PUBLIÉ LE 29/03/2022 - MIS À JOUR LE 08/11/2022

Avis de l'ANSM du 03/03/2022 sur le médicament Xenpozyme 20 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion dans le cadre d'une demande d'AAP

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - AVIS

Avis de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé sur la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament Xenpozyme 20 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion dans le cadre d'une demande d'autorisation d'accès précoce en application du 2ème alinea du III de l'article l. 5121-12 du code de la santé publique

Date du dépôt de la demande : 23/12/2021

Nom du demandeur : Sanofi Aventis France

Dénomination du médicament : Xenpozyme 20 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion

DCI/nom de code : Olipudase alfa

Indication thérapeutique revendiquée : traitement enzymatique substitutif à long terme des manifestations non-neurologiques du déficit en sphingomyélinase acide (Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) chez les patients pédiatriques et adultes.

Avis de l'ANSM :

- **L'ANSM atteste de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament Xenpozyme 20 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion dans l'indication thérapeutique : « traitement enzymatique substitutif à long terme des manifestations non-neurologiques du déficit en sphingomyélinase acide (Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) de type B et A/B chez les patients pédiatriques et adultes. »**

  La motivation scientifique du présent avis figure en annexe, de même que le résumé des caractéristiques du produit, l'étiquetage et la notice validés par l'ANSM dans cette indication thérapeutique.

Fait, le 03/03/2022

Dr Caroline SEMAILLE
Directrice générale adjointe chargée des opérations