

La FDA aprueba nuevo tratamiento para la Fibrosis Quística

El día de 2 julio la Food and Drug Administration de Estados Unidos publicó la aprobación del primer fármaco para la fibrosis quística dirigido a tratar la causa de la enfermedad en las personas que tienen dos copias de una mutación específica.

La Fibrosis Quística (FQ) es un trastorno genético grave que provoca la formación de mucosidad espesa que se acumula en los pulmones, el tracto digestivo y otras partes del cuerpo que conduce a problemas respiratorios y digestivos severos, así como otras complicaciones tales como infecciones y diabetes.

ORKAMBI (Lumacaftor 200 mg / 125 mg Ivacaftor) está aprobado para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en pacientes mayores de 12 años, que tienen la mutación F508del, que causa la producción de una proteína anormal que altera la forma en que el agua y el cloruro son transportados en el cuerpo. Tener dos copias de esta mutación (una heredada de cada progenitor) es la principal causa de la FQ.

Los efectos secundarios más comunes de ORKAMBI incluyen dificultad para respirar, infección del tracto respiratorio superior, náuseas, diarrea y erupción cutánea. En las mujeres que tomaron ORKAMBI aumentaron las alteraciones menstruales, tales como aumento en el sangrado.

La seguridad y eficacia de ORKAMBI se estudió en dos ensayos clínicos doble ciego controlados con placebo de 1.108 participantes con FQ que eran mayores de 12 años con la mutación F508del. En ambos estudios, los participantes con FQ que tomaron ORKAMBI, dos tabletas tomadas cada 12 horas, demostró que la función pulmonar mejora en comparación con los que tomaron placebo.

La FDA otorgó a ORKAMBI la designación de fármaco huérfano, por ser la fibrosis quística una enfermedad rara. Este medicamento está dirigido a tratar la causa de la misma.

Disponible en:

<http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm453565.htm>

La Habana, 6 de julio del 2015.