

SYNTHÈSE

olipudase alfa

XENPOZYME 20 mg,

poudre pour solution à diluer pour perfusion

Première évaluation

Adopté par la Commission de la transparence le 23 novembre 2022

→ Maladie rare

→ Secteurs : Ville et Hôpital

L'essentiel

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.

Quel progrès ?

Un progrès thérapeutique dans la prise en charge.

Quelle place dans la stratégie thérapeutique ?

Il n'existe à ce jour aucun traitement autorisé ou utilisé hors AMM dans la prise en charge de l'ASMD. La réduction de l'hépatosplénomégalie, et par conséquent la correction des troubles hématologiques et lipidiques, ainsi que l'amélioration de la fonction respiratoire peuvent améliorer l'état de santé du patient.

La prise en charge actuelle de l'ASMD est multidisciplinaire et symptomatique, et repose sur :

- Pour les cytopénies : transfusions sanguines (culot globulaire) et antibiothérapie (neutropénie),
- Pour l'atteinte pulmonaire : corticoïdes ou bronchodilatateurs par voie inhalée. Des cas anecdotiques de lavage pulmonaire, de greffe pulmonaire ou de moelle osseuse ont été rapportés. Des oxygénothérapies de longue durée et/ou une ventilation en pression positive (CPAP) peuvent également être nécessaires.
- Pour la densité osseuse : supplémentation calcique et vitaminique (vitamine D),
- Pour l'hypercholestérolémie : statines à haute dose (avec un suivi rigoureux) et régime pauvre en graisses.

La splénectomie n'est pas recommandée car elle est associée à un risque d'exacerbation pulmonaire et un risque augmenté de mortalité.

L'atteinte hépatique doit être surveillée, y compris le dépistage des varices œsophagiennes (bêta bloquants non sélectifs en prophylaxie) chez les patients ayant une hypertension portale.

Des mesures hygiéno-diététiques avec une réduction de la consommation d'alcool, ainsi qu'un régime alimentaire adapté doivent être mis en place.

Place du médicament

XENPOZYME (olipudase alfa) est un traitement de première intention 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.

La Commission recommande que l'instauration et les décisions d'arrêt de traitement par XENPOZYME (olipudase alfa) soient prises au sein des centres de référence et de compétences de l'ASMD.