Categoría: Noticias
Publicado: Martes, 22 Agosto 2023 14:52
Escrito por: Sofia
Visitas: 2760

FDA aprueba un tratamiento para la fibrodisplasia osificante progresiva

El 16 de agosto de 2023, la Administración de Drogas y Alimentos de los EE. UU. (FDA) aprobó las cápsulas Sohonosâ¢ (palovaroteno) del laboratorio farmacéutico Ispen, el primer tratamiento para personas con **fibrodisplasia osificante progresiva** (FOP), una rara y grave afección.

En 2006, se describió la base genética de la FOP, un trastorno muy raro y gravemente incapacitante, que reveló objetivos terapéuticos potenciales en la vía de señalización de la proteína morfogenética ósea (BMP). La prevalencia puntual estimada de FOP es de hasta 1,4 por millón de personas. Alrededor del 97 % de las personas portan la misma variante patógena específica en el dominio de activación de glicina-serina del gen del receptor de activina A tipo 1 (ACVR1/quinasa similar al receptor de activina 2 [ALK2]). Esta variante patogénica clásica de FOP conduce a una señalización de la vía BMP continuamente mejorada.

Las personas con la forma clásica generalmente presentan características clásicas de malformaciones bilaterales de los dedos gordos del pie, hinchazón y masas intermitentes y osificación heterotópica progresiva (HO) en patrones anatómicos específicos que a menudo se forman con episodios dolorosos intermitentes de inflamación del tejido conectivo, conocidos como brotes. Aunque algunos brotes retroceden espontáneamente, muchos conducen a HO, transformando los músculos, tendones y ligamentos afectados en hueso heterotópico.

La FOP se asocia con una expectativa de vida considerablemente más corta, causada principalmente por insuficiencia cardiorrespiratoria resultante del síndrome de insuficiencia torácica. La acumulación progresiva de HO conduce a una disminución de la movilidad y una mayor discapacidad. La mayoría de las personas con FOP quedan confinadas a una silla de ruedas a los 30 años, lo que requiere asistencia de por vida con las actividades de la vida diaria y reduce la calidad de vida. El estándar de atención actual es principalmente paliativo y se limita al control de los síntomas y la prevención de brotes.

Tomado por vía oral, el palovaroteno se dirige al subtipo gamma específico de los receptores del ácido retinoico, un regulador importante del desarrollo esquelético y del hueso ectópico en la vía de señalización de los retinoides, y podría ayudar a reducir la HO en

Phoca PDF

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 (<8â años de edad para las niñas yâ <10â 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 óseas 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

Phoca PDF