Nuevo tratamiento aprobado por ANMAT para la acrondroplasia

Categoría: Noticias
Publicado: Lunes, 16 Septiembre 2024 12:00
Escrito por: Sofia
Visitas: 1760

La acondroplasia es una enfermedad genética que afecta el crecimiento de la mayoría de los huesos del cuerpo y ocasiona baja talla desproporcionada. Esta enfermedad se caracteriza por presentar baja estatura con brazos y dedos cortos, piernas cortas y arqueadas, macrocefalia, frente prominente, puente nasal plano, otitis del oído medio frecuentes, debilidad muscular y retraso en la marcha o en otros hitos del desarrollo. Puede acompañarse además de complicaciones neurológicas, apneas, tendencia a la obesidad, hipertensión arterial, pérdida auditiva y problemas dentales.

Esta patología es causada por la alteración del gen que codifica al FGF-23 (factor de crecimiento fibroblástico 23). Este gen sufre una ganancia de función, inhibiendo el crecimiento endocrondral.

Recientemente, la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (ANMAT) de Argentina aprobó el uso de vosoritida para el tratamiento de pacientes con acrondroplasia desde los 4 meses de vida, pero antes del cierre de los cartílagos de crecimiento.

Hasta el desarrollo de la vosoritida, el tratamiento de la acondroplasia se limitaba al manejo sintomático de las complicaciones asociadas a la enfermedad, incluyendo intervenciones quirúrgicas y tratamientos ortopédicos.

En cuanto al mecanismo de acción, vosoritida, al unirse al receptor del péptido natriurético tipo B (NPRB), antagoniza el efecto del FGF-23 y promueve la proliferación y diferenciación de los condrocitos. Su aplicación es diaria y subcutánea.

En estudios clínicos de fases II y III, el uso de la vosoritida demostró aumentar la talla entre 4 y 6 centímetros por año, comparable con la velocidad de crecimiento de niños sin acondroplasia. El tratamiento también contribuye a mejorar múltiples manifestaciones asociadas a esta enfermedad.

Respecto a sus efectos adversos están descriptos vómitos, reacciones en el sitio de aplicación e hipotensión.

Esta es una gran noticia para los pacientes argentinos con acondroplasia y sus familias.

Copyright 2024. Endoweb.net

Phoca PDF