



Ultragenyx anuncia la aprobación de Evkeeza® (evinacumab) por parte de la COFEPRIS para el tratamiento de la Hipercolesterolemia Familiar Homocigota (HoFH)

Evkeeza® es un medicamento primero en su clase para esta forma ultra rara y hereditaria de colesterol alto

Ciudad de México, México, 12 de marzo de 2025 — Ultragenyx México S. de R. L. de C. V., una empresa biofarmacéutica enfocada en el desarrollo y comercialización de terapias innovadoras para enfermedades genéticas raras y ultra raras, anuncia la aprobación regulatoria de Evkeeza® (evinacumab) en México. Evkeeza® ha sido aprobado por la Comisión Federal para la Protección contra Riesgos Sanitarios (COFEPRIS) para el tratamiento de adultos y pacientes pediátricos de 5 años en adelante diagnosticados con hipercolesterolemia familiar homocigota (HoFH).

La HoFH es la forma más rara de hipercolesterolemia familiar (HF), una condición genética que impide al organismo eliminar el exceso de colesterol C-LDL, conocido como "colesterol malo". Sin tratamiento, los pacientes con esta enfermedad corren el riesgo de desarrollar problemas cardiovasculares graves como infarto de miocardio y enfermedad de la válvula aórtica, así como xantomas tendinosos y cutáneos, lesiones caracterizadas por depósitos de grasa, entre otras comorbilidades en la primera y segunda década de vida.¹

"La aprobación de Evkeeza por parte de COFEPRIS marca un hito significativo en el tratamiento de la HoFH en México, brindando una nueva esperanza a los pacientes y sus familias que enfrentan los desafíos de esta enfermedad rara todos los días. Nos enorgullece que México lidere a nivel global al ser el primer país con pacientes comerciales en los cuatro medicamentos aprobados en el portafolio de Ultragenyx, lo que refuerza nuestro compromiso con transformar la vida de los pacientes con enfermedades raras y ultra raras. Agradecemos la disposición de las autoridades mexicanas para traer tratamientos innovadores al país y abordar las necesidades de la comunidad de enfermedades raras", afirmó Nicolás Linares, Vicepresidente y Gerente General de Ultragenyx México.

Evkeeza® actúa como complemento a la dieta y otras terapias reductoras del colesterol C-LDL para disminuir sus niveles. Este anticuerpo monoclonal se administra por infusión intravenosa una vez al mes (cada cuatro semanas) y funciona como un inhibidor de la angiopoyetina-3 (ANGPTL3), una proteína que regula los niveles de colesterol en la sangre.

"La hipercolesterolemia familiar homocigota es una condición que pone en riesgo la vida y afecta a las personas desde una edad temprana. Los niños diagnosticados con esta condición viven con

la constante preocupación de enfrentar complicaciones fatales a una edad temprana. La introducción de Evkeeza® ofrece una nueva esperanza al reducir significativamente los niveles de colesterol C-LDL y representa un paso crucial hacia un futuro más prometedor para estos pacientes", explicó el Dr. Ramón Madriz, Endocrinólogo Pediatra y jefe de la sección de consulta Externa de la Unidad Médica Especializada del Estado de México.

Sobre la Hipercolesterolemia Familiar Homocigota (HoFH)

La HoFH es una forma devastadora de hipercolesterolemia hereditaria que afecta a 1 de cada 300,000 personas a nivel mundial. Ocurre cuando se heredan dos copias del gen causante de la hipercolesterolemia familiar (HF), una de cada progenitor, lo que provoca niveles peligrosamente altos (>400 mg/dL) de colesterol C-LDL. Los pacientes con HoFH tienen un alto riesgo de desarrollar enfermedades ateroscleróticas prematuras y eventos cardíacos a edades tempranas. Para más información sobre la HoFH, visite <https://www.fhmexico.org.mx/>.

Sobre Evkeeza® (evinacumab)

Evinacumab, el principio activo de Evkeeza®, se une a una proteína en el organismo llamada ANGPTL3 y bloquea sus efectos. ANGPTL3 está involucrada en la regulación de los niveles de colesterol y su inhibición reduce la cantidad de colesterol en la sangre. Evkeeza® se administra por infusión intravenosa durante 60 minutos una vez al mes (cada 4 semanas).

Regeneron Pharmaceuticals, Inc. descubrió y desarrolló Evkeeza® y comercializa el producto para la HoFH en EE. UU. bajo el nombre genérico evinacumab-dgmb. Ultragenyx es responsable del desarrollo y comercialización de Evkeeza® para la HoFH en países fuera de EE. UU.

Resumen de Seguridad

En el análisis de datos combinados, 243 pacientes recibieron dosis intravenosas de evinacumab en estudios controlados con placebo o de etiqueta abierta. De estos, 139 pacientes tenían HoFH, de los cuales 138 recibieron evinacumab 15 mg/kg cada 4 semanas por al menos 24 semanas, 120 pacientes fueron tratados durante al menos 52 semanas y 78 pacientes durante al menos 104 semanas.

Reacciones adversas en pacientes adultos y adolescentes (12 a 76 años)

Los datos de seguridad se basan en los resultados combinados de dos estudios de 24 semanas, aleatorizados, doble ciego y controlados con placebo. En total, se incluyeron 117 pacientes (1 paciente no recibió la dosis), de los cuales 81 recibieron evinacumab 15 mg/kg IV cada 4 semanas. La edad de los pacientes osciló entre 12 y 76 años, y 65 pacientes tenían HoFH.

Las reacciones adversas más comunes fueron nasofaringitis (13.7%), enfermedad de tipo gripal (7.7%), mareos (6.0%), dolor de espalda (5.1%) y náuseas (5.1%). La reacción adversa más grave fue la anafilaxia (0.9%).

Reacciones adversas en pacientes pediátricos (≥ 5 a 11 años) con HoFH

La seguridad de Evkeeza®, se evaluó en 20 pacientes pediátricos (≥ 5 a 11 años). El perfil de seguridad observado en estos pacientes fue consistente con el perfil de seguridad observado en pacientes adultos y adolescentes (≥12 años), con la reacción adversa adicional de fatiga, reportada en 3 (15%) pacientes.

Acerca de Ultragenyx

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 un portafolio diverso 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 costos, 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.

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, riesgos relacionados con la dependencia de socios externos para llevar a cabo ciertas actividades en nombre de la Compañía; la posibilidad de que cualquier licencia o acuerdo de colaboración, incluido el acuerdo de colaboración de Ultragenyx con Regeneron para comercializar Evkeeza® fuera de Estados Unidos, sea terminado; incertidumbre y posibles retrasos relacionados con el desarrollo clínico de medicamentos; incertidumbre e imprevisibilidad de obtener la aprobación regulatoria para los candidatos a productos de la Compañía y el alcance de dicha posible aprobación regulatoria; oportunidades de mercado menores a las previstas para los productos y candidatos a productos de la empresa, fluctuaciones en los patrones de compra o distribución por

parte de distribuidores y farmacias especializadas; competencia para los productos y candidatos a productos de la Compañía; posibles efectos secundarios indeseables o graves de los productos o candidatos a productos de la Compañía; la capacidad de la Compañía para gestionar eficazmente la expansión de su organización comercial; adopción en el mercado de los productos actuales o futuros de la Compañía; incertidumbre relacionadas con la cobertura de seguros y el estado de reembolso de los productos recién aprobados; riesgos de fabricación e interrupciones en la cadena de suministro; otras terapias o productos competidores; y otros asuntos que podrían afectar la suficiencia del efectivo existente, equivalentes de efectivo e inversiones a corto plazo para financiar operaciones, los resultados operativos futuros y el desempeño financiero de la Compañía, el cronograma de actividades de ensayos clínicos y la presentación de resultados de los mismos, y la disponibilidad o el potencial comercial de los productos y candidatos a productos 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 los negocios de Ultragenyx en general, consulte el Informe Trimestral de Ultragenyx en el Formulario 10-K presentado ante la Comisión de Bolsa y Valores el 19 de febrero de 2025, 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/>).

Contactos

Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Inversionistas

Joshua Higa

ir@ultragenyx.com

Medios

Joey Fleury

media@ultragenyx.com

Oficinas de Ultragenyx México S. de R.L. de C.V.

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

Colonia Santa Fe, Álvaro Obregón, CDMX 01376
Teléfono conmutador: +52 55 6826 9584

Referencias

[1] Flora, M. C. do V., Bracci, G. de A. C., Azeredo, L. M., Cury, N. T., Egger, P. A. L., & Siqueira, E. C. de. (2023). **Hipercolesterolemia Familiar Homozigótica**. *Revista Eletrônica Acervo Saúde*, 23(6),