

Ultragenyx anuncia que Mepsevii® (vestronidasa alfa) recibe la aprobación de reembolso para el tratamiento de la mucopolisacaridosis VII en España

Ultragenyx Pharmaceutical Inc., una empresa biofarmacéutica centrada en el desarrollo y comercialización de terapias novedosas para enfermedades genéticas graves raras y ultrarraras, ha anunciado hoy que Mepsevii® (vestronidasa alfa) ha sido aprobado para reembolso por el Sistema Nacional de Salud (SNS) para el tratamiento de pacientes pediátricos y adultos con mucopolisacaridosis VII (MPS VII; síndrome de Sly)

La MPS VII es un trastorno genético progresivo y raro que afecta a unas 200 personas en los países desarrollados. Las personas con MPS VII no producen suficiente beta-glucuronidasa, una enzima que desempeña un papel clave en la descomposición de azúcares específicos en el cuerpo. La falta de esta enzima conduce al almacenamiento de azúcares dentro de las células, lo que puede causar daños progresivos en muchos órganos.

Indicación (EN LA UE)

Mepsevii está indicado para el tratamiento de las manifestaciones no neurológicas de la mucopolisacaridosis VII (MPS VII; síndrome de Sly). Si desea obtener más información, incluida la Ficha Técnica, visitar https://cima.aemps.es/cima/pdfs/es/ft/1181301001/FT_1181301001.pdf.

Información importante de seguridad(EN LA U.E.)

Contraindicaciones: Hipersensibilidad potencialmente mortal (reacción anafiláctica) al principio activo o a alguno de los excipientes.

Advertencias y precauciones especiales de empleo: Los efectos del tratamiento con vestronidasa alfa se evaluarán de forma periódica y, si no se advierten efectos beneficiosos claros (incluida la estabilización de las manifestaciones de la enfermedad), se valorará la suspensión definitiva del tratamiento. La suspensión del tratamiento puede provocar un empeoramiento considerable del estado clínico del paciente. Conforme la enfermedad progresa, el daño orgánico, resulta más difícil de revertir por el tratamiento, así como alcanzar una mejoría. El médico responsable debe tener en cuenta que vestronidasa alfa no actúa sobre las complicaciones irreversibles de la MPS VII. (p. ej., deformidades óseas). De acuerdo a los datos de exposición en humanos, no parece que vestronidasa alfa sea capaz de atravesar la barrera hematoencefálica, por lo que no cabe esperar que tenga efecto sobre las manifestaciones neurológicas de la enfermedad. *Reacciones de hipersensibilidad, incluida la anafilaxia:* Se han comunicado reacciones graves de hipersensibilidad, incluida la anafilaxia, a la vestronidasa alfa, por lo que es necesario que siempre que se administre este

medicamento, se disponga de tratamiento médico de soporte. Se debe evitar la perfusión si el paciente sufre en el momento de la administración un proceso agudo de tipo febril o respiratorio. *Compresión medular espinal, incluida compresión medular cervical:* Una de las complicaciones graves y conocidas de la MPSVII es la compresión medular espinal, incluida la compresión medular a nivel cervical. Debido a la mejoría en la movilidad del cuello y de la columna vertebral que puede observarse durante el tratamiento con vestronidasa alfa, puede producirse una lesión medular. Los pacientes con MPSVII que estén en tratamiento con vestronidasa alfa deben ser monitorizados para la detección de signos y síntomas que puedan indicar compresión medular o inestabilidad en el cuello, incluyendo dolor de espalda o cuello, debilidad en extremidades, cambios en los reflejos o incontinencia urinaria o fecal. En caso de que aparezcan, debe solicitarse asistencia clínica inmediata. *Dieta restringida en sodio:* Mepsevii se considera un medicamento con alto contenido de sodio. Esto debe tenerse en cuenta durante el proceso de dilución en el caso de los pacientes con una dieta restringida en sodio, o en pacientes con insuficiencia cardiaca congestiva, que tienen dieta restringida en sodio y agua total. *Trazabilidad:* el nombre y el número de lote del medicamento administrado deben estar claramente registrados.

Reacciones adversas: Las reacciones adversas más frecuentes en los 4 estudios clínicos sobre 23 pacientes tratados con vestronidasa alfa consistieron en erupción (17,4 %), urticaria (17,4 %), extravasación en la zona de perfusión (17,4 %), reacción anafilactoide (13 %), hinchazón en la zona de infusión (8,7 %), prurito (8,7 %) y diarrea (8,7 %). La mayoría de las reacciones tuvieron una intensidad leve o moderada. Se produjo una sola convulsión febril en un paciente (4,3 %), que se recuperó sin secuelas. Consulte la Ficha Técnica para más información.

Acerca de Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Ultragenyx es una compañía biofarmacéutica comprometida a desarrollar terapias novedosas para los pacientes para el tratamiento de enfermedades genéticas graves raras y ultrarraras. La empresa posee una amplia cartera de medicamentos aprobados y candidatos concebidos para el tratamiento de enfermedades con una elevada necesidad médica insatisfecha y una biología clara, para las que normalmente no hay terapias aprobadas que traten la enfermedad subyacente.

La empresa está dirigida por un equipo directivo con experiencia en el desarrollo y comercialización de productos terapéuticos para enfermedades raras. La estrategia de Ultragenyx se basa en el desarrollo de fármacos eficientes en tiempo y coste, con el objetivo de ofrecer terapias seguras y eficaces a pacientes que tienen la máxima urgencia.

Para obtener más información sobre Ultragenyx, visitar el sitio web de la empresa en: www.ultragenyx.com.

Declaraciones prospectivas

Salvo la información histórica contenida en este documento, los temas expuestos en este comunicado de prensa, incluidas las declaraciones relacionadas con las expectativas y proyecciones de Ultragenyx con respecto a

sus resultados operativos y rendimiento financiero futuros, las reducciones previstas de costes o gastos, los plazos, los avances y los planes para sus programas clínicos y estudios clínicos, las futuras interacciones normativas, así como los componentes y el calendario de las presentaciones normativas son declaraciones prospectivas en el sentido de las disposiciones de «puerto seguro» de la Ley de Reforma de Litigios de Valores Privados de 1995. Estas declaraciones prospectivas implican riesgos e incertidumbres sustanciales que podrían hacer que nuestros programas de desarrollo clínico, la colaboración con terceros, los resultados futuros, el rendimiento o los logros difieran significativamente de los expresados o implícitos en las declaraciones prospectivas. Tales riesgos e incertidumbres incluyen, entre otros, los efectos de la pandemia de COVID-19 sobre las actividades clínicas de la empresa, los resultados empresariales y operativos, los riesgos relacionados con la dependencia de terceros asociados para llevar a cabo determinadas actividades en nombre de la empresa, la incertidumbre y los posibles retrasos relacionados con el desarrollo clínico de fármacos, oportunidades de mercado más pequeñas de lo previsto para los productos y candidatos a productos de la empresa, riesgos de fabricación, competencia de otras terapias o productos, y otros asuntos que podrían afectar a la capacidad de la tesorería existente, los equivalentes de efectivo y las inversiones a corto plazo para financiar operaciones, los resultados operativos y el desempeño financiero futuros de la compañía, el momento de las actividades de ensayos clínicos y la presentación de informes sobre los resultados de los mismos, y la disponibilidad o potencial comercial de los productos y candidatos a medicamentos de Ultragenyx. Ultragenyx no asume ninguna obligación de actualizar o revisar las declaraciones prospectivas. Para obtener una descripción más detallada de los riesgos e incertidumbres que podrían hacer que los resultados reales difirieran de los expresados en estas declaraciones prospectivas, así como de los riesgos relacionados con la actividad de Ultragenyx en general, véase el Informe trimestral de Ultragenyx en el Formulario 10Q presentado ante la Comisión de Valores y Bolsa el 5 de mayo de 2021, y sus informes periódicos posteriores presentados ante la Comisión de Valores y Bolsa.

Contactos

Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Medios

Carolyn Wang

IR@ultragenyx.com

Oficinas de Ultragenyx España

José Luís Moreno

JMoreno@ultragenyx.com

Paseo de la Castellana, 135 – planta 7ª

28046 Madrid, España
