

## **Albireo, compañía de Ipsen, lanza odevixibat en España para la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC)**

- **Odevixibat es un novedoso inhibidor de IBAT, potente y altamente selectivo, que se administra por vía oral.**
- **Su indicación es para el tratamiento de la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) en pacientes de 6 meses o más edad.**
- **La PFIC es un grupo heterogéneo y poco frecuente de trastornos hepáticos de origen genético, que tiene una prevalencia estimada en Europa de 0.07/10.000 población<sup>(1)</sup>.**

**Barcelona, 27 de septiembre de 2023.-** Albireo, compañía de [Ipsen](#), biofarmacéutica global centrada en innovación y atención especializada, ha recibido la aprobación de financiación del Ministerio de Sanidad para Bylvay® (odevixibat), un fármaco para el tratamiento de la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC, según sus siglas en inglés). La PFIC es un grupo heterogéneo y poco frecuente de trastornos hepáticos de origen genético, que causan una enfermedad hepática progresiva debido al deterioro en el transporte biliar<sup>(1)</sup>.

Este fármaco es un novedoso inhibidor de IBAT, potente y altamente selectivo, que se administra por vía oral y que actúa localmente en el íleon distal para disminuir la recaptación de ácidos biliares, disminuyendo así el nivel de ácidos biliares séricos totales, y aumentar el aclaramiento de ácidos biliares a través del colon.

La PFIC se caracteriza por una aparición precoz de colestasis (generalmente durante la infancia) con prurito y mala absorción, que progresa rápidamente y acaba en insuficiencia hepática. Su impacto en la vida de los niños, así como en sus cuidadores y familias, es devastador.

Se estima que este trastorno afecta a uno de cada 50.000 a 100.000 niños nacidos en el mundo. En Europa, la prevalencia estimada es de 0.07/10.000 población<sup>(1)</sup>. La incidencia de PFIC en España estaría estimada entre 3 y 7 casos nuevos al año<sup>(2)</sup>.

Según el Dr. Rafael González de Caldas, gastroenterólogo pediatra del Hospital Universitario Reina Sofía de Córdoba y miembro del programa de trasplante hepático infantil de Andalucía, “la llegada de odevixibat supone una gran noticia para un grupo de pacientes que hasta ahora no disponían de ninguna opción terapéutica específica para tratar este trastorno hepático raro y, por tanto, también para los profesionales que les tratamos y cuidamos”. “Los tratamientos que hemos aplicado hasta

ahora estaban enfocados en mejorar los síntomas clínicos de la enfermedad, así como el tratamiento sintomático de las características extrahepáticas, como el prurito. Y hablamos de una enfermedad de rápida progresión, que en muchos casos requiere de tratamiento quirúrgico, como la derivación biliar externa parcial o incluso el trasplante de hígado. Por eso, creo que disponer ahora de esta opción es un avance muy importante para el tratamiento de los pacientes de PFIC, pues además ha demostrado en los ensayos clínicos el control de los síntomas de la enfermedad de manera muy satisfactoria”, ha explicado el Dr. Rafael González de Caldas.

Por su parte, Aurora Berra de Unamuno, directora general de Ipsen Pharma, ha señalado que “Nuestro compromiso es mejorar la calidad de vida de los pacientes en las áreas de oncología, neurociencias y enfermedades raras, y hoy es en el campo de las enfermedades raras donde hemos logrado un hito importante que da respuesta a una necesidad médica no cubierta. Estamos muy orgullosos de ser los primeros en poder ofrecer un tratamiento farmacológico innovador para los pacientes de PFIC”.

La aprobación de Bylvay® (odevixibat) se ha basado en los datos de dos ensayos clínicos de fase III: el estudio PEDFIC1<sup>(3)</sup>, realizado en pacientes pediátricos con PFIC1 o PFIC2, y en datos de eficacia a largo plazo del estudio PEDFIC2 que incluyó pacientes con cualquier tipo de PFIC. Los resultados pusieron de manifiesto la mejora de la concentración de ácidos biliares, así como la reducción significativa del prurito en todos los pacientes tratados, en comparación con los datos sobre el curso natural de la enfermedad en estos pacientes.

### **Acerca de la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC)**

La colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC, según sus siglas en inglés) es un grupo heterogéneo y poco frecuente de trastornos hepáticos de origen genético, que se estima afecta a uno de cada 50.000 a 100.000 niños nacidos en el mundo<sup>(1)</sup>. En base a los datos globales de epidemiología, la incidencia de PFIC en España estaría estimada entre 3 y 7 casos nuevos al año<sup>(2)</sup>.

La PFIC se caracteriza por una aparición precoz de colestasis (generalmente durante la infancia) con prurito y malabsorción, que progresa rápidamente y acaba en insuficiencia hepática. Su impacto en la vida de los niños, así como en sus cuidadores y familias, es devastador.

Puede clasificarse en varios subtipos según el defecto genético, teniendo diferentes presentaciones clínicas y características de laboratorio. Los tres subtipos principales son PFIC de tipo 1 (PFIC 1), tipo 2 (PFIC 2) y tipo 3 (PFIC 3).

El prurito es la principal causa de trasplante de hígado en los pacientes con PFIC, ya que aproximadamente el 58 % de los PFIC 1 y 2 son trasplantados debido al prurito intratable.

Los tratamientos disponibles actualmente son inespecíficos, y sirven para tratar los signos y síntomas clínicos de la enfermedad, incluido el apoyo nutricional, la administración de suplementos vitamínicos y el tratamiento sintomático de las características extrahepáticas como el prurito.

**Para más información:**

**IPSEN**

**Loreto González Goizueta**  
93 685 81 00  
[comunicacion.es@ipsen.com](mailto:comunicacion.es@ipsen.com)

**DUOMO COMUNICACIÓN**

**Borja Gómez**  
91 311 92 89 / 90  
[borja\\_gomez@duomocomunicacion.com](mailto:borja_gomez@duomocomunicacion.com)

**Sobre Ipsen**

Ipsen es una compañía biofarmacéutica global de tamaño medio centrada en medicinas innovadoras en oncología, enfermedades raras y neurociencias. Con unas ventas de más de 3.000 millones de euros en 2022, Ipsen comercializa medicamentos en más de 100 países. Junto con su estrategia de innovación externa, los esfuerzos de I+D de Ipsen se centran en sus plataformas tecnológicas diferenciadas e innovadoras ubicadas en los principales centros biotecnológicos y de ciencias de la vida: París-Saclay, Francia; Oxford, Reino Unido; Cambridge, EE. UU.; Shanghái, China. Ipsen cuenta con unos 5.000 colaboradores en todo el mundo y cotiza en la bolsa de París (Euronext: IPN) y en Estados Unidos, en el *American Depositary Receipt Program* patrocinado de nivel 1. Para más información, visita [ipsen.com](http://ipsen.com)

**Ipsen Pharma España** se encuentra ubicada en Hospitalet de Llobregat (Barcelona). En España, la compañía dispone de un sólido porfolio en oncología (riñón, próstata, tiroides y tumores neuroendocrinos), enfermedades raras (acromegalia, colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC), Síndrome de Turner y trastornos del crecimiento) y neurociencias (trastornos del movimiento). Para más información, visita [www.ipsen.com/Spain](http://www.ipsen.com/Spain)

---

**Referencias**

(1) Baker A et al. Clin Res Hepatol Gastroenterol. 2019;43(1):20–36. Available from:  
<http://dx.doi.org/10.1016/j.clinre.2018.07.010>

(2) Vitale G et al. Dig Liver Dis (2019).

(3) Lancet Gastroenterol Hepatol 2022. Published Online, June 30, 2022. [https://doi.org/10.1016/S2468-1253\(22\)00093-0](https://doi.org/10.1016/S2468-1253(22)00093-0)