

Rapport succinct d'autorisation du 15.11.2024

## Libmeldy<sup>®</sup> (principe actif : atidarsagène autotemcel)

Autorisation en Suisse : 07.12.2023

Dispersion pour perfusion destinée au traitement de la leucodystrophie métachromatique (LDM) chez l'enfant

---

### À propos du médicament

---

Le principe actif de Libmeldy est l'atidarsagène autotemcel.

Le médicament Libmeldy est destiné au traitement de la leucodystrophie métachromatique (LDM) chez l'enfant.

Libmeldy est utilisé chez :

- les enfants atteints de la forme infantile tardive ou juvénile précoce de la maladie, sans symptômes ;
- les enfants atteints de la forme juvénile précoce de la maladie qui présentent de premiers symptômes, mais qui sont encore capables de marcher seuls et dont les capacités mentales ne se sont pas encore altérées.

La LDM est une maladie héréditaire rare. Elle se caractérise par une modification (mutation) du gène qui sert à fabriquer l'enzyme arylsulfatase A (ARSA). L'ARSA est nécessaire à la dégradation de certaines substances appelées sulfatides. Cette modification du gène a pour conséquence de réduire l'activité enzymatique de l'ARSA. Il en résulte une accumulation de sulfatides qui

peut endommager le système nerveux et d'autres organes.

Les enfants atteints de LDM peuvent avoir des difficultés à marcher et perdre progressivement leurs capacités mentales du fait de la mutation du gène, ce qui peut finalement mener au décès.

La LDM étant une maladie rare qui met en danger la vie des patients, le médicament Libmeldy a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Libmeldy a été autorisé en vertu de l'article 13 de la loi sur les produits thérapeutiques (LPT). Cela signifie que le médicament est déjà autorisé dans un autre pays ayant institué un contrôle des médicaments équivalent. Pour autant que certaines exigences particulières soient respectées, Swissmedic prend dans ce cas en considération les résultats des examens effectués par les autorités étrangères de contrôle des médicaments concernant la qualité, l'efficacité et la sécurité du médicament en question ainsi que la mesure dans laquelle ces résultats

sont transposables à la Suisse. La prise en considération des résultats de procédures d'autorisation étrangères vise à contribuer à ce que des médicaments déjà autorisés à l'étranger soient mis le plus rapidement possible à la disposition des patients en Suisse.

Pour autoriser Libmeldy en Suisse, Swissmedic a repris l'examen et la décision d'autorisation de l'Agence européenne des médi-

caments (EMA; numéro de référence EMA/584450/2020) et a seulement procédé à une expertise scientifique restreinte.

Aussi Swissmedic renvoie-t-il au rapport d'évaluation public de l'autorité de référence dans le Swiss Public Assessment Report (SwissPAR) et dans le rapport succinct d'autorisation établi à partir de ce dernier :

[www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

---

## Informations complémentaires sur le médicament

---

L'information professionnelle et l'information destinée aux patients (notice d'emballage) n'étaient pas encore disponibles au moment de la publication du rapport succinct d'autorisation. Dès que ce médicament

sera disponible en Suisse, l'information professionnelle et l'information destinée aux patients pourront être consultées sur le site Internet suivant : [www.swissmedicinfo.ch](http://www.swissmedicinfo.ch)  
Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.