

## Pfizer administra marstacimab, una molécula anti-TFPI en investigación, al primer participante del ensayo clínico de Fase 3 para pacientes con Hemofilia A y B grave con o sin inhibidores

- Los resultados del estudio fase 2 demostraron que marstacimab reduce significativamente la tasa anualizada de sangrado en todos los participantes

Madrid, 22 de diciembre de 2020.- Pfizer ha anunciado que ha administrado marstacimab (PF-06741086), un anticuerpo contra el inhibidor de la vía del factor tisular (anti-TFPI, por sus siglas en inglés), al primer participante del estudio de fase 3, BASIS, para evaluar este tratamiento en pacientes con hemofilia A y B grave, con o sin inhibidores.

BASIS es un estudio de fase 3 global, abierto y multicéntrico que evaluará la tasa de sangrado anualizada (ABR, por sus siglas en inglés) durante 12 meses de marstacimab, una nueva terapia subcutánea en investigación en adolescentes y adultos con hemofilia A o B, como tratamiento profiláctico comparada con un periodo de observación previo en terapia de reemplazo con factores de coagulación FVIII o FIX, respectivamente, o terapia de bypass. La variable principal de valoración es el impacto en ABR durante doce meses tras el tratamiento profiláctico de marstacimab. También se evaluará la incidencia y la gravedad de los eventos trombóticos.

*“Nuestro enfoque en los estudios en hemofilia incluye la investigación de múltiples mecanismos para ayudar a abordar las necesidades de los pacientes con hemofilia, ya sea hemofilia A o B, con o sin inhibidores; y abordar el TFPI nos proporciona un nuevo enfoque para mejorar la coagulación”, ha declarado **Brenda Cooperstone, directora de Desarrollo de Terapias de Enfermedades Raras de Pfizer.** “Basándonos en los resultados obtenidos hasta la fecha, en el estudio de fase 2, marstacimab puede ofrecer un mejor control de las hemorragias mediante una inyección subcutánea y eliminar potencialmente la necesidad de un reemplazo de factor profiláctico, proporcionando una opción de tratamiento mejorada en comparación con la terapia de reemplazo de factor”.*

Los resultados del estudio fase 2 ya completado demostraron que el tratamiento con marstacimab mostró una reducción significativa en ABR (>75%) en la población de estudio. Se siguió a los pacientes durante el estudio en extensión a largo plazo, demostrando una eficacia sostenida de hasta 12 meses, y ningún evento trombótico o adverso grave relacionado con el tratamiento en 20 participantes que recibieron semanalmente de marstacimab subcutáneo a dosis iguales o superiores a la que se estudiará en el ensayo pivotal de fase 3 de BASIS (300 mg de carga subcutánea seguidos de 150 mg subcutáneos semanales).

### **Sobre el estudio BASIS**

BASIS es un estudio fase 3 global, abierto y multicéntrico que evalúa la tasa anualizada de sangrado durante 12 meses en el tratamiento con marstacimab, una nueva opción terapéutica subcutánea, en, aproximadamente, 145 participantes adolescentes y adultos entre 12 y 75 años con hemofilia A o B grave (definido como actividad del factor VIII o del factor IX <1%, respectivamente), con o sin inhibidores. Alrededor del 20% de los participantes serán adolescentes entre 12 y 18 años. Es un estudio comparativo entre el periodo de observación de 6 meses en el que se recibe la terapia prescrita habitualmente para el paciente, ya sea factor de coagulación de reemplazo o la terapia de bypass, con otra de tratamiento activo de 12 meses, cuyos participantes recibirán marstacimab en profilaxis (300 mg de carga subcutánea seguidos de 150 mg subcutáneos semanalmente) con posibilidad para un aumento de la dosis a 300 mg una vez por semana.

### **Sobre marstacimab (PF-06741086)**

Marstacimab (PF-06741086) es un isotipo de inmunoglobulina G monoclonal humano, subtipo 1 (IgG1) que aborda al dominio Kunitz 2 del inhibidor de la vía del factor tisular (TFPI). Marstacimab se está desarrollando como tratamiento profiláctico para prevenir o reducir la frecuencia de los episodios hemorrágicos en pacientes con hemofilia A o B grave (definida como actividad del factor VIII o del factor IX <1%, respectivamente) con o sin inhibidores.

### **Sobre la hemofilia**

La hemofilia es una enfermedad hematológica rara de carácter hereditario que produce una insuficiencia en la proteína necesaria para la normal coagulación de la sangre; el factor de coagulación VIII en hemofilia A y el factor IX en hemofilia B. La gravedad de la hemofilia que tiene cada persona está determinada por la cantidad del factor en la sangre. A menor cantidad del factor, es más probable que el sangrado provoque problemas serios de salud. La hemofilia A se presenta en, aproximadamente, uno de cada 5.000-10.000 varones en el mundo, mientras que la incidencia de la hemofilia B es de un varón por cada 25.000. Para los pacientes con hemofilia, hay un mayor riesgo de sangrado espontáneo, así como sangrados tras lesiones o cirugías. Es una enfermedad crónica que requiere un control constante y terapia.

### **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)