



# Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de danicopán (Voydeya®) para el tratamiento de forma complementaria a ravulizumab o eculizumab (inhibidores de C5) de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica residual.

Fecha de publicación: 23 de junio de 2025

## ¿Qué es danicopán y para qué se utiliza?

Voydeya® es un medicamento que contiene el principio activo danicopán, un inhibidor del factor D del sistema del complemento. Está indicado como tratamiento complementario a ravulizumab o eculizumab en pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica residual a pesar del tratamiento con estos inhibidores de C5.

La HPN es una enfermedad rara hematológica en la que el sistema inmunitario ataca los glóbulos rojos, provocando anemia (niveles bajos de glóbulos rojos), trombosis (coágulos de sangre en los vasos sanguíneos), pancitopenia (niveles bajos de células sanguíneas) y orina oscura (debido a grandes cantidades de hemoglobina, que es la proteína de los glóbulos rojos que transporta oxígeno por el cuerpo, liberadas en la orina).

El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es Alexion Europe Sas. En España, el laboratorio ofertante es Alexion Pharma Spain, S.L.U.

## ¿Cómo funciona danicopán?

El sistema del complemento es un conjunto de proteínas que forma parte del sistema inmunológico (las defensas naturales del cuerpo). En los pacientes con HPN, el sistema del complemento está sobreactivado y daña los propios glóbulos rojos del paciente.

Danicopán, el principio activo de Voydeya®, bloquea una proteína del sistema del complemento llamada factor D, que participa en la destrucción de los glóbulos rojos en pacientes con HPN. Al inhibir esta vía, protege las células sanguíneas del daño, mejora los niveles de hemoglobina y reduce la necesidad de transfusiones.

## Información básica sobre la autorización

Voydeya® fue autorizado por procedimiento centralizado en la Unión Europea el 19 de abril de 2024, tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la EMA<sup>1</sup>. Está disponible en comprimidos de 50 mg y 100 mg, y se administra por vía oral tres veces al día cada 8 horas. La dosis inicial recomendada es de 150 mg tres veces al día, con posibilidad de ajuste según respuesta clínica.

Voydeya® es un medicamento huérfano para una enfermedad rara (se entiende como enfermedad rara en Europa a aquella patología que tiene una prevalencia inferior a 5 casos por cada 10.000 habitantes).

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



## **Conclusiones de la evaluación comparada de Voydeya®**

La AEMPS publicó el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Voydeya® el 19 de noviembre de 2024<sup>2</sup>. Danicopán se ha autorizado como tratamiento concomitante a inhibidores C5, ravulizumab o eculizumab, para el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica residual, en base a un ensayo clínico comparativo con placebo. Los resultados del estudio mostraron un aumento de la hemoglobina de 2,94 g/dl (1,82 mmol/l) en el grupo de danicopán en comparación con 0,50 g/dl (0,31 mmol/l) en el grupo de placebo en la semana 12.

El resto de las variables medidas en el ensayo y consideradas secundarias alcanzaron un valor estadísticamente significativo; se produjo un aumento de la hemoglobina  $\geq 2$  g/dl (1,2 mmol/l) en ausencia de transfusiones para un 59,9 % de pacientes tratados con danicopán frente al 0 % para los pacientes tratados con placebo.

Con respecto a pegcetacoplán e iptacopán, que son otros medicamentos autorizados para HPN con distinto mecanismo de acción (afectan a otra proteína del sistema inmunológico), no existe comparación directa entre los tratamientos, ya que los estudios presentados comparan la eficacia y seguridad frente a tratamientos con inhibidores C5, pero no frente a la combinación de danicopán con inhibidores C5.

Estos resultados respaldan la consideración de danicopán en combinación con inhibidores C5 como una opción de tratamiento en pacientes que hayan sido previamente expuestos a inhibidores C5 como eculizumab o ravulizumab.

## **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 la siguiente indicación:

Voydeya® se financia de forma complementaria a ravulizumab o eculizumab para el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica residual. Adicionalmente, la financiación se restringe a pacientes que han sido tratados con una dosis estable de ravulizumab o eculizumab durante al menos los 6 meses previos, y que presentan anemia con unos valores de hemoglobina  $\leq 9,5$  g/dl [5,9 mmol/l], y que presenten HEV (anemia extravascular) y/o de brecha a pesar de estar recibiendo un inhibidor C5. NO se financia danicopán en combinación con pegcetacoplán.

## **Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales**

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

La financiación de Voydeya® cuenta con el establecimiento de un coste máximo por paciente.

---

<sup>2</sup> La última versión del IPT del 19 de noviembre de 2024 se puede consultar en el siguiente enlace: <https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2024/IPT-319-Voydeya-danicopán.pdf>



## 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.