

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 2<sup>ème</sup> 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