

Nota de prensa

Nuevo tratamiento para una enfermedad rara en España

- Se trata una terapia de reemplazo enzimático desarrollada por Sanofi para el tratamiento a largo plazo de los adultos, niños y lactantes afectados por la enfermedad de Pompe
- El nuevo medicamento refuerza el liderazgo de la Compañía en el tratamiento de las enfermedades raras y su compromiso con la I+D de moléculas para estas patologías
- En España hay tres millones de personas con trastornos minoritarios¹, de las cuales alrededor de 400 conviven con la enfermedad de Pompe²

Barcelona, 13 de marzo de 2024. Sanofi pone un nuevo tratamiento a disposición de la comunidad de enfermedades raras (EERR) de nuestro país: **Nexviadyme®** (avalglucosidasa alfa) acaba de recibir la **aprobación de financiación** por parte del **Ministerio de Sanidad** para el tratamiento a largo plazo de la **enfermedad de Pompe**, tanto de inicio **tardío** (adultos y niños) como de inicio **infantil** (lactantes).

Se trata de una **terapia de reemplazo enzimático** (también llamada ERT -por sus siglas en inglés-, terapia enzimática sustitutiva o TES) que mejora el tratamiento estándar actual de las personas afectadas por este trastorno minoritario de depósito lisosomal o lisosomales, de origen genético y con carácter progresivo.

Dr. Andrés Nascimiento

Neuropediatra y coordinador de la unidad de Patología Neuromuscular del Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona

“Nexviadyme® es una terapia enzimática sustitutiva que, por un lado, mejora la capacidad respiratoria y disminuye la fatiga, permitiendo a los pacientes llevar una vida más activa y funcional; y por el otro, consigue ralentizar la progresión de la enfermedad y disminuir la pendiente de deterioro de la función muscular, lo que posibilita en una mejor calidad de vida y una mayor independencia para las actividades diarias”.

La luz verde de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIPM) llega 20 meses después de que este nuevo fármaco fuera autorizado por la Comisión Europea (CE) como **nueva terapia de referencia para la enfermedad de Pompe**. Una aprobación basada en los resultados de los ensayos clínicos que la comparaban con el estándar de tratamiento hasta la fecha, que la misma Sanofi puso a disposición de los pacientes españoles en 2006.

Raquel Tapia

Directora general de Sanofi España

“Estamos muy contentos de poder transformar el tratamiento de la enfermedad de Pompe en España, poniendo este nuevo standard-of-care a disposición de los profesionales sanitarios de nuestro país para que puedan mejorar aún más la calidad de vida de sus pacientes. Además, nos hace sentir muy orgullosos que, con esta terapia, ya sean siete las opciones terapéuticas que brindamos a los tres millones de españoles afectados por trastornos minoritarios; lo que consolida nuestra posición de referencia en el área de las enfermedades raras. Un liderazgo que esperamos poder reiterar muy pronto sumando un octavo medicamento, el primero específico para el ASMD”.

Con avalglucosidasa alfa, Sanofi se convierte en la **única biofarmacéutica en poner dos fármacos distintos a disposición de las 400 personas con enfermedad de Pompe** que se calcula que hay en España, entre adultos y niños. Además, el nuevo tratamiento también refuerza su compromiso de la Compañía con la **investigación y desarrollo de moléculas best-in-class** y/o **first-in-class** (mejores o primeras en su clase) que permitan mejorar la vida de las personas afectadas por un trastorno poco frecuente con especial atención a las EERR neurológicas (donde se incluyen las lisosomales), hematológicas y nefrológicas, y a las terapias enzimáticas sustitutivas

(TES), las inhibidoras o los anticuerpos.

Dr. Andrés Nacimiento

Neuropediatra y coordinador de la unidad de Patología Neuromuscular del Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona

“Las TES han demostrado ser efectivas en el tratamiento de varios trastornos metabólicos y lisosomales, como la enfermedad de Pompe, la enfermedad de Gaucher y la enfermedad de Fabry, entre otras. Tanto es así que son una parte fundamental del manejo médico de este tipo de patologías, ya que pueden mejorar significativamente la calidad de vida de los pacientes”.

Sanofi fue **pionera en el mundo y en España en desarrollar un tratamiento para una enfermedad rara de depósito lisosomal**, en concreto para la enfermedad de Gaucher. Fue, además, la **primera terapia de reemplazo enzimático**, un tipo de tratamiento específico para enfermedades genéticas caracterizadas por la carencia de una enzima: ésta se administra artificialmente para corregir su déficit y restaurar la función normal del organismo.

Sobre Nexviadyne®

Las personas con enfermedad de Pompe tienen niveles bajos de la enzima alfa-glucosidasa ácida (GAA), lo que provoca una acumulación de glucógeno que causa daños irreversibles en los músculos esqueléticos y cardíacos. **Avagluosidada alfa** es una terapia enzimática sustitutiva diseñada para ayudar a mejorar la absorción y la eliminación de glucógeno en los tejidos diana.

El fármaco **ya ha sido aprobado en diferentes mercados** de todo el mundo, incluidos varios países de la Unión Europea, los Estados Unidos, Japón, Suiza o Australia, entre otros.

Sobre la enfermedad de Pompe

Según la Organización Mundial de la Salud (OMS), en el mundo se han descrito más de 7.000 enfermedades raras (EERR) distintas. Una de ellas es la enfermedad de Pompe, un **trastorno genético poco frecuente que causa debilidad muscular permanente y progresiva**². Perteneciente al grupo de las denominadas enfermedades lisosomales, aparece cuando la enzima alfa-glucosidasa ácida (GAA) que se encuentra en los lisosomas de las células musculares tiene una actividad limitada o nula. Esta deficiencia o disfunción provoca la acumulación de glucógeno en los lisosomas y con el tiempo, daña los músculos limitando su correcto funcionamiento³.

Puede afectar tanto a hombres como a mujeres de cualquier edad, clasificándose en **dos tipos en función del momento en el que aparecen los primeros síntomas**: de inicio infantil/temprano o IOPD (los pacientes empiezan a mostrar signos antes del año de vida), considerada la forma más grave de la enfermedad; o de inicio adulto/tardío o LOPD (los signos progresan más lentamente). Si no se trata, la IOPD puede provocar insuficiencia cardíaca y la muerte durante el primer año de vida, mientras que las personas con LOPD pueden necesitar ayuda para respirar o moverse a medida que va progresando, hasta que acaban falleciendo de forma prematura debido a una insuficiencia respiratoria.

La enfermedad de Pompe afecta aproximadamente a **una de cada 40.000-150.000 nacimientos vivos en el mundo**, lo que implica que puede haber entre 5.000 y 10.000 pacientes. Se calcula que en **España hay más de 400 personas afectadas** por esta patología².

Se calcula que en el **mundo hay alrededor de 300 millones de personas** que padecen un trastorno minoritario, de las cuales unos 30 millones en Europa y **más de 3 millones en España**¹.

Referencias

1. Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER).
2. Ley Martos M. Variedades de debut temprano en la Enfermedad de Pompe. Revista Bioreview. 2012;13:6-23.
3. Kishani PS. et al. Pompe Disease diagnosis and management guideline. Genet Med. 2006;8:267-88.

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

Ferran Vergés | 605 257 557 | Ferran.Verges@sanofi.com

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

Declaraciones prospectivas de Sanofi

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas según se define en la Ley de Reforma de Litigios de Valores Privados de 1995, con sus enmiendas. Las declaraciones prospectivas son declaraciones que no son hechos históricos. Estas declaraciones incluyen proyecciones y estimaciones y sus suposiciones subyacentes, declaraciones relativas a planes, objetivos, intenciones y expectativas con respecto a futuros resultados financieros, eventos, operaciones, servicios, desarrollo y potencial de productos, y declaraciones relativas al rendimiento futuro. Las declaraciones prospectivas generalmente se identifican por las palabras "espera", "anticipa", "cree", "pretende", "estima", "planifica" y expresiones similares. Aunque la dirección de Sanofi cree que las expectativas reflejadas en dichas declaraciones prospectivas son razonables, se advierte a los inversores de que la información y las declaraciones prospectivas están sujetas a diversos riesgos e incertidumbres, muchos de los cuales son difíciles de predecir y, por lo general, están fuera del control de Sanofi, que podrían hacer que los resultados y desarrollos reales difieran sustancialmente de los expresados en, o implícitos o proyectados por, la información y las declaraciones prospectivas. Estos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otras cosas, las incertidumbres inherentes a la investigación y el desarrollo, futuros datos clínicos y análisis, incluido el marketing posterior, las decisiones de las autoridades reguladoras, como la FDA o la EMA, con respecto a si se debe aprobar un fármaco y cuándo, Solicitud de dispositivo o biológica que pueda presentarse para cualquiera de dichos candidatos a productos, así como sus decisiones con respecto al etiquetado y otros asuntos que podrían afectar a la disponibilidad o potencial comercial de dichos candidatos a productos. el hecho de que los candidatos a productos aprobados no tengan éxito comercial, la aprobación futura y el éxito comercial de las alternativas terapéuticas, la capacidad de Sanofi para beneficiarse de oportunidades de crecimiento externas, para completar transacciones relacionadas y/u obtener autorizaciones reglamentarias, riesgos asociados con la propiedad intelectual y cualquier litigio pendiente o futuro relacionado y el resultado final de dicho litigio, tendencias en tipos de cambio y tipos de interés predominantes, condiciones económicas y de mercado volátiles, las iniciativas de contención de costes y los cambios posteriores a las mismas, y el impacto que la COVID-19 tendrá en nosotros, a nuestros clientes, proveedores, proveedores, y otros socios comerciales, y la situación financiera de cualquiera de ellos, así como en nuestros empleados y en la economía global en su conjunto. Cualquier efecto sustancial de la COVID-19 en cualquiera de los anteriores también podría afectarnos negativamente. Esta situación está cambiando rápidamente, y pueden surgir impactos adicionales de los que actualmente no somos conscientes y que pueden exacerbar otros riesgos identificados previamente. Los riesgos e incertidumbres también incluyen las incertidumbres analizadas o identificadas en las presentaciones públicas ante la SEC y la AMF realizada por Sanofi, incluidas las enumeradas en "Factores de riesgo" y "Declaración de precaución sobre declaraciones prospectivas" en el informe anual de Sanofi en el Formulario 20-F para el año finalizado el 31 de diciembre de 2022. Aparte de lo exigido por la legislación aplicable, Sanofi no asume ninguna obligación de actualizar o revisar ninguna información o declaración prospectiva.