



# ASSEMBLÉE NATIONALE

17ème législature

## Remboursement du Circadin

Question écrite n° 13258

### Texte de la question

M. Pierre-Yves Cadalen attire l'attention de Mme la ministre de la santé, des familles, de l'autonomie et des personnes handicapées sur la condition de la prise en charge du syndrome Smith Magenis. Le syndrome Smith Magenis est une maladie orpheline rare s'illustrant par des symptômes lourds comme un déficit intellectuel, des troubles du comportement et de sommeil à travers une inversion de l'horloge biologique. Il est le seul syndrome présentant ces particularités lui donnant un caractère très invalidant pour les personnes diagnostiquées. L'association Pas à pas avec Alexia, Smith Magenis solidarité France attire l'attention de M. le député sur la réussite de l'introduction de la mélatonine dans le traitement chez les personnes atteintes du syndrome. Le Circadin permet ainsi une amélioration de la durée et de la qualité de sommeil, se répercutant sur les autres aspects de la maladie. Ce médicament a montré son efficacité lors d'une RTU menée de 2015 à 2021 sur des personnes mineures. Cela a abouti, en 2021, à l'obtention d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) du Slényto, version pédiatrique du Circadin. Il est maintenant nécessaire d'assurer la continuité de soins après 18 ans en procédant de la même manière pour le Circadin. Le laboratoire Biocodex a émis un avis favorable sur cette CPC dont ils auront la charge au vu des résultats obtenus sur les résultats chez les moins de 18 ans. L'association Pas à pas avec Alexia, Smith Magenis solidarité France pointe l'importance d'une continuité du traitement après 18 ans, du fait que l'âge n'est en aucun cas lié à l'amélioration de la qualité du sommeil, puisque le syndrome Smith Magenis concerne la défaillance biologique de sécrétion. Il est à noter que le manque de moyens de certaines familles amène à l'arrêt du traitement chez leur enfant devenu majeur, aggravant leur état de santé. La mise en place par décret d'un forfait, dont le résultat émane d'une enquête faite par leurs soins sur les patients concernés, afin de couvrir la prise en charge à hauteur de 1 000 euros annuels minimum, est une première solution. M. le député ajoute qu'au vu du faible nombre de personnes atteintes de ce syndrome (représentant 1 naissance sur 25 000), une totale prise en charge par la sécurité sociale du traitement à base de mélatonine faciliterait l'accès aux soins pour les personnes atteintes de ce syndrome, avant leur majorité et après. Sur la base de ces éléments, il l'interroge sur les mesures concrètes qu'elle compte prendre pour que les personnes atteintes du syndrome Smith-Magenis puissent continuer à se soigner après leur majorité.

### Texte de la réponse

Le Gouvernement reconnaît les difficultés liées à la fois au diagnostic et à la prise en charge médicamenteuse concernant les maladies rares, telles que le Syndrome de Smith-Magenis (SMS). Le SMS est un trouble rare du neurodéveloppement d'origine génétique, le plus souvent causé par une microdélétion 17p11.2 impliquant le gène RAI1 (<https://www.orpha.net/fr/disease/detail/819>). Sa prévalence est estimée entre 1/15 000 et 1/25 000 naissances. Ce syndrome se manifeste par une déficience intellectuelle, un retard important du langage, ainsi que des troubles sévères du comportement et des troubles du sommeil. Ces troubles du sommeil sont notamment liés à une inversion du rythme circadien de la sécrétion de mélatonine, entraînant un endormissement difficile, des éveils nocturnes fréquents et un réveil précoce. Le diagnostic clinique est confirmé par une analyse génétique. La prise en charge est multidisciplinaire et symptomatique, combinant un accompagnement éducatif et psychologique, un suivi spécialisé pour les atteintes organiques, et un traitement médicamenteux des troubles du comportement et du sommeil. Concernant les troubles du sommeil, la

mélatonine exogène sous forme de Circadin® (mélatonine à libération prolongée) peut permettre de réguler les cycles veille-sommeil en compensant l'anomalie de sécrétion de mélatonine observée chez ces patients. Le SMS est pris en charge au niveau national par deux filières de santé maladies rares pilotées par les ministères : DéfiScience (<https://defiscience.fr/>) qui fédère les centres experts en maladies rares du neurodéveloppement et de la déficience intellectuelle, et AnDDI-Rares (<https://anddi-rares.org/presentation/>) dédiée aux anomalies du développement avec ou sans déficience intellectuelle. Par ailleurs, il bénéficie du soutien du réseau européen de référence ERN ITHACA (<https://ern-ithaca.eu/guidelines-literature/>), spécialisé dans les anomalies du développement, les syndromes malformatifs et les troubles neurodéveloppementaux, regroupant de nombreux centres experts et associations partenaires. Depuis 2004, la France s'est engagée à travers quatre Plans nationaux maladies rares (PNMR) pour améliorer la prise en charge des patients et structurer la recherche. Ces plans, pilotés par les ministères de la santé et de la recherche en lien avec les professionnels et les associations de patients, ont permis la création des centres de référence maladies rares et des filières de santé maladies rares. Les PNMR ont consolidé ce réseau, réduit les délais diagnostiques, accéléré l'innovation thérapeutique et amélioré la qualité de vie des patients, y compris en outre-mer. Officiellement lancé le 25 février 2025, le quatrième PNMR4 s'inscrit dans cette continuité tout en apportant une dynamique nouvelle. Articulé autour de quatre axes et 26 objectifs, il vise à améliorer les parcours de soins, accélérer le diagnostic, renforcer l'accès aux traitements et optimiser les données de santé au service de la recherche. Une attention particulière est portée aux enfants, nécessitant un accompagnement global et évolutif pour assurer la continuité entre les acteurs de santé, les structures médico-sociales et les familles. Il met également l'accent sur la détection précoce et la prévention des handicaps, en renforçant l'accès au diagnostic, aux traitements et à la formation des professionnels. L'axe 3 du PNMR4 vise à promouvoir l'accès aux traitements, y compris ceux utilisés en dehors de leurs indications habituelles, lorsque ceux-ci sont indispensables à la prise en charge. Il s'appuie sur l'observatoire des traitements (action 19.1) pour recenser et signaler les difficultés d'accès aux médicaments essentiels, et prévoit un renforcement du dialogue avec la haute autorité de santé et l'agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (action 19.4). Ce dialogue vise à envisager des solutions adaptées telles que des dispositifs d'accès compassionnel ou des autorisations dérogatoires, afin d'assurer la continuité des traitements et de répondre aux besoins spécifiques des personnes vivant avec une maladie rare.

## Données clés

**Auteur :** [M. Pierre-Yves Cadalen](#)

**Circonscription :** Finistère (2<sup>e</sup> circonscription) - La France insoumise - Nouveau Front Populaire

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 13258

**Rubrique :** Assurance maladie maternité

**Ministère interrogé :** [Santé, familles, autonomie et personnes handicapées](#)

**Ministère attributaire :** [Santé, familles, autonomie et personnes handicapées](#)

## Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [3 mars 2026](#), page 1834

**Réponse publiée au JO le :** [31 mars 2026](#), page 2771