Un nuevo fármaco para el tratamiento del Síndrome Cushing

Categoría: Publicaciones destacadas
Publicado: Jueves, 21 Agosto 2025 14:40
Escrito por: Sofia
Visitas: 2506

El Osilodrostat demuestra ser una opción eficaz y segura en pacientes con esta enfermedad, pero su manejo debe ser individualizado en función de su etiología.

Tratamiento con Osilodrostat para el Síndrome de Cushing en la práctica clínica del mundo real: hallazgos del estudio ILLUSTRATE

Osilodrostat Treatment of Cushing Syndrome in Real-World Clinical Practice: Findings From the ILLUSTRATE Study.

Maria Fleseriu y col. Journal of the Endocrine Society, 2025.

Disculpe su navegador web no soporta audios.
Descargar Tratamiento con Osilodrostat para el Síndrome de Cushing en la práctica clínica del mundo real: hallazgos del estudio ILLUSTRATE

Puntos de Interés: Este estudio multicéntrico realizado en Estados Unidos analiza retrospectivamente la eficacia y seguridad del Osilodrostat en pacientes con Síndrome de Cushing de distintas etiologías.

Resumen

Contexto: En los ensayos clínicos el Osilodrostat (inhibidor de la 11Î² hidroxilasa) redujo efectivamente los niveles de cortisol en pacientes con Síndrome de Cushing endógeno (SC).

Objetivo: Evaluar el uso de Osilodrostat en pacientes con SC de distintas etiologías en un estudio de la vida real (ILLUSTRATE) en los Estados Unidos.

Métodos: Se realizó una revisión retrospectiva de historias clínicas de los pacientes con SC tratados con Osilodrostat entre el 1 mayo 2020 y el 29 octubre de 2021.

Resultados:

- Se incluyó a un total de 42 pacientes (n=34 con Enfermedad de Cushing; n=5 con SC por adenoma adrenal y n=3 con Sindrome de secreción ectópica de ACTH - SEA-).
- Las dosis de inicio fueron 2 mg dos veces al día en 27/42 pacientes (64.3%) mientras que las dosis de mantenimiento fueron 2 mg dos veces al día en 6 de 9 pacientes (66.7%) que se

Phoca PDF

adhirieron al tratamiento.
- Durante el tratamiento con Osilodrostat el cortisol libre urinario (CLU) disminuyó por debajo del límite superior de normalidad (LSN) en 14 de 20 pacientes (70%) que tenían previamente valores superiores al LSN.
- La respuesta al Osilodrostat se observó en un rango de dosis de 2–20 mg/día.
- En Enfermedad de Cushing, la media del CLU y el cortisol salival nocturno (CSN) descendió de 3.03 y 2.39 veces del LSN respectivamente a 0.71 y 1.13 veces del LSN en el último laboratorio entre quienes tuvieron datos disponibles (n=17 y 8 respectivamente).
- El CLU disminuyó en todos los pacientes con Síndrome de Cushing por adenoma adrenal y SEA con datos bioquímicos disponibles (n=2 para cada etiología).
- No hubo señales de seguridad inesperadas; los eventos adversos más comunes (incidencia â¥20%) fueron fatiga, náuseas y edema de miembros inferiores.
- El Síndrome de abstinencia a glucocorticoides (SAG) y/o la insuficiencia adrenal (IA) se reportaron en 12 de 42 pacientes (28,6%) luego del inicio del Osilodrostat, resultando en suspensión del tratamiento en 4 pacientes.

Conclusión: En la práctica clínica, con una dosificación personalizada de acuerdo a la condición clínica, respuesta y tolerancia, el Osilodrostat fue efectivo y bien tolerado, independientemente de la causa del SC y su severidad.

Puntos a destacar:

- Los eventos adversos se clasificaron en SAG o IA según severidad de los síntomas y cortisol sérico matinal (SAG: síntomas leves y cortisol >10 ug/dL o IA: síntomas más severos y cortisol sérico matinal â¤10 ug/dL).
- La edad media de los pacientes fue de 43.7 años siendo el 76.2% mujeres.
- La media de duración de la enfermedad antes del inicio de Osilodrostat fue de 57.3 meses, y la mayoría de los pacientes habían sido tratados previamente con cirugía (81%) y/o con uno o más tratamientos médicos (61.9%).
- Se evaluaron los siguientes datos bioquímicos: CLU, CSN, cortisol sérico matinal, potasio sérico y testosterona (sólo en mujeres).
- **Llama la atención que los niveles basales de cortisol sérico matinal, CLU o CSN no necesariamente predijeron la dosis de Osilodrostat requerida para normalizarlos. Por lo que se enfatiza la necesidad de individualizar la dosis de inicio y**

Phoca PDF

titulación a cada situación clínica particular.

- La titulación de la dosis puede estar relacionada a las distintas causas de SC. A diferencia de lo que sucede en la Enfermedad de Cushing, en los casos de SAE, la ACTH rara vez se eleva durante la inhibición de la síntesis de cortisol. En casos de adenoma adrenal, la elevación de ACTH se ve en forma más tardía luego de la normalización del cortisol.
- Los datos de Cushing adrenal y SAE en este trabajo deben tomarse con cautela debido al bajo n. Asimismo, una limitación del estudio es el diseño retrospectivo, y muchos datos faltantes, sobre todo bioquímicos.

Copyright 2025. Endoweb.net

Phoca PDF