



**Respuesta de ADVANZ PHARMA a la revocación por parte de la Comisión Europea de la autorización condicional de comercialización de OCALIVA® para la enfermedad rara de colangitis biliar primaria (CBP)**

- OCALIVA® es el único agonista del receptor farnesoide X (FXR) para pacientes con CBP y, hasta ahora, la única opción de tratamiento de segunda línea aprobada y disponible en Europa
- ADVANZ PHARMA está valorando todas las opciones para permitir el acceso continuado a los pacientes.

Londres, Reino Unido – 3 de septiembre de 2024: - ADVANZ PHARMA Holdco Limited ("ADVANZ PHARMA" o "la Compañía"), compañía farmacéutica con sede en el Reino Unido, anuncia hoy que la Comisión Europea (CE) ha revocado la autorización condicional de comercialización (CMA por sus siglas en inglés) de OCALIVA® (ácido obeticólico) en Europa para el tratamiento de segunda línea de pacientes con la enfermedad rara colangitis biliar primaria (CBP).

La decisión de la CE se basa en una recomendación de junio de 2024 del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) para revocar la CMA de OCALIVA® en toda Europa, tras un procedimiento del Artículo 20 no relacionado con la farmacovigilancia para reevaluar el perfil de beneficio-riesgo del medicamento en la CBP. Esto no se basó en ningún problema de seguridad.

ADVANZ PHARMA no está de acuerdo con la decisión de la CE, que deja a miles de pacientes con CBP que responden bien a OCALIVA® con un mayor riesgo de progresión de la enfermedad con opciones de tratamiento limitadas. Actualmente, la empresa está considerando todas las opciones para ayudar a garantizar el acceso continuado a OCALIVA®.

Steffen Wagner, director ejecutivo de ADVANZ PHARMA, declaró: *“Estamos totalmente en desacuerdo con la decisión de la Comisión Europea de retirar la autorización de comercialización condicional de OCALIVA®, el único agonista de FXR para pacientes con CBP y hasta ahora la única opción de tratamiento de segunda línea aprobada y disponible en Europa. La retirada de OCALIVA® podría tener un impacto profundamente negativo en las vidas de los miles de pacientes con CBP en toda Europa que se han beneficiado de este importante tratamiento durante muchos años. La decisión los pone en mayor riesgo de progresión de la enfermedad, incluido daño hepático grave, la necesidad de un trasplante de hígado o muerte”.*

*“Estamos comprometidos a apoyar a los pacientes con CBP y consideraremos todas las vías potenciales disponibles para mantener la disponibilidad de esta importante opción de tratamiento. Seguiremos trabajando con las autoridades pertinentes en toda la UE para garantizar que OCALIVA® siga estando disponible para los pacientes que lo necesiten”.*

La empresa sostiene que la recomendación del CHMP no consideró adecuadamente la totalidad de los datos disponibles que respaldan la eficacia y seguridad de OCALIVA® en la CBP, en particular, la gran cantidad de evidencia positiva del mundo real (RWE) obtenida a partir de más de siete años de uso en la práctica clínica que representan más de 47.000 años-paciente de experiencia en el tratamiento. En cambio, se basó en gran medida en un análisis basado en un único ensayo controlado con placebo aleatorizado, el Estudio 747-302 (COBALT), que tenía múltiples limitaciones, incluido el hecho de que los pacientes del grupo placebo, como era de esperar, eligieron cambiar a una terapia disponible comercialmente, pero que se exigió que se los analizara como pacientes tratados con placebo según la metodología de intención de tratar (ITT).

Los hallazgos del estudio COBALT publicados recientemente en el *American Journal of Gastroenterology*<sup>1</sup> ponen de relieve los desafíos de realizar estudios de resultados a largo plazo en enfermedades raras cuando las terapias están disponibles comercialmente.

La comunidad de pacientes, los principales expertos, los médicos y las sociedades científicas de hepatología y gastroenterología han planteado su preocupación a la CE de que la eliminación de OCALIVA® dejará a los pacientes sin una opción de tratamiento importante para esta enfermedad hepática rara potencialmente mortal. Todas las principales sociedades científicas recomiendan OCALIVA® como una opción de tratamiento de segunda línea en sus guías clínicas.

La EMA ha hecho referencia a la capacidad de ADVANZ PHARMA de continuar suministrando OCALIVA® en la Unión Europea en un acceso para uso compasivo o en un programa de pacientes designados para los pacientes actuales, según las leyes y regulaciones locales. ADVANZ PHARMA se compromete a apoyar a los pacientes y garantizará la disponibilidad de suministro según las disposiciones aprobadas por la autoridad competente nacional.

OCALIVA®, aprobado de forma condicional por la EMA en diciembre de 2016, era la única opción de tratamiento de segunda línea aprobada y disponible para pacientes con CBP en Europa. Como único agonista de FXR aprobado, OCALIVA® tiene un mecanismo de acción diferente al de otros tratamientos, lo que lo convierte en una opción importante para pacientes con CBP, una enfermedad en la que las modalidades de tratamiento ya son muy limitadas.

Los pacientes deben consultar a su médico si tienen alguna pregunta.

Para obtener más información, envíe un correo electrónico a [medicalinformation@advanzpharma.com](mailto:medicalinformation@advanzpharma.com).

---

1

[https://journals.lww.com/ajg/abstract/9900/cobalt\\_\\_a\\_confirmatory\\_trial\\_of\\_obeticholic\\_acid.1290.aspx](https://journals.lww.com/ajg/abstract/9900/cobalt__a_confirmatory_trial_of_obeticholic_acid.1290.aspx)

### **Acerca de OCALIVA® y la CBP**

La colangitis biliar primaria (CBP) es una enfermedad autoinmune rara, grave y progresiva que daña los conductos biliares del hígado. OCALIVA® es un comprimido recubierto que contiene ácido obeticólico (OCA), un agonista selectivo y potente del receptor farnesoide X (FXR) que regula las vías inflamatorias, fibróticas y metabólicas de los ácidos biliares y disminuye las concentraciones intracelulares de ácidos biliares en los hepatocitos. OCALIVA® está indicado para el tratamiento de la CBP en combinación con ácido ursodesoxicólico (UDCA) en adultos con una respuesta inadecuada al UDCA o como monoterapia en adultos que no toleran el UDCA.

### **Acerca de ADVANZ PHARMA**

ADVANZ PHARMA es una empresa farmacéutica mundial cuyo objetivo es mejorar la vida de los pacientes proporcionándoles y mejorando los medicamentos especializados, hospitalarios y para enfermedades raras de los que dependen. Nuestra sede está en Londres, Reino Unido. Realizamos ventas comerciales en más de 90 países de todo el mundo y contamos con presencia comercial directa en más de 20 países, incluidos países clave de Europa, EE.UU., Canadá y Australia, un Centro de Excelencia en Bombay (India), así como una red mundial consolidada de socios de distribución y comercialización.

La cartera de productos de ADVANZ PHARMA comprende medicamentos innovadores, especialidades genéricas y biosimilares, y marcas originales. Nuestros productos abarcan una amplia gama de áreas terapéuticas, como hepatología, gastroenterología, antiinfecciosos, cuidados intensivos, endocrinología, oncología, SNC y, más ampliamente, medicamentos para enfermedades raras. Nuestro objetivo es ser el socio de preferencia para la comercialización de medicamentos especializados, hospitalarios y para enfermedades raras en Europa, Canadá y Australia. En línea con nuestro objetivo, nos asociamos con empresas biofarmacéuticas y de desarrollo para llevar medicamentos a los pacientes.

Para obtener más información, visite nuestro [Sitio web](#) o [LinkedIn](#).

### **Para más información:**

#### **ATREVIA**

Nuria Monsó

Tel 627 78 69 99

[nmonso@atrevia.com](mailto:nmonso@atrevia.com)

Jaime Recarte

Tel 672 64 23 51

[jrecarte@atrevia.com](mailto:jrecarte@atrevia.com)