



Ya está disponible en España ▼ VYNDAQEL® 61 mg (tafamidis), el primer tratamiento para la amiloidosis cardiaca por transtiretina

- Es el primer y único tratamiento aprobado para pacientes con amiloidosis cardiaca por transtiretina, una enfermedad rara, infradiagnosticada, que afecta al corazón, causando insuficiencia cardiaca progresiva
- El ensayo clínico de VYNDAQEL® (tafamidis) demostró reducir un 30% el riesgo de mortalidad por cualquier causa y un 32% la tasa de hospitalizaciones por causas cardiovasculares¹
- España ha participado en el desarrollo clínico de VYNDAQEL® (tafamidis)

Madrid, 7 de junio de 2023.- VYNDAQEL® 61 mg (tafamidis) ya está disponible en España. Se trata del primer y único tratamiento aprobado en nuestro país para pacientes con amiloidosis por transtiretina nativa o hereditaria en pacientes adultos con miocardiopatía (ATTR-CM, por sus siglas en inglés)², una patología que tiene una supervivencia media, tras el diagnóstico, de entre 2,5 y 3,6 años¹.

Hasta el momento, en España solo estaba disponible la presentación de VYNDAQEL® 20 mg (tafamidis meglumina) para el tratamiento de la amiloidosis por transtiretina en pacientes adultos con polineuropatía sintomática (ATTR-PN, por sus siglas en inglés) en estadio 1 para retrasar la alteración neurológica periférica³.

“Esta aprobación supone un gran avance para todos los pacientes de amiloidosis por transtiretina nativa o hereditaria con miocardiopatía en nuestro país, ya que, hasta el momento, no había opciones de tratamiento, más allá de aquellos que hacían frente a los síntomas que podían desencadenar la enfermedad”, ha explicado el **director Médico de Pfizer España, José Chaves**. Además, ha señalado que *“esta aprobación llega después de años de investigación. Una clara muestra de la apuesta decidida que hace Pfizer por desarrollar tratamientos innovadores que mejoren la vida de todos los pacientes que sufren enfermedades raras”*.

Por su parte, el **Dr. José González Costello, cardiólogo especialista en amiloidosis ATTR del Hospital Universitario de Bellvitge**, ha valorado positivamente esta autorización porque *“va a mejorar notablemente el abordaje de la enfermedad”*. *“Los pacientes van a poder beneficiarse de este avance tan importante, que ya ha demostrado en sus ensayos clínicos una reducción del riesgo de mortalidad y de la frecuencia de hospitalizaciones por causas cardiovasculares”,* ha recalcado.

España ha formado parte del desarrollo clínico de VYNDAQEL® (tafamidis), con la participación dos centros en el reclutamiento de pacientes.

La amiloidosis cardiaca por transtiretina, una enfermedad letal

La amiloidosis cardiaca por transtiretina (ATTR-CM) es una enfermedad letal e infradiagnosticada que se calcula que afecta a 3 de cada 10.000 habitantes. Esta se produce cuando la proteína transtiretina (TTR) se deposita de forma anormal en órganos como el corazón. Esta anomalía provoca un aumento de la rigidez del músculo cardíaco, dificultando su



funcionamiento y desencadenando una insuficiencia cardiaca. Estos depósitos de proteína también pueden darse en otras partes del corazón como en el sistema eléctrico o valvular, lo que provoca arritmias o enfermedades valvulares⁵.

Dentro de esta patología existen dos subtipos: la enfermedad hereditaria (ATTRv), causada por una mutación en el gen *TTR*; y la nativa o *wild type* (ATTRwt). Esta se presenta con la edad y no tiene origen genético⁵.

En cuanto a los síntomas, estos varían según el estadio de la enfermedad y las estructuras del corazón afectadas. Con mayor frecuencia, se presentan síntomas como insuficiencia cardiaca y dificultad para respirar debido a la incapacidad del corazón para bombear la sangre a todo el organismo⁵.

También pueden aparecer fatiga y debilidad muscular, retención de líquidos, tos seca al tumbarse o ahogo súbito, entre otras manifestaciones. En este sentido, los expertos señalan que los pacientes pueden notar palpitaciones, episodios de mareos sobre todo al levantarse bruscamente de la silla o de la cama e incluso episodios de pérdida del conocimiento.

Reducción del riesgo de mortalidad y hospitalización

La aprobación de VYNDAQEL[®] 61 mg se basa en los resultados positivos obtenidos en el ensayo fase III ATTR-ACT, el primer ensayo clínico global, doble ciego, aleatorio y comparado con placebo que ha estudiado un medicamento para el tratamiento de la ATTR-CM¹.

El resultado primario del estudio demostró que había una reducción significativa en la combinación jerárquica de la mortalidad por cualquier causa y la frecuencia de hospitalizaciones por causas cardiovasculares en comparación con placebo, durante un período de 30 meses en pacientes con ATTR-CM de tipo nativo o hereditario ($p < 0,001$)¹.

Este ensayo clínico comparó a los pacientes que recibieron una dosis diaria oral de tafamidis meglumina (20 mg u 80 mg) con los que recibieron placebo. Además, dentro de los componentes individuales de este análisis primario, se demostró también una reducción del riesgo de mortalidad por cualquier causa del 30% ($p = 0,0259$)² y de la frecuencia de hospitalizaciones por causas cardiovasculares del 32% ($p < 0,0001$)², respectivamente, con VYNDAQEL[®] en comparación con el placebo^{1,2}.

En este estudio también se demostró que VYNDAQEL[®] redujo significativamente el deterioro en la capacidad funcional (medida por el test de la marcha de los seis minutos, 6MWT en inglés) y en la calidad de vida de los pacientes (medida por el Cuestionario de Miocardiopatía de Kansas City, KCCQ-OS en inglés)¹.

Los resultados señalan que VYNDAQEL[®] fue bien tolerado en este estudio. La frecuencia de eventos adversos en los pacientes tratados con VYNDAQEL[®] fue similar a placebo. La cápsula de 61 mg de tafamidis fue desarrollada para la comodidad del paciente, porque permitía la administración diaria del tratamiento con una sola cápsula. La aprobación también se basa en su bioequivalencia^{2,6}. Los datos obtenidos de una evaluación de la presentación de tafamidis ácido libre de 61 mg, demostró que una cápsula de Vyndaqel[®] 61 mg (tafamidis ácido libre) es bioequivalente[†] a 80 mg de tafamidis meglumina, pero no son intercambiables por mg. La seguridad de la dosis de 61 mg no fue evaluada en el estudio ATTR-ACT^{1,2,6}.

VYNDAQEL[®] dispone también de datos a largo plazo (5 años) donde ha demostrado mantener su perfil de seguridad y eficacia reduciendo la mortalidad por cualquier causa⁷.

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.

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

Pfizer Comunicación

Ana Luzuriaga – 91 490 97 41

ana.Luzuriaga@pfizer.com

Ogilvy

Judith Velasco – 682 063 489

judith.velasco@ogilvy.com

Ana García – 650 566 741

ana.garcia@ogilvy.com

[▼] Este medicamento está sujeto a seguimiento adicional, es prioritaria la notificación de sospechas de reacciones adversas asociadas a este medicamento.

1. Maurer MS, et al. Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. N Engl J Med. 2018 Sep 13;379(11):1007-1016
 2. Ficha técnica de Vyndaqel® 61 mg
 3. Ficha técnica de Vyndaqel® 20 mg
 4. Documento de evaluación de Vyndaqel® 61 mg elaborado por el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA). Disponible en: https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/vyndaqel-h-c-2294-x-0049-q-epar-assessment-report_en.pdf
 5. González-López E, et al. Diagnóstico y Tratamiento de la Amiloidosis Cardíaca por Transtiretina. Progreso y Esperanza. Rev Esp Cardiol 2017 Nov;70(11):991-1004
 6. Lockwood PA, et al. The bioequivalence of tafamidis 61-mg free acid capsules and tafamidis meglumine 4 x 20-mg capsules in healthy volunteers. Clin Pharmacol Drug Dev. 2020;9(7):849-854
 7. Elliott P, et al. Long-Term Survival With Tafamidis in Patients With Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. Circ Heart Fail. 2022 Jan;15(1):e008193
- † La bioequivalencia se determinó mediante los criterios predefinidos con un intervalo de confianza del 90%, un límite de bioequivalencia del 80% al 125% para el área bajo la curva (AUC) de tafamidis y la concentración plasmática máxima (C_{máx}) tras la administración diaria oral repetida durante 7 días^{2,6}