



**Ultragenyx anuncia la aprobación de Dojolvi® (triheptanoína) para su inclusión en el Compendio Nacional de Insumos para la Salud de México en el tratamiento de los trastornos de oxidación de ácidos grasos de cadena larga (LC-FAOD).**

Dojolvi® (triheptanoína) es la única terapia aprobada para este raro trastorno metabólico potencialmente mortal.

**CIUDAD DE MÉXICO**, 25 de enero de 2024 - Ultragenyx Pharmaceutical Inc, compañía biofarmacéutica dedicada al desarrollo y comercialización de tratamientos novedosos para enfermedades genéticas graves raras y ultra raras, anunció que Dojolvi® (triheptanoína), medicamento para el tratamiento de pacientes con trastornos de oxidación de ácidos grasos de cadena larga (LC-FAOD), ha sido incluido en el Compendio Nacional de Insumos para la Salud, según se publicó en el Diario Oficial de la Federación el 19 de diciembre de 2023.

"En Ultragenyx estamos comprometidos con ofrecer soluciones innovadoras que cambien la vida de los pacientes y en México hemos trabajado de cerca con las autoridades regulatorias y de salud para el acceso de nuestras terapias a quienes esperan un tratamiento que modifique el curso de su enfermedad, como es el caso de quienes viven con LC-FAOD. Con la inclusión de DOJOLVI® en el Compendio Nacional de Insumos para la Salud, las personas que viven con este trastorno tendrán acceso a una terapia que apoye el manejo de su enfermedad", dijo Nicolás Linares, VP & Director General de Ultragenyx México.

LC-FAOD son un grupo de trastornos genéticos raros en los que los pacientes son incapaces de metabolizar ciertos tipos de grasas para producir energía. Los pacientes pueden experimentar muchos síntomas, incluyendo fatiga, irritabilidad, hígado marcadamente agrandado, latidos cardíacos irregulares, insuficiencia cardíaca, bajo tono muscular y dolor muscular severo periódico causado por la descomposición muscular. Dojolvi® está aprobado como fuente alternativa de calorías y ácidos grasos para el tratamiento de pacientes pediátricos y adultos con LC-FAOD molecularmente confirmada.

## Referencias

- Conoce DOJOLVI. Disponible en <https://www.dojolvi.com/> Revisado el 4 de Enero de 2024
- Triheptanoin (Dojolvi): CADTH Reimbursement Recommendation. Disponible en <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37797090/> Revisado el 4 de Enero de 2024.
- Diario Oficial de la Federacion. Revisado el 4 de Enero de 2024

Acerca de las LC-FAOD

Las LC-FAOD son un grupo de trastornos genéticos autosómicos recesivos caracterizados por deficiencias metabólicas en las que el organismo es incapaz de convertir los ácidos grasos de cadena larga en energía. La incapacidad para producir energía a partir de las grasas puede provocar un importante agotamiento de la glucosa en el organismo y complicaciones graves, que pueden conducir a hospitalizaciones o a la muerte prematura. Otras opciones de tratamiento actuales para la LC-FAOD son evitar el ayuno, las dietas bajas en grasas y ricas en carbohidratos, la carnitina y el aceite de triglicéridos de cadena media (MCT), un producto alimenticio de uso médico.

Se estima que alrededor de 8.000 a 14 .000 (niños y adultos) en el mundo pueden presentar LC-FAOD. En varias zonas geográficas si incluye en el tamizaje de recién nacidos debido al riesgo y consecuencias graves , incluida la muerte durante los primeros años de vida.

Acerca de Dojolvi

Dojolvi es un triglicérido de cadena media impar, altamente purificado y de calidad farmacéutica, constituido por tres ácidos grasos de 7 carbonos en un esqueleto de glicerol mediante un proceso químico desarrollado en varios pasos. Está diseñado para proporcionar ácidos grasos de cadena media impar como fuente de energía y sustituto de metabolitos para personas con LC-FAOD.

Información para prescribir:

**INDICACIÓN:** Dojolvi está indicado como fuente de calorías y ácidos grasos para el tratamiento de pacientes pediátricos y adultos con trastornos de la oxidación de ácidos grasos de cadena larga (LC-FAOD) confirmados molecularmente.

**INFORMACIÓN IMPORTANTE SOBRE SEGURIDAD ADVERTENCIAS Y PRECAUCIONES**

**Disfunción en alimentación por sonda:** se ha notificado disfunción en la alimentación por sonda en pacientes que recibieron triheptanoína. No puede descartarse la contribución de Dojolvi. Dojolvi no debe administrarse por sondas de alimentación elaboradas con policloruro de vinilo (PVC). La sonda de alimentación debe controlarse regularmente para garantizar su correcto funcionamiento e integridad.

**Malabsorción intestinal en pacientes con insuficiencia pancreática:** La insuficiencia o ausencia de enzimas pancreáticas puede dar lugar a una absorción reducida de heptanoato, lo que a su vez conduce a una suplementación insuficiente de ácidos grasos de cadena media. Debe evitarse la administración de Dojolvi en pacientes con insuficiencia pancreática.

**REACCIONES ADVERSAS.**

**Gastrointestinales (GI):** Las reacciones adversas más frecuentes relacionadas con el sistema GI agrupadas en los Estudios 1 y 2 fueron: dolor abdominal (malestar abdominal, dolor abdominal, distensión abdominal, dolor abdominal superior, dolor GI) [60%], diarrea [44%], vómitos [44%] y náuseas [14%].

INTERACCIONES MEDICAMENTOSAS. Se debe evitar la coadministración con Inhibidores de la lipasa pancreática debido a la posible reducción del efecto clínico de Dojolvi.

USO EN POBLACIONES ESPECÍFICAS Embarazo y lactancia. No se dispone de datos sobre el uso de triheptanoína en mujeres embarazadas para evaluar el riesgo asociado al medicamento de defectos congénitos mayores, aborto espontáneo o resultados adversos maternos o fetales. Se aconseja a las mujeres que notifiquen los embarazos a Ultragenyx Pharmaceutical Inc. llamando al 1-888-756-8657 (EE.UU.) o a +52 55 28981255 (México).

No existen datos sobre la presencia de triheptanoína o sus metabolitos en la leche humana o animal, los efectos sobre el lactante alimentado con leche materna o los efectos sobre la producción de leche.

INFORMACIÓN DE ORIENTACIÓN AL PACIENTE El paciente o cuidador debe saber: Leer el etiquetado del producto emitido por COFEPRIS, que incluye información sobre la preparación, administración y almacenamiento adecuados por vía oral o por sonda de alimentación.

Inspeccionar periódicamente la sonda de alimentación para comprobar su correcto funcionamiento e integridad e informar al profesional de la salud si se detecta algún problema.

Conocer que la insuficiencia pancreática puede reducir el efecto clínico de Dojolvi y comunique al profesional de la salud cualquier insuficiencia pancreática conocida.

En México, puede reportar efectos secundarios a Ultragenyx Pharmaceutical Inc. usando el número local +52 5528981255 o por correo electrónico a [ultragenyx@primevigilance.com](mailto:ultragenyx@primevigilance.com), o a la FDA al 1-800-FDA-1088 o [www.fda.gov/medwatch](http://www.fda.gov/medwatch).

Por favor, consulte la Información de prescripción para médicos y el prospecto para pacientes para una discusión completa de los riesgos asociados con Dojolvi.

### **Acerca de Ultragenyx Pharmaceutical Inc.**

Ultragenyx es una empresa biofarmacéutica comprometida con poner a disposición de los pacientes terapias novedosas para el tratamiento de enfermedades genéticas graves raras y ultra raras. La empresa ha creado una cartera diversa de medicamentos aprobados y candidatos para tratamiento destinados a tratar enfermedades con una gran necesidad médica no cubierta y una biología clara, para las que normalmente no existen terapias aprobadas que traten la enfermedad subyacente.

La empresa está dirigida por un equipo directivo con experiencia en el desarrollo y la comercialización de terapias para enfermedades raras. La estrategia de Ultragenyx se basa en el desarrollo de fármacos eficientes en términos de tiempo y costes, con el objetivo de ofrecer terapias seguras y eficaces para los pacientes con la máxima urgencia.

Para más información sobre Ultragenyx, visite el sitio web de la empresa: [www.ultragenyx.com/mx](http://www.ultragenyx.com/mx)

### **Declaraciones a futuro y uso de medios digitales**

*A excepción de la información histórica contenida en el presente documento, los asuntos expuestos en este comunicado de prensa, incluyendo las declaraciones relativas a las expectativas y proyecciones de Ultragenyx sobre sus futuros resultados operativos y su rendimiento financiero, las reducciones de costos*

*o gastos previstas, el calendario, el progreso y los planes para sus programas clínicos y estudios clínicos, las futuras interacciones regulatorias, y los componentes y el calendario de las presentaciones regulatorias, son declaraciones a futuro enmarcadas dentro del significado de las disposiciones de “puerto seguro” de la Ley de Reforma de Litigios sobre Valores Privados de 1995. Dichas previsiones implican riesgos e incertidumbres sustanciales que podrían hacer que nuestros programas de desarrollo clínico, la colaboración con terceros, los resultados futuros, el rendimiento o los logros difieran significativamente de los expresados o implícitos en las declaraciones a futuro. Dichos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otros, oportunidades de mercado menores a las previstas para los productos y candidatos a productos de la empresa, posibles demandas de responsabilidad civil por productos defectuosos, riesgos de fabricación, pérdida o incumplimiento de suministro por parte de cualquiera de los proveedores de una sola procedencia de la empresa para productos y sustancias farmacológicas, competencia con otras terapias o productos, capacidad de la empresa para gestionar con éxito su expansión, incluidas sus operaciones internacionales, incertidumbres relacionadas con la cobertura de los seguros y el reembolso de los productos aprobados de la empresa, y otras cuestiones que podrían afectar a la suficiencia de liquidez existente, los equivalentes de liquidez y las inversiones a corto plazo para financiar las operaciones, los futuros resultados operativos y financieros de la empresa, el calendario de las actividades de ensayos clínicos y la comunicación de los resultados de los mismos, así como la disponibilidad o el potencial comercial de los productos y fármacos candidatos de Ultragenyx. Ultragenyx no asume ninguna obligación de actualizar o revisar las declaraciones a futuro. Para una descripción más detallada de los riesgos e incertidumbres que podrían causar que los resultados reales difieran de los expresados en estas declaraciones a futuro, así como los riesgos relacionados con el negocio de Ultragenyx en general, consulte el Informe Trimestral de Ultragenyx en el Formulario 10-Q presentado ante la Comisión de Bolsa y Valores el 3 de noviembre de 2023, y los informes periódicos posteriores presentados ante la Comisión de Bolsa y Valores.*

*Además de sus declaraciones ante la Comisión de Bolsa y Valores y sus comunicados de prensa y conferencias telefónicas públicas, Ultragenyx utiliza su sitio web de relaciones con inversionistas y medios sociales para publicar información importante sobre la empresa, incluida la información que puede considerarse importante para los inversionistas, y para cumplir con sus obligaciones de divulgación en virtud de la Regulación FD. La información financiera y de otro tipo sobre Ultragenyx se publica de forma rutinaria y está disponible en el sitio web de relaciones con inversionistas de Ultragenyx (<https://ir.ultragenyx.com/>) y su sitio web en LinkedIn (<https://www.linkedin.com/company/ultragenyx-pharmaceutical-inc-/mycompany/>).*

## **Contacts**

Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Investors

Joshua Higa

[ir@ultragenyx.com](mailto:ir@ultragenyx.com)

Media

Maribel Hernández

556-798-5160

[maribel.hernandez@insightcomunicacion.com](mailto:maribel.hernandez@insightcomunicacion.com)

Ultragenyx Mexico Offices

Av. Santa Fe No. 170. Piso 3-1-02

Colonia Santa Fe, Álvaro Obregón, CDMX 01376

Conmutador: +52 55 6826 9584

**MRCP-UX007-00815.01/2024**