



ASOCIACIÓN DE LAS
MUCOPOLISACARIDOSIS
Y
SÍNDROMES RELACIONADOS
(MPS ESPAÑA)

MPS I

En 15 países de la unión europea está aprobado el Aldurazyme, suministrándose semanalmente, por una terapia de sustitución enzimática a largo plazo en pacientes que hayan tenido un diagnóstico confirmado de MPS I, al objetivo de tratar las manifestaciones no neurológicas del síndrome. El Aldurazyme ha sido desarrollado por el Laboratorio Biomarin y Genzyme en años próximos con responsabilidad de producción a cargo de BioMarin y la comercialización en todo el mundo a cargo de Genzyme. El Laboratorio Genzyme está proponiendo el fármaco en Europa a nivel de estados individuales, a medida que la discusión sobre precios y reembolsos son aprobados en cada uno de ellos. Tratándose del primer fármaco huérfano aprobado por las MPS en la unión europea, ha sido garantizado el Aldurazyme con una exclusiva de mercado para duración de 10 años. Más información www.aldurazyme.com

MPS II

El Laboratorio Transkaryotic Therapies Inc., TKT, está valorando una nueva aproximación para alcanzar el sistema nervioso central y, si los resultados lo sustentaran, se espera conducir un trial para suministrar directamente la enzima en el sistema nervioso central de pacientes MPS II hacia el fin del 2005.

En julio de 2004 TKT anunció haber recibido la autorización de la FDA por el iduronato-2-sulfatasa, I2S, para tratar el MPS II. Inició un estudio piloto con el I2S en septiembre de 2003. Este trial denominado AIM, Assessment of Iduronate-2sulfatase, ha durado 12 meses y ha estudiado los efectos del I2S en 96 pacientes con Síndrome de Hunter.

TKT está en espera de tener los resultados definitivos en el segundo trimestre del 2005 y, en caso de que se revelaran positivos, debe hacer solicitud de aprobación comercial del fármaco en los EE.UU. o en Europa para la segunda mitad del año 2005.

Más información www.tkt.com o www.hunterpatients.com

MPS III

El laboratorio Transkaryotic Therapies Inc. (TKT) en el ámbito de sus búsquedas por una nueva aproximación a los problemas del sistema nervioso central, espera poder dar un nuevo impulso al programa que se ocupa de MPS III-A.. Si tuviera que tener éxito el trial con el suministro directo de la enzima en el sistema nervioso central en pacientes MPS II, se espera poder también extender la búsqueda al MPS III-A.

Se están llevando otras investigaciones con Glucosamina en EEUU y con muy buenos resultados, estamos pendientes de resultados.

También se ha realizado otra prueba con niños con MPS III en EEUU y Canadá y se ha observado una mejoría tratándolos con Genistein, una sustancia sacada de la Soja.

Otra alternativa importante que se está barajando es la posible utilización de inhibidores de substrato en Sanfilippo o MPS III. El tratamiento Zavesca de la compañía Actelion se está dando de uso compasivo en la enfermedad de Gaucher, Niemann Pick C, Tay Sachs o GM2, y GM1 (Gangliosidosis).

MPS IV

TKT ha suspendido su búsqueda sobre la MPS IV afirmando que, después de una rigurosa verificación interna en su compañía, los desafíos técnicos y reguladores puestos por la misma son bien mayores con respecto de otras enfermedades de acumulación lisosomal. TKT ha programado recolocar los recursos para la búsqueda relativa al sistema nervioso central en los MPS II donde un éxito también pudiera haber recaído por otras enfermedades lisosomal de acumulación, por ejemplo la MPS III, por suerte otros la están estudiando con óptimos resultados, ndr.

Por otro lado, el Dr. Shunji Tumatsu's de EEUU encabeza la investigación con este síndrome y es muy probable que pronto tengamos noticias alentadoras.

Más información en www.morquio.com

MPS VI

El Laboratorio BioMarin Pharmaceutical Inc. el día 3 de junio de 2005 ha comunicado datos positivos relativos a la Fase 3 del trial con Aryplase por el MPS VI.

En cuanto a resultados:

** El trial clínico ha demostrado una significativa mejoría en la resistencia de los pacientes tratados con el fármaco con respecto de los que han recibido placebo, pueden caminar 12 minutos.*

** Los datos del trial han demostrado una disminución estadísticamente significativa de glicosaminoglicanos (GAG) excretados en la orina de los pacientes estudiados.*

** La otra prueba de resistencia, la subida de una escalera por tres minutos, ha demostrado incluso una mejoría en los pacientes tratados.*

** Los resultados del trial clínico indican como el trato con Aryplase(Naglazyme actualmente) sea generalmente bien detallado. Hubieron efectos secundarios durante las infusiones más frecuentes en los pacientes que recibieron el fármaco pero generalmente leves o moderados. Fue más frecuente la manifestación de problemas en los pacientes que recibieron el placebo. BioMarin espera solicitar la autorización para su comercialización en los EE.UU. y en el UE en el cuarto trimestre del 2005. Biomarin también está barajando la posibilidad de instalarse en Europa o tratar con varios laboratorios para su comercialización. Más información. www.naglazyme.com www.BMRN.com www.mpsvi.com Ya se comienza a comercializar Naglazyme en EEUU y en breve en Europa.*

MPS VII

Los médicos Dr.Kakkis y William Sly han conseguido una financiación para desarrollar la sustitución enzimática por el MPS VII.

Están haciendo progresos pero no ha sido localizada todavía una fecha para iniciar un trial clínico con seres humanos.

En resumen, se está abriendo una oportunidad muy importante en éstos síndromes. Ojalá pronto tengamos más respuestas como la aprobación del tratamiento Naglazyme de BioMarin en Europa para MPS VI(Maroteaux-Lamy), y la aprobación del tratamiento I2S de TKT para Hunter.