

GM I.F.
Madrid

Aunque aún está por determinar la fecha definitiva, romiplostim, un fármaco indicado para pacientes con púrpura trombocitopénica inmune crónica (PTI) que hayan sufrido esplenectomía, que sean refractarios a los tratamientos convencionales (corticosteroides o inmunoglobulinas), o en los que sea aconsejable como tratamiento de segunda línea porque esté contraindicada la extirpación del bazo, podría estar disponible en breve en España.

Y se prevé que, de los 6.000 pacientes que en la actualidad sufren PTI crónica en nuestro país, alrededor de un 5 por ciento, es decir, más de 300 pacientes españoles, podrían beneficiarse de las aportaciones de este fármaco huérfano (la PTI es una de las enfermedades raras), tal y como debatieron algunos de los profesionales que participaron en las Jornadas Científicas sobre PTI, organizadas por la compañía bio-

Diversos estudios avalan que este medicamento reduce los episodios hemorrágicos graves

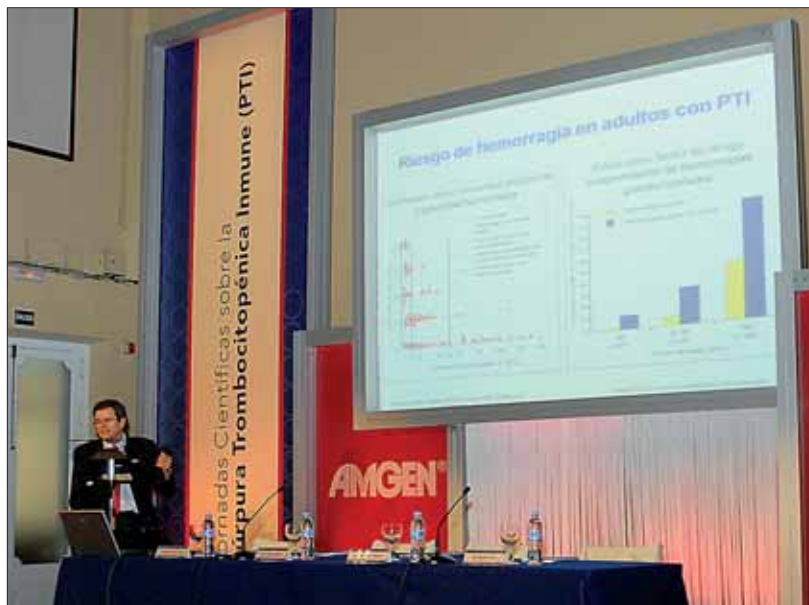
tecnológica Amgen, la semana pasada en Madrid.

Pero, aunque se ha demostrado en diversos estudios de fase II y fase III que este fármaco es eficaz para estimular la producción de plaquetas en la médula ósea —la PTI es un trastorno hemorrágico autoinmune crónico y potencialmente grave caracterizado por unos niveles de plaquetas en sangre anormalmente bajos—, y que es la primera opción de tratamiento a largo plazo aprobada en Europa para, de forma específica, incrementar la producción de plaquetas, “tenemos que tener muy presentes cuáles son los riesgos potenciales del tratamiento a largo plazo con romiplostim, un fármaco que vamos a tener en las farmacias en unas semanas y que vamos a

HEMATOLOGÍA/ EL FÁRMACO PUEDE ESTAR DISPONIBLE EN BREVE

Más de 300 españoles con PTI tomarán romiplostim

Cerca de un 5 por ciento de los 6.000 pacientes en España con púrpura trombocitopénica inmune (PTI) podría beneficiarse de tratamientos con este fármaco huérfano que estimula la producción de plaquetas, aunque deben analizarse sus riesgos a largo plazo. Por eso, Amgen está promoviendo un estudio de médulas óseas.



El doctor Josep María Ribera, del Hospital Germans Trias i Pujol de Barcelona, explicó, durante las Jornadas Científicas celebradas la semana pasada en Madrid, las claves del diagnóstico y el tratamiento de la PTI.

utilizar con nuestros pacientes”, dijo el doctor José Antonio Páramo, de la Clínica Universitaria de Navarra (Pamplona).

Y es que, en los estudios realizados hasta el momento con romiplostim, Páramo destacó uno de los estudios más largos realizados con trombopoyéticos hasta el momento, en el que participaron un total de 142 pacientes durante

más de 96 semanas tomando romiplostim. De los 142, 31 pacientes discontinuaron el estudio por diversas causas, 124 lo continuaron durante más de 24 semanas, 91 durante más de 48, y 26 durante más de 96. El recuento plaquetario medio en estos pacientes era de 17.000 plaquetas por microlitro, cuando los niveles en una persona normal están entre 150.000 y 400.000, y un 8 por ciento de los enfermos de PTI sufrió trombosis.

Por eso, y ante los posibles

riesgos, Amgen anunció que está promoviendo un estudio en el que analizará médulas óseas en pacientes tratados con romiplostim a largo plazo, para así observar los efectos adversos y la seguridad del fármaco.

No obstante, el doctor Páramo señaló que en otro estudio extenso y abierto con romiplostim llamado EXTEND, en el que participaron 109 pacientes con PTI durante 22 semanas, se observó un aumento sostenido de plaquetas en un 54 por ciento de

enfermos, por encima de las 30.000 por microlitro, reduciendo considerablemente la aparición de episodios hemorrágicos graves. Y, además, el 35 por ciento de los pacientes pudo discontinuar la medicación y la necesidad de utilizar la de rescate u otros tratamientos de mantenimiento, aunque tres pacientes desarrollaron trombosis y siete experimentaron aumento de reticulina.

Autoadministración

Uno de los aspectos destacados durante las jornadas fue la posibilidad que ofrece romiplostim de ser autoadministrado. En el estudio a largo plazo citado anteriormente, se permitió autoadministrar el fármaco a los pacientes que mantenían recuentos estables de plaquetas durante tres semanas, de los cuales sólo un 3 por ciento discontinuó la autoadministración. “Este dato es muy importante —dijo Páramo— porque nos da la seguridad de que puede ser administrado por los propios pacientes”.

Algunos efectos adversos de magnitud observados son la trombocitosis o la trombosis

Por otra parte, el doctor Josep María Ribera, del Hospital Germans Trias i Pujol de Barcelona, recomendó que, al administrar el tratamiento (ya sea convencional o con trombopoyéticos como romiplostim o eltrombopag) a un paciente con PTI, esa enfermedad “caprichosa e impredecible en muchos casos”, “no hay que correr a cambiar de tratamiento por falta de respuesta”, porque se debe esperar al menos un mes para ver resultados. Además, insistió en que el objetivo no consiste en aumentar las plaquetas hasta el índice de lo normal, sino en mejorar la calidad de vida de estos pacientes. Por todo esto, “me gustaría que existiera una guía estándar de tratamiento de la PTI, aunque es muy difícil”, concluyó.

En marcha un estudio epidemiológico prospectivo sobre las trombopoyesis inmunes

Este mes se ha puesto en marcha en España el estudio TIMES, un estudio epidemiológico prospectivo de las características de la PTI primaria y otras trombopoyesis inmunes, de dos años de duración, según anunció el doctor Javier Palau, del Hospital La Fe de Valencia. El objetivo: descubrir las características clínicas y terapéuticas de la PTI, además de evaluar las respuestas a tratamientos en primera y segunda línea. “Con este proyecto tratamos de integrar la recogida de datos en la práctica clínica habitual”, explicó Palau. Los criterios de inclusión comprenden a niños desde dos meses

hasta adultos diagnosticados en los últimos tres meses. La recogida de datos se hará vía web y, durante el seguimiento, el médico realizará tres informes por paciente (uno en la primera visita, otro a los seis meses y un último a los 12 meses de tratamiento). El análisis y las conclusiones se esperan para noviembre de 2012. “Si obtenemos datos interesantes nos plantearemos crear un registro universalizado multicéntrico que consolide la información en nuestro medio, y tener una base epidemiológica que nos permita plantear nuevos estudios en trombocitopenia inmune”, dijo Palau.

