

Rhythm Pharmaceuticals completa la presentación de la solicitud de variación de tipo II a la Agencia Europea del Medicamento para IMCIVREE® (setmelanotida) para los síndromes de Bardet-Biedl y Alström

Rhythm Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: RYTM), una empresa biofarmacéutica en fase comercial comprometida con la transformación de la atención a las personas que padecen enfermedades genéticas raras de la obesidad, ha anunciado hoy que ha presentado su solicitud a la Agencia Europea del Medicamento (EMA) para la variación tipo II de IMCIVREE® (setmelanotida)

Ryth Pharmaceuticals ha anunciado la presentación de la solicitud a la Agencia Europea del Medicamento (EMA) para la variación tipo II de IMCIVREE® (setmelanotida) para el tratamiento de la obesidad y el control del hambre en pacientes adultos y pediátricos de seis años de edad o más con el síndrome de Bardet-Biedl (BBS) o el síndrome de Alström.

"Esto marca un hito importante hacia nuestro objetivo de hacer llegar IMCIVREE en todo el mundo a pacientes con BBS o con muchas otras enfermedades genéticas raras de la obesidad", ha declarado David Meeker, doctor en Medicina, presidente y director ejecutivo de Rhythm. "IMCIVREE logró resultados clínica y estadísticamente significativos en nuestro ensayo en fase 3 en el BBS, y se demostró una pérdida de peso marcada y sostenida en pacientes con síndrome de Alström tratados en nuestros ensayos en fase 2 y 3. A partir de estos datos, creemos que IMCIVREE será el primer medicamento en abordar eficazmente la obesidad grave de inicio temprano y la hiperfagia que caracterizan estas enfermedades. Esperamos trabajar estrechamente con las autoridades reguladoras de la Unión Europea para hacer llegar IMCIVREE a estas poblaciones adicionales².

"La comunidad del BBS en la UE está particularmente bien definida, con más de 1500 pacientes diagnosticados y atendidos en centros académicos", ha señalado Yann Mazabraud, vicepresidente ejecutivo y director del área internacional en Rhythm. "Conviene destacar que muchos de estos pacientes presentan la obesidad severa e hiperfagia para las que se ha concebido el tratamiento con IMCIVREE. Estamos impacientes por seguir trabajando para mejorar el conocimiento sobre el BBS y los beneficios potenciales de IMCIVREE y, si se nos autoriza, esperamos lanzar este tratamiento al mercado rápidamente como un paso clave para transformar la atención de las personas que padecen enfermedades genéticas raras de la obesidad".

La presentación a la EMA se basa en los datos del ensayo clínico fundamental

en fase 3 de Rhythm sobre la setmelanotida en pacientes con BBS o síndrome de Alström. Como se comunicó anteriormente, el estudio cumplió su criterio de valoración principal y todos los criterios de valoración secundarios clave, con reducciones estadística y clínicamente significativas en peso y hambre a las 52 semanas de tratamiento. Todos los pacientes que cumplieron el criterio de valoración principal definido como una pérdida de peso superior al 10% presentaban BBS y ninguno presentaba síndrome de Alström. Sin embargo, los datos de este ensayo de fase 3 están respaldados por los resultados del ensayo de fase 2, que sugieren que el tratamiento con setmelanotida puede dar lugar a una disminución del peso y el hambre en las personas que padecen síndrome de Alström. Además, los datos de un criterio de valoración exploratorio predefinido mostraron que, en pacientes con BBS y síndrome de Alström menores de 18 años, el tratamiento con setmelanotida se asoció a reducciones clínicamente significativas en las puntuaciones IMC-Z. La puntuación IMC-Z, o puntuación de desviación estándar del IMC, representa el número de desviaciones estándar con respecto a la mediana del IMC por edad y sexo del niño.

Acerca de los síndromes de Bardet-Biedl y Alström

El BBS y el síndrome de Alström son enfermedades genéticas muy raras que afectan a múltiples sistemas de órganos. Las características clínicas del BBS pueden incluir deterioro cognitivo, polidactilia, disfunción renal, hipogonadismo y disfunción visual. Las características clínicas del síndrome de Alström pueden incluir deterioro visual y auditivo progresivo, resistencia a la insulina y diabetes tipo 2, hiperlipidemia, disfunción renal progresiva, miocardiopatía y estatura corta en la edad adulta. El hambre insaciable, también conocida como hiperfagia, y la obesidad severa de inicio temprano son comunes en personas que padecen BBS o síndrome de Alström. Rhythm estima que el BBS afecta aproximadamente a entre 1500 y 2500 personas y que el síndrome de Alström afecta aproximadamente a 500 personas en Estados Unidos, con una estimación de prevalencia similar en Europa. En la actualidad, no existen terapias aprobadas dirigidas a la vía MC4R para reducir el peso corporal y el hambre en el BBS o el síndrome de Alström.

Acerca de Rhythm Pharmaceuticals

Rhythm es una empresa biofarmacéutica en fase comercial comprometida con la transformación del paradigma de tratamiento para personas que viven con enfermedades genéticas raras de la obesidad. La medicina de precisión de Rhythm, IMCIVREE (setmelanotida), fue aprobada en noviembre de 2020 por la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés) para el control crónico del peso en pacientes adultos y pediátricos de 6 años de edad o más con obesidad debida a la deficiencia de POMC, PCSK1 o LEPR confirmada por pruebas genéticas, y por la Comisión Europea (CE) en julio de 2021 y la Agencia Reguladora de Medicamentos y Productos Sanitarios de Gran Bretaña (MHRA, por sus siglas en inglés) en septiembre de 2021, para el tratamiento de la obesidad y el control del hambre asociados a la deficiencia de POMC bialélica, incluido PCSK1, o la deficiencia de LEPR bialélico con pérdida de función confirmadas genéticamente en adultos y niños de 6 años de edad o más. IMCIVREE es la primera terapia aprobada por la FDA y autorizada por la CE y la MHRA para pacientes con estas enfermedades genéticas raras de la obesidad. Rhythm está consiguiendo avances en un amplio programa de desarrollo clínico de la setmelanotida en otras enfermedades genéticas raras de la obesidad, y está aprovechando los recursos del Rhythm Engine y de la mayor base de datos de ADN de obesidad

conocida, con aproximadamente 37.500 muestras secuenciales, para mejorar la comprensión, el diagnóstico y la atención de las personas que padecen obesidad severa a causa de determinadas deficiencias genéticas. La sede de Rhythm se encuentra en Boston, Massachusetts.

Indicación de IMCIVREE® (setmelanotida)

En la UE y en Gran Bretaña, IMCIVREE está indicado para el tratamiento de la obesidad y el control del hambre asociados a la deficiencia de POMC bialélica, incluido PCSK1, o la deficiencia de LEPR bialélico con pérdida de función confirmadas genéticamente en adultos y niños de 6 años de edad o más. El IMCIVREE debe ser prescrito y supervisado por un médico con experiencia en obesidad con etiología genética subyacente.

En Estados Unidos, IMCIVREE está indicado para el control de peso crónico en pacientes adultos y pediátricos de 6 años de edad o más con obesidad debida a la deficiencia de proopiomelanocortina (POMC), proproteína convertasa subtilisina/kexina tipo 1 (PCSK1) o receptor de leptina (LEPR). La condición debe confirmarse mediante pruebas genéticas que demuestren variantes en los genes *POMC*, *PCSK1* o *LEPR* que se interpretan como patogénicos, probablemente patogénicos o de importancia incierta (VUS).

Información importante sobre seguridad

Advertencias y precauciones:

Alteración de la excitación sexual: Pueden producirse reacciones adversas sexuales en pacientes tratados con IMCIVREE. En estudios clínicos con IMCIVREE se produjeron erecciones de pene espontáneas en varones y reacciones adversas sexuales en mujeres. Indique a los pacientes que tengan una erección que dure más de 4 horas que busquen atención médica de emergencia.

Depresión e ideas suicidas: Algunos medicamentos que se dirigen al sistema nervioso central, como IMCIVREE, pueden causar depresión o ideas suicidas. Vigile a los pacientes en busca de un nuevo inicio o empeoramiento de la depresión. Considere interrumpir el tratamiento con IMCIVREE si los pacientes experimentan pensamientos o comportamientos suicidas.

Pigmentación de la piel y oscurecimiento de los nevos preexistentes: IMCIVREE puede causar un aumento generalizado de la pigmentación de la piel y el oscurecimiento de los nevos preexistentes debido a su efecto farmacológico. Este efecto es reversible tras la interrupción del fármaco. Realice un examen cutáneo de cuerpo entero antes del inicio y periódicamente durante el tratamiento con IMCIVREE para monitorizar lesiones pigmentarias cutáneas nuevas y preexistentes.

Riesgo de reacciones adversas graves debido al conservante de alcohol bencílico en neonatos y lactantes de bajo peso al nacer: El uso de IMCIVREE no está aprobado para neonatos o lactantes.

Reacciones adversas

Las reacciones adversas más frecuentes (incidencia \geq 23 %) fueron reacciones en el lugar de la inyección, hiperpigmentación cutánea, náuseas, cefalea, diarrea, dolor abdominal, dolor de espalda, fatiga, vómitos, depresión, infección del tracto respiratorio superior y erección de pene espontánea.

Uso en poblaciones específicas

Interrumpa el tratamiento con IMCIVREE cuando se detecte el embarazo, a menos que los beneficios de la terapia superen los riesgos potenciales para el feto.

No se recomienda el uso del tratamiento con IMCIVREE durante la lactancia materna.

Para informar de sospechas de reacciones adversas, ponerse en contacto con Rhythm Pharmaceuticals en el +1 (833) 789-6337 o con la FDA en el 1-800-FDA-1088 o www.fda.gov/medwatch.

Consultar la [Información para recetas completa](#) y la [Ficha técnica de la UE](#) para IMCIVREE.

Declaraciones prospectivas

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas en el sentido de la Ley de Reforma de Litigios de Valores Privados de 1995. Todas las declaraciones contenidas en este comunicado de prensa que no estén relacionadas con cuestiones de hechos históricos deben considerarse declaraciones prospectivas, incluidas, entre otras, declaraciones sobre el potencial, la seguridad, la eficacia y el progreso normativo y clínico de la setmelanotida, nuestras expectativas en torno a posibles presentaciones normativas, aprobaciones y plazos de las mismas, nuestra estrategia y planes de negocio, incluyendo la comercialización de la setmelanotida y nuestra participación en próximos eventos y presentaciones. Las declaraciones que utilizan palabras como «esperar», «anticipar», «creer», «puede», «voluntad» y términos similares también son declaraciones prospectivas. Estas declaraciones están sujetas a numerosos riesgos e incertidumbres, incluidos, entre otros, nuestra capacidad de inscribir a pacientes en ensayos clínicos, el diseño y el resultado de los ensayos clínicos, el impacto de la competencia, la capacidad de lograr u obtener las aprobaciones normativas necesarias, los riesgos asociados con el análisis de datos y la elaboración de informes, nuestra liquidez y gastos, el impacto de la pandemia de COVID-19 en nuestros negocios y operaciones, incluidos nuestros estudios preclínicos, ensayos clínicos y perspectivas de comercialización, y condiciones económicas generales, y los otros factores importantes discutidos bajo el título «Factores de riesgo» en nuestro Informe Trimestral en el Formulario 10-Q para el periodo trimestral cerrado el 30 de junio de 2021 y nuestros otros documentos presentados ante la Comisión de Valores y Bolsa. Salvo que lo exija la ley, no asumimos ninguna obligación de realizar revisiones de las declaraciones prospectivas contenidas en esta publicación ni de actualizarlas para reflejar los acontecimientos o circunstancias que se produzcan después de la fecha de esta publicación, ya sea como resultado de nueva información, desarrollos futuros o de otro tipo.

