

Research and Development/Unmet Medical Need

DG PRE/R&D/UMN

Tel. : +32 (0)2 528 40 00

Fax : +32 (0)2 524 80 01

e-mail : [umn@fagg-afmps.be](mailto:umn@fagg-afmps.be)

Sanofi Belgium

Leonardo Da Vincilaan 19

1831 Diegem

Your letter from	Your reference	Our reference FAGG/R&D/UMN	Annex 1	Date 19/07/2022
------------------	----------------	-------------------------------	------------	--------------------

**Onderwerp** Goedkeuring van een wijziging van een programma voor gebruik in schrijvende gevallen op 18/07/2022

**Titre de l'objet** Approbation d'une modification d'un programme d'usage compassionnel le 18/07/2022

Subject Authorisation of a modification to a compassionate use program dated 18/07/2022

Medicinal product: Xenpozyme (olipudase alfa) (20 mg Powder for concentrate for solution for infusion)

Indication: Acid sphingomyelinase deficiency (Niemann Pick) patients who have participated and exit the clinical studies DFI-12712-ASCEND or LTS-13632, or who were treated via an urgent situation procedure before the start of this program

Modification: Change of inclusion criteria in order to include 1 pediatric patient currently treated with olipudase alfa via the urgent situation procedure; Addition of 1-year, 2-year and longer-term clinical results of olipudase alfa in the pediatric population (ASCEND-Peds and LTS trials); Update of SAR (Serious adverse events) reported in the most recent DSUR (Development Update Safety Report)

Ethics Committee designated: Universitaire Ziekenhuizen K.U.L.

Reference: CUP-202122a

Pharmacovigilance report cut-off date: 27/03/2023

Pharmacovigilance report deadline submission: 27/04/2023

Chère Madame, Cher Monsieur,

Conformément à l'article 106 §5 de l'Arrêté Royal relatif aux médicaments à usage humain et vétérinaire comme modifié le 25 avril 2014, je confirme que l'AFMPS n'a pas d'objection à la demande de modification du programme d'usage compassionnel ci-dessus mentionné.

Salutations sincères,

Pour le Vice-Premier Ministre et Ministre de la Santé Publique et des Affaires Sociales

Xavier DE CUYPER

L'Administrateur général de l'AFMPS

p.o. Hugues Malonne

Directeur général – DG PRE

Geachte Mevrouw, Geachte Heer,

In overeenstemming met artikel 106 §5 van de Koninklijk Besluit inzake geneesmiddelen voor menselijk en diergeneeskundig gebruik als gewisseld op 25 april 2014, bevestig ik dat het FAGG geen bezwaar heeft tegen de aanvraag tot wijziging van de hierboven vermelde programma voor gebruik in schrijvende gevallen.

Met de meeste hoogachting,

Voor de Vice-Eerste Minister en Minister van Volksgezondheid en Sociale Zaken

Xavier DE CUYPER

De administrateur-generaal van het FAGG

i.o. Hugues Malonne

Directeur-generaal – DG PRE

Unofficial translation

In accordance with article 106 §5 of the Royal Decree relative to the human and veterinary medicines as modified on 25 April 2014, I confirm that the FAMHP does not have any objection to the demand for modification to the here above mentioned compassionate use program.