

# El TOLVAPTÁN

## para la poliquistosis renal autosómica dominante: un largo camino



**DRA. ROSER TORRA**

Enfermedades Renales Hereditarias,  
Fundació Puigvert. Barcelona.

**T**ras largos años de espera ha llegado JINARC (tolvaptán) a nuestro país. El proceso de desarrollo y aprobación de un fármaco dista de ser fácil. Primero se hacen los estudios en modelos animales (ratones etc..) y si los resultados son positivos se prueba en sujetos sanos. Si estos lo toleran bien se estudia primero en un pequeño grupo de pacientes y después en un amplio grupo. Estos estudios son lentos y costosos. El ensayo clínico TEMPO <sup>3</sup>/<sub>4</sub> para validar seguridad y eficacia del Tolvaptán en la poliquistosis renal auto-



### El manejo del tratamiento con Tolvaptán no es fácil

sómica dominante, se inició en el 2007 y tenía 3 años de duración. Hasta el 2012 no se publicaron los resultados positivos en una revista de gran prestigio: *New England Journal of Medicine*. Aunque se publique la eficacia de un medicamento las agencias reguladoras evalúan ellas mismas las evidencias de seguridad y eficacia que existen y deciden sobre su aprobación. Así, la Agencia Europea del Medicamento (EMA) aprobó el medicamento en Mayo del 2016 mientras que su homónima americana (la FDA) no lo hizo hasta dos años más tarde pues

solicitó nuevas evidencias de acción del fármaco en insuficiencia renal, especialmente en pacientes con función renal algo deteriorada. En Europa, la aprobación de la EMA no significa que se prescriba de forma inmediata en toda la Comunidad Europea. Cada estado miembro tiene potestad para decidir sobre su aprobación. Así mientras en Alemania se podía prescribir inmediatamente después de la aprobación europea, hay países de Europa en los que el medicamento aun no está autorizado. En España se autorizó en el 2017, pero al igual que ocurre con los estados miembros de la Comunidad Europea, no todas las Comunidades Autónomas (CCAA) lo aprobaron a la vez. Por ejemplo en Cataluña no

se aprobó hasta Mayo del 2018 mientras que en muchos hospitales del Estado se prescribía casi un año antes. Esto es debido a que la sanidad en nuestro país está transferida a las CCAA y cada una decide cómo gestionar la atención sanitaria y su presupuesto. Así pues en algunas comunidades, como la de Madrid, es cada hospital que autoriza o no el tratamiento mientras que en otras, como en Cataluña, es la administración la que regula este tipo de tratamientos. Así pues, en Cataluña se definen unos criterios estrictos de tratamiento y cada solicitud debe introducirse en el sistema del Catsalut detallando el cumplimiento por parte del paciente de esos criterios así como el seguimiento de la enfermedad y el tratamiento.

El manejo del tratamiento con Tolvaptán no es fácil. Se trata de un fármaco de "prescripción hospitalaria", lo cual quiere decir que no se puede comprar en la farmacia de la

calle sino que se debe recoger en la farmacia del hospital. Además el medicamento tiene un "plan de gestión de riesgos" que consiste en la reali-

zación de una analítica mensual durante los primeros 18 meses y luego de forma trimestral. Esto es debido a que, en aproximadamente un 4% de pacientes (de forma idiosincrática), se detecta una elevación de transaminasas (pruebas hepáticas) y al detectarlo de forma precoz se pueden tomar las medidas adecuadas como reducir dosis, suspenderlo temporalmente o suspenderlo indefinidamente. Este aumento de transaminasas no se ha relacionado con ningún factor analizado pero sí se ha visto que la probabilidad que se eleven disminuye mucho a partir del primer año y medio.

Pero no solo la gestión de la administración del medicamento no es sencilla sino que la poliuria que condiciona (orinar mucho) resulta incómoda a veces para el paciente.

**Los pros de la medicación superan a los contras y nos congratulamos de disponer del primer medicamento efectivo aprobado para la poliquistosis renal**