

Expertos y pacientes evidencian el elevado valor del primer fármaco para el ASMD en un MCDA sin precedentes

Según el comité multidisciplinar implicado en el Análisis de Decisión Multicriterio elaborado en España, Xenpozyme® destaca especialmente por las necesidades no cubiertas de los pacientes, la gravedad de la enfermedad y la eficacia y seguridad del fármaco

El medicamento recibió en julio la aprobación europea para el tratamiento de niños y adultos con determinados tipos de ASMD

Barcelona, 01 de diciembre del 2022 – Xenpozyme® (olipudasa alfa), el primer y único fármaco para el déficit de esfingomielinasa ácida (ASMD, por sus siglas en inglés) aprobado por la Comisión Europea (CE), aportará un elevado valor añadido al tratamiento de esta enfermedad ultra-rara en España. Así lo ha considerado el comité de profesionales sanitarios, pacientes y decisores que ha participado en el **Análisis de Decisión Multicriterio o MCDA (acrónimo de Multi-Criteria Decision Analysis)¹ elaborado en nuestro país**: el innovador medicamento ha recibido una **puntuación de 0,73 en una escala de -1 a +1; siendo la mayor de las que se tienen constancia**. Las **necesidades no cubiertas de los pacientes** de esta patología (4.9 ± 0.4 , de un máximo de 5), y la **eficacia y seguridad demostrada en los ensayos clínicos** (4.4 ± 0.7) han sido los criterios mejor valorados.

El **Dr. José Luis Poveda, jefe del servicio de Farmacia Hospitalaria del Hospital Universitari i Politècnic La Fe (Valencia) y miembro del grupo de trabajo de medicamentos huérfanos y enfermedades raras de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (Orphar-SEFH)** ha sido uno de los participantes de este MCDA y, según apunta, *"todos los expertos coincidieron en la elevada carga de morbimortalidad asociada a la enfermedad y en que los tratamientos disponibles actualmente son puramente sintomáticos y paliativos"*. Para este experto, *"Xenpozyme® supone una extraordinaria ventana de oportunidad y mejora para los pacientes con ASMD, ya que parece modificar el curso de la enfermedad"*. Y, en este sentido, añade: *"aunque el pronóstico es muy heterogéneo, su sintomatología conduce a cuadros que afectan tanto a la esperanza como a la calidad de vida"*.

El tercer parámetro más apreciado del Análisis de Decisión Multicriterio de olipudasa alfa ha sido la **gravedad de la patología** (4.1 ± 0.6).

En palabras del **Dr. Jesús Villarrubia, del servicio de Hematología y Hemoterapia del Hospital Remón y Cajal (Madrid)**, quien también ha participado en el MCDA: *"son unos resultados irrefutables"*. Según este hematólogo, *"se trata de un claro reflejo de los ensayos clínicos que han llevado a la aprobación de Xenpozyme® en Japón, Europa y Estados Unidos; ya que nunca se habían obtenido estas conclusiones en otro fármaco y, menos aún, en un fármaco huérfano"*.

La metodología MCDA, una herramienta clave para los medicamentos huérfanos

Ambos expertos han participado activamente en el Análisis de Decisión Multicriterio, junto con pacientes y decisores, con el fin de valorar de forma sistemática, transparente y ponderada las múltiples variables que pueden influir en la evaluación del nuevo fármaco como **terapia para niños y adultos con ASMD tipo A/B o tipo B**. Sobre todo, teniendo en cuenta que se trata de un medicamento huérfano (destinado a tratar una patología minoritaria) y, por lo tanto, que es importante tener en consideración parámetros adicionales a su efectividad, seguridad y coste.

De hecho, según el **Dr. Villarrubia**, los MCDA son un método analítico que se espera y pretende que se consolide para la valoración de los medicamentos huérfanos, "ya que es más difícil obtener información al respecto porque la evidencia científica disponible es limitada". Con estos análisis no solo se evalúa el valor del tratamiento teniendo en cuenta los resultados de los ensayos clínicos, sino que se hace siguiendo una metodología rigurosa; teniendo en cuenta parámetros cuantitativos, cualitativos y comparativos; e implicando a diferentes perfiles como profesionales clínicos y de farmacia, decisores y pacientes. En definitiva, "el procedimiento sistematizado basado en el marco de evidencia científica y con proceso deliberativo constituyen las bases de su metodología", añade el **Dr. Poveda**.

Un tratamiento PRIME, según la EMA

Xenpozyme® recibió luz verde por parte de la Comisión Europea el pasado mes de julio como **tratamiento enzimático sustitutivo para las manifestaciones no relacionadas con el sistema nervioso central (SNC) del déficit de esfingomielinasa ácida en pacientes pediátricos y adultos** con ASMD tipo A/B o ASMD tipo B. Una aprobación fundamentada en los datos positivos de dos ensayos clínicos (ASCEND y ASCEND-Peds) en los que se ha mostrado una mejora notable y clínicamente relevante de la función pulmonar y una reducción de los volúmenes del bazo y el hígado, con un perfil de seguridad bien tolerado. Por las urgentes necesidades médicas insatisfechas de las personas con ASMD puestas también de manifiesto en el MCDA, la **Agencia Europea de Medicamentos (EMA) otorgó a olipudasa alfa la designación de PRiority Medicines (PRIME)**.

El primer y único fármaco para el ASMD también ha recibido denominaciones de este tipo por parte de otras agencias reguladoras: en marzo de 2022 se aprobó en Japón como 'SAKIGAKE' (tratamiento pionero) y en agosto de este año se autorizó en Estados Unidos como 'breakthrough therapy' (terapia innovadora).

Sobre el ASMD²

El **ASMD (acrónimo de Acid Sphingomyelinase Deficiency) o déficit de esfingomielinasa ácida es una enfermedad ultra-rara de origen genético, progresiva y potencialmente fatal**. Históricamente conocida como enfermedad de **Niemann-Pick tipo A, A/B y B**, forma parte del grupo de enfermedades de depósito lisosomal -o lisosomales. Se caracteriza por un defecto en la actividad de la enzima esfingomielinasa ácida (ASM), lo que provoca el acúmulo de esfingomielina lipídica en diferentes células, tejidos y órganos (pulmón, hígado, bazo o médula ósea, entre otros), causando su mal funcionamiento y, por ende, pudiendo provocar la muerte prematura.

El ASMD engloba **tres fenotipos diferentes**: ASMD tipo A, ASMD tipo B y ASMD tipo A/B. El **tipo A o tipo neurovisceral infantil** es el más grave y suele manifestarse los primeros meses de vida, condicionando que el fallecimiento se

produzca en torno a los dos-tres años; el **tipo B o tipo visceral crónico** tiene una edad de diagnóstico y pronóstico variable (suele comenzar en la infancia tardía, la adolescencia o la edad adulta) y una progresión más lenta. Por otra parte, el **ASMD tipo A/B o neurovisceral crónico** es una forma intermedia que incluye diversos grados de afectación del sistema nervioso central (SNC).

El déficit de esfingomielinasa ácida tiene una **incidencia aproximada de un caso entre 250.000 nacidos vivos**. Su **prevalencia en España se está estudiando**, aunque en este momento hay diagnosticados varias decenas de pacientes.

Referencias

1. [Value Contribution of Olipudase Alfa Therapy for the Treatment of Non-Central Nervous System Manifestations of Acid Sphingomyelinase Deficiency \(ASMD\) By Multi-Criteria Decision Analysis \(MCDA\)](#).
2. Asociación de pacientes ASMD España (www.asmd.es).

Acerca de Sanofi

Somos una compañía innovadora mundial dedicada al cuidado de la salud con el objetivo de perseguir el poder de la ciencia para mejorar la vida de las personas. Nuestro equipo, repartido en unos 100 países, se dedica a transformar la práctica de la medicina para hacer posible lo imposible. Prevenimos enfermedades gracias a las vacunas y proporcionamos tratamientos que pueden cambiar la vida de millones de personas en todo el mundo. Y lo hacemos poniendo la sostenibilidad y la responsabilidad social en el centro de nuestro propósito.

Contactos de prensa

Miriam Gifre | 681 268 098 | Miriam.Gifre@sanofi.com

Maria Liria | 662 407 184 | Maria.Liria@hkstrategies.com

Alba Hidalgo | 679 123 018 | Alba.Hidalgo@hkstrategies.com

Declaraciones prospectivas de Sanofi

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas como se define en la Ley de Reforma de Litigios sobre Valores Privados de 1995, y sus enmiendas. Las declaraciones prospectivas son declaraciones que no son hechos históricos. Estas declaraciones incluyen proyecciones, así como estimaciones y sus suposiciones subyacentes, declaraciones sobre planes, objetivos, intenciones y expectativas con respecto a futuros resultados financieros, eventos, operaciones, servicios, desarrollo de productos y potencial, así como declaraciones referentes al rendimiento futuro. Las declaraciones prospectivas se pueden identificar generalmente mediante palabras como “esperar”, “prever”, “creer”, “pretender”, “estimar”, “planear” y expresiones similares. A pesar de que la dirección de Sanofi cree que las expectativas reflejadas en dichas declaraciones prospectivas son razonables, advierte a los inversionistas que la información y declaraciones prospectivas están sujetas a diferentes riesgos e incertidumbres, muchos de los cuales son difíciles de predecir y están, generalmente, más allá del control de Sanofi, que pudieran causar que los resultados y los desarrollos reales difieran materialmente de los expresados, implicados o proyectados en la información y declaraciones prospectivas. Estos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otras cosas, las incertidumbres inherentes a la investigación y desarrollo, datos y análisis clínicos futuros, incluyendo los posteriores a la comercialización, las decisiones tomadas por las autoridades regulatorias como la FDA o la EMA, acerca de si se autoriza o no y cuándo se autoriza un fármaco, un dispositivo o una aplicación biológica que pueda registrarse para cualquier producto candidato, así como sus decisiones referentes al etiquetado y a otros asuntos que podrían afectar la disponibilidad o la posible comercialización de dichos productos candidatos, la ausencia de garantía de que los productos candidatos, una vez aprobados, tengan éxito en el mercado, la futura aprobación y éxito comercial de alternativas de tratamiento, la capacidad del Grupo para beneficiarse con oportunidades externas de crecimiento, tendencias en tipos de cambio y tasas de interés prevalecientes, el impacto de las políticas de contención de costos y los cambios posteriores a los mismos, el número promedio de acciones en circulación, así como aquellos discutidos o identificados en los archivos públicos del SEC y la AMF elaborados por Sanofi, incluyendo los enlistados en los apartados “Factores de Riesgo” y “Declaración Preventiva Referente a las Declaraciones Prospectivas” del informe anual de Sanofi en el Formulario 20-F para el año concluido el 31 de Diciembre de 2015. Sanofi no se compromete a actualizar, ni a revisar la información, ni las declaraciones prospectivas, a menos que así lo requiera la legislación vigente.