

## Nueva medicación para la cistinosis

Reacia a decirlo en voz alta, en su 12 cumpleaños, Natalie Stack escribió su deseo en una servilleta de restaurante: “Para que mi enfermedad desaparezca para siempre.”

Una década más tarde, su deseo está un paso más cerca de hacerse realidad.

El Martes, la Administración de Alimentos y Medicamentos aprobó un nuevo medicamento desarrollado con financiación

inicial de una fundación que los padres de Natalie establecieron en respuesta a esa petición. El medicamento, que será comercializado por Raptor Pharmaceutical Corporation bajo el nombre Procysbi®, es para la cistinosis nefropática, una enfermedad hereditaria muy poco frecuente que, si no se trata, por lo general destruye los riñones a los 10 años e incluso con un trasplante de riñón puede conducir a la muerte en edad adulta temprana.



La historia que hay detrás del desarrollo de Procysbi® es un ejemplo más de la importancia del papel que los padres y fundaciones de enfermedades pueden desempeñar en el desarrollo de medicamentos, en particular para las enfermedades raras.

La aprobación de Procysbi® puede plantear preguntas preocupantes acerca de si la sociedad puede darse el lujo de pagar precios tan altos por los medicamentos que tratan enfermedades raras. Esto se debe a que Procysbi® no es una nueva entidad química, sino más bien una versión más conveniente y más tolerable de un medicamento existente. Los costes de los medicamentos existentes son de alrededor de \$ 8.000 al año, mientras que

Procysbi® tendrá un coste de \$ 250.000 de promedio.

Los altos precios son típicos de los medicamentos para el tratamiento de las llamadas enfermedades huérfanas. El sistema de salud los ha aceptado dado el pequeño número de pacientes, que implica que el coste total no tenga un gran impacto total. Actualmente hay una fuerte competencia entre las empresas farmacéuticas por los fármacos huérfanos.

La firma de investigación EvaluatePharma predijo recientemente que los medicamentos huérfanos constituirán 15,9% del gasto en medicamentos con receta para el año 2018, frente al 5,1% en 1998.

**La importancia del papel que los padres y fundaciones de enfermedades pueden desempeñar en el desarrollo de medicamentos.**

Un estudio de 50 compañías de seguros y administradores de beneficios de farmacia por JP Morgan concluyó que los medicamentos para las enfermedades raras será una de las áreas cada vez más sujetas al escrutinio y las posibles restricciones de uso.

Mientras que muchos medicamentos son **desagradables de tomar**, el medicamento existente para la cistinosis (**Cystagon**<sup>®</sup>, de Orphan-Eurpe-Recordatti) lo es aún mucho más. Tiene un fuerte olor que causa mal aliento y olor

corporal. También causa náuseas, vómitos y otros problemas abdominales.

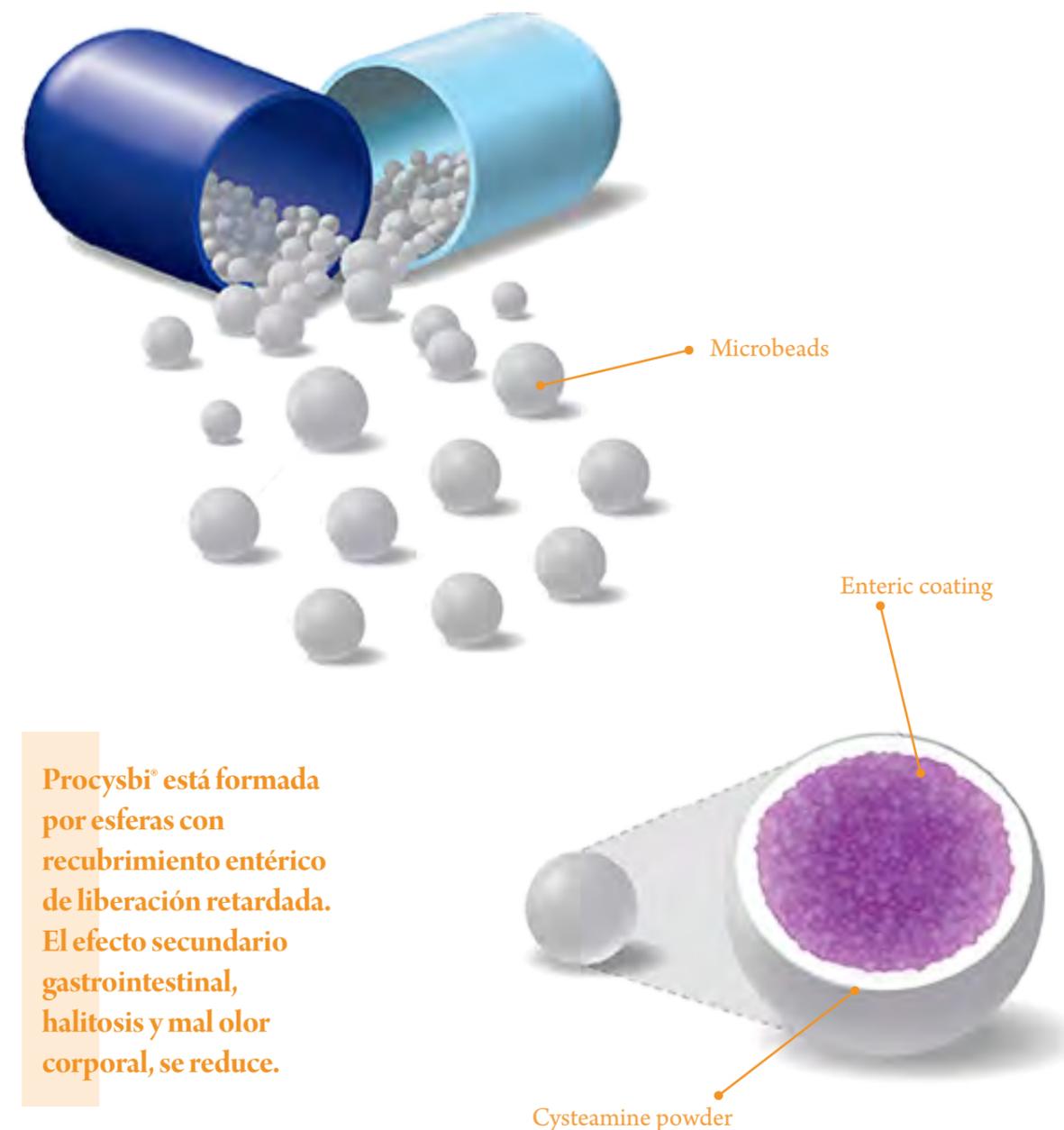
Por otra parte, hay que tomarlo cada seis horas, lo que significa que los pacientes tienen que levantarse en medio de la noche, o sus padres deben despertarlos. Sin embargo resulta altamente eficaz y ha mejorado espectacularmente el curso de la enfermedad.

**Procysbi<sup>®</sup> tiene el mismo ingrediente que Cystagon<sup>®</sup> pero está formada por esferas con recu-**

**brimiento entérico de liberación retardada.** Se puede tomar cada 12 horas en lugar de cada seis. El efecto secundario gastrointestinal, halitosis y mal olor corporal, se reduce, aunque no se elimina.

Christopher M. Starr, co-fundador y director ejecutivo de Raptor, piensa que se necesitará mucho tiempo para convencer a las aseguradoras de que asuman el coste adicional.

**PROCYSBI<sup>®</sup>**



**Procysbi<sup>®</sup> está formada por esferas con recubrimiento entérico de liberación retardada. El efecto secundario gastrointestinal, halitosis y mal olor corporal, se reduce.**

