

Ipsen lanza odevixibat en España para el tratamiento del prurito colestásico en el síndrome de Alagille

- Su indicación es para el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con Síndrome de Alagille (SALG) a partir de seis meses de edad.
- El Síndrome de Alagille (SALG) es un trastorno genético hereditario poco común que puede afectar a múltiples órganos, entre los que se encuentran el hígado, el corazón, el esqueleto, los ojos y los riñones, y tiene una incidencia global estimada de 3 por cada 100.000 nacidos vivos¹.

BARCELONA, ESPAÑA, 2 de septiembre 2026.- Ipsen (Euronext: IPN; ADR: IPSEY) ha recibido la aprobación de financiación del Ministerio de Sanidad para Kayfanda® (odevixibat) para el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con síndrome de Alagille (SALG) a partir de seis meses de edad. Esta aprobación supone un avance para esta comunidad de pacientes y refuerza el compromiso de Ipsen con la innovación médica en el campo de las enfermedades hepáticas colestásicas raras.

El SALG¹ es una enfermedad genética rara que puede afectar a muchas partes del cuerpo, como el hígado, el corazón, los ojos, la cara, el esqueleto, los vasos sanguíneos y los riñones. Los pacientes con este síndrome tienen un flujo biliar reducido, lo que provoca una acumulación de ácidos biliares en la sangre y en el hígado (colestasis) que empeora con el tiempo y suele ir acompañada de picor intenso. A su vez, esto puede causar fibrosis y enfermedad hepática progresiva.

Aproximadamente el 95 % de los pacientes con esta afección presentan colestasis crónica, generalmente dentro de los primeros tres meses de vida, y hasta el 88 % también presenta prurito o picazón grave e intratable. La incidencia global estimada de SALG¹ es de 3 por cada 100.000 nacidos vivos.

Según el Dr. Esteban Frauca, jefe de Servicio de Pediatría del Hospital Universitario La Paz (Madrid), *"la llegada de odevixibat es una excelente noticia para los niños con síndrome de Alagille y enfermedad hepática colestática que se incorpora a sus opciones de tratamiento. Se trata de una enfermedad poco frecuente que puede tener un impacto muy importante en la calidad de vida de los pacientes y de sus familias, por lo que disponer de nuevas alternativas terapéuticas supone un avance relevante"*.

Para Lucía Regadera, directora Médica y de Asuntos Regulatorios de Ipsen para España y Portugal, *"la financiación de odevixibat en el Sistema Nacional de Salud es una excelente noticia para las personas con síndrome de Alagille y sus familias. Que puedan disponer de esta opción terapéutica supone un paso adelante en su atención y refleja el compromiso de Ipsen con la innovación en enfermedades raras y con mejorar la vida de quienes conviven con ellas"*.

La aprobación de la nueva molécula se ha basado en los datos del ensayo ASSERT¹, un ensayo clínico doble ciego, aleatorizado y controlado con placebo diseñado para evaluar la seguridad y la eficacia de 120 µg/kg/día del fármaco durante 24 semanas para aliviar el prurito en 52 pacientes con SALG de 32

centros de América del Norte, Europa, Medio Oriente, Asia y Oceanía. Los resultados se publicaron en *The Lancet*¹.

El ensayo incluyó a pacientes de 0 a 17 años con un diagnóstico de SALG confirmado genéticamente. En el análisis primario, el estudio cumplió con los objetivos del criterio de valoración principal al demostrar una mejora estadísticamente significativa del prurito con odevixibat según las mediciones mediante la puntuación de rascado de la herramienta PRUCISION® ObsRO (escala de 0 a 4 puntos), entre el momento basal y el sexto mes (semanas 21 a 24), en comparación con el grupo que recibió placebo ($p = 0,002$). Más del 90 % de los pacientes presentaron una mejora del prurito (cambio ≥ 1 punto en cualquier momento durante 24 semanas).

El estudio también cumplió con los objetivos del criterio de valoración secundario clave al demostrar una reducción estadísticamente significativa en la concentración de los AB séricos entre el momento basal y la media de las semanas 20 y 24 (en comparación con el grupo que recibió placebo; $p = 0,001$). Se observaron mejoras estadísticamente significativas en múltiples parámetros del sueño ya desde las semanas 1 a 4 en comparación con los pacientes que recibieron placebo, y esta mejora continuó hasta la semana 24.

Acerca de Síndrome de Alagille

El SALG es un trastorno genético hereditario poco común que puede afectar múltiples órganos, entre los que se encuentran el hígado, el corazón, el esqueleto, los ojos y los riñones. El daño hepático puede producirse debido a conductos biliares malformados, más estrechos o en menor cantidad de lo normal, lo que conduce a una acumulación de AB tóxicos, conocida como colestasis. A su vez, esto puede causar fibrosis y enfermedad hepática progresiva.

Aproximadamente el 95 % de los pacientes con esta afección presentan colestasis crónica, generalmente dentro de los primeros tres meses de vida, y hasta el 88 % también presenta prurito o picazón grave e intratable.

Cada año nacen hasta 1 de cada 30.000 niños con SALG². Se estima que en un 50 a 70 % de los casos la enfermedad se produce por mutaciones espontáneas mientras que en el resto de los pacientes es por una mutación heredada si uno de los padres es portador de la enfermedad³.

Acerca de odevixibat

En junio de 2023, odevixibat fue aprobado en EE. UU. para el tratamiento del prurito colestásico en pacientes a partir de los 12 meses de edad con SALG, y también obtuvo la exclusividad como medicamento huérfano para el tratamiento del SALG. En septiembre de 2024, odevixibat fue aprobado en la Unión Europea bajo la marca Kayfanda® para el tratamiento del prurito colestásico en pacientes de seis meses de edad o mayores con SALG. Consulte la [Ficha técnica del medicamento](#).

Sobre Ipsen

Somos una empresa biofarmacéutica global centrada en ofrecer fármacos transformadores para los pacientes en tres áreas terapéuticas: oncología, enfermedades raras y neurociencias.

Nuestra cartera de productos está impulsada por la innovación externa y respaldada por casi 100 años de experiencia en desarrollo y por nuestros centros de EE. UU., Francia y Reino Unido. Nuestros equipos, presentes en más de 40 países, y nuestras alianzas a lo largo del mundo nos permiten llevar medicamentos a los pacientes en más de 100 países.

Ipsen cotiza en París (Euronext: IPN) y en Estados Unidos a través del *American Depositary Receipt Program* patrocinado de nivel 1 (ADR: IPSEY). Para obtener más información, visite [ipsen.com](https://www.ipsen.com).

Ipsen Pharma España se encuentra ubicada en Barcelona. En España, la compañía dispone de un sólido portfolio en oncología (riñón, próstata, tiroides y tumores neuroendocrinos), enfermedades raras (acromegalia, colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC), colangitis biliar primaria (CBP) y trastornos del crecimiento) y neurociencias (trastornos del movimiento). Para más información, visite [ipsen.com/Spain](https://www.ipsen.com/Spain)

Referencias

1. Ovchinsky N., *et al.* Efficacy and safety of odevixibat in patients with Alagille syndrome (ASSRT); a phase 3, double-blind, randomized, placebo-controlled trial. *Lancet Gastroenterol / Hepatol.* 2024
[doi.org/10.1016/S2468-1253\(24\)00074-8](https://doi.org/10.1016/S2468-1253(24)00074-8)
2. Vandriel SM, et al. (2023). Natural history of liver disease in a large international cohort of children with Alagille Syndrome: Results from the gala study. *Hepatol.* 77(2):512-529.
3. National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases. Definition & Facts for Alagille Syndrome. Available at: <https://www.niddk.nih.gov/health-information/liver-disease/alagille-syndrome/definition-facts>.
Último acceso: julio 2026

Ipsen Comunicación

Loreto González comunicacion.es@ipsen.com +34 93 685 81 00

Duomo Comunicación

Borja Gómez borja_gomez@duomocomunicacion.com + 34 91 311 92 90 /
650 40 22 25