



## Pfizer lanza en España una nueva indicación para Rapamune<sup>®</sup>, el único tratamiento farmacológico con eficacia demostrada en LAM

- Sirolimus se ha asociado con una reducción de los síntomas y con una mejora en la calidad de vida de pacientes afectadas por linfangioleiomiomatosis (LAM)<sup>1</sup>
- La linfangioleiomiomatosis es una enfermedad pulmonar rara que afecta a mujeres y produce quistes que afectan a vías aéreas, vasos linfáticos y sanguíneos
- En España, la LAM tiene una prevalencia estimada de 1 de cada 100.000 mujeres<sup>2</sup>

Madrid, 20 de octubre de 2020 – Pfizer ha anunciado el lanzamiento de una nueva indicación de Rapamune<sup>®</sup> (sirolimus), el único tratamiento farmacológico que ha demostrado eficacia en el tratamiento de pacientes con linfangioleiomiomatosis esporádica con enfermedad pulmonar moderada o deterioro de la función pulmonar.

La linfangioleiomiomatosis es una enfermedad pulmonar poco frecuente y de causa desconocida que afecta casi exclusivamente a mujeres, por lo general, en edad fértil. Se caracteriza por un crecimiento anómalo de células musculares lisas atípicas (células LAM) a nivel pulmonar. La proliferación de estas células LAM provoca la formación de quistes o bullas que afectan a las vías aéreas, vasos linfáticos y sanguíneos, de modo que destruyen progresivamente el tejido pulmonar sano y éste va perdiendo su función. Se calcula que afecta a 1 de cada 400.000 mujeres adultas y, en España, se estima que tiene una prevalencia de 1 de cada 100.000 mujeres<sup>2</sup>.

Rapamune<sup>®</sup> es un conocido fármaco inmunosupresor que actúa mediante la inhibición de la vía mTOR activada. Como consecuencia, inhibe también la proliferación anómala de las células LAM, y estabiliza así la función pulmonar.

El estudio MILES (*Efficacy and safety of sirolimus in lymphangiomyomatosis*), publicado en la revista *The New England Journal of Medicine*, ha mostrado que las pacientes tratadas con sirolimus presentaron mejoría desde el inicio del tratamiento hasta los 12 meses de tratamiento, en comparación con el grupo placebo. Además, estabilizó la función pulmonar y redujo los niveles de VEGF-D plasmáticos. Sirolimus se asoció con una reducción de los síntomas y con una mejora en la calidad de vida.**Error! Marcador no definido..**

**Nuria Mir, directora médica de la Unidad de Enfermedades Raras de Pfizer**, ha declarado que *“la investigación de nuevas terapias para los pacientes con enfermedades raras es una de nuestras grandes prioridades”*. Ha añadido que *“con este tratamiento no solo aportamos una nueva opción terapéutica, sino también una mejora en la calidad de vida en parte de los pacientes”*.

Con la incorporación de esta nueva indicación de Rapamune® al Sistema Nacional de Salud, Pfizer consolida su presencia en el área de enfermedades raras y refuerza su compromiso con los pacientes ofreciendo una nueva opción terapéutica.

### **Pfizer en Enfermedades Raras**

Las enfermedades raras incluyen algunas de las más graves de todas las enfermedades y afectan a millones de pacientes en todo el mundo, lo que representa una oportunidad para aplicar nuestros conocimientos y experiencia para ayudar a tener un impacto significativo en la atención de las necesidades médicas no cubiertas. El enfoque de Pfizer en enfermedades raras se basa en más de dos décadas de experiencia, una unidad de investigación dedicada a las enfermedades raras y una cartera mundial de múltiples medicamentos dentro de una serie de áreas de enfermedades de interés, incluyendo la hematología, la neurociencia y los trastornos metabólicos hereditarios.

Pfizer en Enfermedades Raras combina una ciencia pionera y un profundo conocimiento de cómo funcionan las enfermedades con los conocimientos de colaboraciones estratégicas innovadoras con investigadores académicos, pacientes y otras empresas para ofrecer tratamientos y soluciones transformadoras. Innovamos cada día aprovechando nuestra huella global para acelerar el desarrollo y la entrega de medicamentos innovadores y la esperanza de curar.

Pulsa este [enlace](#) para saber más sobre nuestra cartera de enfermedades raras y cómo capacitamos a los pacientes, involucramos a las comunidades en nuestros programas de desarrollo clínico y apoyamos los programas que aumentan la conciencia de la enfermedad.

### **Pfizer, innovaciones que cambian la vida de los pacientes®**

Pfizer, como compañía biomédica que trabaja para mejorar la salud de las personas, se dedica al desarrollo de terapias y vacunas innovadoras para curar y prevenir enfermedades o aliviar sus síntomas. Con una trayectoria de más de 170 años, Pfizer mantiene su compromiso con la sociedad y apuesta por la I+D para dar respuesta a las necesidades médicas de hoy y del mañana. El avance de la ciencia y la tecnología, así como su aplicación médica, exige colaborar con todos los implicados para maximizar la cartera de medicamentos y que la innovación farmacéutica llegue a todas las personas que la necesitan de manera rápida, asequible, fiable y con transparencia, de acuerdo a los más altos estándares de calidad y seguridad. Para más información [www.pfizer.es](http://www.pfizer.es)

#### **Pfizer Comunicación**

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

#### **Ogilvy**

Cristina Hernández  
[cristina.hernandez@ogilvy.com](mailto:cristina.hernandez@ogilvy.com)

Ana García – 914512116  
[ana.garcia@ogilvy.com](mailto:ana.garcia@ogilvy.com)

Paula Malingre – 91 451 21 28  
[paula.malingre@ogilvy.com](mailto:paula.malingre@ogilvy.com)

<sup>1</sup> McCormack FX., Inoue Y., Moss J., Singer LG., Strange C., Nakata K., et al. Efficacy and Safety of Sirolimus in Lymphangioliomyomatosis. N Engl J Med 2011;364(17):1595-1606.

<sup>2</sup> AELAM. QUÉ ES LAM. Revisado en octubre 2020 de <http://www.aelam.org/about>