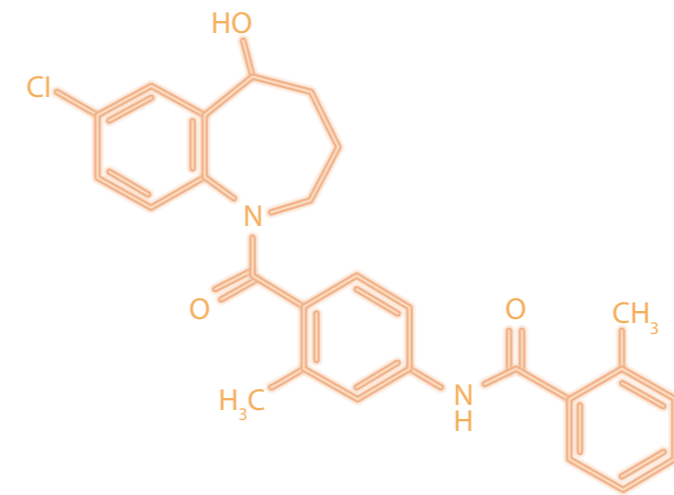


# Tolvaptan en la poliquistosis renal autosómica dominante

En la reunión anual de la American Society of Nephrology y, simultáneamente, en un artículo publicado en el New England Journal of Medicine, un grupo de investigadores dirigidos por el Dr. Vicente Torres, de la Clínica Mayo, han presentado los resultados del ensayo clínico *Tolvaptan Efficacy and Safety in Management of Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease Outcomes (TEMPO)*.

El Tolvaptan, un fármaco desarrollado por Otsuka Pharmaceuticals, bloquea el enlace entre la hormona vasopresina y su receptor en el riñón. La vasopresina provoca la producción en el riñón de la molécula *cyclic Adenosine MonoPhosphate (cAMP)*. Hay una fundada sospecha de que el cAMP acelera la progresión de la Poliquistosis Renal Autosómica Dominante (PQRAD) estimulando la proliferación celular y la secreción de fluido en los quistes. Por todo ello, se espera que el Tolvaptan, al disminuir la producción renal de cAMP, ralentice la progresión de la PQRAD.



En el estudio TEMPO, 1.400 pacientes de todo el mundo fueron tratados aleatoriamente con placebo o Tolvaptan durante 3 años. Cada uno de ellos ha tenido un seguimiento periódico de la función y el volumen renal (mediante Resonancia Magnética), entre otros análisis clínicos. **El Tolvaptan ha ralentizado el crecimiento de los riñones poliquísticos y el deterioro de la función renal, así como el dolor asociado.** Los pacientes tratados con Tolvaptan han mostrado efectos secundarios relacionados con el incremento de la producción de orina y algunas alteraciones en los análisis hepáticos. Los pacientes tratados con placebo han mostrado más efectos adversos relacionados con los problemas de la PQRAD.

Aunque el Tolvaptan ya fue aprobado como tratamiento para otras enfermedades, las dosis de Tolvaptan suministradas en el ensayo TEMPO fueron significativamente superiores a las usadas en los estudios previos para otras enfermedades. Además los pacientes de PQRAD constituyen un grupo específico entre la población general. Por ello, y hasta que la FDA y la EMA no lo aprueben, puede ser peligroso tomar Tolvaptan como tratamiento para la PQRAD.

Todo ello no puede hacernos olvidar de que este es un gran paso para los pacientes con PQRAD. **Esta es la primera ocasión en que un fármaco específicamente concebido para alterar la progresión de la PQRAD en humanos ha mostrado ser beneficioso.**

**Hasta que la FDA y la EMA no lo aprueben, puede ser peligroso tomar Tolvaptan como tratamiento para la PQRAD.**

## ALGUNAS PREGUNTAS HABITUALES

### ¿Va a aprobar la FDA (Agencia Estadounidense del Medicamento) el Tolvaptan como tratamiento para la PQRAD?

La FDA está revisando a fondo todos los datos presentados por Otsuka (fundamentalmente los del ensayo TEMPO), para confirmar los riesgos y beneficios relativos al uso del Tolvaptan en este tratamiento.

Se desconoce en estos momentos si la FDA lo aprobará o no.


### ¿Qué efectos secundarios produce el Tolvaptan?

En base a anteriores estudios realizados con el Tolvaptan para el tratamiento de otras enfermedades, los pacientes que tomen Tolvaptan pueden experimentar sed y una necesidad frecuente de orinar. Los pacientes que en el estudio TEMPO recibieron Tolvaptan han manifestado efectos secundarios relacionados con un incremento de la producción de orina y algunas alteraciones en los análisis hepáticos; los pacientes que recibieron placebo presentaron más efectos adversos relacionados con la PQRAD. La existencia de otros efectos secundarios, aparte de los manifestados en el estudio TEMPO, se pondrán de relieve en la revisión conjunta entre la FDA y Otsuka de los datos obtenidos en este estudio.

### ¿Mi médico puede prescribir ya Tolvaptan?

El Tolvaptan ya fue aprobado para el tratamiento de otras enfermedades, pero no ha sido aún evaluado por la FDA, y demás organismos, para su uso en la PQRAD. Es muy importante que quede claro que las dosis de Tolvaptan empleadas en el estudio TEMPO fueron significativamente más altas que las empleadas en los tratamientos ya conocidos.

Además, los pacientes de PQRAD constituyen un tipo específico y los médicos que los tratan tienen muy poca o ninguna experiencia en el uso de este tratamiento en su consulta. Así pues, y hasta que la FDA/EMA apruebe el fármaco, debe considerarse peligroso el consumo de Tolvaptan para el tratamiento de la PQRAD. Por otro lado, y si bien el Tolvaptan ya está a la venta, su precio es muy elevado.



Los pacientes que en el estudio TEMPO recibieron Tolvaptan han manifestado efectos secundarios relacionados con un incremento de la producción de orina y algunas alteraciones en los análisis hepáticos.