

Ultragenyx presenta Evkeeza®, concentrado de evinacumab para solución para infusión, en España para el tratamiento de la hipercolesterolemia familiar homocigótica (HFHo)

Evkeeza es un medicamento innovador reembolsado por el Ministerio de Sanidad para el tratamiento de la HFHo en pacientes a partir de 5 años de edad

Ultragenyx Pharmaceutical Inc. (NASDAQ: RARE), una empresa biofarmacéutica centrada en el desarrollo y la comercialización de nuevos tratamientos para enfermedades genéticas raras y ultrarraras, ha anunciado hoy el lanzamiento de Evkeeza® (evinacumab) en España. Evkeeza se reembolsará ahora en España para su indicación aprobada por la Comisión Europea (CE) como complemento a la dieta y otros tratamientos reductores del colesterol de lipoproteínas de baja densidad (C-LDL) para el tratamiento de adultos y niños a partir de 5 años de edad con hipercolesterolemia familiar homocigótica (HFHo), un tipo ultrarraro y hereditario de colesterol alto.

Evkeeza es el primer anticuerpo monoclonal aprobado y comercializado que inhibe la proteína similar a la angiopoyetina 3 (ANGPTL3). Evkeeza se administra mediante infusión intravenosa de 60 minutos una vez al mes (cada 4 semanas).

"Estamos encantados de que ya haya acceso a Evkeeza en España. La aprobación del reembolso por parte del Ministerio de Sanidad es un reconocimiento del valor que el tratamiento puede aportar a la mejora de la salud de las personas con HFHo. Estamos agradecidos a las comunidades de médicos y de pacientes por su apoyo para ayudarnos a lograr este hito", afirmó José Luis Moreno, vicepresidente y director general para España, Italia y Portugal de Ultragenyx.

"El reembolso en España de un fármaco aprobado específicamente para pacientes a partir de 5 años de edad con HFHo, incluidas las formas bialélicas, representa un avance muy importante en esta enfermedad. En España hay unos 100 pacientes con HFHo, una enfermedad potencialmente mortal si no se trata adecuadamente", afirmó la Dra. Sánchez Hernández, especialista en Endocrinología y Nutrición en el Complejo Hospitalario Universitario Insular-Materno Infantil de Gran Canaria. "Evkeeza actúa independientemente del receptor de LDL, demostrando una reducción constante y sostenida de los niveles de C-LDL. La reducción temprana de la carga del C-LDL puede mejorar el pronóstico cardiovascular".

"El reembolso del evinacumab es una noticia importante para los pacientes con HFHo. Según los datos publicados, este tratamiento podría contribuir a un mejor control del colesterol en pacientes con HFHo y ayudar a manejar la enfermedad", afirmó el Dr. Pedro Mata, presidente de la Fundación Hipercolesterolemia Familiar. "Con esta aprobación, el Ministerio de Salud y las comunidades autónomas han demostrado su compromiso con estos pacientes y sus familias".

Ahora el tratamiento se reembolsa y se comercializa para prescribirlo a los pacientes adecuados con HFHo en EE. UU., Canadá, Japón, Italia, Países Bajos, Luxemburgo y España. También está disponible a través de programas de acceso temprano en varios países de Europa y Oriente Medio.

Sobre la hipercolesterolemia familiar homocigótica (HFHo)

La HFHo es una forma devastadora de hipercolesterolemia hereditaria, que afecta a 1 de cada 300 000 personas en todo el mundo y aproximadamente a 1600 personas en la Unión Europea. La HFHo se produce cuando se heredan dos copias de los genes causantes de hipercolesterolemia familiar (HF), una de cada progenitor, lo que provoca niveles peligrosamente altos (>400 mg/dl) de C-LDL, o 'colesterol malo'. Los pacientes con HFHo están en riesgo de padecer enfermedad aterosclerótica prematura y acontecimientos cardíacos a una edad temprana.

Acerca de Evkeeza® (evinacumab)

El evinacumab, el principio activo de Evkeeza, se une a una proteína del organismo llamada ANGPTL3 y bloquea sus efectos. La ANGPTL3 está implicada en el control de los niveles de colesterol y el bloqueo de su efecto reduce el nivel de colesterol en la sangre. Evkeeza se administra mediante infusión intravenosa cada mes (4 semanas).

Evkeeza está aprobado por la Comisión Europea (CE) como complemento de la dieta y otros tratamientos reductores del colesterol de lipoproteínas de baja densidad (C-LDL) para el tratamiento de pacientes adultos y pediátricos a partir de 5 años de edad con hipercolesterolemia familiar homocigótica (HFHo).

Regeneron Pharmaceuticals, Inc. descubrió y desarrolló Evkeeza, y comercializa el fármaco para la HFHo en EE. UU. bajo el nombre genérico evinacumab-dgnb, siendo dgnb el sufijo designado de acuerdo con las directrices para el sector sobre la denominación común de fármacos biológicos (Nonproprietary Naming of Biological Products Guidance for Industry) publicadas por la FDA. Ultragenyx es responsable de los esfuerzos de comercialización de Evkeeza para la HFHo en países fuera de los EE. UU.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE PARA EVKEEZA (evinacumab)

Los efectos secundarios más frecuentes pueden incluir síntomas del resfriado, como secreción nasal (nasofaringitis) y, en niños de 5 a 11 años, sensación de cansancio (fatiga). Evkeeza puede causar reacciones alérgicas graves. Informe a su médico o enfermero de inmediato si tiene algún síntoma de reacción alérgica grave: hinchazón (principalmente de los labios, la lengua o la garganta, que dificulta la deglución o la respiración), problemas respiratorios o sibilancias, sensación de mareo o desmayo, erupción cutánea, urticaria, picor. La infusión se detendrá de inmediato y es posible que usted tenga que tomar otros medicamentos para controlar la reacción.

¿Quién no debe usar EVKEEZA?

"No debe recibir Evkeeza si tiene alergia al evinacumab o a cualquiera de los demás componentes de este medicamento. Evkeeza no se recomienda para niños menores de 5 años porque aún no hay suficiente información sobre su uso en este grupo de pacientes. Informe a su médico si está usando, ha usado recientemente o pudiera tener que usar cualquier otro medicamento".

"Si está embarazada, cree que podría estar embarazada o tiene intención de quedarse embarazada, consulte a su médico antes de usar este medicamento. Evkeeza puede dañar al feto. Informe a su médico inmediatamente si se queda embarazada mientras recibe tratamiento con Evkeeza. Si puede quedarse embarazada, debe usar anticonceptivos eficaces para evitar el embarazo. Use anticonceptivos eficaces mientras esté recibiendo tratamiento con Evkeeza y durante al menos 5 meses después de la última dosis de Evkeeza. Consulte a su médico sobre el mejor método anticonceptivo para usted durante este tiempo".

"Si está en periodo de lactancia o tiene intención de dar el pecho, consulte a su médico antes de recibir este medicamento. Se desconoce si Evkeeza pasa a la leche materna".

"Si experimenta efectos secundarios, consulte a su médico o enfermero. Al informar de los efectos secundarios puede ayudar a proporcionar más información sobre la seguridad de este medicamento".

Consulte la información sobre el producto completa, incluido el Resumen de características del producto y el prospecto: información para el paciente.

Sobre Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Ultragenyx es una empresa biofarmacéutica comprometida a proporcionarles a los pacientes fármacos novedosos para el tratamiento de enfermedades genéticas graves raras y ultrarraras. La empresa ha creado una cartera diversa de tratamientos aprobados y candidatos terapéuticos destinados a hacer frente a enfermedades con una alta necesidad médica insatisfecha y biología clara para el tratamiento para las cuales habitualmente no hay tratamientos aprobados para la enfermedad preexistente.

La empresa está liderada por un equipo directivo con experiencia en el desarrollo y la comercialización de tratamientos terapéuticos para enfermedades raras. La estrategia de Ultragenyx se basa en el desarrollo más rápido y rentable de fármacos, con el objetivo de ofrecer tratamientos seguros y eficaces a los pacientes con la máxima urgencia.

Para obtener más información sobre Ultragenyx, se puede visitar ultragenyx.com.

Declaraciones prospectivas Ultragenyx y uso de medios digitales

A excepción de la información histórica contenida en este documento, los asuntos establecidos en este comunicado de prensa, incluidas las declaraciones relacionadas con las expectativas y proyecciones de Ultragenyx con respecto a sus resultados operativos futuros y rendimiento financiero, planes de negocio y objetivos, incluidas sus expectativas con respecto a las oportunidades de mercado para Evkeeza, son declaraciones prospectivas, de conformidad con las disposiciones de "puerto seguro" de la Ley de Reforma de Litigios Sobre Valores Privados de 1995. Dichas declaraciones prospectivas implican riesgos e incertidumbres sustanciales que podrían hacer que nuestros programas de desarrollo clínico, colaboración con terceros, resultados futuros, rendimiento o logros difieran significativamente de los expresados o implícitos en las declaraciones prospectivas. Dichos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otros, la incertidumbre del desarrollo clínico de fármacos y la imprevisibilidad y el largo proceso para obtener aprobaciones regulatorias, riesgos relacionados con

efectos secundarios adversos, riesgos relacionados con la dependencia de socios externos para realizar ciertas actividades en nombre de la empresa, el potencial de cualquier acuerdo de licencia o colaboración, incluido que se rescinda el acuerdo de colaboración de la empresa con Regeneron, oportunidades de mercado más pequeñas de lo previsto para los fármacos y candidatos terapéuticos de la empresa, riesgos de fabricación, la competencia de otros tratamientos o fármacos, aceptación en el mercado de los fármacos de la empresa, riesgos relacionados con la expansión internacional del negocio de la empresa, incertidumbres relacionadas con la cobertura del seguro y el estado de reembolso de fármacos recién aprobados, y otros asuntos que podrían afectar a la suficiencia de efectivo existente, equivalentes de efectivo e inversiones a corto plazo para financiar operaciones, los resultados operativos futuros de la empresa y el rendimiento financiero, así como la disponibilidad o el potencial comercial de los fármacos y candidatos terapéuticos de Ultragenyx. Ultragenyx no asume ninguna obligación de actualizar o revisar ninguna declaración prospectiva.

Para obtener una descripción en más detalle de los riesgos e incertidumbres que podrían hacer que los resultados reales difieran de los expresados en estas declaraciones prospectivas, así como de los riesgos relacionados con el negocio de Ultragenyx en general, consulte el Informe anual de Ultragenyx del Formulario 10-K presentado ante la Comisión de Bolsa y Valores (Securities and Exchange Commission, SEC) de EE. UU. el 22 de mayo de 2024, y sus informes periódicos posteriores presentados a la SEC.

Además de sus presentaciones a la SEC, comunicados de prensa y teleconferencias públicas, Ultragenyx utiliza su sitio web de relaciones con los inversores y redes sociales para publicar información importante sobre la empresa, incluida información que puede considerarse importante para los inversores, y para cumplir con sus obligaciones de divulgación en virtud de las Reglas de divulgación justa (Regulation FD). La información financiera y de otro tipo sobre Ultragenyx se publica de forma rutinaria y es accesible en el sitio web de relaciones con los Inversores de Ultragenyx (<https://ir.ultragenyx.com/>) y el sitio web de LinkedIn (<https://www.linkedin.com/company/ultragenyx-pharmaceutical-inc-/>).

Datos de contacto:

Joey Fleury
Ultragenyx Pharmaceutical Inc.
+1-707-368-5020

Nota de prensa publicada en: [Madrid](#)

Categorías: [Medicina Industria Farmacéutica Madrid Otras Industrias](#)

Notas de Prensa

<https://www.notasdeprensa.es>