

Incertidumbre por la escasez de un fármaco para el Gaucher

Los afectados por esta patología rara esperan a conocer si se tendrán que limitar las dosis

OLGA PRIETO
SALAMANCA

Un problema de producción en el laboratorio estadounidense que fabrica "el tratamiento por elección más demandado y eficiente contra la enfermedad de Gaucher", el Cerezyme, podría obligar a las autoridades sanitarias a establecer alternativas o nuevas pautas terapéuticas que permitan hacer frente a un potencial desabastecimiento del fármaco. En España, se calcula que unas 300 personas padecen esta patología rara de la que en Salamanca se conoce la existencia de tres casos, aunque sólo dos están localizados por la Asociación Española de Enfermos y Familiares de Gaucher (AEEFEG).

Su presidente, Serafín Martín, confirmó ayer que la entidad ya se ha puesto en contacto con la empresa, Genzyme, y espera conocer a lo largo de la próxima semana cómo afectará la falta de suministro a España, donde la escasez se nota desde el pasado verano.

"Los primeros problemas surgieron en julio del año pasado, cuando se asignó a cada país una cantidad. Se reunió un comité de expertos y se diseñó un protocolo, marcándose prioridades y estableciendo una reducción de las dosis en base a los resultados clínicos de cada paciente. A los más leves y estables se les suspendió el tratamiento bajo estrecha vigilancia, y se pautaron dos alternativas a la dosificación habitual, de dos inyecciones al mes: se podía seguir con dos infiltraciones mensuales, pero al 50%, u optar por una sola", aclara el representante del colectivo.

Aunque a finales de enero pareció reestablecerse el suministro y la pasada semana los afectados fueron informados de que la producción se había normalizado, "han surgido otros problemas" que han reavivado la incer-



Serafín Martín, presidente de la asociación, charla con otro miembro de la directiva.

tidumbre de los pacientes, que gracias a esta terapia pueden lograr una mejor calidad de vida.

Como indican desde la asociación, el Cerezyme es un tratamiento sustitutivo de la enzima de la que carecen o son deficitarios los pacientes con Gaucher. Esta anomalía enzimática produce una acumulación celular irregular en distintos órganos, lo que causa numerosas manifestaciones clínicas, como dolor de huesos, retraso del crecimiento, fracturas patológicas o infiltración en la médula ósea.

Mejora su calidad de vida

Además, pueden ser frecuentes la anemia o la falta de plaquetas, las hemorragias y el agrandamiento del hígado y el bazo. Así, las infiltraciones periódicas de concentrados de esta enzima paliar la afectación ósea, aumenta el nivel de plaquetas y permite una aceptable recuperación. Aunque existe

un tratamiento oral, éste no es apropiado para muchos pacientes, por lo que el Cerezyme es en la actualidad el más demandado. "Estamos a la espera de conocer hasta qué punto puede afectar el desabastecimiento a España y si supondrá una supresión total del fármaco o una reducción de las dosis, aunque mantendremos informados a nuestros asociados", subraya Martín, quien confía en que existan "alternativas" a estos problemas de producción, que podrían prolongarse hasta septiembre, según ha comunicado la Agencia Europea del Medicamento (EMA).

Mientras, los enfermos de Gaucher aguardan la aprobación de dos nuevos tratamientos intravenosos, uno de los cuales ya ha sido autorizado por la Agencia Estadounidense del Medicamento (FDA), y está pendiente de aprobación por la EMA. ■