MINISTERUL SĂNĂTĂȚII
AGENȚIA NAȚIONALĂ A MEDICAMENTULUI
ȘI A DISPOZITIVELOR MEDICALE DIN ROMÂNIA
Str. Av. Sănătescu nr. 48, Sector 1, 011478 București
Tel: +4021-317.11.00
Fax: +4021-316.34.97
www.anm.ro

RAPORT DE EVALUARE A TEHNOLOGIILOR MEDICALE

DCI: OLIPUDASUM ALFA

INDICAȚIE: Xenpozyme este indicat ca terapie de substituție enzimatică pentru tratamentul manifestărilor deficitului de sfingomielinază acidă (DSMA) localizate în afara Sistemului Nervos Central (SNC) la pacienții copii, adolescenți și adulți cu tip A/B sau tip B

Data depunerii dosarului	**13.05.2026**
Numărul dosarului	**34785**

Adăugarea unei noi concentrații la populația de pacienți inclusă în rambursare

MINISTERUL SĂNĂTĂȚII
AGENȚIA NAȚIONALĂ A MEDICAMENTULUI
ȘI A DISPOZITIVELOR MEDICALE DIN ROMÂNIA
Str. Av. Sănătescu nr. 48, Sector 1, 011478 București
Tel: +4021-317.11.00
Fax: +4021-316.34.97
www.anm.ro

1. DATE GENERALE

1.1. DCI: Olipudasum Alfa

1.2. DC: Xenpozyme 4 mg pulbere pentru concentrat pentru soluţie perfuzabilă

1.3. Cod ATC: A16AB25

1.4. Data eliberării APP: 24 Iunie 2022

1.5. Deținătorul de APP: Sanofi B.V. Nederland

1.6. Tip DCI: DCI cunoscut

1.7. Forma farmaceutică, concentrație, calea de administrare, mărimea ambalajului:

Forma farmaceutică	***pulbere pentru concentrat pentru soluţie perfuzabilă***
Concentraţie	***4 mg***
Calea de administrare	***intravenoasă***
Mărimea ambalajului	***cutie cu 1 flacon din sticlă care conține 4 mg pulb.pt. conc. pt. sol. perf.***

1.8. Preț conform avizului Ministerului Sănătății Piseg 574725/10.06.2026, eliberat în baza notei CAZ 3061/09.06.2026

Preţul cu amănuntul maximal cu TVA pe ambalaj	***3401.18 lei***
Preţul cu amănuntul pe unitatea terapeutică	*3401.18 lei*

1.9. Indicația terapeutică și doza de administrare conform RCP Xenpozyme

Xenpozyme este indicat ca terapie de substituție enzimatică pentru tratamentul manifestărilor deficitului de sfingomielinază acidă (DSMA) localizate în afara Sistemului Nervos Central (SNC) la pacienții copii, adolescenți și adulți cu tip A/B sau tip B.

<u>Faza de creștere a dozei</u>

Doza inițială recomandată de Xenpozyme este de 0,1 mg/kg* pentru adulți și ulterior doza trebuie crescută conform schemei de creștere a dozei prezentate în Tabelul 1:

Tabelul 1: Schema de creștere a dozei la adulți

Pacienți adulți (≥ 18 ani)	
Prima doză (Ziua 1/Săptămâna 0)	0,1 mg/kg*
A doua doză (Săptămâna 2)	0,3 mg/kg*
A treia doză (Săptămâna 4)	0,3 mg/kg*
A patra doză (Săptămâna 6)	0,6 mg/kg*
A cincea doză (Săptămâna 8)	0,6 mg/kg*
A șasea doză (Săptămâna 10)	1 mg/kg*
A șaptea doză (Săptămâna 12)	2 mg/kg*
A opta doză (Săptămâna 14)	3 mg/kg* (doza de întreținere recomandată)

*Greutatea corporală reală va fi utilizată pentru pacienții cu IMC ≤ 30.

Pentru pacienții cu IMC > 30, se va utiliza o greutate corporală optimă, conform descrierii de mai jos.

Faza de întreținere

Doza de întreținere recomandată de Xenpozyme este de 3 mg/kg* o dată la 2 săptămâni.

*Greutatea corporală reală va fi utilizată pentru pacienții cu IMC ≤30. Pentru pacienții cu IMC >30, se va utiliza o greutate corporală optimă, conform descrierii de mai jos.

Faza de creștere a dozei la copii și adolescenți

Doza inițială recomandată de Xenpozyme este de 0,03 mg/kg* pentru pacienții copii și adolescenți, iar doza trebuie crescută ulterior conform schemei de creștere a dozei prezentate în Tabelul 2A:

Tabelul 2A: Schema de creștere a dozei la pacienții copii și adolescenți

Pacienți copii și adolescenți (0 până la 18 ani)	
Prima doză (Ziua 1/Săptămâna 0)	0,03 mg/kg*
A doua doză (Săptămâna 2)	0,1 mg/kg*
A treia doză (Săptămâna 4)	0,3 mg/kg*
A patra doză (Săptămâna 6)	0,3 mg/kg*
A cincea doză (Săptămâna 8)	0,6 mg/kg*
A șasea doză (Săptămâna 10)	0,6 mg/kg*
A șaptea doză (Săptămâna 12)	1 mg/kg*
A opta doză (Săptămâna 14)	2 mg/kg*
A noua doză (Săptămâna 16)	3 mg/kg* (doza de întreținere recomandată)

*Greutatea corporală reală va fi utilizată pentru pacienții cu IMC ≤ 30.

Pentru pacienții cu IMC > 30, se va utiliza o greutate corporală optimă, conform descrierii de mai jos.

Faza de întreținere

Doza de întreținere recomandată de Xenpozyme este de 3 mg/kg* o dată la 2 săptămâni. *Greutatea corporală reală va fi utilizată pentru pacienții cu IMC ≤ 30. Pentru pacienții cu IMC> 30, se va utiliza o greutate corporală optimă, conform descrierii de mai jos.

Pacienţi cu IMC > 30

La pacienţii adulţi, copii și adolescenți cu un indice de masă corporală (IMC) > 30, greutatea corporală utilizată pentru calcularea dozei de Xenpozyme este estimată prin următoarea metodă (pentru fazele de creştere şi întreţinere a dozei).

Greutatea corporală (kg) care va fi utilizată pentru calcularea dozei = 30 × (înălţimea reală în m^2).

PRECIZARE SETS PRIVIND CRITERIILE DE EVALUARE SOLICITATE

Compania Sanofi România SRL, reprezentantul Deținătorului Autorizației de Punere pe Piață în România, a solicitat evaluarea dosarului cu nr. 34785/13.05.2026 aferent medicamentului cu DCI Olipudasum Alfa cu indicația terapeutică: ,,*Xenpozyme este indicat ca terapie de substituție enzimatică pentru tratamentul manifestărilor deficitului de sfingomielinază acidă (DSMA) localizate în afara Sistemului Nervos Central (SNC) la pacienții copii, adolescenți și adulți cu tip A/B sau tip B"* prin aplicarea criteriilor de evaluare corespunzătoare Tabelului nr. 1 din O.M.S. nr. 861/2014 cu modificările și completările ulterioare -,,*Criteriile pentru adăugarea unei DCI compensat"*, respectiv adăugarea unei noi concentrații.

2. ANALIZA DE IMPACT FINANCIAR

În conformitate cu prevederile Notei 2 din subsolul Tabelului nr. 1 la ordin, pentru emiterea deciziei de adăugare în Listă a unei noi concentrații și a unei forme farmaceutice noi pentru medicamentul cu DCI rambursată, este necesar ca analiza de impact financiar să evidențieze un impact negativ sau neutru comparativ cu comparatorul.

Comparatorul este reprezentat de medicamentul cu forma farmaceutică sau concentrația corespunzătoare DCI deja compensată și inclusă în Listă în baza evaluării tehnologiilor medicale, în aceeași indicație, respectiv Xenpozyme 20 mg pulbere pentru concentrat pentru soluţie perfuzabilă.

Analiza de impact financiar se realizează în conformitate cu metodologia prevăzută în Anexa nr. 2 la ordin, Partea I, Cap. A, punctul 23, nota 1 – costul terapiei. Costul terapiei se calculează utilizând prețul cu amănuntul maximal cu TVA, conform Catalogului național al prețurilor medicamentelor de uz uman (CANAMED), aprobat la

data evaluării. Calculul se efectuează în funcție de dozele și durata administrării prevăzute în RCP, pentru un an calendaristic, per pacient.

Calculul comparativ al costurilor terapiei

Calculul terapiei cu tehnologia Xenpozyme 20mg pulbere pentru concentrat pentru soluție perfuzabilă

Conform CANAMED (OMS nr. 5994/2024 cu modificările și completările ulterioare) medicamentul Xenpozyme 20mg pulbere pentru concentrat pentru soluţie perfuzabilă este condiționat în cutie cu 1 flac. din sticlă care conţine 20 mg pulb. pt. conc. pt. sol. perf. și are un preț cu amănuntul maximal cu TVA de 16972,56 lei.

Conform RCP Xenpozyme, fiecare flacon de Xenpozyme 20mg conţine alfa olipudază 20 mg. Datele privind dozele necesare și modul de administrare au fost detaliate la punctul 1.9 din raport.

Așadar:

- pentru un pacient adult de 70 kg vor fi necesare 231 de flacoane de Xenpozyme 20mg pentru 1 an de tratament. Prin urmare, **costul anual al terapiei cu Xenpozyme 20 mg** pentru un pacient adult de 70 kg este de **3.920.661,36 lei** (231 fl x 16.972,56 lei).
- pentru un pacient copil de 20 kg vor fi necesare 63 de flacoane de Xenpozyme 20mg pentru 1 an de tratament . Prin urmare, **costul anual al terapiei cu Xenpozyme 20 mg** pentru un pacient copil de 20 kg este de **1.069.271,28 lei** (63 fl x 16.972,56 lei).

Calculul terapiei cu tehnologia Xenpozyme 4 mg pulbere pentru concentrat pentru soluție perfuzabilă

Conform avizului de preț de la MS, medicamentul Xenpozyme 4 mg pulbere pentru concentrat pentru soluţie perfuzabilă are un preţ cu amănuntul maximal cu TVA pe unitatea terapeutică de 3401.18 lei.

Conform RCP Xenpozyme, fiecare flacon de Xenpozyme 4 mg conţine alfa olipudază 4 mg. Datele privind dozele necesare și modul de administrare au fost detaliate la punctul 1.9 din raport.

Așadar:

- pentru un pacient adult de 70 kg vor fi necesare 1096 de flacoane de Xenpozyme 4mg pentru 1 an de tratament. Prin urmare, **costul anual al terapiei cu Xenpozyme 4 mg** pentru un pacient adult de 70 kg este de **3.727.693,28 lei** (1096 fl x 3401.18 lei).
- pentru un pacient copil de 20 kg vor fi necesare 297 de flacoane de Xenpozyme 4mg pentru 1 an de tratament. Prin urmare, **costul anual al terapiei cu Xenpozyme 4 mg** pentru un pacient copil de 20 kg este de **1.010.150,46 lei** (297 fl x 3401.18 lei).

Comparând costurile celor 2 terapii, se constată că impactul bugetar aferent terapiei supuse evaluării este negativ (-5,53%) pentru Xenpozyme 4 mg destinat pacienților pediatrici și neutru (-4,92%) pentru Xenpozyme 4 mg destinat pacienților adulți.

3. CONCLUZII

În acord cu prevederile O.M.S. nr. 861/2014 cu modificările și completările ulterioare, medicamentul cu DCI Olipudasum Alfa și DC Xenpozyme 4 mg pulbere pentru concentrat pentru soluţie perfuzabilă cu indicația *„Xenpozyme este indicat ca terapie de substituție enzimatică pentru tratamentul manifestărilor deficitului de sfingomielinază acidă (DSMA) localizate în afara Sistemului Nervos Central (SNC) la pacienții copii, adolescenți și adulți cu tip A/B sau tip B*" **îndeplinește** criteriile de evaluare prevăzute de OMS nr. 861/2014 pentru includerea unei noi concentrații în Lista medicamentelor compensate și gratuite.

4. RECOMANDĂRI

Recomandăm actualizarea protocolului terapeutic pentru DCI Olipudasum Alfa prin includerea concentrației de 4mg.

Bibliografie:

1. RCP https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2026/20260108168338/anx_168338_ro.pdf

2. Ord.MS nr. 861/2014 cu modificările și completările ulterioare

3. Ord.MS nr. 5994/2024 cu modificările și completările ulterioare

4. H.G. nr. 720/2008 cu modificările și completările ulterioare

5. Aviz de preț de la MS nr. Piseg 574725/10.06.2026

Raport finalizat in data de: 24.08.2026

Șef Serviciu SETS

Octavian MATEI