

## Pfizer recibe una opinión positiva del CHMP sobre Sirolimus (Rapamune®) para tratar la linfangioleiomiomatosis esporádica (LAM)

- Se estima que de 30.000 a 50.000 pacientes en todo el mundo sufren linfangioleiomiomatosis esporádica (LAM)
- La LAM es una enfermedad pulmonar rara que presenta dificultad respiratoria progresiva inhibiendo el flujo de oxígeno
- Esta terapia demuestra el compromiso de Pfizer con los pacientes que padecen enfermedades raras

Madrid, 11 de julio de 2018.- Pfizer acaba de anunciar que el Comité de Productos Médicos para Uso Humano (CPMH) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA, por sus siglas en inglés) ha adoptado una opinión positiva, recomendando Sirolimus (Rapamune®) para el tratamiento de pacientes con linfangioleiomiomatosis esporádica (S-LAM). Si se aprueba, Sirolimus podría usarse para tratar una enfermedad pulmonar rara y progresiva. Esto haría que Rapamune® sea la primera terapia aprobada para estabilizar la función pulmonar en pacientes con LAM esporádica en la Unión Europea.

LAM es una enfermedad pulmonar rara y progresiva que presenta dificultad respiratoria, neumotórax recurrente y quistes de líquido quiloso. Mayoritariamente aparece en mujeres de edad fértil y es debida a la proliferación de células del músculo liso en los pulmones.

Este crecimiento celular puede causar que el tracto respiratorio se constriña gradualmente, inhibiendo así el flujo de oxígeno. Se estima que su prevalencia a nivel mundial, es de cinco casos por millón de personas. Esto sugeriría que hay de 30.000 a 50.000 pacientes en todo el mundo. Aproximadamente 1.600 pacientes en Europa han sido diagnosticadas con esta enfermedad rara<sup>1</sup>. En España, hasta la fecha, hay 94 casos incluidos en el Registro Nacional de Enfermedades Raras<sup>2</sup>.

*“Este es un hito importante para las pacientes de la Unión Europea que padecen esta enfermedad rara, linfangioleiomiomatosis esporádica (LAM). Estas pacientes actualmente no tienen una terapia aprobada, lo que demuestra nuestro compromiso continuo con los pacientes que padecen enfermedades raras en todo el mundo”, afirma Nuria Mir, directora médica del área de enfermedades raras en Pfizer España.*

La opinión positiva sobre Rapamune® para la terapia de la LAM esporádica se basa en los resultados del estudio MILES (en español: Multicentro Internacional sobre la eficacia de Sirolimus en la linfangioleiomiomatosis)<sup>3</sup>.

Este estudio incluyó 89 pacientes de LAM con disfunción pulmonar moderada, la mayoría de las cuales tenía LAM esporádica. Las pacientes tratadas con Rapamune® durante un año experimentaron una estabilización de la función pulmonar (medida por el volumen espiratorio forzado en un segundo, FEV1) versus placebo.

Las reacciones adversas observadas en este ensayo fueron consistentes con el perfil de seguridad conocido en los pacientes con trasplante renal que recibieron Rapamune®.

### Sobre Rapamune®.

Rapamune® es un agente inmunosupresor aprobado en Europa desde 2001 para la profilaxis del rechazo de órganos en pacientes adultos con trasplante de riñón con un riesgo inmunológico bajo o moderado.<sup>4</sup>

### Pfizer y las Enfermedades Poco Frecuentes

Durante más de dos décadas, la compañía biomédica Pfizer ha trabajado en la investigación y el desarrollo de tratamientos para responder a las necesidades médicas no cubiertas de aquellas personas que conviven con patologías poco frecuentes. Hoy, Pfizer se sitúa entre las tres primeras compañías farmacéuticas por su actividad en esta área y se encuentra en el camino de liderar a medio-largo plazo los avances en terapia génica.

A través de la Unidad de Investigación en Enfermedades Raras, la planta biotecnológica de Pfizer en San Sebastián de los Reyes y del Grupo de Enfermedades Poco Frecuentes, Pfizer aplica toda su experiencia en el desarrollo y distribución de nuevos tratamientos para estas enfermedades poco frecuentes en distintas áreas, entre las que destacan hematología, neurología, endocrinología, distrofias musculares, neumología y oncología. Gracias a la colaboración con universidades, centros de investigación y asociaciones de pacientes, Pfizer ofrece hoy 22 tratamientos aprobados en todo el mundo para estas patologías.

### Referencias:

1. Wirtz H; Lymphangiomyomatosis. ZentralblChir138(Suppl 1):59–74
2. Registro Nacional De Enfermedades Raras Del Instituto De Salud Carlos III. <https://registoraras.isciii.es/Comun/Inicio0.aspx> , acceso el 10 de julio de 2018.
3. McCormack FX, Inoue Y, Moss J, Singer LG, Strange C, Nakata K, et al. Efficacy and safety of sirolimus in lymphangiomyomatosis. N Engl J Med. 2011;364(17):1595-606
4. Ficha técnica de Rapamune, Febrero 2017

### Para más información:

#### Pfizer Comunicación

Ana Luzuriaga - 91 490 97 41  
[Ana.Luzuriaga@pfizer.es](mailto:Ana.Luzuriaga@pfizer.es)

#### Ketchum

Guadalupe Sáez/ Verónica Ojeda 91 788 32 00  
[Guadalupe.saez@omnicomprgroup.com](mailto:Guadalupe.saez@omnicomprgroup.com)  
[Veronica.ojeda@omnicomprgroup.com](mailto:Veronica.ojeda@omnicomprgroup.com)