

Public Summary SwissPAR du 28.06.2024

Xenpozyme® (principe actif : olipudase alfa)

Autorisation en Suisse : 19.12.2023

Poudre pour solution à diluer pour perfusion indiquée en tant que traitement enzymatique substitutif des manifestations non neurologiques du déficit en sphingomyélinase acide (ASMD) de type A/B ou B chez les patients pédiatriques et adultes

Remarques concernant l'autorisation

Le médicament Xenpozyme est utilisé pour le traitement d'une maladie héréditaire de surcharge lysosomale très rare appelée déficit en sphingomyélinase acide (ou *acid sphingomyelinase deficiency* [ASMD], en anglais). Cette maladie peut avoir des degrés de sévérité divers et est très rare, avec une incidence estimée (fréquence statistique) à 0,4 à 0,6 cas pour 100 000 naissances.

Étant donné que l'ASMD est une maladie rare qui met en danger la vie des patients, le médicament Xenpozyme a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments contre des maladies rares.

Pour évaluer la demande d'autorisation du médicament Xenpozyme, Swissmedic a pris

en compte les évaluations de l'Agence européenne des médicaments (EMA) et de l'autorité sanitaire américaine (FDA), ainsi que les textes des informations sur le médicament correspondantes.

Étant donné que l'évaluation des données cliniques a été réalisée sur la base des rapports d'évaluation des autorités étrangères, les conditions requises pour la publication d'un SwissPAR (Swiss Public Assessment Report – rapport détaillé destiné aux professionnels) complet et d'un Public Summary SwissPAR établi à partir de ce dernier ne sont pas remplies. Swissmedic renvoie à l'autorisation des autorités de référence étrangères.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle de Xenpozyme®](#)

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 Public Summary SwissPAR.

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.