

ASCENDIS PHARMA IBERIA

NOTA DE PRENSA

-Datos presentados por Ascendis Pharma durante la Semana del Riñón 2025 (Kidney Week 2025)-

Un nuevo análisis combinado de 3 años aporta datos sobre la evolución de la función renal en adultos con hipoparatiroidismo crónico tratados con TransCon® PTH (palopegteriparatida).¹

- Datos de los ensayos clínicos de fase 2 PaTH Forward² y fase 3 PaTHway³ de la compañía.
- Al tercer año, $\geq 91\%$ de los pacientes que recibieron palopegteriparatida en ambos ensayos tenían independencia del tratamiento convencional¹.
- El hipoparatiroidismo crónico es una enfermedad endocrina rara causada por niveles insuficientes o ausencia de la hormona paratiroidea (PTH), que afecta a diversos órganos, como el riñón, entre otros, e impacta en la calidad de vida⁴.

Madrid, 27 de noviembre de 2025 – Ascendis Pharma ha presentado nuevos datos procedentes de un nuevo análisis combinado que muestra la evolución de la función renal en adultos con hipoparatiroidismo tratados con TransCon® PTH (palopegteriparatida) durante el tercer año de los ensayos clínicos de fase 2 PaTH Forward² y fase 3 PaTHway³ de la compañía. Los datos, que confirman los resultados de cada ensayo individual presentados en importantes congresos de endocrinología a principios de este año, se han compartido durante la Semana del Riñón (Kidney Week 2025) que ha tenido lugar recientemente en Estados Unidos.

«La magnitud y la trayectoria de la mejoría en la función renal (TFG) en pacientes tratados con este medicamento ha sido consistente en todos los ensayos individuales y en el análisis combinado, lo que confirma la solidez de estos hallazgos en una población diversa de adultos con hipoparatiroidismo», afirmó el Dr. Stuart M. Sprague, profesor de Medicina en la Universidad de Chicago y director de Investigación en Nefrología en Endeavor Health, coautor del póster. «La insuficiencia renal es una complicación grave y confío en que los nefrólogos, endocrinólogos y la comunidad de hipoparatiroidismo en general encontrarán valiosos estos resultados innovadores».

Los ensayos PaTH Forward y PaTHway incluyeron un total de 141 adultos con hipoparatiroidismo de más de 6 meses de evolución, de los cuales 139 (edad media: 49 años) están representados en el análisis combinado. Estos ensayos comprendieron periodos aleatorizados, doble ciego y controlados con placebo hasta las semanas 4 y 26, y periodos de extensión abiertos hasta las semanas 266 y 182, respectivamente. Se requería una TFG ≥ 30 ml/min/1,73 m² para ser elegible para el ensayo. Los datos a tres años se analizaron *a posteriori* e incluyeron la evaluación del impacto a largo plazo de este tratamiento sobre la función renal, evaluada mediante la TFG. La TFG basal media (DE) en los ensayos fue de 69 (17) ml/min/1,73 m². El análisis combinado incluyó a 41 pacientes con una TFG basal media < 60

ml/min/1,73 m² y a 98 pacientes con una TFG basal media >60 ml/min/1,73 m². Las evaluaciones de seguridad incluyeron la excreción de calcio en orina de 24 horas y los eventos adversos emergentes durante el tratamiento (EAET).

Al tercer año, ≥91% de los pacientes que recibieron este tratamiento en ambos ensayos tenían independencia de la terapia convencional (definida como la ausencia de administración de vitamina D activa y una ingesta máxima de calcio de 600 mg/día) y ≥84% presentaban normocalcemia (8,3-10,6 mg/dL). Se observaron mejoras sostenidas y clínicamente significativas en la TFG (≥ 5 mL/min/1,73 m²) en el 70,3% de los pacientes, con mejoras numéricamente mayores en aquellos con una TFG basal más baja. Los mayores incrementos en la TFG se observaron en los primeros 6 meses de tratamiento, con una tendencia ascendente continua posteriormente¹. La TFG media (DE) aumentó desde el inicio hasta el tercer año en 9,8 (10,9) mL/min/1,73 m² en PaTH Forward² y en 8,8 (11,9) mL/min/1,73 m² en PaTHway³. Se observaron reducciones en la excreción urinaria de calcio en 24 horas, las cuales se mantuvieron dentro del rango normal hasta el tercer año¹.

En ambos ensayos, el tratamiento fue generalmente bien tolerado, sin que se identificaran nuevas señales de seguridad. La mayoría de los eventos adversos emergentes del tratamiento (EAET) fueron de leves a moderados (grado 1 o 2) y ningún paciente interrumpió el tratamiento debido a EAET relacionados con el mismo^{1,2,3}.

«Estamos muy contentos de poder compartir este análisis de un grupo más amplio de pacientes, que demuestra la reproducibilidad de las mejoras en la función renal a lo largo del tiempo. Estas observaciones subrayan aún más la importancia de replicar la fisiología normal de la PTH con palopegteriparatida en adultos con hipoparatiroidismo», afirmó la Dra. Aimee Shu, vicepresidenta ejecutiva de Ciencias Médicas de Endocrinología y Enfermedades Raras y directora médica de Ascendis Pharma. «Esta es nuestra primera presentación de este tipo en un congreso especializado en nefrología y esperamos continuar el diálogo sobre la importancia de la terapia de reemplazo de PTH para la salud renal general en esta población de pacientes».

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. 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. 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. La causa más frecuente es extirpación o daño de las glándulas paratiroides en cirugía cervical (70-80% de los casos), como la tiroidectomía, y menos frecuentemente causas autoinmunes, genéticas o infiltrativas⁴.

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 para más información.

Para más información

Omnicom PR Group

Vanessa Vicente / Sara Portillo

vanesa.vicente@omc.com / sara.portillo@omc.com

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

Referencias

1. Journal of the American Society of Nephrology Available at <https://journals.lww.com/jasn/toc/2025/10001> October 2025. | DOI: 10.1681/ASN.20253yamgex4
2. J Clin Endocrinol Metab. 2022 Jan 1;107(1):e372-e385. doi: 10.1210/clinem/dgab577. Available at <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34347093/>
3. J Bone Miner Res. 2023 Jan;38(1):14-25. doi: 10.1002/jbmr.4726. Epub 2022 Nov 12. Available at <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36271471/>
4. Shoback DM, Bilezikian JP, Costa AG, et al. Presentation of Hypoparathyroidism: Etiologies and Clinical Features. J Clin Endocrinol Metab 2016; 101(6): 2300-12.