



## 387 - EFICACIA Y SEGURIDAD DEL TRATAMIENTO CON PALOPEGTERIPARATIDA EN ADULTOS CON HIOPARATIROIDISMO: RESULTADOS A 3 AÑOS DEL ENSAYO DE FASE 3 PATHWAY

J.J. Díez<sup>1</sup>, P. Schwarz<sup>2</sup>, L. Rejnmark<sup>3</sup>, A. Palermo<sup>4</sup>, E. Tsourdi<sup>5</sup>, C.T. Sibley<sup>6</sup> y A.D. Shu<sup>6</sup>

<sup>1</sup>Hospital Universitario Puerta de Hierro, Majadahonda. <sup>2</sup>Rigshospitalet, Copenhagen, Dinamarca. <sup>3</sup>Aarhus University Hospital, Aarhus N, Dinamarca. <sup>4</sup>Unit of Metabolic Bone and Thyroid Disorders, Fondazione Policlinico Campus Bio-Medico, Rome, Italia. <sup>5</sup>Technische Universität Dresden Medical Center, Dresden, Alemania. <sup>6</sup>Ascendis Pharma Inc, Palo Alto, CA, EE. UU.

### Resumen

**Introducción:** Palopegteriparatida es un profármaco de PTH(1-34), de administración diaria, diseñado para proporcionar PTH activa dentro del rango fisiológico durante las 24 horas del día. Está aprobado en los EE. UU., la UE y otros países.

**Métodos:** Se analizaron datos de eficacia y seguridad de pacientes reclutados en un ensayo fase 3, con un periodo de 26 semanas, aleatorizado y controlado con placebo (ensayo PaTHway), seguido de una fase de extensión abierta de 156 semanas de duración.

**Resultados:** En la semana 156, 73 de los 82 pacientes inicialmente incluidos en el estudio (89%) permanecieron en el ensayo; de ellos, el 96% alcanzó la independencia del tratamiento convencional (sin vitamina D activa y #2 600 mg/día de calcio elemental) y el 88% presentaba concentraciones séricas normales de calcio ajustado por albúmina (2,07-2,64 mmol/L), con una media (DE) de 2,2 (0,2) mmol/L. La media de fosfato sérico fue 1,1 (0,2) mmol/L y el producto calcio × fosfato se mantuvo dentro de la normalidad con una media de 2,5 (0,4) mmol<sup>2</sup>/dl<sup>2</sup>. La tasa de filtración glomerular estimada (TFGe) media fue de 78,0 (14,5) ml/min/1,73 m<sup>2</sup>, lo que reflejó un aumento medio de 8,8 (11,9) ml/min/1,73 m<sup>2</sup> desde el inicio ( $p < 0,0001$ ). El 59% y el 43% de los participantes experimentó un aumento en la TFGe de #1 5 ml/min/1,73 m<sup>2</sup> y #1 10 ml/min/1,73 m<sup>2</sup>, respectivamente. Los niveles medios de calcio en orina de 24 horas se normalizaron y permanecieron por debajo del límite superior de la normalidad (#2 250 mg/día) hasta la semana 156 (media, 162,1 [117,8] mg/día). Los EA fueron en su mayoría de grado 1 o 2, y no se identificaron nuevas señales de seguridad.

**Conclusiones:** Durante el tercer año del ensayo PaTHway, la tasa de continuación fue alta y palopegteriparatida demostró datos de seguridad y eficacia persistentes a largo plazo, que incluyeron el mantenimiento de la normalidad en los datos bioquímicos séricos y urinarios y una mejoría sostenida de la función renal.

Presentado previamente en el Congreso ENDO 2025.