



São Paulo, 19 de Setembro 2022

Prezados,

Guiada pelo compromisso com os pacientes e nossos clientes, a Sanofi vem informar a aprovação regulatória Xenpozyme® pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

Com esta aprovação, a bula indica Xenpozyme® como o primeiro tratamento aprovado atualmente no Brasil para terapia de reposição enzimática, possibilitando o tratamento de manifestações não relacionadas ao sistema nervoso central (SNC) de deficiência de esfingomielinase ácida (Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) em pacientes pediátricos e adultos com tipo A/B ou tipo B. A deficiência de esfingomielinase ácida, ASMD, também é conhecida como doença de Niemann-Pick tipos A, A/B e B, sendo uma doença rara de acúmulo lisossomal.

A eficácia de XENPOZYME foi avaliada em 3 estudos clínicos (estudo DFI12712/ASCEND em pacientes adultos¹, estudo DFI13803/ASCEND-Peds em pacientes pediátricos e estudo de extensão LTS13632 em pacientes adultos e pediátricos) envolvendo um total de 61 pacientes com ASMD. Durante o curso do estudo, foram observadas melhorias sustentadas na % prevista de DLco, volume do baço e fígado e contagem de plaquetas, em comparação ao momento basal. Além disso, pacientes pediátricos (todas as coortes de idade) apresentaram uma melhora contínua no escore Z de Altura e uma melhora na idade óssea (por raio-X manual) no mês 48, indicando que a idade óssea estava se aproximando da idade cronológica¹.

XENPOZYME deve ser reconstituído, diluído e administrado sob a supervisão de um profissional de saúde. As infusões devem ser administradas de forma gradual, de preferência com uma bomba de infusão. A dose deve ser escalonada ao iniciar com 0,1mg/kg corporal em adultos, e em 0,03 mg/kg em crianças. A dose de manutenção recomendada de XENPOZYME é de 3 mg/kg a cada 2 semanas.³ A Sanofi coloca-se à disposição para esclarecer possíveis dúvidas, assim como disponibilizar referências bibliográficas do seu interesse através do Infocientificas@sanofi.com

Atenciosamente,

Dr. Enzo Russo

Gerente Médico Sanofi

1. Scarpa M, Giugliani R, Mabe P, Thurberg BL, Zaher A, Wasserstein M, et al. A randomized, placebo-controlled clinical trial evaluating olipudase alfa enzyme replacement therapy for chronic acid sphingomyelinase deficiency (ASMD) in adults: One-year results. *Genetics in Medicine* [Internet].
2. Diaz GA, Jones SA, Scarpa M, Mengel KE, Giugliani R, Guffon N, et al. One-year results of a clinical trial of olipudase alfa enzyme replacement therapy in pediatric patients with acid sphingomyelinase deficiency. *Genet Med* [Internet]. 23(8):1543–50
3. Bula de Xenpozyme.
MAT-BR-2204258 – Agosto/2022

MAT-BR-2204258 - Agosto/2022

SANOFI MEDLEY FARMACÊUTICA LTDA.