



COMMISSION DE LA TRANSPARENCE SYNTHÈSE D'AVIS

17 NOVEMBRE 2021

Alpha alglucosidase
MYOZYME 50 mg, poudre pour solution à diluer pour perfusion

Réévaluation

► L'essentiel

Avis favorable au remboursement dans la forme tardive de la maladie de Pompe

Traitement enzymatique substitutif (TES) à long terme chez les patients ayant un diagnostic confirmé de maladie de Pompe (déficit en α -glucosidase acide).
Myozyme est indiqué chez les patients adultes et pédiatriques de tous âges.

La réévaluation concerne uniquement les formes tardives de la maladie de Pompe.

► 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.

Place du médicament

MYOZYME (alpha alglucosidase) est la seule enzyme de substitution disposant d'une AMM dans la maladie de Pompe.

Ce document a été élaboré à partir de l'avis de la Commission de la transparence
disponible sur www.has-sante.fr.

