

PRIMER TRATAMIENTO ORAL CONTRA LA ANEMIA HEMOLÍTICA RESIDUAL EN PACIENTES CON HEMOGLOBINURIA PAROXÍSTICA NOCTURNA

La Agencia Europea de Medicamento (EMA) ha recomendado conceder una autorización de comercialización en la Unión Europea (UE) para Voydeya, el primer tratamiento oral para pacientes con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN), que continúan teniendo anemia hemolítica a pesar del tratamiento con complemento C5. inhibidor (eculizumab o ravulizumab).

La HPN es un trastorno genético poco común y una enfermedad sanguínea potencialmente mortal que provoca la destrucción prematura de los glóbulos rojos (anemia hemolítica) por parte del sistema inmunológico. Los síntomas de la enfermedad incluyen fatiga, dolor corporal, coágulos de sangre, sangrado y dificultad para respirar. La HPN generalmente empeora con el tiempo y los pacientes suelen requerir transfusiones de glóbulos rojos. El tratamiento estándar para la HPN son los anticuerpos monoclonales (ravulizumab o eculizumab), conocidos como inhibidores del complemento. Algunos pacientes que experimentan anemia hemolítica residual necesitan infusiones subcutáneas de otro inhibidor del complemento (pegcetacoplan) para prevenir el daño a los glóbulos rojos.

El principio activo de Voydeya es el danicopan, un inhibidor del complemento que previene la destrucción de los glóbulos rojos, ayudando así a aliviar los síntomas de la HPN. Los inhibidores del complemento son un tipo de inmunoterapia que se utiliza en el tratamiento de muchas afecciones inflamatorias que podrían ser causadas por deficiencias del sistema del complemento, una parte del sistema inmunológico innato del cuerpo.

La recomendación de la EMA se basa principalmente en los resultados de un estudio de fase III aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo en 86 pacientes con HPN y evidencia clínicamente significativa de anemia hemolítica residual mientras estaban en tratamiento con inhibidores del complemento C5 ravulizumab o eculizumab. De estos pacientes, 57 recibieron danicopan y 29 recibieron un placebo. Después de 12 semanas, los pacientes tratados con danicopan tuvieron un aumento clínicamente relevante de hemoglobina (una media de 2,35 g/dl) en comparación con los tratados con placebo. Otros beneficios incluyeron una disminución significativa de la fatiga, la cantidad de transfusiones de sangre requeridas y la cantidad de sangre transfundida, así como una reducción en la cantidad de bilirrubina. Estos resultados positivos se mantuvieron en la semana 72 y respaldan la durabilidad y el mantenimiento del efecto a lo largo del tiempo.

Los efectos secundarios más frecuentes en pacientes tratados con Voydeya fueron dolor de cabeza, náuseas, diarrea, artralgia (dolor en las articulaciones), vómitos y fiebre. Algunos pacientes experimentaron enzimas hepáticas elevadas y hemólisis irruptiva. Los datos a largo plazo y los datos sobre el uso de Voydeya en pacientes de edad avanzada son limitados. Al igual que con otros inhibidores del complemento, no se puede excluir y debe controlarse el riesgo potencial de cáncer y anomalías sanguíneas.

Voydeya recibió apoyo a través del esquema PRiority MEdicines (PRIME) de la EMA, que brinda apoyo científico y regulatorio temprano y mejorado a medicamentos que tienen un potencial particular para abordar las necesidades médicas no satisfechas de los pacientes. La opinión adoptada por el CHMP es un paso intermedio en el camino de Voydeya hacia el acceso de los pacientes. El dictamen se enviará a la Comisión Europea para que adopte una decisión sobre una autorización de comercialización en toda la UE.

Disponible en:

<https://www.ema.europa.eu/en/news/first-oral-treatment-against-residual-haemolytic-anaemia-patients-paroxysmal-nocturnal-haemoglobinuria>

La Habana, 22 de marzo de 2024