

## La Comisión Europea aprueba odevixibat para el tratamiento del prurito colestásico en el síndrome de Alagille, una enfermedad hepática rara

- » *La autorización de comercialización en la Unión Europea se basa en los datos del estudio de fase III ASSERT, el único completado con pacientes con síndrome de Alagille.*
- » *Esta nueva aprobación amplía la cartera de productos de Ipsen para enfermedades hepáticas colestásicas raras.*

**Barcelona, 25 de septiembre de 2024:** Ipsen (Euronext: IPN; ADR: IPSEY) ha anunciado hoy que la Comisión Europea ha concedido la autorización de comercialización en circunstancias excepcionales de Kayfanda® (odevixibat) para el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con síndrome de Alagille (SALG) a partir de seis meses de edad. Odevixibat es un inhibidor del transportador ileal de ácidos biliares (IBAT, por sus siglas en inglés) no sistémico, que se administra una vez al día.

*“Los pacientes que sufren el SALG a menudo tienen una calidad de vida muy pobre debido a un picor insoportable, que es uno de los síntomas más importantes de esta enfermedad”, afirmó Christelle Huguet, vicepresidenta ejecutiva y directora de Investigación y Desarrollo de Ipsen. “Estamos muy satisfechos con esta aprobación. Ahora continuaremos esforzándonos día a día para que esta nueva opción de tratamiento esté disponible para los pacientes de la Unión Europea”.*

La aprobación de este nuevo fármaco se ha basado en los datos del ensayo clínico de fase III ASSERT<sup>1</sup>. ASSERT es el primer y único ensayo de fase III del mundo completado con pacientes que padecen el SALG. Los resultados de dicho ensayo demostraron mejoras estadística y clínicamente significativas del prurito (intensidad del rascado) desde el inicio hasta el sexto mes, en los pacientes que recibieron odevixibat frente a los que recibieron placebo. Estas mejoras se observaron rápidamente y se mantuvieron durante el período de estudio. También se demostró una reducción estadísticamente significativa en la concentración de ácidos biliares (AB) séricos al final del tratamiento en los pacientes que recibieron la nueva molécula en comparación con los que recibieron placebo, con mejoras en múltiples parámetros del sueño según los resultados informados por el observador (ObsRO, por sus siglas en inglés). La incidencia total de acontecimientos adversos derivados del tratamiento (AADT) con odevixibat fue similar a la del placebo, con una tasa baja de diarrea asociada al fármaco en pacientes con SALG.

*“El SALG es una enfermedad preocupante que suele presentarse en los primeros meses de vida. Uno de los síntomas más comunes, como resultado de esta enfermedad, es el prurito grave, que provoca que los niños se rasquen intensamente hasta llegar a sangrar, y ocasiona alteraciones del sueño tanto para los niños como para sus cuidadores”, comentó el Profesor Henkjan Verkade, de Gastroenterología y Hepatología Pediátrica, Departamento de Pediatría, Universidad de Groningen, Hospital Infantil Beatrix y Centro Médico Universitario de Groningen, Países Bajos.*

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 grave e intratable. La incidencia global estimada del SALG es de 3 por cada 100.000 nacidos vivos.

## ANEXOS

### Acerca de odevixibat

Odevixibat es un inhibidor del transportador ileal de IBAT, no sistémico, que se administra una vez al día y que ha sido aprobado en circunstancias excepcionales en la Unión Europea para el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con SALG a partir de los seis meses de edad. Fue aprobado en junio de 2021 en la Unión Europea bajo la marca Bylvay® como la primera opción de tratamiento farmacológico para colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC, según sus siglas en inglés) en pacientes a partir de los seis meses de edad; y en EE. UU., también bajo la marca Bylvay®, como la primera opción de tratamiento farmacológico para pacientes a partir de los tres meses de edad que padecen prurito colestásico causado por PFIC. Bylvay® ha recibido la exclusividad como medicamento huérfano para el tratamiento de la PFIC en la Unión Europea y en EE. UU. En junio de 2023, 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.

### Acerca de ASSERT

ASSERT es un ensayo clínico doble ciego, aleatorizado y controlado con placebo, diseñado para evaluar la seguridad y la eficacia de 120 µg/kg/día del odevixibat durante 24 semanas para aliviar el prurito en pacientes con SALG de 32 centros de América del Norte, Europa, Medio Oriente, Asia y Oceanía. 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 en el grupo que recibió 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 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. Ningún paciente abandonó el estudio, y el 96 % de los pacientes se incluyeron en el estudio de extensión abierto. La incidencia global de acontecimientos adversos fue similar a la del placebo, y la incidencia de diarrea relacionada con el fármaco fue baja (11,4 % frente a 5,9 % para el placebo)<sup>1</sup>.

Los resultados completos del estudio ASSERT se publicaron en [The Lancet Gastroenterology & Hepatology](#) en abril de 2024.

Las recomendaciones detalladas sobre el uso de odevixibat están disponibles en la Ficha técnica del producto disponible [aquí](#).

### 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 Jul;9(7):632-645. doi: 10.1016/S2468-1253(24)00074-8

## 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 EE. UU. a través del *American Depositary Receipt Program* patrocinado de nivel 1 (ADR: IPSEY). Para obtener más información, visite [ipsen.com](http://ipsen.com).

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

## Para más información

### Ipsen

**Loreto González** | +34 93 685 81 00

**Email:** [comunicacion.es@ipsen.com](mailto:comunicacion.es@ipsen.com)

### Duomo Comunicación

**Borja Gómez** | + 34 91 311 92 90 / 650 40 22 25

**Email:** [borja\\_gomez@duomocomunicacion.com](mailto:borja_gomez@duomocomunicacion.com)