



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de odevixibat (Kayfanda®) para el tratamiento del prurito colestático en pacientes con síndrome de Alagille a partir de los seis meses de edad.

Fecha de publicación: 25 de septiembre de 2026

¿Qué es odevixibat y para qué se utiliza?

Kayfanda® es un medicamento que contiene el principio activo odevixibat. El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es Ipsen Pharma. En España, el laboratorio ofertante es Ipsen Pharma, SA.

Kayfanda® es un medicamento que se utiliza para tratar el prurito colestático (picor intenso debido a la acumulación de bilis) causado por el síndrome de Alagille (SALG) en pacientes a partir de 6 meses de edad.

El SALG es una enfermedad hereditaria en la que la bilis (un líquido producido en el hígado que ayuda a descomponer las grasas) no puede drenarse adecuadamente del hígado, lo que da lugar a una acumulación de ácidos biliares en el hígado y la sangre. El principal síntoma de esta acumulación es el prurito colestático.

¿Cómo funciona odevixibat?

El principio activo de Kayfanda®, odevixibat, bloquea la acción de una proteína conocida como transportador ileal de ácidos biliares (IBAT) que ayuda a transportar los ácidos biliares del intestino a la sangre y el hígado. Al bloquear el IBAT, el odevixibat facilita la eliminación de los ácidos biliares a través del intestino y reduce la cantidad de estos ácidos en la sangre, reduciendo el prurito colestático.

El tratamiento lo debe iniciar y supervisar un médico con experiencia en el tratamiento del SALG.

Información básica sobre la autorización

Kayfanda® ha sido autorizado por un procedimiento centralizado, es decir, recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el 19 de septiembre de 2024 por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA)¹.

Fue autorizado para el tratamiento del prurito colestático en pacientes con síndrome de Alagille (SALG) a partir de 6 meses de edad.

El síndrome de Alagille es una enfermedad rara y potencialmente mortal. El picor grave y persistente afecta a entre el 45 % y el 88 % de las personas con este síndrome. En el momento de la aprobación de Kayfanda, las opciones de tratamiento para el prurito colestático asociado al síndrome de Alagille eran limitadas.

A través de su estudio principal se evidenció que el tratamiento con odevixibat produjo mejoras significativas en los síntomas del síndrome de Alagille, como el picor y las alteraciones del sueño asociadas. Kayfanda también fue eficaz en la reducción de los niveles sanguíneos de ácidos biliares. El estudio principal presentaba algunas limitaciones, como el reducido número de pacientes, justificado por la rareza de la enfermedad y la corta duración del seguimiento de los pacientes.

¹ Puede consultar la información en el siguiente enlace:
<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/kayfanda>



Aunque los datos sobre la seguridad de Kayfanda son limitados y es necesario recopilar más información, los principales efectos adversos, como los que afectan al estómago y al intestino, se consideran controlables.

Kayfanda® fue autorizado en circunstancias excepcionales. Esta modalidad de aprobación significa que debido a la rareza de la enfermedad no ha sido posible obtener información completa de este medicamento. La Agencia Europea de Medicamentos revisará anualmente la información nueva del medicamento que pueda estar disponible y su ficha técnica o resumen de las características del producto se actualizará cuando sea necesario.

Conclusiones de la evaluación comparada de Kayfanda®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha publicado Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Kayfanda®²

Odevixibat está indicado para el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con síndrome de Alagille (SALG) a partir de 6 meses de edad. En el estudio pivotal de fase 3, ASSERT, se demostró una mejora estadísticamente significativa y clínicamente relevante del prurito. La diferencia en la reducción media de la puntuación de rascado, medida por el cuidador (PRUCISION ObsRO), entre odevixibat y placebo fue de -0,88. Además, el 54,3 % de los pacientes tratados con odevixibat respondieron clínicamente, en comparación con solo el 17,6 % en el grupo placebo.

En cuanto a la variable secundaria clave, se cumplió el objetivo con una reducción estadísticamente significativa de los ácidos biliares séricos en el grupo de odevixibat. Los datos del estudio de extensión abierto (ASSERT-EXT) respaldan estos hallazgos, mostrando que los pacientes que cambiaron de placebo a odevixibat experimentaron una mejoría rápida y marcada. Este estudio tiene una limitación importante respecto a su diseño abierto sin grupo control y con exclusión de pacientes tras cirugía o trasplante, lo que limita la solidez de las inferencias sobre la durabilidad del efecto. A pesar de los claros beneficios sintomáticos, no se observó un efecto positivo sobre los marcadores de función hepática (ALT, AST, GGT y bilirrubina), que se mantuvieron elevados. Sin embargo, sí se observó una disminución en los ácidos biliares séricos. El perfil de seguridad de odevixibat se considera manejable, siendo la diarrea el efecto adverso más común. Aunque se observó un aumento temprano de las transaminasas, no hubo casos de daño hepático grave inducido por fármacos. No obstante, la base de datos de seguridad en SALG es limitada, especialmente en lo que respecta al uso a largo plazo.

Las principales limitaciones del estudio pivotal son el reducido número de pacientes, justificado por la rareza de la enfermedad, y la corta duración del ensayo, que impide extraer conclusiones definitivas sobre los efectos a largo plazo en parámetros como el crecimiento o los xantomas. Odevixibat es el segundo medicamento autorizado con una indicación específica para el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con SALG. El primer fármaco en obtener la autorización de comercialización para esta indicación fue maralixibat. La principal diferencia entre ambos radica en la edad mínima de uso: maralixibat está autorizado a partir de los 2 meses de edad, mientras que odevixibat puede emplearse a partir de los 6 meses.

No existen comparaciones directas o indirectas que permitan determinar una posible superioridad entre odevixibat y maralixibat.

Odevixibat se considera como una opción de tratamiento para el manejo del prurito colestásico en pacientes con SALG a partir de los 6 meses de edad.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 17 de junio de 2026, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS de este medicamento y su financiación en el tratamiento de prurito colestásico en pacientes con SALG a partir de 6 meses de edad con una puntuación de al menos 2 puntos en la escala PRUCISION - ObsRO, equivalente a prurito moderado.

² la última versión de 22 de diciembre de 2025 se puede consultar en el siguiente enlace:
<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2025/IPT-347-Winrevair-sotatercept.pdf>



Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

Su financiación se limita a la población descrita en el apartado anterior.

En el Sistema Nacional de Salud (SNS) se ha acordado el establecimiento de un criterio de parada a los 6 meses de tratamiento y abono de tratamiento en los pacientes no respondedores, habilitándose un registro seguimiento en la plataforma VALTERMED para facilitar la gestión de criterios de elegibilidad y fracaso al tratamiento.

La financiación de Kayfanda® cuenta con el establecimiento de un coste máximo anual por paciente con cargo al SNS.

Asimismo, se ha acordado un techo máximo de gasto a nivel nacional de dos años de duración a contar desde el mes de entrada en el Nomenclátor y su puesta en el mercado.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

<https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do>

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado “Más información” aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.