conséquences en matière de difficultés d'apprentissage et de troubles du comportement sévères. Ceci induit également une vigilance constante et permanente des parents. Face aux données scientifiques ayant prouvé l'inversion de la sécrétion de mélatonine chez les personnes Smith Magenis, de nombreuses études ont été menées avec l'introduction de mélatonine à libération prolongée chez ces patients. Depuis maintenant des dizaines d'années, le constat est sans appel : ce traitement améliore grandement la durée et la qualité du sommeil, ce qui entraîne une répercussion sur le reste. Les patients âgés entre 6 et 18 ans ont bénéficié d'une recommandation temporaire d'utilisation (RTU) du Circadin à libération prolongée de 2015 à 2021. Cette RTU a démontré, sans surprise, l'efficacité de la mélatonine à libération prolongée pour le traitement du syndrome de Smith Magenis. Les données ont ainsi abouti en 2021 à l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) pour le Slenyto pour les patients « Smith Magenis » âgés de 2 à 18 ans, ce traitement étant la version pédiatrique du Circadin. Ce traitement est pour les malades et leurs familles absolument indispensables. C'est pourquoi l'association « Pas à Pas avec Alexia, Smith Magenis solidarité France » a demandé au ministère de la santé la mise en place d'un cadre de prescription compassionnelle (CPC) pour le Circadin destiné aux patients atteints du syndrome de Smith Magenis âgés de plus de 18 ans afin de leur assurer une continuité de soins. Le laboratoire Biocodex, qui produit le Slenyto et le Circadin, a émis un avis favorable sur cette CPC dont ils auraient la charge au vu des bons résultats recueillis ces dernières années chez les moins de 18 ans. Le laboratoire Biocodex a également informé l'association « Pas à Pas avec Alexia, Smith Magenis solidarité France » qu'il se tenait à disposition pour recueillir les données sur la période qui serait fixée par arrêté chez les patients de plus de 18 ans, soit les patients qu'ils ont déjà traités lorsqu'ils étaient mineurs dans le cadre de l'ancienne RTU. Si un forfait venait à être appliqué par décret, l'association « Pas à Pas avec Alexia, Smith Magenis solidarité France » fait observer que d'après une enquête réalisée par leurs soins auprès des patients concernés, la dose de 6 mg, dose maximale recommandée, est appliquée dans plus de 75 % des cas (les autres patients étant à un dosage de 4 mg). Afin de couvrir cette prise en charge, un forfait de 1 000 euros annuel minimum paraît donc nécessaire. En effet, aujourd'hui, faute de moyens suffisants, certaines familles se voient contraintes d'arrêter ce traitement pour leur enfant atteint du syndrome de Smith Magenis lorsque cet enfant devient majeur. Cette situation entraîne inévitablement une dégradation de l'état de santé des malades qui pourrait être paliée par la mise en place rapide d'un cadre de

prescription compassionnelle. C'est pourquoi il lui demande ce que le Gouvernement entend faire pour permettre aux personnes atteintes du syndrome de Smith Magenis de bénéficier d'un traitement à base de mélatonine tout au long de leur vie, notamment lors du passage à la majorité des enfants atteints de ce syndrome, et ce qu'il compte faire pour mettre en place rapidement un cadre de prescription compassionnelle pour le Circadin.

Données clés

Auteur : [M. Didier Le Gac](#)

Circonscription : Finistère (3^e circonscription) - Ensemble pour la République

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 5592

Rubrique : Maladies

Ministère interrogé : [Santé et accès aux soins](#)

Ministère attributaire : [Santé et accès aux soins](#)

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [1er avril 2025](#), page 2173