

Un fármaco para prevenir los ataques de porfiria aguda

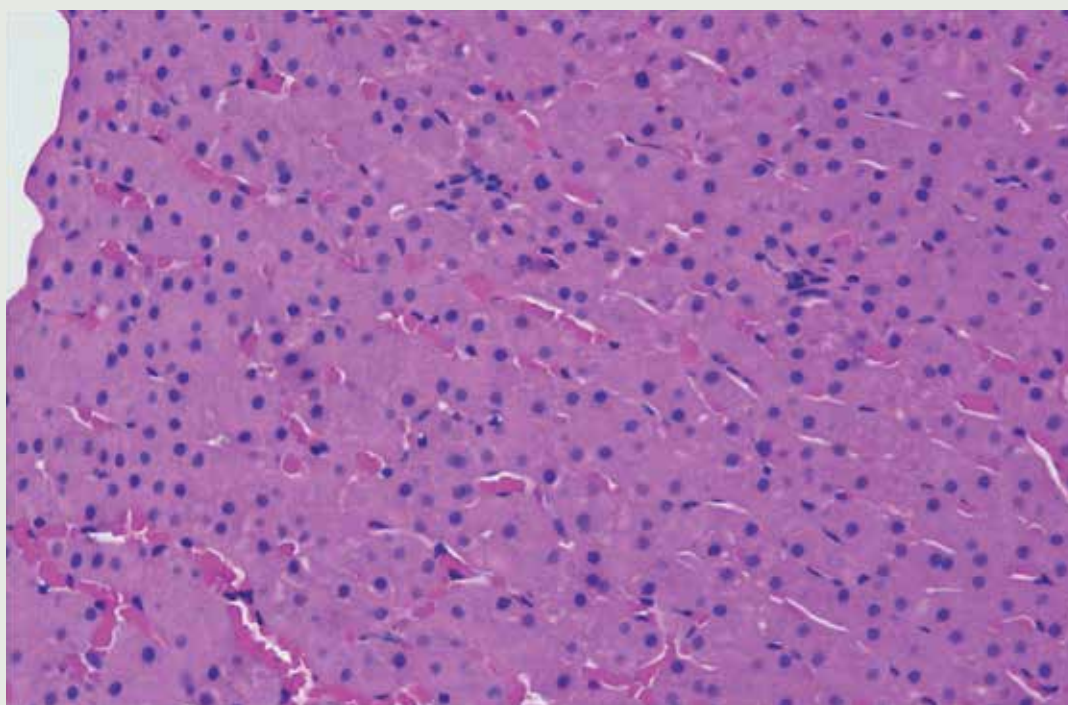


Imagen microscópica de células hepáticas realizada por el Departamento de Anatomía Patológica de la Clínica.

La Clínica participa en un ensayo internacional que estudia el efecto de un medicamento como posible tratamiento para paliar esta enfermedad rara

CUN ■ La porfiria aguda constituye un grupo de enfermedades raras que afectan al funcionamiento normal del hígado. De transmisión hereditaria, va mermando la producción de hemo, componente importante a la hora de producir proteínas esenciales. Una enfermedad que produce fuertes dolores y que, en Europa, afecta a una persona de cada 15.000, aunque sólo entre un 10 y un 20% de ellas padecen síntomas.

Actualmente, un nuevo estudio a nivel mundial busca

un tratamiento mediante una inyección subcutánea capaz de prevenir los ataques agudos de porfiria. A él se ha sumado la Clínica en la tercera fase del ensayo Envision que se abre a 75 pacientes de todo el mundo con ataques agudos frecuentes y sintomatología de difícil control. Además, otros dos centros nacionales, el Hospital Clínic de Barcelona y el Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca de Murcia, participan en la investigación.

“Los pacientes con porfiria aguda intermitente, la forma más común de porfiria aguda, sufren ataques caracterizados por un dolor muy intenso, más comúnmente dolor abdominal, acompañado de agitación, confusión mental, convulsiones, agotamiento, debilidad muscular, náusea, vómito, estreñimiento, crisis

hipertensivas y aumento de la frecuencia cardíaca”, explica la Dra. Delia D’Avola, especialista del Departamento de Medicina Interna.

Además de su baja incidencia, la porfiria aguda entraña otra complejidad para su tratamiento. Es una dolencia con probabilidad incompleta de expresar síntomas en todos los individuos, es decir, una persona puede ser portadora de la enfermedad pero desconocerlo ante la falta de síntomas. Un hecho que complica su investigación.

“El único procedimiento terapéutico hoy en día es la hematina, un tratamiento sintomático que se puede administrar durante el ataque agudo para aliviar los síntomas y prevenir complicaciones agudas graves. Pero no hay una curación de la enfermedad”, reconoce y añade que “lo único que curaría realmente la porfiria aguda sería el trasplante de hígado”.

LA FRASE



“Los pacientes que han recibido el tratamiento han presentado una notable reducción de los ataques agudos y, por tanto, una reducción de los medicamentos que se usan para tratar los síntomas de la enfermedad”.

Dra. Delia D’Avola
Especialista del Departamento de Medicina Interna.

MEJOR CALIDAD DE VIDA. La falta de cura subraya la importancia de este nuevo ensayo, que supone la apertura de una nueva puerta ante un posible fármaco que prevenga los ataques de dolor: el Givosiran. Este medicamento se administra por vía subcutánea e inhibe la acumulación de los precursores responsables de los síntomas de la porfiria aguda. “Los pacientes que han recibido el tratamiento han presentado una notable reducción de los ataques agudos y, por tanto, una reducción de los medicamentos que se usan para tratar los síntomas de la enfermedad”.

Los ataques agudos de porfiria provocan fuertes dolores que pueden terminar provocando el ingreso hospitalario del paciente más de una vez al mes.