

PRIMER TRATAMIENTO APROBADO POR LA FDA PARA PACIENTES PEDIÁTRICOS Y ADULTOS CON MUCOPOLISACARIDOSIS TIPO VII

El miércoles 15 de noviembre de 2017, la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) de EE. UU, aprobó Mepsevii (vestronidase alfa-vjbk) para tratar a pacientes pediátricos y adultos con una afección metabólica hereditaria llamada mucopolisacaridosis tipo VII (MPS VII), también conocida como síndrome de Sly.

MPS VII es una condición genética rara y hereditaria que afecta a menos de 150 pacientes en todo el mundo. Las características de MPS VII varían ampliamente de paciente a paciente, pero la mayoría tienen varias anomalías esqueléticas que se vuelven más pronunciadas con la edad, incluida la baja estatura. Las personas afectadas también pueden desarrollar anomalías en las válvulas cardíacas, hígado y bazo agrandados y vías respiratorias estrechas que pueden provocar infecciones pulmonares y dificultad para respirar. La esperanza de vida de las personas con MPS VII depende de la gravedad de los síntomas, algunas de ellas no sobreviven a la infancia, mientras que otras pueden vivir hasta la adolescencia o la edad adulta. La enfermedad cardíaca y la obstrucción de las vías respiratorias son las principales causas de muerte en personas con MPS VII. También pueden presentarse trastornos en el desarrollo y discapacidad intelectual progresiva.

MPS VII es un trastorno de almacenamiento lisosomal causado por la deficiencia de una enzima llamada beta-glucuronidasa, que causa una acumulación anormal de materiales tóxicos en las células del cuerpo. Mepsevii es una terapia de reemplazo de enzimas funcionales que sustituyendo la faltante

La seguridad y eficacia de Mepsevii se establecieron en ensayos clínicos y protocolos de acceso expandido que incluyeron un total de 23 pacientes que funcionaban sustituyendo la faltante, que variaban entre los 5 meses y los 25 años de edad. Los pacientes recibieron tratamiento con Mepsevii en dosis de hasta 4 mg / kg una vez cada dos semanas durante hasta 164 semanas. La eficacia se evaluó principalmente a través de la prueba de caminata de seis minutos en diez pacientes que podrían realizar la prueba. Después de 24 semanas de tratamiento, la diferencia media en la distancia caminada con respecto al placebo fue de 18 metros. Un seguimiento adicional de hasta 120 semanas sugirió la mejora continua en tres pacientes y la estabilización en los otros. Dos pacientes en el programa de desarrollo Mepsevii experimentaron una marcada mejoría en la función pulmonar. En general, los resultados observados no se habrían anticipado en ausencia de tratamiento. El efecto de Mepsevii en las manifestaciones del sistema nervioso central de MPS VII no ha sido determinado.

Mepsevii también recibió la designación de medicamento huérfano, que proporciona incentivos para ayudar y fomentar el desarrollo de medicamentos para enfermedades raras.

Disponible en:

https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm585308.htm?utm_campaign=FDA%20approves%20first%20treatment%20for%20rare%20genetic%20enzyme%20disorder-%20Drug%20Information&utm_medium=email&utm_source=Eloqua

La Habana, 16 de noviembre de 2017