

Sólo para medios de comunicación e inversores



Emitido: 29 Enero 2024, Londres UK

La Comisión Europea autoriza *Omjjara* de GSK (momelotinib)

- *Omjjara* es el primer medicamento de la UE indicado específicamente para tratar la esplenomegalia (bazo agrandado) o los síntomas en pacientes adultos con mielofibrosis y anemia de moderada a grave.
- La autorización puede responder a una gran necesidad no cubierta, ya que se estima que casi todos los pacientes con mielofibrosis desarrollan anemia a lo largo de la enfermedad e^{1,2,3,4}
- Indicado tanto en pacientes recién diagnosticados como en los tratados previamente con el tratamiento estándar existente

GSK plc (LSE/NYSE: GSK) ha anunciado hoy que la Comisión Europea* ha concedido la autorización de comercialización de *Omjjara* (momelotinib), un inhibidor oral una vez al día de JAK1/JAK2 y del receptor de activina A tipo 1 (ACVR1). *Omjjara* es el primer medicamento autorizado en la UE para tratar la esplenomegalia (aumento del tamaño del bazo) o los síntomas relacionados con la enfermedad en pacientes adultos con anemia de moderada a grave que padecen mielofibrosis primaria, mielofibrosis posterior a policitemia vera o mielofibrosis posterior a trombocitemia esencial y que no han sido tratados con inhibidores de la Janus quinasa (JAK) o lo han sido con ruxolitinib.

Nina Mojas, Vicepresidenta Sénior de Estrategia Global de Productos Oncológicos de GSK, ha declarado:

"Los retos de vivir con mielofibrosis pueden ser graves, y los pacientes sintomáticos pueden experimentar agrandamiento del bazo, fatiga, sudores nocturnos y dolor óseo. Hasta ahora, no existían opciones específicamente indicadas para tratar estos síntomas en pacientes que también experimentan anemia. La autorización de *Omjjara* aporta una nueva opción terapéutica con un mecanismo de acción diferenciado a estos pacientes en la UE."

Se calcula que la mielofibrosis afecta a 1 de cada 10.000 personas en la UE.^{5,6} Alrededor del 40% de los pacientes presentan anemia de moderada a grave en el momento del diagnóstico y se estima que casi todos los pacientes desarrollarán anemia a lo largo de la enfermedad.^{1,2,3,4} Los pacientes de mielofibrosis con anemia requieren cuidados de apoyo adicionales, incluidas transfusiones, y más del 30% interrumpirán el tratamiento debido a la anemia.⁷ Los pacientes dependientes de transfusiones tienen un mal pronóstico y una supervivencia más corta al.^{8,9,10,11,12,13,14,15,16}

Francesca Palandri, doctora en Medicina del IRCCS S. Orsola-Malpighi, Hospital Universitario de Bolonia (Italia), ha declarado:

"La autorización de *Omjjara* en la UE representa un avance significativo para los pacientes con mielofibrosis que reúnan los requisitos necesarios y, en particular, para aquellos con anemia moderada a grave que necesitan nuevas opciones de tratamiento que puedan reducir la carga que supone su enfermedad. La disponibilidad de una terapia única para las manifestaciones clave de la mielofibrosis es un claro paso adelante para los pacientes elegibles."

La autorización de momelotinib se basa en el ensayo pivotal de fase III MOMENTUM y en una subpoblación de pacientes adultos con anemia de moderada a grave (hemoglobina <10 g/dL) del ensayo de fase III SIMPLIFY-1.^{17,18} MOMENTUM se diseñó para evaluar la seguridad y eficacia de momelotinib frente a danazol para el tratamiento y la reducción de las manifestaciones clave de la mielofibrosis en una población anémica, sintomática y con experiencia en inhibidores de JAK. SIMPLIFY-1 se diseñó para evaluar la eficacia y seguridad de momelotinib frente a ruxolitinib en pacientes con mielofibrosis que no habían recibido un tratamiento previo con inhibidores de JAK.

Anuncio en bolsa

Sólo para medios de comunicación e inversores



En estos ensayos clínicos, las reacciones adversas más frecuentes fueron diarrea, trombocitopenia, náuseas, cefalea, mareos, fatiga, astenia, dolor abdominal y tos.^{17,18}

Anuncio en bolsa

Sólo para medios de comunicación e inversores



Acerca de *Omjjara* (momelotinib)

Momelotinib tiene un mecanismo de acción diferenciado, con capacidad inhibidora a lo largo de tres vías de señalización clave: Janus quinasa (JAK) 1, JAK2 y receptor de activina A, tipo I (ACVR1).^{8, 17, 19,20} La inhibición de JAK1 y JAK2 puede mejorar los síntomas constitucionales y la esplenomegalia.^{8,17,20} Además, la inhibición de ACVR1 provoca una disminución de los niveles circulantes de hepcidina, lo que podría contribuir a los beneficios relacionados con la anemia.^{8,17,19,20}

En septiembre de 2023, la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE.UU. autorizó (<https://www.gsk.com/en-gb/media/press-releases/ojjaara-momelotinib-approved-in-the-us-as-the-first-and-only-treatment-indicated-for-myelofibrosis-patients-with-anaemia/>) momelotinib bajo la marca *Ojjaara* para el tratamiento de la mielofibrosis de riesgo intermedio o alto, incluyendo mielofibrosis primaria o mielofibrosis secundaria (post-policitemia vera y post-trombocitemia esencial), en adultos con anemia.

Información importante para *Omjjara* en la

indicación UE

Omjjara está indicado para el tratamiento de la esplenomegalia relacionada con la enfermedad (bazo agrandado) o los síntomas en pacientes adultos con anemia de moderada a grave que padecen mielofibrosis primaria, mielofibrosis post policitemia vera o mielofibrosis post trombocitemia esencial y que no han recibido tratamiento con inhibidores de la Janus quinasa (JAK) o han sido tratados con ruxolitinib.

Consulte la Información de Referencia EMA de *Omjjara*

(<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/omjjara>) para obtener una lista completa de efectos adversos y la información de seguridad importante completa en la UE.

Acerca de la mielofibrosis

La mielofibrosis es un cáncer de la sangre poco frecuente que altera la producción normal de células sanguíneas debido a la desregulación de la señalización de la proteína JAK (transductor de señales y activador de la transcripción). Las características clínicas de la mielofibrosis son esplenomegalia (agrandamiento del bazo), anemia progresiva y síntomas constitucionales debilitantes, como fatiga, sudores nocturnos y dolor óseo, atribuibles a una hematopoyesis ineficaz y a una producción excesiva de citocinas proinflamatorias.²¹

Acerca de los ensayos clínicos pivotaes

MOMENTUM fue un estudio de fase III, global, multicéntrico, aleatorizado y doble ciego que investigó momelotinib frente a danazol en pacientes (n=195) con mielofibrosis sintomática y anémica que habían sido tratados previamente con un inhibidor de JAK autorizado. El ensayo se diseñó para evaluar la seguridad y eficacia de momelotinib en el tratamiento y la reducción de las principales características de la enfermedad: síntomas, transfusiones de sangre (debido a la anemia) y esplenomegalia. El ensayo MOMENTUM cumplió todos sus criterios de valoración primarios y secundarios clave, demostrando una respuesta estadísticamente significativa con respecto a los síntomas constitucionales, la reducción del esplenomegalia y la independencia de las transfusiones en los pacientes tratados con momelotinib frente a danazol (reducción de la Puntuación Total de Síntomas en un 50% o más: 25% momelotinib, 9% danazol, p = 0,0095; reducción del volumen del bazo en un 35% o más: momelotinib 22%, danazol 3%, p = 0.0011; ausencia de transfusiones y todos los valores de hemoglobina ≥ 8 g/dL en las 12 semanas anteriores a la semana 24: momelotinib 30%, danazol 20%).¹⁷ Los resultados del periodo de tratamiento aleatorizado de 24 semanas se presentaron en la Reunión Anual de la Sociedad Americana de Oncología Clínica (ASCO) de 2022 y posteriormente se publicaron en *The Lancet*,^{22,23} con datos de 48 semanas presentados en la 64ª Reunión y Exposición Anual de la Sociedad Americana de Hematología (ASH) en diciembre de 2022 y posteriormente publicados en *The Lancet*.^{24,25}

SIMPLIFY-1 fue un estudio multicéntrico, aleatorizado, doble ciego y de fase III que comparó la seguridad y eficacia de momelotinib con la de ruxolitinib en pacientes (n=432) con mielofibrosis que no habían recibido tratamiento previo con un inhibidor de JAK. Los resultados de seguridad y eficacia de SIMPLIFY-1 se basaron en un subconjunto de pacientes (n=181) con anemia al inicio del estudio. La eficacia de momelotinib en el tratamiento de pacientes con mielofibrosis en SIMPLIFY-1 se basó en la respuesta del volumen del bazo (reducción del volumen del bazo en un 35% o más: 31% momelotinib, 33% ruxolitinib p = 0,026).¹⁸

GSK en oncología

Anuncio en bolsa

Sólo para medios de comunicación e inversores



GSK se ha comprometido a maximizar la supervivencia de los pacientes mediante medicamentos transformadores, centrándose actualmente en los avances en inmuno-oncología y terapias dirigidas a las células tumorales, así como en el desarrollo de neoplasias hematológicas, cánceres ginecológicos y otros tumores sólidos.

Acerca de GSK

GSK es una compañía biofarmacéutica global con el propósito de unir ciencia, tecnología y talento para ir juntos por delante de las enfermedades. Más información en [gsk.com](https://www.gsk.com).

* La Comisión Europea tiene autoridad para autorizar medicamentos en los Estados miembros de la Unión Europea, así como en los países del Espacio Económico Europeo (EEE) Islandia, Noruega y Liechtenstein, e Irlanda del Norte.

Consultas sobre GSK

Medios de comunicación:	Tim Foley	+44 (0) 20 8047 5502	(Londres)
	Dan Smith	+44 (0) 20 8047 5502	(Londres)
	Kathleen Quinn	+1 202 603 5003	(Washington DC)
	Lyndsay Meyer	+1 202 302 4595	(Washington DC)
	Alison Hunt	+1 540 742 3391	(Washington DC)
Relaciones con los inversores:	Nick Stone	+44 (0) 7717 618834	(Londres)
	James Dodwell	+44 (0) 20 8047 2406	(Londres)
	Mick Readey	+44 (0) 7990 339653	(Londres)
	Josh Williams	+44 (0) 7385 415719	(Londres)
	Camilla Campbell	+44 (0) 7803 050238	(Londres)
	Steph Mountifield	+44 (0) 7796 707505	(Londres)
	Jeff McLaughlin	+1 215 751 7002	(Filadelfia)
Frannie DeFranco	+1 215 751 4855	(Filadelfia)	

Advertencia sobre las declaraciones prospectivas

GSK advierte a los inversores que cualquier declaración o proyección a futuro realizada por GSK, incluidas las realizadas en este anuncio, están sujetas a riesgos e incertidumbres que pueden hacer que los resultados reales difieran materialmente de los proyectados. Dichos factores incluyen, entre otros, los descritos en el apartado 3.D "Factores de riesgo" del Informe Anual de la compañía en el Formulario 20-F para 2022, y en los Resultados del tercer trimestre de 2023.

Registrada en Inglaterra y Gales:

Nº 3888792

Domicilio social: 980

Great West Road
Brentford, Middlesex
TW8 9GS

¹ Tefferi A, Lasho TL, Jimma T, et al. Mil pacientes con mielofibrosis primaria: la experiencia de la Clínica Mayo. *Mayo Clin Proc.* 2012;87(1):25-33. doi:10.1016/j.mayocp.2011.11.001

² Bose P, et al. *Curr Hematol Malign Rep.* 2018;13:164-172. doi: <https://doi.org/10.3109/10428194.2013.813500>

³ Scherber, RM, Mesa, R. Management of challenging myelofibrosis after JAK inhibitor failure and/or progression. *Blood Rev.* 2020;42:100716. <https://doi.org/10.1016/j.blre.2020.100716>

⁴ Bassiony S, Harrison CN, McLornan DP. Evaluación de la seguridad, eficacia y potencial terapéutico de momelotinib en el tratamiento de la mielofibrosis de riesgo intermedio/alto: Evidence to Date. *Ther Clin Risk Manag.* 2020;16:889-901. Publicado el 25 de septiembre de 2020. doi:10.2147/TCRM.S258704

⁵ Orphanet. Mielofibrosis primaria. 2019. Consultado el 01 de febrero de 2023. <https://www.orpha.net>

⁶ Junker, S, et al. "PB2203: INCIDENCIA Y PREVALENCIA DE LA Mielofibrosis EN ALEMANIA: UN ANÁLISIS RETROSPECTIVO DE DATOS DE RECLAMACIONES". *HemaSphere* 7.S3 (2023): e32222e6.

Anuncio en bolsa

Sólo para medios de comunicación e inversores



- ⁷ Kuykendall AT, Shah S, Talati C, et al. Between a rux and a hard place: evaluating salvage treatment and outcomes in myelofibrosis after ruxolitinib discontinuation. *Ann Hematol.* 2018;97(3):435-441.
- ⁸ Chifotides, HT, Bose, P, Verstovsek, S. Momelotinib: un tratamiento emergente para pacientes de mielofibrosis con anemia. *J Hematol Oncol.* 2022;15(7):1-18.
- ⁹ Tefferi A, et al. Uso del Functional Assessment of Cancer Therapy--anemia en personas con mielofibrosis asociada a neoplasia mieloproliferativa y anemia. *Clin Ther.* 2014;36(4):560-566. <https://doi.org/10.1016/j.clinthera.2014.02.016>
- ¹⁰ Tefferi A. Primary myelofibrosis: 2021 update on diagnosis, risk-stratification and management. *Am J Hematol.* 2021;96(1):145-162. <https://doi.org/10.1002/ajh.26050>
- ¹¹ Rumi E, et al. The Genetic Basis of Primary Myelofibrosis and Its Clinical Relevance (La base genética de la mielofibrosis primaria y su relevancia clínica). *Int J Mol Sci.* 2020;21(23):8885. <https://doi.org/10.3390/ijms21238885>
- ¹² Cómo J, Hobbs GS. Guía práctica para el uso de modelos pronósticos de mielofibrosis en la clínica. *J Natl Compr Canc Netw.* 2020;18(9):1271-1278. <https://doi.org/10.6004/jnccn.2020.7557>
- ¹³ QxMD. Pronóstico DIPSS en mielofibrosis. Consultado el 12 de septiembre de 2022. https://qxmd.com/calculate/calculator_187/dipss-prognosis-in-myelofibrosis.
- ¹⁴ QxMD. Puntuación DIPSS plus para el pronóstico de la mielofibrosis. Consultado el 12 de septiembre de 2022.
- ¹⁵ Nicolosi M, et al. El sexo y el grado de gravedad influyen en el impacto pronóstico de la anemia en la mielofibrosis primaria: análisis basado en 1109 pacientes consecutivos. *Leucemia.* 2018;32(5):1254-1258. <https://doi.org/10.1038/s41375-018-0028-x>
- ¹⁶ Elena C, et al. La dependencia de la transfusión de glóbulos rojos implica una mala supervivencia en la mielofibrosis primaria, independientemente de la IPSS y la DIPSS. *Haematologica.* 2011;96(1):167-170. <https://doi.org/10.3324/haematol.2010.031831>
- ¹⁷ Verstovsek S, et al. MOMENTUM: momelotinib vs danazol in patients with myelofibrosis previously treated with JAKi who are symptomatic and anemic. *Future Oncol.* 2021;17(12):1449-1458.
- ¹⁸ Mesa RA, Kiladjian JJ, Catalano JV, et al. SIMPLIFY-1: A Phase III Randomized Trial of Momelotinib Versus Ruxolitinib in Janus Kinase Inhibitor-Naïve Patients With Myelofibrosis. *J Clin Oncol.* 2017;35(34):3844-3850.
- ¹⁹ Asshoff M, et al. Momelotinib inhibe ACVR1/ALK2, disminuye la producción de hepcidina, y mejora la anemia de la enfermedad crónica en roedores. *Blood.* 2017;129(13):1823-1830.
- ²⁰ Oh S, et al. ACVR1/JAK1/JAK2 inhibitor momelotinib reverses transfusion dependency and suppresses hepcidin in myelofibrosis phase 2 trial. *Blood Adv.* 2020;4(18):4282-4291.
- ²¹ Atallah E, Verstovsek S. Fármacos emergentes para la mielofibrosis. *Expert Opin Emerg Drugs.* 2012 Dec;17(4):555-70. doi: 10.1517/14728214.2012.748748. PMID: 23186315; PMCID: PMC5009610.
- ²² Mesa R, et al. Presentado en: Sociedad Americana de Oncología Clínica; Junio 2022. Resumen 7002.
- ²³ Verstovsek S, et al. Momelotinib versus danazol in symptomatic patients with anaemia and myelofibrosis (MOMENTUM): results from an international, double-blind, randomised, controlled, phase 3 study. *The Lancet.* 2023;401(10373):269-280.
- ²⁴ Gerds AT, et al. Presentado en: Sociedad Americana de Hematología; Diciembre 2022. Resumen 627.
- ²⁵ Gerds AT, et al. Momelotinib versus danazol en pacientes sintomáticos con anemia y mielofibrosis previamente tratados con un inhibidor de JAK (MOMENTUM): un análisis actualizado de un estudio internacional, doble ciego, aleatorizado de fase 3. *The Lancet Haematology.* 2023;10(9):E735-E746. [https://doi.org/10.1016/S2352-3026\(23\)00174-6](https://doi.org/10.1016/S2352-3026(23)00174-6)