



Ultragenyx anuncia que Mepsevii® (Vestronidasa alfa) ya está aprobado para su inclusión en el Compendio Nacional de Medicamentos de México para el tratamiento de la Mucopolisacaridosis VII (MPS VII)

Mepsevii es el único tratamiento aprobado para este raro trastorno metabólico potencialmente mortal

CIUDAD DE MÉXICO, 02 de noviembre de 2023 - Ultragenyx Pharmaceutical Inc., una compañía biofarmacéutica dedicada al desarrollo y comercialización de terapias novedosas para enfermedades genéticas graves raras y ultra raras, anunció hoy que Mepsevii® (Vestronidasa alfa) ha sido aprobado por el Consejo de Salubridad General de México para el tratamiento de la Mucopolisacaridosis VII (MPS VII), también conocida como síndrome de Sly, en pacientes de todas las edades. El medicamento figura ahora en el Compendio Nacional de Suministros Sanitarios. Mepsevii es el primer y único tratamiento enzimático sustitutivo aprobado para MPS VII. Esta aprobación permite a los proveedores de México prescribir esta terapia a sus pacientes con MPS VII.

“En los últimos años, las necesidades de las comunidades de pacientes con enfermedades raras han recibido mayor atención en este país”, dijo Nicolás Linares, director general de Ultragenyx en México. “En Ultragenyx, nuestra misión es transformar la vida de los pacientes de enfermedades raras, y estamos entusiasmados de que ahora los pacientes con MPS VII en México tengan acceso a esta terapia que les cambiará la vida”.

Gracias a la inclusión de Mepsevii en el Compendio Nacional de Medicamentos, los pacientes de todo el país ahora tendrán acceso a este tratamiento a través del sistema público de salud. Mepsevii también está aprobado actualmente para el tratamiento de niños y adultos con MPS VII en los Estados Unidos, la Unión Europea, el Reino Unido, Japón, Brasil y Chile.

Acerca de la Mucopolisacaridosis VII (MPS VII)

MPS VII es un trastorno genético progresivo y raro que afecta a unas 200 personas en el mundo desarrollado. Los pacientes con MPS VII no producen suficiente beta-glucuronidasa, una enzima que desempeña un papel clave en la descomposición de azúcares específicos en el organismo. La ausencia de esta enzima provoca el almacenamiento de azúcares en el interior de las células, lo que puede causar daños progresivos en muchos órganos.

Acerca de Mepsevii® (Vestronidasa alfa)

Mepsevii es una forma recombinante de solución enzimática de beta-glucuronidasa (β -glucuronidasa) humana (código ATC: A16AB18). El principio activo es Vestronidasa alfa (recombinación genética). El medicamento proporciona o suplementa la beta-glucuronidasa, una enzima que contribuye a la degradación de los glucosaminoglicanos evitando así su acumulación en diversos tejidos del organismo.

INDICACIONES

Mepsevii está indicado en pacientes pediátricos y adultos para el tratamiento de la Mucopolisacaridosis VII (MPS VII, síndrome de Sly).

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE PARA MÉXICO

Mepsevii® (Vestronidasa alfa) 10mg en 5 ml, Solución para inyección. Disponible sólo con fórmula médica.

INDICACIONES: Vestronidasa alfa está indicada para el tratamiento de la Mucopolisacaridosis tipo VII en pacientes de todas las edades. 2. CONTRAINDICACIONES: Vestronidasa alfa Hipersensibilidad a los componentes de la fórmula, embarazo y lactancia.. 3. ADVERTENCIAS Y PRECAUCIONES: Reacciones de hipersensibilidad, incluida la anafilaxia: Se han notificado casos de reacciones de hipersensibilidad graves, incluida la anafilaxia, con otros tratamientos de reposición enzimática; por lo tanto, durante la administración de Mepsevii (Vestronidasa alfa) debe haber apoyo médico adecuado fácilmente asequible. Debe evitarse realizar una infusión en pacientes que tengan una enfermedad respiratoria o febril aguda en ese momento. Se recomienda administrar premedicación con antihistamínicos no sedantes (con o sin antipiréticos) entre 30 y 60 minutos antes del comienzo de la infusión (consultar instructivo de uso incluido con el producto y/o sección XIII). Es importante administrar Mepsevii (Vestronidasa alfa) conforme al esquema de tasas de infusión recomendadas (consulte la tabla 2 en la sección XIII). Si se presentan reacciones de hipersensibilidad intensas, suspenda de inmediato la infusión de Mepsevii (Vestronidasa alfa) e instaure un tratamiento adecuado. El manejo de las reacciones de hipersensibilidad deberá basarse en el grado de intensidad de la reacción e incluir la interrupción temporal o permanente de la infusión y/o la administración de otros antihistamínicos, antipiréticos y/o corticoesteroides en el caso de reacciones de leves a moderadas. Considere administrar una infusión rápida de solución salina en caso de hipotensión y oxígeno en caso de hipoxia. Debe observarse a los pacientes durante un mínimo de 60 minutos después de finalizada la infusión de Mepsevii (Vestronidasa alfa). Informe a los pacientes de los signos y síntomas de las reacciones de hipersensibilidad e indíqueles que busquen atención médica de inmediato si llegan a presentarlos. Sopesar los riesgos y beneficios de readministrar Mepsevii (Vestronidasa alfa) tras una reacción intensa. Compresión de la médula espinal/cervical. La compresión de la médula espinal o cervical es una complicación conocida y grave de la MPS VII. Durante el tratamiento de reposición enzimática pueden producirse lesiones de la médula espinal a causa de la mejor movilidad del cuello y la columna vertebral. Deberá monitorearse a los pacientes con MPS VII que reciban Mepsevii (Vestronidasa alfa) para detectar signos y síntomas de compresión de la médula espinal o inestabilidad del cuello, tales como dolor del cuello o la espalda, debilidad de las extremidades, cambios en los reflejos o incontinencia urinaria y fecal. Deberá buscarse inmediatamente un tratamiento clínico adecuado. Dieta restrictiva en sodio. Este medicamento contiene 39.4 mg de sodio por vial y se administra en una solución de 9 mg/ml (0.9%) de cloruro de sodio para infusión (consulte punto XIII). Esto deberá tomarse en consideración durante la dilución del producto para los pacientes que lleven una dieta con control del sodio o para aquellos que padezcan insuficiencia cardíaca congestiva y tengan restricciones en la ingestión total de agua y sodio. Efectos sobre la capacidad de manejar vehículos y maquinarias. No se conoce ninguna influencia de Mepsevii (Vestronidasa alfa) en la capacidad de manejar vehículos y maquinarias

RESTRICCIONES DE USO DURANTE EL EMBARAZO Y LA LACTANCIA:

Fertilidad, embarazo y lactancia

Embarazo. No hay datos sobre el uso de Mepsevii (Vestronidasa alfa) en mujeres embarazadas. Los estudios de vestronidasa alfa en animales no indican ningún efecto perjudicial directo o indirecto sobre la preñez o el desarrollo embrionario o fetal. Como medida preventiva, es preferible evitar el uso de Mepsevii (Vestronidasa alfa) durante el embarazo a menos que su posible beneficio para la madre supere los posibles riesgos teóricos para el feto. **Lactancia** No hay datos de estudios con mujeres lactantes. No se sabe si vestronidasa alfa se excreta en la leche humana; sin embargo, no se prevé que se produzca una exposición sistémica a través de la leche materna. Dada la falta de datos en seres humanos, Mepsevii (Vestronidasa alfa) deberá administrarse a una mujer lactante únicamente si su posible beneficio para la madre y el beneficio del amamantamiento del bebé superan los posibles riesgos teóricos para el bebé.

Fertilidad. No se dispone de datos en seres humanos sobre el efecto de vestronidasa alfa en la fertilidad. Los estudios de vestronidasa alfa en animales no indican ningún efecto de la administración de Mepsevii (Vestronidasa alfa) sobre la fertilidad de los machos o las hembras.

REACCIONES SECUNDARIAS Y ADVERSAS:

Resumen del perfil de seguridad. La evaluación de las reacciones adversas se basó en la exposición de 23 pacientes de 5 meses a 25 años de edad que participaron en 4 ensayos clínicos; los pacientes recibieron Mepsevii (Vestronidasa alfa) en dosis de hasta 4 mg/kg una vez cada 2 semanas durante un máximo de 132 semanas. Diecinueve de los pacientes eran menores de 18 años de edad. Las reacciones adversas más frecuentes observadas en 4 ensayos clínicos de pacientes tratados con Mepsevii (Vestronidasa alfa) fueron reacciones localizadas en el lugar de la infusión, como extravasación del lugar de la infusión (26.1%); reacciones asociadas a la infusión (RAI), incluidas las de tipo anafilactoide (13%); hinchazón del lugar de la infusión (8.7%); prurito (4.3%); diarrea (4.3%), y exantema (4.3%). No hubo muertes ni suspensiones del tratamiento a causa de reacciones adversas a lo largo de hasta 3 años y 2 meses de duración del tratamiento.

NÚMERO DE RECONOCIMIENTO DEL MEDICAMENTO ANTE LA SECRETARÍA.

Reconocimiento No: 203300EL870084

Acerca de Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Ultragenyx es una empresa biofarmacéutica comprometida con poner a disposición de los pacientes terapias novedosas para el tratamiento de enfermedades genéticas graves raras y ultrarraras. La empresa ha creado una cartera diversa de medicamentos aprobados y candidatos para tratamiento destinados a tratar enfermedades con una gran necesidad médica no cubierta y una biología clara, para las que normalmente no existen terapias aprobadas que traten la enfermedad subyacente.

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

Para más información sobre Ultragenyx, visite el sitio web de la empresa: www.ultragenyx.com/mx

Declaraciones a futuro y uso de medios digitales

A excepción de la información histórica contenida en el presente documento, los asuntos expuestos en este comunicado de prensa, incluidas las declaraciones relativas a las expectativas y proyecciones de Ultragenyx sobre sus futuros resultados operativos y su rendimiento financiero, las reducciones de costos o gastos previstas, el calendario, el progreso y los planes para sus programas clínicos y estudios clínicos, las futuras interacciones regulatorias, y los componentes y el calendario de las presentaciones regulatorias, son declaraciones a futuro enmarcadas dentro del significado de las disposiciones de “puerto seguro” de la Ley de Reforma de Litigios sobre Valores Privados de 1995. Dichas previsiones 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 a futuro. Dichos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otros, oportunidades de mercado menores a las previstas para los productos y candidatos a productos de la empresa, posibles demandas de responsabilidad civil por productos defectuosos, riesgos de fabricación, pérdida o incumplimiento de suministro por parte de cualquiera de los proveedores de una sola procedencia de la empresa para productos y sustancias farmacológicas, competencia con otras terapias o productos, capacidad de la empresa para gestionar con éxito su expansión, incluidas sus operaciones internacionales, incertidumbres relacionadas con la cobertura de los seguros y el reembolso de los productos aprobados de la empresa, y otras cuestiones que podrían afectar a la suficiencia de liquidez existente, los equivalentes de liquidez y las inversiones a corto plazo para financiar las operaciones, los futuros resultados operativos y financieros de la empresa, el calendario de las actividades de ensayos clínicos y la comunicación de los resultados de los mismos, así como la disponibilidad o el potencial comercial de los productos y fármacos candidatos de Ultragenyx. Ultragenyx no asume ninguna obligación de actualizar o revisar las declaraciones a futuro. Para obtener una descripción más detallada de los riesgos e incertidumbres que podrían causar que los resultados reales difieran de los expresados en estas declaraciones a futuro, así como los riesgos relacionados con el negocio de Ultragenyx en general, consulte el Informe Trimestral de Ultragenyx en el Formulario 10-Q presentado ante la Comisión de Bolsa y Valores el 4 de agosto de 2023, y los informes periódicos posteriores presentados ante la Comisión de Bolsa y Valores.

Además de sus declaraciones ante la Comisión de Bolsa y Valores y sus comunicados de prensa y conferencias telefónicas públicas, Ultragenyx utiliza su sitio web de relaciones con inversionistas y medios sociales para publicar información importante sobre la empresa, incluida la información que puede considerarse importante para los inversionistas, y para cumplir con sus obligaciones de divulgación en virtud de la Regulación FD. La información financiera y de otro tipo sobre Ultragenyx se publica de forma rutinaria y está disponible en el sitio web de relaciones con inversionistas de Ultragenyx (<https://ir.ultragenyx.com/>) y sus sitio web en LinkedIn (<https://www.linkedin.com/company/ultragenyx-pharmaceutical-inc-/>).

###

Contactos

Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Inversionistas

Joshua Higa

ir@ultragenyx.com

Medios

Jeff Blake

+1-415-612-7784

media@ultragenyx.com

Maribel Hernández

556-798-5160

maribel.hernandez@insightcomunicacion.com

Oficinas de Ultragenyx México

Av. Santa Fe No. 170. Piso 3-1-02

Colonia Santa Fe, Álvaro Obregón, CDMX 01376

Teléfono conmutador: +52 55 6826 9584