



## **La Comisión Europea concede la autorización de comercialización de Cerdelga® (eliglustat), el tratamiento oral de Genzyme para la enfermedad de Gaucher tipo 1**

**Madrid, 26 de Enero.**- ([BUSINESS WIRE](#)) -- [Genzyme](#), una empresa de Sanofi, ha anunciado que la Comisión Europea (CE) le ha concedido la autorización de comercialización del medicamento huérfano eliglustat 84 mg cápsulas, un tratamiento oral a largo plazo para pacientes adultos (metabolizadores lentos, intermedios o rápidos del citocromo CYP2D6) que padecen la enfermedad de Gaucher tipo 1. En una prueba genética de laboratorio confirmada se detectó que un número reducido de pacientes adultos metabolizaban eliglustat más rápidamente o a una velocidad sin determinar. En dichos pacientes el tratamiento con eliglustat no está indicado. En agosto de 2014, la Administración de Medicamentos y Alimentos estadounidense (U.S. Food and Drug Administration, FDA) autorizó el uso de eliglustat y, actualmente, otras autoridades regulatorias de todo el mundo están evaluando el medicamento. Se espera que eliglustat esté ya disponible durante 2015 en algunos países de la UE. Eliglustat es un potente análogo, altamente específico, de la ceramida, diseñado para inhibir la enzima glucosilceramida sintasa con una distribución tisular amplia, que abarca hasta la médula ósea. Reduce la producción de glucosilceramida, la sustancia que se acumula en las células y tejidos de las personas con la enfermedad de Gaucher tipo 1. Eliglustat está indicado en la Unión Europea para el tratamiento a largo plazo de pacientes adultos con la enfermedad de Gaucher tipo 1 (EG1) que sean metabolizadores lentos (ML), metabolizadores intermedios (MI) o metabolizadores rápidos (MR) del CYP2D6.

La reacción adversa a eliglustat notificada con más frecuencia es la diarrea, síntoma que ha experimentado aproximadamente el 6 % de los pacientes. En el estudio fundamental controlado con placebo se puso de manifiesto que la incidencia de la diarrea con placebo era igual o más elevada que con eliglustat. Menos del 2 % de los pacientes que recibieron eliglustat interrumpieron de forma permanente el tratamiento a causa de alguna reacción adversa.

Para otorgar su autorización, la CE se basó en los datos del programa de desarrollo clínico de eliglustat. Dicho programa de investigación clínica ha sido el más extenso de todos los realizados hasta la fecha sobre la enfermedad de Gaucher tipo 1, con aproximadamente 400 pacientes tratados en 29 países. El programa de desarrollo incluyó dos ensayos clínicos fundamentales de fase III.

En un primer ensayo de fase III controlado con placebo (ENGAGE, un estudio en pacientes con la enfermedad de Gaucher tipo 1 que no habían recibido tratamiento previo) se observaron progresos en cada uno de los siguientes criterios de valoración al cabo de 9 meses de tratamiento con eliglustat: tamaño del bazo, concentración de plaquetas, concentración de hemoglobina y volumen hepático. El segundo ensayo de fase III se diseñó para evaluar la estabilidad de la enfermedad en pacientes previamente tratados con un tratamiento de sustitución enzimática (ENCORE). Este ensayo cumplió los criterios especificados previamente de no inferioridad respecto a un tratamiento de sustitución enzimática (imiglucerasa), lo cual era un criterio de valoración combinado de cada uno de los siguientes parámetros: volumen esplénico, concentración de hemoglobina, recuento plaquetario y volumen hepático. Los pacientes inscritos en los estudios de registro continuaron recibiendo eliglustat en los períodos de ampliación y la mayoría de ellos se encuentran en el 4.º o 5.º año de tratamiento. En un estudio clínico de fase II en pacientes que no habían recibido tratamiento previo, eliglustat mostró tener un efecto positivo sobre los parámetros óseos, incluida la carga de médula ósea y la densidad ósea, que se mantuvo durante un período de al menos 4 años. La mayor parte de los pacientes que realizaron la fase II y que se inscribieron en el período de ampliación se encuentran en el 8.º año de tratamiento.

### **Acerca de la enfermedad de Gaucher**

La enfermedad de Gaucher es un trastorno hereditario que afecta a menos de 10 000 personas en todo el mundo. Las personas con la enfermedad de Gaucher presentan deficiencia de una enzima, la  $\beta$ -glucosidasa ácida (glucocerebrosidasa), que degrada un tipo concreto de molécula grasa. Como resultado, un tipo de células cargadas de lípidos (denominadas células de Gaucher) se acumulan en distintas partes del organismo, principalmente en el bazo, el hígado y la médula ósea. La acumulación de estas células de Gaucher puede causar un aumento del tamaño del bazo y el hígado, anemia, exceso de hemorragias y hematomas, osteopatía y una serie de signos y síntomas de otra índole. Generalmente, la forma más frecuente de la enfermedad de Gaucher, el tipo 1, no afecta al cerebro.

### **Acerca de eliglustat**

Eliglustat, un nuevo análogo de la glucosilceramida administrado por vía oral, se concibió para inhibir parcialmente la enzima glucosilceramida sintasa, lo que da lugar a una menor producción de glucosilceramida. La glucosilceramida es la sustancia que se acumula en las células y los tejidos de las personas que padecen la enfermedad de Gaucher. Este concepto fue desarrollado inicialmente por el Dr. Norman Radin, de la Universidad de Michigan, actualmente fallecido.

En los estudios preclínicos, la molécula, desarrollada con el Dr. James A. Shayman, también de la Universidad de Michigan, mostró una especificidad sobre la glucosilceramida sintasa. Después de un extenso programa de investigación preclínica y clínica inicial, se procedió al estudio de eliglustat en el programa clínico de fase III más extenso jamás realizado sobre la enfermedad de Gaucher.

Tras la autorización de comercialización por la CE, comenzará ahora la fase nacional para su aprobación y decisión sobre precio y financiación por el SNS en España. Mientras tanto, eliglustat solo estará disponible en el marco de la extensión de los ensayos clínicos mencionadas y/o de acuerdo a la legislación vigente sobre acceso a medicamentos en situaciones especiales.

#### **Acerca de Genzyme, a Sanofi Company**

Genzyme lleva más de 30 años liderando el desarrollo de tratamientos enfocados a las enfermedades raras y debilitantes. La combinación del compromiso hacia el paciente junto con una profunda base científica, nuestra tradición innovadora, la dedicación y el compromiso de nuestros empleados, distinguen a Genzyme como compañía. Centrando nuestro trabajo en las enfermedades raras y en la esclerosis múltiple, nos esforzamos por mejorar la vida de los pacientes a los que suministramos medicamentos y de sus familiares. Este es el objetivo que nos guía e inspira cada día. La cartera de tratamientos transformadores de Genzyme, comercializados en países de todo el mundo, representa avances innovadores en la medicina destinados a salvar vidas. Como empresa de Sanofi, Genzyme obtiene beneficios del alcance y los recursos de una de las mayores empresas farmacéuticas del mundo, con el compromiso común de mejorar las vidas de los pacientes. Para obtener más información, consulte [www.genzyme.com](http://www.genzyme.com).

Genzyme®, es una marca registrada.

#### **Acerca de Sanofi**

Sanofi, líder mundial de la industria de la salud, descubre, desarrolla y distribuye soluciones terapéuticas orientadas a las necesidades del paciente. Sanofi concentra sus esfuerzos en el campo de la salud con siete plataformas de crecimiento: soluciones para la diabetes, vacunas humanas, fármacos innovadores, salud del consumidor, mercados emergentes, salud animal y el nuevo Genzyme. Sanofi cotiza en la bolsa de París (EURONEXT: SAN) y en la de Nueva York (NYSE: SNY).

## **Declaraciones prospectivas de Sanofi**

*Esta nota de prensa contiene declaraciones prospectivas, según se definen en la Ley de Reforma de Litigios sobre Valores Privados de 1995 corregida. Las declaraciones prospectivas no son hechos históricos. Estas declaraciones incluyen proyecciones y estimaciones, así como las suposiciones subyacentes, declaraciones sobre planes, objetivos, intenciones y expectativas respecto a futuros resultados económicos, sucesos, operaciones, servicios, desarrollo y potencial de productos y declaraciones sobre rendimientos futuros. En general, las declaraciones prospectivas se identifican mediante las palabras “espera”, “prevé”, “cree”, “pretende”, “calcula”, “planea” y expresiones parecidas. Aunque la gestión de Sanofi cree que las expectativas que se reflejan en estas declaraciones prospectivas son razonables, se advierte a los inversores que la información y las declaraciones prospectivas están sujetas a diversos riesgos e incertidumbres, muchos de los cuales son difíciles de predecir y, en general, están fuera del control de Sanofi, y que podrían hacer que los resultados y evoluciones reales difirieran materialmente de los expresados, insinuados o previstos en la información y las declaraciones prospectivas. Estos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otras cosas, las incertidumbres inherentes a la investigación y desarrollo, futuros datos clínicos y análisis, incluidas las decisiones posteriores a la comercialización de las autoridades sanitarias, como la FDA o la EMA (European Medicines Agency [Agencia Europea de Medicamentos]), acerca de si se aprueba, y cuándo, un nuevo fármaco, dispositivo o aplicación biológica que puede presentarse para cualquier producto candidato, así como sus decisiones acerca de la ficha técnica y otras cuestiones que podrían afectar a la disponibilidad o el potencial comercial de estos productos candidatos, la ausencia de garantía de que los productos candidatos, si se aprueban, tengan éxito comercial, la aprobación y el éxito comercial de alternativas terapéuticas en el futuro, la capacidad del Grupo de beneficiarse de las oportunidades de crecimiento externo, las tendencias en los tipos de cambio y los tipos de interés vigentes, el impacto de las políticas de contención de gasto y los cambios posteriores, el número medio de acciones en circulación, así como los descritos o identificados en las presentaciones públicas ante la SEC (Securities and Exchange Commission [Comisión de Valores de los Estados Unidos]) y la AMF (Autorité des Marchés Financiers [Autoridad de Mercados Financieros]) realizadas por Sanofi, incluidos los enumerados en los apartados “Factores de riesgo” y “Declaración de advertencia acerca de las declaraciones prospectivas” en el informe anual de Sanofi en el formulario 20-F para el año que finalizó el 31 de diciembre de 2012. Aparte de lo exigido por la ley aplicable, Sanofi no asume obligación alguna de actualizar o revisar la información o declaraciones prospectivas.*

---

### **Contactos:**

#### **Alex Pérez Álvarez**

**E-mail:** alex.perezalvarez@sanofi.com

**Teléfono:** 93 485 90 84 / 607 662 651

#### **María Valdemoros Grijalba**

**E-mail:** maria.valdemoros@sanofi.com

**Teléfono:** 91 724 59 43/ 609 83 92 70