

Una noticia histórica:

Evidencia de que el tratamiento con Vertex-770 diseñado para el tratamiento de los pacientes con FQ que portan la mutación G551D produce importantes beneficios clínicos.

El 23 de Febrero pasado se publicaba un comunicado conjunto de la Cystic Fibrosis Foundation (CFF) de EEUU y de Vertex, empresa farmacéutica que desde hace años investigaba el papel de dos moléculas el Vertex-770 y el Vertex-809, específicamente diseñadas para revertir el efecto de dos mutaciones causantes de FQ. El primero para la mutación G551D que portan más del 4% de los pacientes a nivel mundial, aunque rara en España, y el segundo para la mutación con mucho mas frecuente a nivel mundial: F508del.

En este Comunicado, del que se también se hace eco en la página web de la European Cystic Fibrosis Society, el Presidente de la Sociedad Europea de FQ Prof. Stuart Elborn-Robert, J Beall Presidente de la CFF y Vertex presentan los impresionantes resultados positivos, muy superiores a los esperados, del ensayo de Fase III "Strive" con el Vertex-770 en 161 pacientes con FQ que recibieron durante 48 semanas el fármaco en dos dosis diarias por vía oral o placebo. Los pacientes tenían mas de 12 años y un FEV1 basal medio de 63% Pred.

Se observó un gran beneficio en la función pulmonar (diferencia con el placebo de 17% de media) que se mantuvo durante todo el tiempo del estudio. Además los pacientes tratados con Vertex-770 tuvieron un 55% menos exacerbaciones, y ganaron 3.1 kg de peso vs 0.4 kg los tratados con placebo. Reflejando la importante mejoría en la función pulmonar, también el cuestionario de calidad de vida validado para FQ el CFQ-R documentó una importante y clínicamente significativa mejoría en el dominio de los síntomas respiratorios del CFQ-R. Por si todo lo anterior fuera poco la concentración de Cloro en el sudor que era por término basalmente de 100 mmol/l se mantuvo en los pacientes tratados con Vertex-770 por debajo de 60 mmol/l durante todo el tiempo del estudio.

La fase de extensión del estudio "Strive" está en marcha. Vertex planea solicitar la aprobación de la FDA para el uso del Vertex-770 en la segunda mitad de 2011.

La compañía tiene en marcha un estudio de Fase II con distintas dosis del Vertex-809 solo o en combinación con el Vertex-770 para pacientes homocigotos F508del. Los resultados se esperan para mediados de este año. Por otra parte, otra Compañía (PTC Therapeutics) prosigue el estudio de Fase III con el Ataluren (anteriormente conocido como PTC 124), un péptido activo por vía oral diseñado para el tratamiento de las mutaciones de stop codón como G542X, que portan un alto número de pacientes españoles. Los resultados de este estudio posiblemente no estén disponibles hasta entrado el año 2012.

Tanto el Prof. Elborn, como Robert J Beall consideran los resultados del estudio Strive tremendamente alentadores, no solo para los pacientes portadores de G551D. Son válidos para todos, sea cualesquiera las mutaciones que porten, al mostrar por primera vez que la estrategia de intentar diseñar medicaciones para

la corrección de las disfunciones específicas del CFTR, inducidas por las distintas mutaciones, es acertada y factible. Hay evidencia que bastaría un 10% de corrección de la disfunción del CFTR para conseguir la completa prevención de la enfermedad pulmonar progresiva asociada a la FQ e incluso un 5% de corrección serviría para atenuarla.

Aunque todavía nos queda un largo camino que recorrer, hoy toda la Comunidad FQ estamos de enhorabuena. Los beneficios clínicos producidos por una medicación que por primera vez en la historia ha demostrado eficacia en la corrección del defecto básico de la enfermedad, son según la expresión de Robert J Beall “muy superiores a los jamás alcanzados hasta ahora con cualquier otro tratamiento de la enfermedad”, y nos permiten contemplar el futuro con más optimismo que nunca.

Carlos Vázquez Cordero

Presidente de la SEFQ