

## ASCENDIS PHARMA IBERIA

### NOTA DE PRENSA

-En el marco del Congreso Nacional de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH)-

#### **Palopegteriparatida muestra un valor significativo en el tratamiento del hipoparatiroidismo crónico en España según un análisis de decisión multicriterio**

- Datos de un estudio de análisis de decisión multicriterio (MCDA) en España que evalúa el valor clínico y social de palopegteriparatida en el tratamiento del hipoparatiroidismo crónico en adultos<sup>1</sup>.
- Según el estudio MCDA, palopegteriparatida representa una opción terapéutica de valor para el hipoparatiroidismo crónico, especialmente debido a su eficacia demostrada y con un impacto positivo en la calidad de vida de sus pacientes, y además viene a cubrir las actuales necesidades terapéuticas no cubiertas en estos pacientes<sup>1</sup>.
- El hipoparatiroidismo crónico es una enfermedad endocrina rara causada por niveles insuficientes o ausencia de la hormona paratiroidea (PTH), que afecta a diversos órganos e impacta en la calidad de vida<sup>3</sup>.

**Madrid, 23 de octubre de 2025** – Se ha presentado en el 70º Congreso Nacional de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH) los resultados de un estudio de análisis de decisión multicriterio (MCDA) que evalúa el valor clínico y social de palopegteriparatida en el tratamiento del hipoparatiroidismo crónico en adultos.

Dicho estudio confirma que el medicamento aporta un valor significativo en el tratamiento del hipoparatiroidismo crónico, especialmente en pacientes que no logran un control adecuado con la terapia convencional (calcio y vitamina D activa).

Según los resultados obtenidos del estudio, esta enfermedad se considera de moderada a grave (media  $\pm$  DE:  $3,3 \pm 0,5$ ) y con necesidades terapéuticas no cubiertas ( $3,6 \pm 1,0$ ), especialmente en pacientes que no logran un control adecuado con la terapia convencional (TC) basada en calcio y vitamina D activa. Por su parte, la eficacia ha obtenido la puntuación más alta ( $3,9 \pm 0,9$ ), al demostrar una mejora clara frente a placebo y tratamiento convencional.

Asimismo, se observaron beneficios en la calidad de vida de los pacientes ( $2,9 \pm 0,9$ ) y un potencial efecto modificador de la enfermedad, con posible reducción de otros costes médicos ( $3,1 \pm 1,1$ ) y costes no médicos o indirectos ( $2,0 \pm 0,8$ ).

La calidad de la evidencia se consideró alta ( $3,6 \pm 0,5$ ) y alineada con las prioridades del Sistema Nacional de Salud (SNS). En conjunto, la contribución global de valor fue de 0,58 (en una escala donde +1 representa el valor máximo). En este contexto, la incorporación de este fármaco se percibe como una

opción con impacto positivo para el sistema sanitario, dado que no hay otra terapia de reemplazo hormonal con PTH disponible para el tratamiento del hipoparatiroidismo en España.

La metodología de Análisis de Decisión Multicriterio (MCDA) permite una determinación holística del valor de un nuevo tratamiento, lo que permite ir más allá de los criterios clásicos de evaluación del tratamiento como eficacia, seguridad y coste, realizando esta evaluación de manera sistemática, ordenada, objetiva, pragmática y transparente.

### **Acerca del hipoparatiroidismo crónico**

El hipoparatiroidismo crónico es una enfermedad endocrina rara que afecta a diversos órganos, con una prevalencia estimada de 32 pacientes/100.000 habitantes y que en España sufren alrededor de 13.000 personas<sup>1</sup>. Está causada por niveles insuficientes o ausencia de la hormona paratiroidea (PTH), que origina alteraciones importantes en el metabolismo del calcio impactando en la salud y en la calidad de vida de los pacientes<sup>3</sup>. Las personas con hipoparatiroidismo crónico pueden sufrir una serie de complicaciones graves y potencialmente mortales a corto y largo plazo, como irritabilidad neuromuscular, complicaciones renales, calcificaciones extraesqueléticas y deterioro cognitivo<sup>3</sup>. La causa más frecuente es extirpación o daño de las glándulas paratiroides en cirugía cervical, como la tiroidectomía, y menos frecuentemente causas autoinmunes, genéticas o infiltrativas.

Según explica el **Dr. Juan José Díez Gómez**, jefe del Servicio de Endocrinología y Nutrición del Hospital Puerta de Hierro (Madrid): *“Esta patología representa un reto para médicos y pacientes, ya que muchos aspectos de su diagnóstico y tratamiento no son muy conocidos o se pueden mejorar. El hipoparatiroidismo no quirúrgico suele diagnosticarse con retraso si no se realizan los análisis adecuados, mientras que el postquirúrgico se identifica fácilmente por la cirugía. Sin embargo, las complicaciones y comorbilidades por deficiencia de PTH son complejas y, a menudo, no se detectan por falta de seguimiento o pruebas”*.

### **Metodología del estudio**

La investigación se realizó mediante un análisis de decisión multicriterio (MCDA), basado en la metodología EVIDEM (Evidence and Value: Impact on DEcisionMaking) y adaptado a medicamentos huérfanos en España, con el objetivo de evaluar la contribución de valor del fármaco en estudio frente a placebo y la terapia convencional.

Según explica la **Dra. Mónica Climente**, jefa del Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Dr. Peset de Valencia: *“El Análisis de Decisión Multicriterio (MCDA) es una metodología analítica que permite aplicar un enfoque interdisciplinar, estructurado, reproducible y transparente para determinar la contribución de valor de los medicamentos. Su utilización, de forma complementaria junto con metodologías de evaluación tradicionales, basadas en la eficacia, seguridad y eficiencia, permite incorporar nuevos elementos de valor, ponderados según su importancia relativa, para apoyar la toma de decisiones en terapias innovadoras para pacientes con enfermedades raras”*.

Este enfoque pionero permite valorar el valor terapéutico de un medicamento más allá de su eficacia clínica, integrando criterios como la gravedad de la enfermedad, las necesidades no cubiertas, la eficacia y la seguridad, los resultados reportados por los pacientes, la calidad de vida, la coste-efectividad y la alineación con las prioridades del Sistema Nacional de Salud (SNS).

Por su parte, la **Dra. Reyes Abad**, Jefa de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Miguel Servet de Zaragoza señala que *“La metodología del MCDA ha demostrado su utilidad en contextos de gran*

*incertidumbre, como las enfermedades raras. En los medicamentos huérfanos, la baja prevalencia, la dispersión de los pacientes y la falta de comparadores generan limitaciones en la evidencia. Por ello, el MCDA permite manejar esta incertidumbre e incorporar criterios éticos, sociales y sanitarios para valorar la aportación real de estos medicamentos a los pacientes y al Sistema de salud”.*

El análisis fue desarrollado por un panel multidisciplinar de expertos españoles en hipoparatiroidismo crónico y evaluación de medicamentos, quienes valoraron el impacto global de palopegteriparatida a partir de una matriz de evidencia comparativa.

Por su parte, la directora general de Ascendis Pharma Iberia, **Nyssa Liebermann Noyola**, destacó la importancia de incorporar metodologías de evaluación más amplias en el proceso de toma de decisiones en el ámbito sanitario, especialmente en el caso de medicamentos para enfermedades raras: *“En Ascendis Pharma creemos que el MCDA representa una herramienta clave para comprender el valor real de la innovación en medicamentos huérfanos, al permitir evaluar no solo la eficacia y seguridad, sino también el impacto en la calidad de vida de los pacientes y en la sostenibilidad del sistema sanitario. Nuestro compromiso es seguir colaborando estrechamente con las autoridades sanitarias y la comunidad científica, para garantizar que los pacientes con enfermedades raras tengan acceso a terapias innovadoras que puedan transformar su vida y cubrir necesidades médicas aún no satisfechas”.*

### **Sobre Ascendis Pharma Iberia**

Ascendis Pharma es una compañía biofarmacéutica global enfocada en aplicar nuestra innovadora plataforma tecnológica TransCon para marcar una diferencia significativa en la vida de los pacientes. Guiados por nuestros valores fundamentales de Pacientes, Ciencia y Pasión, y siguiendo nuestro algoritmo de innovación, aplicamos TransCon para crear nuevas terapias con potencial de ser las mejores en su clase y cubrir necesidades médicas no cubiertas. Ascendis tiene su sede central en Copenhague y en junio de 2024, Ascendis Pharma inauguró Ascendis Pharma Iberia, una nueva filial para España y Portugal, con sede en Madrid.

Visite [ascendispharma.es](https://ascendispharma.es) para más información.

### **Para más información**

#### **Omnicom PR Group**

Vanesa Vicente / Sara Portillo

[vanesa.vicente@omc.com](mailto:vanesa.vicente@omc.com) / [sara.portillo@omc.com](mailto:sara.portillo@omc.com)

Tel.: 620 47 86 18 / 637 09 59 85

### **Referencias**

<sup>1</sup> Díez JJ, Badia X, Abad R, et al. Value contribution of palopegteriparatide in adult patients with chronic hypoparathyroidism using multicriteria decision analysis (MCDA). *Adv Ther.* In Press.

<sup>2</sup> Nota de prensa La FDA de EE UU aprueba YORVIPATH® (palopegteriparatida) como el primer y único tratamiento para el hipoparatiroidismo en adultos. <https://investors.ascendispharma.com/news-releases/news-release-details/fda-approves-yorvipathr-palopegteriparatide-first-and-only> Último acceso: octubre 2025

<sup>3</sup> Shoback DM, Bilezikian JP, Costa AG, et al. Presentation of Hypoparathyroidism: Etiologies and Clinical Features. *J Clin Endocrinol Metab* 2016; 101(6): 2300-12.