

Ipsen lanza elafibranor en España para el tratamiento de la colangitis biliar primaria

- » *La colangitis biliar primaria (CBP) es una enfermedad hepática autoinmune rara cuya prevalencia está aumentando en todo el mundo. Las mujeres tienen más riesgo de padecerla que los hombres: 9 de cada 10 pacientes con CBP son mujeres.*
- » *Esta aprobación supone un avance significativo para esta comunidad de pacientes y refuerza el compromiso de Ipsen con la innovación médica en el campo de las enfermedades hepáticas colestásicas raras.*

Barcelona, 27 de mayo de 2025.- Ipsen, compañía biofarmacéutica global centrada en innovación y atención especializada, ha recibido la aprobación de financiación del Ministerio de Sanidad para Iqirvo® (elafibranor) para el tratamiento de la colangitis biliar primaria (CBP) en combinación con ácido ursodesoxicólico (AUDC) en adultos con una respuesta inadecuada al AUDC o como monoterapia en pacientes que no toleran el AUDC. El nuevo fármaco, disponible a partir del 1 de junio, se presenta en comprimidos de 80 mg. Esta aprobación supone un avance significativo para esta comunidad de pacientes y refuerza el compromiso de Ipsen con la innovación médica en el campo de las enfermedades hepáticas colestásicas raras.

La CBP es una enfermedad hepática autoinmune rara cuya prevalencia está aumentando en todo el mundo¹. Se estima una incidencia de entre el 0,33 y 5,8 cada 100.000 habitantes/año y una tasa de prevalencia de 1,91 y 40,2 por 100.000 habitantes². Las mujeres tienen más riesgo de padecer CBP que los hombres. De hecho, 9 de cada 10 personas con CBP son mujeres³, aunque el motivo de esto se desconoce en gran medida⁴. En las personas con CBP, el organismo ataca y destruye gradualmente las vías biliares de pequeño calibre del hígado⁵. Si no se trata, la bilis y las toxinas se acumulan (colestasis), lo que provoca cicatrización del hígado (cirrosis) y, finalmente, insuficiencia hepática^{1,3,5}.

Elafibranor es el primer agonista dual de los receptores activados por proliferadores de peroxisomas (PPAR, por sus siglas en inglés) alfa y delta de administración oral, que actúa sobre las proteínas PPAR α y PPAR δ , consideradas como reguladoras principales de la síntesis de ácidos biliares (AB), de los procesos inflamatorios y de la fibrosis. El nuevo fármaco mejora los parámetros bioquímicos hepáticos y síntomas clínicos como la fatiga y el prurito. Los análisis adicionales del estudio ELATIVE® (LBP-027), presentados recientemente en el congreso de la Asociación Europea para el Estudio del Hígado (EASL, por sus siglas en inglés)⁶, sugieren que hasta el doble de pacientes tratados con el nuevo fármaco lograron una mejora clínicamente significativa de la fatiga en comparación con placebo después de 52 semanas de tratamiento. Estos datos sugieren también que el efecto positivo del nuevo fármaco sobre la fatiga ocurre independientemente de su efecto sobre el prurito⁷.

“Estamos muy satisfechos de que el Sistema Nacional de Salud (SNS) incorpore elafibranor, pudiendo ofrecer una opción innovadora de tratamiento para las personas que padecen CBP en España. Esta aprobación supone un avance importante para estos pacientes, ya que hablamos de una enfermedad hepática poco común cuyos síntomas tienen un impacto muy significativo en su calidad de vida.”, explica Lucía Regadera, directora Médica y de Asuntos Regulatorios de Ipsen para España y Portugal.

Para el Dr. Turnes, jefe de Servicio de Aparato Digestivo en Complejo Hospitalario Universitario de Pontevedra, *“disponer de un tratamiento alternativo al estándar de primera línea es fundamental debido a que en 4 de cada 10 pacientes la respuesta no es adecuada y necesitan algo más, ya que la colangitis biliar primaria es una enfermedad que si no responde al tratamiento, con el paso de los años, va provocando un daño crónico al hígado que acaba produciendo una cirrosis hepática, un cáncer de hígado”*. *“Además, puede*

presentar otras complicaciones como un picor intenso, que es muy limitante en la vida de los pacientes, y un cansancio anormalmente intenso que resulta muy invalidante”, explica el Dr. Turnes.

La aprobación de la nueva molécula se ha basado en datos de la fase III del ensayo ELATIVE⁸, que demostró un beneficio del tratamiento estadísticamente significativo con una diferencia ajustada al placebo del 47 % ($p < 0,001$) entre los pacientes que recibieron 80 mg de elafibranor (51 %) en comparación con los que recibieron placebo (4 %), logrando una respuesta bioquímica. El tratamiento del nuevo fármaco también se asoció con una mejora del prurito (picor) tras una mayor disminución frente al placebo de las puntuaciones totales de picor en el cuestionario de calidad de vida PBC-40 y en la escala 5-D. También se observó una tendencia hacia la mejora del prurito con la nueva molécula frente al placebo en la puntuación de la escala NRS para evaluar la intensidad del prurito, pero no fue estadísticamente significativa. El grupo de pacientes que recibió tratamiento con el nuevo fármaco y el grupo que recibió placebo experimentaron porcentajes similares de acontecimientos adversos.

ANEXOS

Acerca de la colangitis biliar primaria

La CBP es una enfermedad hepática colestásica, autoinmune y rara que afecta aproximadamente a nueve mujeres por cada hombre. La acumulación de bilis y toxinas (colestasis) y la inflamación crónica provocan fibrosis (cicatrización) en el hígado y destrucción de los conductos biliares. Se trata de una enfermedad crónica que puede empeorar con el tiempo si no se trata eficazmente, lo que conlleva un trasplante de hígado y, en algunos casos, la muerte prematura. La CBP afecta la vida diaria del paciente debido a sus síntomas debilitantes, entre los que destacan el prurito y la fatiga como los más frecuentes.

Acerca de elafibranor

Elafibranor es un agonista dual de los receptores activados por proliferadores de peroxisomas (PPAR, por sus siglas en inglés), que se administra una vez al día y de forma oral, y que actúa sobre el PPAR α y el PPAR δ . La activación de PPAR α y PPAR δ disminuye la toxicidad de la bilis y mejora la colestasis al modular la síntesis, la desintoxicación y los transportadores de los AB. La activación de PPAR α y PPAR δ también tiene efectos antiinflamatorios a través de diferentes vías. El principal beneficio del nuevo fármaco es su capacidad para reducir los niveles de marcadores hepáticos, como la fosfatasa alcalina (FA), así como mejorar los principales síntomas como el prurito y la fatiga. En 2019, la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) de EE. UU. le otorgó la designación de terapia innovadora para adultos con CBP que presentan una respuesta inadecuada al AUDC, el tratamiento de primera línea existente para la CBP. Elafibranor ha obtenido la aprobación acelerada en EE. UU. en junio de 2024 y la aprobación condicional en la Unión Europea en septiembre de 2024 para el tratamiento de la colangitis biliar primaria (CBP) en combinación con ácido ursodesoxicólico (AUDC) en adultos que no responden adecuadamente al AUDC o como monoterapia en pacientes que no toleran el AUDC. Estas aprobaciones dependen de la verificación adicional del beneficio clínico. El fármaco fue descubierto y desarrollado por Genfit, e Ipsen adquirió los derechos exclusivos en todo el mundo (excepto China, Hong Kong, Taiwán y Macao) en 2021.

Acerca de ELATIVE

ELATIVE fue un ensayo clínico de fase III, multicéntrico, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo (NCT04526665). ELATIVE evaluó la eficacia y la seguridad de una dosis de 80 mg de elafibranor una vez al día frente a placebo para el tratamiento de pacientes con CBP que habían presentado una respuesta inadecuada o una intolerancia al AUDC, el tratamiento de primera línea existente para la CBP. Participaron en el ensayo 161 pacientes, que recibieron 80 mg de elafibranor o placebo una vez al día de forma aleatoria en una proporción 2:1. Los pacientes con una respuesta inadecuada al AUDC continuaron recibiendo AUDC en combinación con elafibranor o placebo, mientras que los pacientes que no toleraban el AUDC solo recibieron elafibranor o placebo. Los pacientes prosiguieron con el tratamiento asignado después de la semana 52 hasta que todos completaron su tratamiento o hasta un máximo de 104 semanas. El estudio de extensión abierto a largo plazo de ELATIVE, en el que los pacientes con CBP pueden recibir elafibranor durante un máximo de 5 años, continúa en curso en la actualidad. Los resultados del ensayo mostraron mejoras estadísticamente significativas de la respuesta bioquímica en relación con los objetivos del criterio de valoración principal compuesto, definido como: una FA $< 1,67 \times$ límite superior del rango normal (LSN), una disminución de la FA $\geq 15 \%$ y una BT \leq LSN

a las 52 semanas. La FA y la BT son predictores importantes de la progresión de la CBP. La reducción de las concentraciones de ambos predictores puede indicar una disminución de la lesión colestásica y una mejora de la función hepática. Los resultados completos del estudio ELATIVE de 52 semanas se publicaron en [The New England Journal of Medicine \(NEJM\)](#).

Ficha técnica del producto disponible [aquí](#).

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](#).

Ipsen Pharma España se encuentra ubicada en Hospitalet de Llobregat (Barcelona). En España, la compañía dispone de un sólido portafolio 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](#)

Para más información

Ipsen

Loreto González | +34 93 685 81 00

Email: comunicacion.es@ipsen.com

Duomo Comunicación

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

Email: borja_gomez@duomocomunicacion.com

Referencias

1. Younossi ZM, et al. 2019. Diagnosis and Management of Primary Biliary Cholangitis. *Am J Gastroenterol*. 114(1):48-63.
2. <https://www.orpha.net/es/disease/detail/186>
3. Galoosian A, et al. 2020. Clinical updates in primary biliary cholangitis: trends, epidemiology, diagnostics, and new therapeutic approaches. *J Clin Transl Hepatol*. 8(1), pp. 49-60.
4. Smyk DS, et al. 2012. Sex differences associated with primary biliary cirrhosis. *Clin Dev Immunol*. 610504.
5. European Association for the Study of the Liver. 2017. EASL Clinical Practice Guidelines: The diagnosis and management of patients with primary biliary cholangitis. *J Hepatol*. 67(1):145-172
6. [Ipsen presenta nuevos datos de elafibranor para el tratamiento de la colangitis biliar primaria.](#)
7. Jones. D. et al. Clinically significant improvements in fatigue with elafibranor in patients with primary biliary cholangitis and limited association with pruritus: Analyses from the phase III ELATIVE®. European Association for the Study of the Liver (EASL) congress, 2025. Abstract LB25220
8. Kowdley K.V, et al. Efficacy and Safety of Elafibranor in Primary Biliary Cholangitis. *N Engl J Med*. 2024 Feb 29;390(9):795-805. doi: 10.1056/NEJMoa2306185