

## Ipsen presenta nuevos datos sobre elafibranor en colangitis esclerosante primaria

» Los nuevos resultados del estudio de fase II ELMWOOD se han presentado en el marco del Congreso de la Asociación Europea para el Estudio del Hígado que se celebra en Ámsterdam.

» La colangitis esclerosante primaria (CEP) es una enfermedad hepática rara y crónica, caracterizada por la inflamación y la cicatrización de los conductos biliares y que, en la actualidad, no dispone de opciones terapéuticas aprobadas para su tratamiento.

**Barcelona, 7 de mayo de 2025.-** Ipsen (Euronext: IPN; ADR: IPSEY) ha presentado nuevos datos del estudio de fase II ELMWOOD, en el marco del Congreso de la Asociación Europea para el Estudio del Hígado (EASL, por sus siglas en inglés), que se celebra en Ámsterdam, que destacan el potencial de elafibranor para el tratamiento de personas que padecen colangitis esclerosante primaria (CEP), una enfermedad hepática rara y crónica, caracterizada por la inflamación y la cicatrización de los conductos biliares, que, en la actualidad, no dispone de opciones terapéuticas aprobadas para su tratamiento.

"Estos resultados demuestran nuestro compromiso continuo con el desarrollo de potenciales tratamientos para enfermedades hepáticas raras, donde existe una importante necesidad médica no cubierta y muy pocas opciones para los pacientes", ha declarado Christelle Huguet, vicepresidenta ejecutiva y directora de Investigación y Desarrollo de Ipsen. "Estos resultados son alentadores y refuerzan la acción de este fármaco como agonista de los receptores activados por proliferadores de peroxisomas para el potencial tratamiento de enfermedades hepáticas raras, como la CEP".

Los datos del ensayo de fase II ELMWOOD (LB25222/[OS089](#)) muestran un perfil positivo de seguridad y de tolerabilidad, así como beneficios en lo que se refiere a la eficacia para pacientes con CEP tratados con elafibranor frente a aquellos que recibieron placebo. En este estudio de 12 semanas de duración, 68 pacientes con CEP recibieron de forma aleatoria 80 o 120 mg de la nueva molécula, o placebo. El objetivo principal fue la seguridad y la tolerabilidad del fármaco. Los acontecimientos adversos derivados del tratamiento se experimentaron en el 68,2 %, 78,3 % y 69,6 % de los pacientes que recibieron 80 mg, 120 mg y placebo, respectivamente. Los acontecimientos adversos que condujeron a la interrupción del tratamiento se presentaron más frecuentemente en los pacientes que recibieron placebo (8,7 %) que en aquellos que recibieron 80 mg (4,5 %) o 120 mg (4,3 %) del nuevo fármaco. Los acontecimientos adversos graves se produjeron en el 4,3 % de los pacientes que recibieron placebo y en ningún paciente tratado con la nueva molécula.

Los resultados de la eficacia evidenciaron que los pacientes que recibieron elafibranor presentaron reducciones significativas dependientes de la dosis de la fosfatasa alcalina (FA), con reducciones significativas en la semana 12 frente al placebo en aquellos pacientes que recibieron 80 y 120 mg del fármaco (-103,2 U/l y -171,1 U/l, respectivamente, frente a +32,1 U/l;  $p < 0,0001$ ), observándose mejoras desde la semana 4. Se constataron hallazgos similares en otros parámetros bioquímicos hepáticos, entre los que se encontraban la alanina aminotransferasa (ALT) y la gamma-glutamil transferasa (GGT), que son

marcadores bioquímicos importantes de la progresión de la enfermedad.

Los pacientes que recibieron la nueva molécula también mostraron una estabilización en la prueba de Fibrosis hepática mejorada (*Enhanced Liver Fibrosis* [ELF<sup>®</sup>]), un marcador no invasivo de fibrosis hepática, frente a los pacientes que recibieron placebo, en la semana 12. Además, los pacientes que recibieron 120 mg del medicamento experimentaron mejoras del prurito en comparación con los pacientes que recibieron placebo, según la puntuación de la Escala de valoración numérica del peor prurito (*Worst Itch Numeric Rating Scale* [WI-NRS]) (-0,96 frente a -0,28;  $p < 0,05$ ).<sup>1</sup>

"La información obtenida del ensayo ELMWOOD es alentadora, ya que muestra datos positivos de seguridad y eficacia del nuevo fármaco como potencial tratamiento para la CEP, una enfermedad que ahora mismo no cuenta con ninguna opción terapéutica", ha señalado Cynthia Levy, profesora de Medicina Clínica y Hepatología de la Universidad de Miami - Miller School of Medicine, en Miami, Florida. "La CEP es una enfermedad hepática grave y, en la actualidad, el trasplante hepático es la única opción que puede mejorar significativamente el pronóstico. Estos hallazgos respaldan el desarrollo de investigación adicional con ensayos más amplios a largo plazo para evaluar en su totalidad el potencial de este nuevo tratamiento para la CEP".

La colangitis esclerosante primaria (CEP) es una enfermedad hepática rara y crónica, caracterizada por la inflamación y la cicatrización de los conductos biliares, lo que puede provocar daño hepático y una posterior insuficiencia hepática. Se desconoce la causa exacta, pero frecuentemente se asocia con otras enfermedades autoinmunes, como la enfermedad inflamatoria intestinal. Los síntomas de la CEP pueden incluir prurito, fatiga, ictericia y dolor abdominal. Con el tiempo, puede ocasionar complicaciones, como infecciones de los conductos biliares, cirrosis hepática y un mayor riesgo de cáncer de hígado. En la actualidad, no existen terapias aprobadas por la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, según sus siglas en inglés) estadounidense ni por la Agencia Europea del Medicamento (EMA, según sus siglas en inglés) para su tratamiento.

### Acerca de ELMWOOD

El estudio de fase II ELMWOOD es un ensayo aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo, que evaluó la seguridad y la eficacia del elafibránor para el tratamiento de la CEP, una enfermedad hepática rara. El ensayo fue llevado a cabo durante 12 semanas y participaron 68 pacientes, que recibieron de forma aleatoria 80 o 120 mg de la nueva molécula o placebo. El objetivo principal fue comprobar la seguridad y la tolerabilidad del fármaco frente al placebo. Los objetivos secundarios incluyeron el cambio de los valores basales de los marcadores bioquímicos hepáticos, los marcadores no invasivos de fibrosis y los resultados informados por los pacientes, entre los que se encontraban el prurito según la puntuación de la WI-NRS. Continúa en curso la extensión abierta de 96 semanas que evalúa la seguridad y la eficacia de 120 mg del fármaco.

### Acerca de elafibránor

Es un agonista dual de los receptores activados por proliferadores de peroxisomas (PPAR, por sus siglas en inglés), que actúa sobre el PPAR $\alpha$  y el PPAR $\delta$ . La activación de PPAR $\alpha$  y PPAR $\delta$  disminuye la toxicidad biliar y mejora la colestasis al modular la síntesis, la desintoxicación y los transportadores de los ácidos biliares. La activación de PPAR $\alpha$  y PPAR $\delta$  también tiene efectos antiinflamatorios a través de diferentes vías. En 2019, recibió la designación de terapia innovadora de la FDA para adultos que padecen colangitis



biliar primaria (CBP) y presentan una respuesta inadecuada al ácido ursodesoxicólico (AUDC), la terapia de primera línea existente para la CBP. En junio de 2024 recibió la aprobación acelerada de la FDA estadounidense; en septiembre de 2024, la aprobación condicional en la Unión Europea por parte de la Comisión Europea (CE), y en octubre de 2024, la aprobación de la Agencia Reguladora de Medicamentos y Productos Sanitarios (MHRA, por sus siglas en inglés) del Reino Unido para el tratamiento de la CBP en combinación con AUDC en adultos que presentan una respuesta inadecuada al AUDC, o como monoterapia en pacientes que no toleran el AUDC. Las aprobaciones de la FDA, de la CE y de la MHRA están condicionadas a la verificación adicional del beneficio clínico. El fármaco fue desarrollado por Genfit. Ipsen adquirió los derechos exclusivos en todo el mundo (excepto China, Hong Kong, Taiwán y Macao) en 2021.

---

## 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](https://www.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](https://www.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)



#### Referencias

1. Levy. C. *et al.* Elafibránor for primary sclerosing cholangitis: The ELMWOOD phase II randomised controlled trial. En: European Association for the Study of the Liver (EASL) Congress: 7-10 de mayo de 2025, Amsterdam, Países Bajos. *Journal of Hepatology* [internet] 2025 [consultado el 28 de abril de 2025]; 82 (S1). p. S61-2. Abstract LB25222. Disponible en: [https://www.easlcongress.eu/wp-content/uploads/2025/04/EASL\\_2025-Abstract\\_Version-1.pdf](https://www.easlcongress.eu/wp-content/uploads/2025/04/EASL_2025-Abstract_Version-1.pdf)