



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

- La amiloidosis cardiaca por transtiretina (ATTR-CM) es una enfermedad rara que se estima afecta a 3 de cada 10.000 habitantes, que está infradiagnosticada y que es letal
- VYNDAQEL® 61 mg (tafamidis) es el primer y único tratamiento aprobado para esta patología que afecta al corazón, causando insuficiencia cardiaca progresiva
- España ha participado en el desarrollo clínico de VYNDAQEL® (tafamidis)

**Madrid, 7 de junio de 2023.**- Ya está disponible en España el primer y único tratamiento aprobado en nuestro país para pacientes adultos con amiloidosis cardiaca por transtiretina (ATTR-CM, por sus siglas en inglés), VYNDAQEL® 61 mg (tafamidis)<sup>1</sup>. Se trata de una enfermedad rara que afecta al corazón de 3 de cada 10.000 habitantes<sup>2</sup>, causando insuficiencia cardiaca progresiva. Es una enfermedad que está infradiagnosticada y que es letal. Tiene una supervivencia media, tras el diagnóstico, de entre 2,5 y 3,6 años<sup>3</sup>.

La amiloidosis cardiaca por transtiretina (ATTR-CM) 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 valvulares<sup>4</sup>.

Dentro de esta patología existen dos subtipos: la enfermedad hereditaria causada por una mutación en un gen; y la nativa que se presenta con la edad y no tiene origen genético<sup>4</sup>.

Los síntomas varían según el estadio de la enfermedad y las estructuras del corazón afectadas. Generalmente, se presenta insuficiencia cardiaca y dificultad para respirar, debido a la incapacidad del corazón para bombear la sangre a todo el organismo. Pero 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<sup>4</sup>.

*“Tener por fin una primera opción de tratamiento supone un gran avance para todos los pacientes de amiloidosis por transtiretina nativa o hereditaria, con miocardiopatía en nuestro país. Hasta la fecha, estos pacientes no contaban con ninguna posibilidad de tratamiento de la propia enfermedad, solo era posible abordar sus síntomas”,* ha explicado el **director Médico de Pfizer España, José Chaves**. *“Esta aprobación llega después de años de investigación. Una clara muestra de la apuesta decidida que hace Pfizer por encontrar 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



*“los pacientes van a poder beneficiarse de este avance tan importante como es contar con un tratamiento para la amiloidosis cardíaca por transtiretina, que ya ha demostrado en los ensayos clínicos una reducción del riesgo de mortalidad y del número de hospitalizaciones por problemas cardiovasculares; así como, una reducción significativa del deterioro de la capacidad funcional y la calidad de vida. También se evidenció un buen perfil de seguridad de VYNDAQEL® (tafamidis)<sup>1,3,5</sup>”.*

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

## **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](http://www.pfizer.es)

### **Pfizer Comunicación**

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

### **Ogilvy**

Judith Velasco – 682 063 489  
[judith.velasco@ogilvy.com](mailto:judith.velasco@ogilvy.com)  
Ana García – 650 566 741  
[ana.garcia@ogilvy.com](mailto: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. Ficha técnica de Vyndaqel® 61 mg
2. 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-g-epar-assessment-report\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/vyndaqel-h-c-2294-x-0049-g-epar-assessment-report_en.pdf)

3. Maurer MS, et al. Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. *N Engl J Med*. 2018 Sep 13;379(11):1007-1016
4. 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
5. Elliott P, et al. Long-Term Survival With Tafamidis in Patients With Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. *Circ Heart Fail*. 2022 Jan;15(1):e008193