

Categoría: Noticias

Publicado: Martes, 22 Agosto 2023 14:52

Escrito por: Sofia

Visitas: 1632

Â

FDA aprueba un tratamiento para la fibrod displasia osificante progresiva

Â

El 16 de agosto de 2023, la Administraci3n de Drogas y Alimentos de los EE. UU. (FDA) aprob3 las c3psulas Sohonosâϕ (palovaroteno) del laboratorio farmac3utico Ispen, el primer tratamiento para personas con **fibrod displasia osificante progresiva** (FOP), una rara y grave afecci3n.

En 2006, se describi3 la base gen3tica de la FOP, un trastorno muy raro y gravemente incapacitante, que revel3 objetivos terap3uticos potenciales en la v3a de se3alizaci3n de la prote3na morfogen3tica 3sea (BMP). La prevalencia puntual estimada de FOP es de hasta 1,4 por mill3n de personas. Alrededor del 97 % de las personas portan la misma variante pat3gena espec3fica en el dominio de activaci3n de glicina-serina del gen del receptor de activina A tipo 1 (ACVR1/quinasa similar al receptor de activina 2 [ALK2]). Esta variante patog3nica cl3sica de FOP conduce a una se3alizaci3n de la v3a BMP continuamente mejorada.

Las personas con la forma cl3sica generalmente presentan caracter3sticas cl3sicas de malformaciones bilaterales de los dedos gordos del pie, hinchaz3n y masas intermitentes y osificaci3n heterot3pica progresiva (HO) en patrones anat3micos espec3ficos que a menudo se forman con episodios dolorosos intermitentes de inflamaci3n del tejido conectivo, conocidos como brotes. Aunque algunos brotes retroceden espont3neamente, muchos conducen a HO, transformando los m3sculos, tendones y ligamentos afectados en hueso heterot3pico.

La FOP se asocia con una expectativa de vida considerablemente m3s corta, causada principalmente por insuficiencia cardiorrespiratoria resultante del s3ndrome de insuficiencia tor3cica. La acumulaci3n progresiva de HO conduce a una disminuci3n de la movilidad y una mayor discapacidad. La mayor3a de las personas con FOP quedan confinadas a una silla de ruedas a los 30 a3os, lo que requiere asistencia de por vida con las actividades de la vida diaria y reduce la calidad de vida. El est3ndar de atenci3n actual es principalmente paliativo y se limita al control de los s3ntomas y la prevenci3n de brotes.

Tomado por v3a oral, el palovaroteno se dirige al subtipo gamma espec3fico de los receptores del 3cido retinoico, un regulador importante del desarrollo esquel3tico y del hueso ect3pico en la v3a

FDA aprueba un tratamiento para la fibrodysplasia osificante progresiva

Categoría: Noticias

Publicado: Martes, 22 Agosto 2023 14:52

Escrito por: Sofia

Visitas: 1632

de señalización de los retinoides, y podrá ayudar a reducir la HO en la FOP.

La aprobación de la FDA se basa en los resultados del ensayo Fase 3 MOVE (1). Este estudio mostró una eficacia sustancial del palovaroteno, medida por la reducción del volumen de HO nuevo (en comparación con participantes sin tratamiento). De acuerdo con las expectativas dado el corto período de tiempo, no se observaron impactos claros en los resultados funcionales y la calidad de vida en estos resultados intermedios. En general, el palovaroteno se toleró bien y los eventos adversos más comunes estuvieron asociados con los retinoides, con las notables excepciones del riesgo de cierre epifisario prematuro en un gran subgrupo de pacientes más jóvenes, y los riesgos potenciales de disminución de la DMO y fracturas vertebrales. Dado el riesgo potencial de inhibición del crecimiento de los huesos largos, particularmente en niños muy pequeños (<8 años de edad para las niñas y <10 años de edad para los niños), se debe realizar una consideración extremadamente cuidadosa de los beneficios y riesgos al decidir si se debe tratar niños en crecimiento con palovaroteno. Además, se podrá tener un seguimiento adicional de los efectos adversos a más largo plazo con el tratamiento con palovaroteno, en un estudio que está en curso.

Este es un avance emocionante para los pacientes con FOP y una señal de progreso real hacia tratamientos más personalizados para afecciones más raras.

Bibliografía:

1-Pignolo R et al. Reduction of New Heterotopic Ossification (HO) in the Open-Label, Phase 3 MOVE Trial of Palovarotene for Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP). Journal of Bone and Mineral Research 2023