

June 26, 2026

DAYBU® (trofinetida) recibe una recomendación positiva por parte del CHMP para su aprobación en la Unión Europea

-- Decisión de la Comisión Europea prevista para los próximos meses

-- Tras la aprobación, DAYBU® se convertiría en el primer tratamiento para los síntomas neuroconductuales del síndrome de Rett en la Unión Europea

SAN DIEGO--([BUSINESS WIRE](#))--Acadia Pharmaceuticals Inc. (Nasdaq: ACAD) ha anunciado hoy que el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) ha adoptado una opinión positiva tras un procedimiento de reexamen, recomendando la concesión de una autorización de comercialización para DAYBU® (trofinetida) para el tratamiento de los síntomas neuroconductuales del síndrome de Rett en pacientes adultos y pediátricos de cinco años de edad o más. Si la Comisión Europea concede la autorización de comercialización, DAYBU® se convertiría en la primera terapia aprobada para esta indicación en la Unión Europea (UE).

“La opinión positiva del CHMP sobre DAYBU® representa un hito importante en nuestra misión de llevar esta innovadora terapia a la Unión Europea, donde actualmente no existen tratamientos aprobados específicamente para los síntomas neuroconductuales de esta devastadora enfermedad”, afirmó Catherine Owen Adams, directora ejecutiva de Acadia. “Nuestro compromiso es generar un impacto significativo en la vida de los pacientes, sus cuidadores y la comunidad del síndrome de Rett en su conjunto, abordando esta importante necesidad médica no cubierta. Estamos muy satisfechos con el resultado del proceso de reexaminación.”

La recomendación del CHMP se basa principalmente en los resultados del estudio pivotal de fase 3 LAVENDER™, que demostró mejoras estadísticamente significativas y clínicamente relevantes en las características principales del síndrome de Rett, medidas mediante el Cuestionario de Conducta del Síndrome de Rett (RSBQ) y la escala Impresión Clínica Global de Mejora (CGI-I). Estos resultados indican que el tratamiento con DAYBU® puede abordar algunos de los aspectos más relevantes y limitantes del síndrome de Rett, que afectan gravemente a la calidad de vida de los pacientes y sus cuidadores.

“Durante décadas, las familias europeas afectadas por el síndrome de Rett no han contado con ningún medicamento aprobado específicamente para tratar los síntomas neuroconductuales de esta enfermedad, a pesar del profundo impacto que tienen en prácticamente todos los aspectos de la vida diaria”, señaló Pedro Rocha, presidente de Rett Syndrome Europe. “La opinión positiva del CHMP representa una esperanza para miles de personas de la Unión Europea que viven con esta devastadora enfermedad, así como para sus familias y cuidadores.”

Tras la recomendación del CHMP, la Comisión Europea revisará la opinión emitida y se espera que adopte una decisión final en los próximos meses. En caso de aprobación, la autorización de comercialización de DAYBU® sería válida en los 27 Estados miembros de la Unión Europea, así como en Islandia, Liechtenstein y Noruega.

Acerca del Síndrome de Rett

El síndrome de Rett es un trastorno del neurodesarrollo raro y complejo que afecta aproximadamente a una de cada 10.000 a 15.000 niñas nacidas vivas en todo el mundo.¹⁻³

Los niños con síndrome de Rett suelen presentar un periodo inicial de desarrollo aparentemente normal que se extiende hasta los 6 a 18 meses de edad, momento en el que muchas de sus habilidades comienzan a ralentizarse o estancarse. Posteriormente, suele producirse una fase de regresión durante la cual el niño pierde habilidades adquiridas de comunicación y el uso intencionado de las manos. A continuación, puede presentarse una fase de estabilización en la que se observa cierta recuperación de las capacidades cognitivas y del interés por el entorno, aunque las alteraciones motoras persisten de forma significativa. Con el paso del tiempo, las personas con síndrome de Rett pueden experimentar una fase de deterioro motor progresivo que puede prolongarse durante el resto de sus vidas.²

El síndrome de Rett está causado habitualmente por una mutación genética en el gen MeCP2.⁴ Estudios preclínicos sugieren que la deficiencia de la proteína MeCP2 provoca alteraciones en la comunicación sináptica y en la plasticidad cerebral, y que estos déficits en la función sináptica podrían estar relacionados con las manifestaciones clínicas características de la enfermedad.⁴⁻⁶

Los síntomas del síndrome de Rett también pueden incluir la aparición de estereotipias manuales, como retorcimiento o palmeteo repetitivo de las manos, así como alteraciones de la marcha.⁷

La mayoría de las personas que viven con síndrome de Rett alcanzan la edad adulta y requieren cuidados intensivos y supervisión continua las 24 horas del día.^{1,8}

Acerca de DAYBU®

DAYBU® (trofinetida) es un análogo sintético del tripéptido N-terminal del factor de crecimiento similar a la insulina 1.

Acerca de Acadia Pharmaceuticals

Acadia se compromete a convertir las promesas científicas en innovaciones significativas que marquen la diferencia para las comunidades de enfermedades raras y neurológicas desfavorecidas en todo el mundo. Nuestra cartera comercial incluye los primeros y únicos tratamientos autorizados por la FDA para la psicosis en la enfermedad de Parkinson y el síndrome de Rett. Estamos desarrollando la siguiente ola de avances terapéuticos con una sólida y diversa cartera de productos en fase de desarrollo que incluye programas de etapa intermedia a tardía en la psicosis de la enfermedad de Alzheimer y la psicosis de demencia con cuerpos de Lewy, junto con programas en fase más temprana que abordan otras necesidades desatendidas de los pacientes. En Acadia, estamos aquí para marcar la diferencia para ellos. Para obtener más información, visítenos en [acadia.com](https://www.acadia.com) y síguenos en [LinkedIn](#) y [X](#).

Declaraciones prospectivas

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas en el sentido de la Private Securities Litigation Reform Act de 1995 de los Estados Unidos. Las declaraciones prospectivas incluyen todas aquellas afirmaciones que no constituyen hechos históricos y pueden identificarse por términos como “puede”, “hará”, “debería”, “podría”, “tendría”, “pretende”, “espera”, “planifica”, “anticipa”, “cree”, “estima”, “proyecta”, “predice”, “potencial”, “orientación”, “continuar” y expresiones similares (incluidas sus formas negativas), utilizadas para identificar este tipo de declaraciones.

Las declaraciones prospectivas incluidas en este comunicado de prensa comprenden, entre otras, afirmaciones relativas a la aprobación prevista o potencial de trofinetida o DAYBU® por parte de la Comisión Europea, incluido el calendario potencial de dicha aprobación, así como, en caso de obtenerse la autorización, los posibles beneficios de la trofinetida para el tratamiento de los síntomas neuroconductuales del síndrome de Rett y la importancia de esta terapia para los pacientes, los cuidadores y la comunidad del síndrome de Rett.

Las declaraciones prospectivas están sujetas a riesgos conocidos y desconocidos, incertidumbres, hipótesis y otros factores que pueden provocar que nuestros resultados, rendimiento o logros reales difieran de manera significativa y desfavorable de los previstos o implícitos en dichas declaraciones. Entre estos riesgos, incertidumbres y otros factores se incluyen, entre otros, la incertidumbre inherente al desarrollo de candidatos a medicamentos, incluida la aprobación de la trofinetida por la Comisión Europea; nuestra dependencia del éxito continuado en la comercialización de nuestros productos y nuestra capacidad para mantener o incrementar sus ventas; nuestra capacidad para obtener las autorizaciones regulatorias necesarias para comercializar nuestros productos y candidatos a medicamentos; y, en caso de aprobación, la aceptación de nuestros productos por parte del mercado y nuestra capacidad para seguir cumpliendo con la legislación y normativa aplicables.

Dada la naturaleza de estos riesgos e incertidumbres, no debe depositarse una confianza indebida en estas declaraciones prospectivas. Para una descripción más detallada de estos y otros riesgos, incertidumbres y factores que podrían hacer que nuestros resultados, rendimiento o logros reales difieran de los previstos, consulte nuestro informe trimestral en el Formulario 10-Q correspondiente al período finalizado el 31 de marzo de 2026, presentado el 7 de mayo de 2026, así como otras comunicaciones presentadas posteriormente ante la Comisión de Bolsa y Valores de los Estados Unidos (SEC).

Las declaraciones prospectivas contenidas en este comunicado se realizan únicamente a la fecha de su publicación, y no asumimos obligación alguna de actualizarlas con posterioridad, salvo cuando así lo exija la legislación aplicable.

Referencias

¹ Fu C, Armstrong D, Marsh E, et al. Consensus guidelines on managing Rett syndrome across the lifespan. *BMJ Paediatrics Open*. 2020;4:e000717.

² Kyle SM, Vashi N, Justice MJ. Rett syndrome: a neurological disorder with metabolic components. *Open Biol*. 2018; 8:170216.

³ May DM, Neul JL, Satija A, et al. Real-world clinical management of individuals with Rett syndrome: a physician survey. *J Med Econ*. 2023;26(1):1570–1580.

⁴ Amir RE, Van den Veyver IB, Wan M, et al. Rett syndrome is caused by mutations in X-linked MECP2, encoding methyl-CpG-binding protein 2. *Nat Genet*. 1999; 23(2):185-188.

⁵ Fukuda T, Itoh M, Ichikawa T, et al. Delayed maturation of neuronal architecture and synaptogenesis in cerebral cortex of Mecp2-deficient mice. *J Neuropathol Exp Neurol*. 2005; 64(6):537-544.

⁶ Asaka Y, Jugloff DG, Zhang L, et al. Hippocampal synaptic plasticity is impaired in the Mecp2-null mouse model of Rett syndrome. *Neurobiol Dis*. 2006; 21(1):217-227.

⁷ Neul JL, Kaufmann WE, Glaze DG, et al. Rett syndrome: revised diagnostic criteria and nomenclature. *Ann Neurol*. 2010; 68(6):944-950.

⁸ Tarquinio DO, Hou W, Neul JL, et al. The changing face of survival in Rett syndrome and MECP2-related disorders. *Pediatr Neurol*. 2015; 53(5):402-411.

Contacts

Contacto del inversor:

Acadia Pharmaceuticals Inc.

Al Kildani
(858) 261-2872
ir@acadia-pharm.com

Acadia Pharmaceuticals Inc.
Jessica Tieszen (858) 261-
2950
ir@acadia-pharm.com

Contacto del Departamento de Prensa:
Acadia Pharmaceuticals Inc.
Deb Kazenelson (818) 395-
3043
media@acadia-pharm.com

Source: Acadia Pharmaceuticals Inc.