

**AVIS SUR LES
MÉDICAMENTS**

olipudase alfa

XENPOZYME 4 mg,

poudre pour solution à diluer pour perfusion

Inscription : Primo-inscription

Complément de gamme

Adopté par la Commission de la transparence le 19 juillet 2023

- Maladie rare
- Adulte / Adolescent / Enfant / nourrissons/ nouveau-nés
- Secteurs : Ville et Hôpital

Synthèse de l'avis

Avis favorable au remboursement dans le traitement enzymatique substitutif 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.

Pas de progrès de la nouvelle présentation par rapport à la présentation déjà disponible.

1. Contexte

Résumé du motif d'évaluation	Inscription d'un complément de gamme
Précisions	La spécialité XENPOZYME (olipudase alfa) 4 mg est un complément de gamme de XENPOZYME (olipudase alfa) 20 mg. Pour rappel, dans son avis du 23 novembre 2022, la Commission a octroyé à XENPOZYME (olipudase alfa) 20 mg un service médical rendu important ¹ .
DCI (code ATC) Présentations concernées*	olipudase alfa (A16AB25) XENPOZYME 4 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion – 1 flacon en verre de 4 mg (CIP : 34009 302 741 6 3)
Listes concernées	Sécurité Sociale (article L.162-17 du CSS) Collectivités (article L.5123-2 du CSP)
Laboratoire	SANOFI-AVENTIS FRANCE (Exploitant)
Indication concernée par l'évaluation	Indication de l'AMM : « <i>XENPOZYME est indiqué en tant que traitement enzymatique substitutif des manifestations nonneurologiques du déficit en sphingomyélinase acide (Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) de type B et A/B chez les patients pédiatriques et adultes.</i> »
AMM (Autorisation de mise sur le marché)	Date initiale (procédure centralisée) : 24/06/2022 Date du rectificatif et teneur : 23/03/2023 (introduction de la présentation dosée à 4mg.) AMM en procédure accélérée Plan de Gestion des Risques
Conditions et statuts	Conditions de prescription et de délivrance Liste I Médicament à prescription hospitalière (PH). Les premières administrations (phase d'escalade de dose) doivent être effectuées en milieu hospitalier. Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement (SPT) Statuts particuliers Médicament orphelin (date octroi : 19/09/2001) ATU nominatives puis accès compassionnel (du 04/2020 au 24/09/2022) Accès précoce pré-AMM (17 mars 2022) puis post-AMM (27 avril 2023)
Evaluation par la Commission	– Calendrier d'évaluation • Date d'examen et d'adoption : 19 juillet 2023.

2. Complément d'informations

Sans objet.

¹ HAS -site de la HAS : https://www.has-sante.fr/jcms/p_3396519/fr/xenpozyme-olipudase-alfa-maladie-rare

3. Conclusions de la Commission de la Transparence

Considérant l'ensemble de ces informations, la Commission estime :

3.1 Comparateurs cliniquement pertinents

Les comparateurs cliniquement pertinents sont les mêmes que ceux identifiés pour l'autre présentation de XENPOZYME (olipudase alfa), à savoir qu'il n'existe pas de comparateur cliniquement pertinent dans l'indication de l'AMM évaluée (cf. avis de la Commission de la Transparence du 23 novembre 2022)¹.

3.2 Service Médical Rendu

- Le déficit en sphingomyélinase acide (ASMD) de type B et A/B est une maladie rare, progressive et grave car susceptible de mettre en jeu le pronostic vital, invalidante, à fort impact sur la qualité de vie, qui touche la population pédiatrique et adulte.
- La spécialité XENPOZYME (olipudase alfa) est un médicament à visée préventive des manifestations non neurologiques de l'ASMD de type B et A/B chez les patients pédiatriques et adultes.
- Le rapport efficacité/effets indésirables est important.
- XENPOZYME (olipudase alfa) est un traitement de première intention en l'absence de thérapie disponible dans la prise en charge des manifestations non neurologiques de l'ASMD de type B et A/B chez les patients pédiatriques et adultes.

→ Intérêt de santé publique

XENPOZYME (olipudase alfa) 4 mg n'est pas susceptible d'avoir un impact supplémentaire sur la santé publique par rapport à XENPOZYME (olipudase alfa) 20 mg.

La Commission considère que le service médical rendu par XENPOZYME (olipudase alfa) est important dans l'indication de l'AMM.

La Commission donne un avis favorable à l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux et sur la liste des spécialités agréées à l'usage des collectivités dans l'indication et aux posologies de l'AMM.

- **Taux de remboursement proposé pour l'inscription sur la liste des spécialités remboursables aux assurés sociaux : 65 %**

3.3 Amélioration du Service Médical Rendu

Cette spécialité est un complément de gamme qui n'apporte pas d'amélioration du service médical rendu (ASMR V) par rapport à la présentation déjà inscrite.

3.4 Population cible

L'introduction de XENPOZYME (olipudase alfa) 4 mg dans la stratégie thérapeutique du traitement des manifestations non neurologiques du déficit en sphingomyélinase acide de type B et A/B des patients pédiatriques et adultes n'est pas de nature à modifier la population cible déjà estimée par la Commission (cf. avis de la Commission de la Transparence du 23 novembre 2022 de la spécialité XENPOZYME (olipudase alfa)¹.

3.5 Autres recommandations de la Commission

→ Conditionnement

La posologie de XENPOZYME (olipudase alfa) est comprise entre 0,1 mg/kg et 3 mg/kg (dose d'entretien recommandée) chez l'adulte, et entre 0,03 mg/kg et 3 mg/kg (dose d'entretien recommandée) chez l'enfant.

Un flacon de XENPOZYME contient 4 mg d'olipudase alfa sous forme de poudre pour solution à diluer.

Le conditionnement est adapté selon la posologie et la durée de traitement.