



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de ivosidenib (Tibsovo®) en el tratamiento de la leucemia mieloide aguda de nuevo diagnóstico y del colangiocarcinoma localmente avanzado o metastásico en adultos

Fecha de publicación: 23 de junio de 2025

¿Qué es ivosidenib y para qué se utiliza?

Tibsovo® es el nombre comercial de un medicamento cuyo principio activo es ivosidenib. El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es Les Laboratoires Servier. En España, el laboratorio ofertante es Laboratorios Servier SL.

Es un medicamento contra el cáncer que se utiliza para tratar a adultos con:

- Leucemia mieloide aguda (LMA) recién diagnosticada. Se emplea en combinación con azacitidina (otro medicamento contra el cáncer) y solo puede utilizarse en pacientes cuyas células cancerosas presentan la mutación IDH1 R132, una mutación específica (cambio) en el gen que codifica una proteína llamada isocitrato dehidrogenasa-1 (IDH1) y que no puede tratarse con quimioterapia estándar;
- Cáncer del tracto biliar localmente avanzado (diseminado en las proximidades) o metastásico (se ha extendido a otras partes del organismo). Para el tratamiento del cáncer de las vías biliares, se utiliza en monoterapia. Solo puede utilizarse en pacientes cuyo cáncer presenta una mutación IDH1 R132 y que han recibido al menos un tratamiento sistémico previo (tratamiento administrado por vía oral o inyección).

Se presenta en comprimidos, que se toman por vía oral una vez a día. El tratamiento debe continuar mientras se observe beneficio clínico o hasta que el paciente deje de tolerarlo.

¿Cómo funciona ivosidenib?

Algunos pacientes con LMA o cáncer del tracto biliar presentan una mutación en el gen de la proteína IDH1. Esto hace que la proteína no funcione correctamente, lo que da lugar a la producción de niveles elevados de una sustancia denominada 2-hidroxiglutarato (2-HG), que a su vez contribuye a los cambios celulares que pueden provocar el desarrollo de cáncer. El principio activo de Tibsovo®, ivosidenib, bloquea la acción de la proteína IDH1 defectuosa, reduciendo así la producción de 2-HG. Esto, a su vez, ralentiza el crecimiento y la propagación del cáncer.

Información básica sobre la autorización

Tibsovo® ha sido autorizado mediante procedimiento centralizado, es decir, su aprobación ha sido concedida por la Comisión Europea y es válida en todos los países de la Unión Europea, tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA), que decidió que sus beneficios son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE¹.

¹ Puede consultar la información en el siguiente enlace:

https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/tibsovo-epar-public-assessment-report_en.pdf



Es un medicamento huérfano que se utiliza para tratar enfermedades raras (se entiende como enfermedad rara en Europa a aquella patología con una prevalencia inferior a 5 casos por cada 10.000 habitantes) para las que la EMA ha considerado que el medicamento aportará un beneficio.

Conclusiones de la evaluación comparada de Tibsovo®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha publicado los Informes de Posicionamiento Terapéutico de Tibsovo®^{2,3}.

La autorización en el tratamiento de la leucemia mieloide aguda se basa en los resultados procedentes de un estudio principal en el que participaron 146 adultos con LMA no tratada previamente. Todos los pacientes presentaban mutaciones en el gen de IDH1. Se administró a los pacientes ivosidenib o placebo (un tratamiento ficticio), ambos en combinación con azacitidina, y en el estudio se examinó el porcentaje de pacientes que experimentaron un evento (su tratamiento dejó de funcionar, el cáncer reapareció o fallecieron). Ivosidenib redujo la proporción de pacientes que experimentaron un evento en un 67 %. Además, los pacientes a los que se administró ivosidenib vivieron una media de 24 meses después del inicio del tratamiento, en comparación con los 8 meses de los pacientes a los que se administró placebo.

Para el tratamiento del cáncer de vías biliares, ivosidenib se investigó en un estudio principal en el que participaron 187 adultos con cáncer de las vías biliares que se había extendido o que no podía extirparse quirúrgicamente y que habían recibido previamente al menos un tratamiento sistémico. Todos los pacientes tenían la mutación IDH1 R132. Los pacientes a los que se administró Tibsovo® vivieron una media de 2,7 meses sin que su enfermedad empeorara y 10,3 meses en general, en comparación con 1,4 meses y 7,5 meses, respectivamente, en el caso de los pacientes a los que se administró placebo. En el estudio, el 52 % de los pacientes que recibieron Tibsovo® experimentaron un empeoramiento de la enfermedad y el 10 % murieron, en comparación con el 72 % y el 10 % de los que recibieron placebo.

La lista completa de efectos adversos, así como las advertencias y precauciones respecto a su uso pueden consultarse en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) cuando se administra en combinación con azacitidina para tratar la LMA incluyen vómitos, neutropenia (niveles bajos de neutrófilos, un tipo de glóbulos blancos que combate la infección), trombocitopenia (niveles bajos de plaquetas sanguíneas), prolongación QT (actividad anormal del corazón que afecta a su ritmo) e insomnio (dificultad para dormirse y permanecer dormido, así como mala calidad del sueño). Los efectos adversos graves más frecuentes (que pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) incluyen el síndrome de diferenciación (una complicación potencialmente mortal de determinados tratamientos utilizados para la LMA) y la trombocitopenia.

Cuando se administra en monoterapia para tratar el cáncer del tracto biliar, los efectos adversos más frecuentes de este medicamento (pueden afectar a más de 1 de cada 10 personas) son cansancio, náuseas (ganas de vomitar), dolor abdominal, diarrea, disminución del apetito, ascitis (acumulación de líquido en el vientre), vómitos, anemia (niveles bajos de glóbulos rojos) y erupción cutánea. Los efectos adversos graves más frecuentes (que pueden afectar hasta a 1 de cada 10 personas) son asma, hiperbilirrubinemia (altos niveles de

² La última versión de 23 de febrero de 2024 puede consultarse en el siguiente enlace: <https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2024/IPT-247-Tibsovo-ivosidenib.pdf>

³ La última versión de 29 de enero de 2024 puede consultarse en el siguiente enlace: <https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2024/IPT-227-Tibsovo-ivosidenib.pdf>



bilirrubina en sangre y que indican problemas hepáticos) e ictericia colestática (coloración amarillenta de la piel y los ojos debido al bloqueo de los conductos biliares).

Hasta que existan más datos disponibles de la eficacia y seguridad a largo plazo, así como resultados comparativos directos de ivosidenib en combinación con azacitidina frente otros tratamientos con la misma indicación, ivosidenib en combinación con azacitidina se presenta como una nueva opción de tratamiento en pacientes con LMA de novo con mutación IDH1 (R132), no candidatos a quimioterapia de inducción estándar.

Puede considerarse una opción de tratamiento para aquellos pacientes adultos en los que su uso no esté contraindicado, con colangiocarcinoma localmente avanzado o metastásico con mutación IDH1 R132 y que hayan recibido al menos una línea previa de tratamiento sistémico. Debido a la ausencia de comparaciones directas, no es posible establecer su superioridad, inferioridad o equivalencia terapéutica con el resto de las opciones disponibles.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 26 de marzo de 2025, 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 combinación con azacitidina, para el tratamiento de pacientes adultos con leucemia mieloide

aguda (LMA) de nuevo diagnóstico con mutación de la IDH1 R132, que no son candidatos a quimioterapia de inducción estándar y en monoterapia, para el tratamiento de pacientes adultos con colangiocarcinoma localmente avanzado o metastásico con mutación IDH1 R132 que hayan recibido al menos una línea previa de tratamiento sistémico.

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

En el Sistema Nacional de Salud, se restringe la financiación en colangiocarcinoma a pacientes que no son candidatos a FOLFOX.

Se establecen para este medicamento reservas singulares en el ámbito del Sistema Nacional de Salud, consistentes en limitar su dispensación a los pacientes no hospitalizados en los Servicios de Farmacia de los Hospitales.

Asimismo, se ha acordado la devolución del diferencial entre el precio del medicamento suministrado a través de la aplicación de Medicamentos en Situaciones Especiales de la AEMPS y el precio financiado.

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.