

SYNTHÈSE

avalglucosidase alfa

NEXVIADYME 100 mg,

poudre pour solution à diluer pour perfusion

Première évaluation

Adopté par la Commission de la transparence le 23 novembre 2022

- **Maladie de Pompe**
- **Secteurs : Ville et Hôpital**

L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans le traitement enzymatique substitutif à long terme des patients atteints de la maladie de Pompe (déficit en α -glucosidase acide).

Quel progrès ?

Pas de progrès dans la prise en charge.

Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

La prise en charge thérapeutique multidisciplinaire de la maladie est coordonnée par un médecin hospitalier en lien avec un centre de référence ou de compétences pour les maladies métaboliques ou neuromusculaires et en lien avec le médecin traitant. Le traitement spécifique de la maladie de Pompe repose sur une enzymothérapie substitutive. Les objectifs du traitement sont les suivants : améliorer ou stabiliser l'hypertrophie et la fonction cardiaques en cas d'atteinte initiale (forme infantile) ; stabiliser ou ralentir la dégradation de la faiblesse musculaire et éviter ou retarder la perte de la marche ; stabiliser ou ralentir la dégradation de la fonction respiratoire et éviter ou retarder le recours à la ventilation assistée.

Le traitement spécifique de la maladie de Pompe repose sur une enzymothérapie substitutive. L'instauration du traitement doit être validée de façon multidisciplinaire par les experts d'un centre de référence labellisé.

Place du médicament

NEXVIADYME (avalglucosidase alfa) est la deuxième enzyme de substitution disposant d'une AMM dans la maladie de Pompe, après MYOZYME (alglucosidase alfa).

Dans les formes tardives de la maladie, compte tenu des résultats issus de l'étude clinique de non-infériorité versus alglucosidase alfa réalisée chez des patients naïfs de traitement, NEXVIADYME (avalglucosidase alfa) est un traitement de première intention, au même titre que MYOZYME (alglucosidase alfa) dans la prise en charge des patients atteints des formes tardives.

En l'absence de comparaison robuste dans les formes infantiles, NEXVIADYME (avalglucosidase alfa) ne peut être hiérarchisé par rapport à MYOZYME (alglucosidase alfa) et constitue une nouvelle option thérapeutique en première intention.

Compte tenu des données issues de l'analyse des ATU et de l'étude mini COMET, NEXVIADYME (avalglucosidase alfa) est un traitement qui peut être proposé aux patients en échec de traitement par MYOZYME (alglucosidase alfa).