



15 de noviembre de 2017

Ultragenyx anuncia la aprobación por la FDA de MEPSEVII™ (vestronidasa alfa), la primera terapia para la Mucopolisacaridosis VII una enfermedad genética rara, progresiva y debilitante.

NOVATO, Calif., 15 de noviembre de 2017 (GLOBE NEWSWIRE) - Ultragenyx Pharmaceutical Inc. (NASDAQ: RARE), una compañía biofarmacéutica centrada en el desarrollo de productos novedosos para enfermedades raras y ultra raras, ha anunciado hoy que la Agencia Americana del Medicamento (FDA) ha aprobado MEPSEVII™ (vestronidasa alfa), el primer medicamento aprobado para el tratamiento de pacientes pediátricos y adultos con Mucopolisacaridosis VII (MPS VII, síndrome de Sly). MEPSEVII es una terapia de reemplazo enzimático diseñada para reemplazar la enzima lisosomal deficiente, beta-glucuronidasa en pacientes con MPS VII.

La aprobación de MEPSEVII supone un momento crucial para Ultragenyx y para los pacientes que sufren de enfermedades genéticas ultra raras para las cuales la inversión y el desarrollo de tratamientos no ha sucedido todavía", dijo Emil D. Kakkis, MD, Ph.D., director ejecutivo y presidente de Ultragenyx. "Nuestro programa de desarrollo buscó crear un nuevo paradigma en el diseño de estudios y parámetros de evaluación para ayudar a acomodar las dificultades de estudiar enfermedades ultra raras extremadamente heterogéneas y para cumplir la promesa de que la ciencia en la que todos hemos invertido durante muchos años se convierta en algo disponible para los pacientes. Me gustaría agradecer a los pacientes y a sus familias su participación en el programa clínico".

La MPS VII es un trastorno genético raro de almacenamiento lisosómico metabólico (LSD) causado por la deficiencia de beta-glucuronidasa, una enzima necesaria para la descomposición de los glicosaminoglicanos (GAG) Dermatan Sulfato, Condroitín Sulfato y Heparan Sulfato. Estos carbohidratos GAG complejos son un componente crítico de muchos tejidos. La incapacidad para descomponer apropiadamente los GAG conduce a una acumulación progresiva en muchos tejidos y da como resultado un daño multisistémico en los tejidos y los órganos. La MPS VII es uno de los trastornos MPS más raros, con un estimación de unos 200 pacientes en países desarrollados.

"Estoy entusiasmado de ver el avance de este tratamiento después de más de 40 años de trabajo. Gracias a Ultragenyx por hacerlo posible", dijo William S. Sly, presidente emérito del Departamento de Bioquímica de la Universidad de St. Louis. Espero que este tratamiento siga los ejemplos exitosos de otras terapias enzimáticas para enfermedades lisosomales y ayude a mejorar las vidas de los pacientes con esta rara enfermedad".

MEPSEVII™ (vestronidasa alfa-vjvk) fue evaluada por la FDA con Prioridad de Revisión, con procedimiento reservado para medicamentos que ofrecen avances importantes en el tratamiento o para proporcionar un tratamiento donde no existe una terapia adecuada.

Con esta aprobación, la FDA emitió un bono de Revisión de Prioridad de Enfermedad Minoritaria Pediátrica, que le otorga la revisión de prioridad a una solicitud de medicamento subsecuente que de otra manera no reuniría los requisitos para la revisión de prioridad. El programa de bonos de revisión de enfermedades pediátricas raras está diseñado para fomentar el desarrollo de nuevos medicamentos y productos biológicos para la prevención o el tratamiento de enfermedades raras pediátricas.

MEPSEVII estará disponible a finales de este mes en EE.UU.

Para ayudar a los pacientes, Ultragenyx ha lanzado UltraCare™, un servicio de soporte integral que brindará apoyo continuo a pacientes y cuidadores. UltraCare ayudará a los pacientes a obtener cobertura y ayuda financiera para la medicación y la administración de medicamentos. Las guías especializadas de UltraCare están disponibles de lunes a viernes de 9 a. m. A 8 p. m. hora estándar del este en 888-756-8657 para ayudar a los pacientes y a sus familias.

En Europa, la Agencia Europea del Medicamento (EMA) actualmente está revisando la Solicitud de Autorización de Comercialización (MAA) de vestronidasa alfa, y se espera una opinión del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) en el primer semestre de 2018

INDICACIÓN

MEPSEVII está indicado en pacientes pediátricos y adultos para el tratamiento de Mucopolisacaridosis VII (MPS VII, síndrome de Sly).

Limitaciones de uso

El efecto de MEPSEVII sobre las manifestaciones del sistema nervioso central de MPS VII no ha sido determinado.

INFORMACION DE SEGURIDAD IMPORTANTE

¿Cuál es la información más importante que debo saber sobre MEPSEVII?

- **Ha ocurrido una reacción alérgica severa llamada anafilaxis con el tratamiento con MEPSEVII, ya desde la primera dosis.**
- **Su médico lo vigilará de cerca, mientras recibe MEPSEVII y durante 60 minutos después de la inyección, para detectar síntomas de una reacción alérgica.**
- **Su médico suspenderá inmediatamente la infusión de MEPSEVII si experimenta anafilaxia.**
- Su médico debe hablar con usted sobre los signos y síntomas de la anafilaxia y sobre cómo obtener tratamiento médico si tiene síntomas después de salir de la consulta médica o del centro de tratamiento

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de MEPSEVII?

- Los efectos secundarios más comunes de MEPSEVII son:
 - Fugas de MEPSEVII a los tejidos circundantes durante la infusión
 - Diarrea
 - Erupción
 - Reacción alérgica severa (anafilaxia)
 - Inflamación del lugar de infusión
 - Hinchazón alrededor del lugar de la infusión
 - Picazón intensa de la piel
- Un paciente experimentó una convulsión durante una fiebre mientras tomaba MEPSEVII.

Antes de recibir MEPSEVII, informe a su médico sobre todas sus afecciones médicas, incluso si usted:

- está embarazada, cree que puede estarlo o planea quedar embarazada. No hay suficiente experiencia para saber si MEPSEVII puede dañar a su bebé no nato.
- están amamantando o planea amamantar. No hay suficiente experiencia para saber si MEPSEVII pasa a la leche materna. Hable con su médico sobre la mejor manera de alimentar a su bebé mientras recibe MEPSEVII.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de MEPSEVII. Llame a su médico para obtener información médica sobre los efectos secundarios.

Puede informar de los efectos secundarios a la FDA al (800) FDA-1088 o www.fda.gov/medwatch . También puede reportar efectos secundarios a Ultragenyx al 1-888-756-8657.

Consulte la [Información de prescripción](#) completa para obtener Información de seguridad adicional importante, incluidos los efectos secundarios graves.

Sobre Ultragenyx

Ultragenyx es una compañía biofarmacéutica que se compromete a ofrecer a los pacientes nuevas terapias para el tratamiento de enfermedades raras y ultra raras, con un enfoque en enfermedades genéticas graves y debilitantes. Fundada en 2010, la compañía ha construido rápidamente una cartera diversa de terapias aprobadas y de investigación para tratar enfermedades para las cuales la necesidad médica no satisfecha es alta, la biología para el tratamiento es clara y para las cuales no hay terapias aprobadas.

La compañía está dirigida por un equipo de gestión con experiencia en el desarrollo y la comercialización de terapias para enfermedades raras. La estrategia de Ultragenyx se basa en el desarrollo de medicamentos de bajo costo y tiempo, con el objetivo de brindar terapias seguras y efectivas a los pacientes con la mayor urgencia.

Para obtener más información sobre Ultragenyx, visite el sitio web de la compañía en www.ultragenyx.com .

Declaraciones prospectivas

Excepto por la información histórica contenida en este documento, las cuestiones establecidas en este comunicado de prensa, incluidas las declaraciones sobre los planes o expectativas de Ultragenyx con respecto a la disponibilidad de MEPSEVII, las interacciones regulatorias futuras y el momento potencial y el éxito de las solicitudes de aprobaciones regulatorias, son declaraciones prospectivas dentro del significado de las disposiciones "safe harbor" (salvaguardia) de la Ley de Reforma de Litigios de Valores Privados de 1995. Dichas declaraciones prospectivas implican riesgos e incertidumbres considerables que podrían causar que nuestros programas de desarrollo clínico, resultados futuros, desempeño o logros difieran significativamente de los expresados o implícito en las declaraciones prospectivas. Dichos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otras, las incertidumbres inherentes al proceso de desarrollo clínico de medicamentos, como el proceso de aprobación regulatoria, el calendario de nuestros registros regulatorios y otros asuntos que podrían afectar la suficiencia de efectivo existente, equivalentes de efectivo e inversiones a corto plazo para financiar operaciones y la disponibilidad o el potencial comercial de nuestros candidatos a medicamentos. Ultragenyx no asume la obligación de actualizar o revisar ninguna declaración prospectiva. Para una descripción más detallada de los riesgos e incertidumbres que podrían causar que los resultados reales difieran de los expresados en estas declaraciones prospectivas, así como los riesgos relacionados con el negocio de la empresa en general, consulte el Informe trimestral de Ultragenyx en el Formulario 10-Q presentado con la SEC el 3 de noviembre de 2017, y sus posteriores informes periódicos presentados ante la SEC.

Póngase en contacto con Ultragenyx Pharmaceutical Inc.
Inversores y medios
Danielle Keatley
415-475-6876