



Ultragenyx anuncia aprovação do Evkeeza® (evinacumabe) pela Anvisa para o tratamento da hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo)

Evkeeza® (evinacumabe) é o primeiro medicamento para essa forma hereditária e ultrarrara de colesterol elevado

São Paulo, 9 de setembro de 2024 — A Ultragenyx Pharmaceutical Inc., biofarmacêutica focada no desenvolvimento e comercialização de terapias inovadoras para doenças genéticas raras e ultrarraras, anuncia a aprovação regulatória do Evkeeza® (evinacumabe) no Brasil. O Evkeeza® (evinacumabe) foi aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), Registro 1.3964.0004, para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com mais de cinco anos de idade diagnosticados com hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo). A HFHo é a forma mais rara da hipercolesterolemia familiar (HF), uma condição genética que impede o corpo de eliminar o excesso de colesterol LDL-C, conhecido como “colesterol ruim”. Sem tratamento, os pacientes com essa doença correm o risco de desenvolver graves problemas cardiovasculares, como infarto do miocárdio e doença da válvula aórtica, além de xantomas tendinosos e cutâneos, lesões caracterizadas por depósitos de gordura, entre outras comorbidades, já na primeira e segunda décadas de vida.¹

“A aprovação do Evkeeza pela Anvisa oferece uma nova opção para a comunidade de HFHo e reflete o nosso compromisso de trazer terapias inovadoras para pessoas que vivem com doenças genéticas raras e ultrarraras. Agora, que temos a aprovação regulatória, o nosso empenho será para apoiar o reembolso para os pacientes que vivem com HFHo no Brasil,” diz Márcia Moscatelli, farmacêutica e gerente geral da Ultragenyx Brasil.

O medicamento Evkeeza® (evinacumabe) atua como um adjuvante à dieta e outras terapias redutoras de colesterol de lipoproteína de baixa densidade (LDL-C). O anticorpo monoclonal é administrado por infusão intravenosa a cada quatro semanas e age como um inibidor da angiopoietina-símile 3 (ANGPTL3), proteína que auxilia na regulação dos níveis de colesterol no sangue.

“A hipercolesterolemia familiar homozigótica é uma doença devastadora que pode levar a ataques cardíacos, doenças das válvulas cardíacas ou outros problemas em idade precoce. O tratamento com Evkeeza, combinado com uma dieta adequada e exercícios físicos, pode ajudar a reduzir o LDL-C em pessoas com HFHo,” explica o Prof. Raul Santos, cardiologista e diretor da Unidade de Clínica de Lípidos do Instituto do Coração (InCor) da Universidade de São Paulo e Pesquisador do Hospital Israelita Albert Einstein.

Sobre a hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo)

A HFHo é uma forma devastadora de hipercolesterolemia hereditária, que afeta 1 em cada 300 mil pessoas em todo o mundo. A HFHo ocorre quando duas cópias dos genes causadores da hipercolesterolemia familiar (FH) são herdadas, uma do pai e outra da mãe, resultando em níveis perigosamente altos (>400 mg/dL) de LDL-C, ou colesterol ruim. Pacientes com HFHo têm o risco de desenvolver doenças ateroscleróticas e ocorrências cardíacas em idade precoce.

Para mais informações sobre HFHo, visite <https://www.ahfcolesterol.org/>.

Sobre Evkeeza® (evinacumabe)

O evinacumabe, substância ativa do Evkeeza, se liga a uma proteína no corpo chamada ANGPTL3 e bloqueia seus efeitos. A ANGPTL3 está envolvida no controle dos níveis de colesterol, e ao bloquear seu efeito, reduz o nível de colesterol no sangue. O Evkeeza® (evinacumabe) é administrado por infusão intravenosa durante 60 minutos, uma vez a cada 4 semanas.

A Regeneron Pharmaceuticals, Inc. criou e desenvolveu o Evkeeza® (evinacumabe) e comercializa o produto para HFHo nos Estados Unidos da América sob o nome genérico evinacumab-dgnb, com "dgnb" como sufixo designado de acordo com a orientação da agência reguladora dos Estados Unidos, Food and Drug Administration (FDA), para a nomenclatura de produtos biológicos. A Ultragenyx é responsável pelas atividades de comercialização do Evkeeza® (evinacumabe) para HFHo em países fora dos EUA.

Resumo das Informações de Segurança

Na análise de dados agrupados, 243 pacientes receberam doses intravenosas de Evkeeza® (evinacumabe) em estudos controlados por placebo ou em estudos abertos. Destes, 139 pacientes tinham HFHo, dos quais 138 foram tratados com Evkeeza® (evinacumabe) 15 mg/kg a cada 4 semanas por pelo menos 24 semanas, 120 pacientes foram tratados por pelo menos 52 semanas, e 78 pacientes foram tratados por pelo menos 104 semanas.

Reações adversas em pacientes adultos e adolescentes (12 a 17 anos de idade)

Os dados de segurança são baseados nos resultados agrupados de dois estudos randomizados, duplo-cegos e controlados por placebo, com duração de 24 semanas. Um total de 117 pacientes foi randomizado (1 paciente não recebeu a dose), dos quais 81 pacientes receberam Evkeeza® (evinacumabe) 15 mg/kg por via intravenosa a cada 4 semanas e 35 pacientes receberam Evkeeza® (evinacumabe) 5 mg/kg por via intravenosa a cada 4 semanas. A faixa etária variou de 12 a 76 anos. Sessenta e cinco (65) pacientes tinham HFHo.

As reações adversas mais comuns foram nasofaringite (13,7% vs. 13,0% no placebo), doença semelhante à gripe (7,7% vs. 5,6% no placebo), tontura (6,0% vs. 0% no placebo), dor nas costas (5,1% vs. 3,7% no placebo) e náusea (5,1% vs. 1,9% no placebo).

Reações adversas em pacientes pediátricos (≥ 5 a 11 anos de idade) com HFHo

A segurança do Evkeeza® (evinacumabe) foi avaliada em 20 pacientes pediátricos (≥ 5 a 11 anos de idade). O perfil de segurança do Evkeeza® (evinacumabe) observado nesses pacientes foi consistente com o perfil de segurança observado em pacientes adultos e adolescentes com 12 anos ou mais, com a adição da reação adversa de fadiga. A fadiga foi relatada em 3 (15%) pacientes pediátricos.

Evkeeza é vendido sob prescrição médica e tem seu uso restrito a estabelecimentos de saúde.

Sobre a Ultragenyx

A Ultragenyx é uma empresa biofarmacêutica comprometida em oferecer aos pacientes novas terapias para o tratamento de doenças genéticas graves raras e ultrarraras. A empresa desenvolveu um portfólio diversificado de medicamentos aprovados e candidatos a tratamento com o objetivo de lidar com doenças com alta necessidade médica não atendida e biologia clara, para as quais normalmente não há opção terapêutica aprovada.

A empresa é liderada por uma equipe experiente no desenvolvimento e comercialização de terapias para doenças raras. A estratégia da Ultragenyx baseia-se no desenvolvimento de medicamentos com eficiência de tempo e custo, com o objetivo de fornecer terapias seguras e eficazes para pacientes com a maior urgência.

Para mais informações à imprensa:

LLYC

Dayana Cardoso | Kelly Silva

dcardoso@llyc.global | kelly.silva@llyc.global

Referências

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), e12732. <https://doi.org/10.25248/reas.e12732.2023>