

La FDA ha aprobado un fármaco para el tratamiento de los síntomas motores en la EH

La FDA aprobó la valbenacina, también conocida como INGREZZA, como tratamiento para los síntomas de motores de la enfermedad de Huntington.

Por [Dr Leora Fox](#) y [Dr Rachel Harding](#) | 23 de agosto de 2023

Editado por [Dr Rachel Harding](#) | Traducido por [Asunción Martínez](#)

Publicado originalmente el 22 de agosto de 2023

La gran mayoría de las personas con enfermedad de Huntington padecen síntomas motores, conocidos como corea. El fármaco valbenacina, también llamado INGREZZA, ha sido aprobado recientemente por la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA), permitiendo a los médicos de los EE.UU. a prescribir esta medicina para la corea en la enfermedad de Huntington (EH). En este artículo analizamos los aspectos principales de esta noticia y lo que ello significa para los miembros de la familia EH.

Antecedentes sobre la valbenacina

INGREZZA es el nombre comercial de valbenacina, un fármaco desarrollado por la empresa Neurocrine Biosciences. Funciona de manera similar a la tetrabenazina y la deutetrabenazina (Austedo), medicamentos comúnmente recetados para ayudar a controlar los espasmos o movimientos espasmódicos involuntarios que experimentan las personas con EH.



La Administración de Medicamentos y Alimentos de los Estados Unidos (FDA) es la

encargada de aprobar los medicamentos que han demostrado ser seguros en las personas y eficaces en el tratamiento de diferentes enfermedades.

El tratamiento con estos medicamentos bloquea una proteína llamada VMAT2 que es responsable de empaquetar ciertos tipos de sustancias químicas que las células cerebrales utilizan para comunicarse. VMAT2 ayuda a disponer el mensajero químico dopamina (entre otros) en burbujas que pasan de una célula a otra. La dopamina desempeña un papel en los circuitos de movimiento de nuestro cerebro y se cree que bloquear VMAT2 puede silenciar las conversaciones cruzadas. No está claro exactamente por qué esto mejora los movimientos irregulares e involuntarios, pero estos medicamentos funcionan para muchas personas con corea de EH.

La valbenacina está aprobada en EE.UU. desde 2017 para el tratamiento de la discinesia tardía (TD), movimientos involuntarios que se derivan del uso de medicamentos conocidos como neurolépticos o antipsicóticos. Muchas personas en todo el mundo toman antipsicóticos para tratar los síntomas psiquiátricos y conductuales del trastorno bipolar, la esquizofrenia y otras enfermedades (incluida la EH). Después de usar estos medicamentos durante mucho tiempo, algunas personas desarrollan TD, que a menudo implica contracciones en los músculos de la boca y la cara. La valbenacina (INGREZZA) puede ser útil para controlar esos movimientos involuntarios, por lo que Neurocrine comenzó a estudiar si también podría ser eficaz para la corea provocada por la enfermedad de Huntington.

Análisis y aprobación de valbenacina para personas con EH

Debido a que la valbenacina se había probado en personas con TD y se había recetado durante varios años, ya sabíamos que era segura en humanos. Sin embargo, aún era necesario realizar un ensayo clínico para comprender si podía tratar eficazmente la corea de la enfermedad de Huntington. En colaboración con el Grupo de Estudio Huntington, Neurocrine realizó un ensayo clínico de fase 3 llamado KINECT-HD, desde el año 2020. Participaron 128 personas; la mitad recibió pastillas de valbenacina una vez al día durante 12 semanas y la otra mitad tomó un placebo (una pastilla sin fármaco). Se invitó a los participantes a continuar en un ensayo en curso más largo llamado KINECT-HD2, en el que todos reciben valbenacina.

«KINECT-HD fue un éxito y alcanzó su criterio de valoración principal, lo que significa que la valbenacina disminuyó la gravedad de la corea de la EH en comparación con el placebo. »

KINECT-HD fue un éxito, alcanzando su criterio de valoración principal, lo que significa que la valbenacina disminuyó la gravedad de la corea de la EH en comparación con el placebo. Mejoró la puntuación de corea máxima total (TMC), una medida que los médicos utilizan

para controlar los síntomas de corea. Ese resultado “de primera línea” se hizo público en 2021 y, desde entonces, Neurocrine ha continuado sus estudios, analizando, presentando y preparando los datos de los dos ensayos de EH con valbenacina. Lo presentaron a la FDA en diciembre de 2022 y el 18 de agosto de 2023, Neurocrine anunció que INGREZZA había sido aprobado por la FDA, lo que significa que ahora se puede recetar oficialmente a personas en los EE.UU. para tratar la corea de la EH.

Los medicamentos pueden tardar algún tiempo en pasar de la aprobación al lanzamiento y a la prescripción común, especialmente para una enfermedad rara. Una vez que obtengan luz verde, las empresas podrán dedicar más energía a educar a los profesionales médicos y a la comunidad sobre una nueva terapia. Para finales de septiembre, es probable que haya aumentado la conciencia entre los médicos estadounidenses, pero ya existen recursos para que los familiares aprendan más.

¿Qué más sabemos sobre la valbenacina?

Es importante señalar que INGREZZA no ralentiza ni detiene la progresión de la EH. Sin embargo, tomar medicamentos para mejorar los movimientos involuntarios y otros síntomas de la EH puede tener un impacto importante en la calidad de vida. Para algunas personas con EH y sus seres queridos, la corea no es molesta, pero para otras puede interferir con las actividades cotidianas e incluso con la seguridad, y el tratamiento puede marcar una gran diferencia.



INGREZZA se toma en una sola pastilla, una vez al día, lo que puede facilitar que las personas con EH mantengan el control de sus medicamentos.

Imagen por: [Rodrigo Senna](#)

INGREZZA se toma en forma de una única cápsula por vía oral una vez al día. Esta es una característica positiva de este medicamento, ya que para muchas personas con EH puede resultar difícil recordar tomar una serie compleja de comprimidos a lo largo del día. Al igual que los “primos químicos” de la valbenacina, puede haber formas de modificar la administración para las personas que tienen problemas para tragar o usan una sonda de

alimentación. La dosis también se puede modificar con el tiempo dependiendo de cómo responda el paciente al medicamento y de los efectos secundarios que pueda experimentar. Neurocrine espera que esto signifique que los efectos secundarios serán más manejables para un mayor número de personas que toman este medicamento en comparación con otros medicamentos dirigidos a VMAT2.

Equilibrio de efectos secundarios, costos y otros factores

Como todos los medicamentos, la valbenacina tiene algunas desventajas. Los inhibidores de VMAT2 tienen efectos secundarios comunes, como somnolencia. También pueden tener efectos secundarios muy graves que incluyen depresión y pensamientos o acciones suicidas. Por lo tanto, es muy importante que las personas con EH que estén considerando tomar INGREZZA transmitan con precisión su historial médico a su proveedor de atención médica y les avisen lo antes posible si experimentan algún efecto secundario.

Además de los inhibidores de VMAT2, existe una variedad de medicamentos que los médicos recetan para tratar la corea junto con otros síntomas. Por ejemplo, algunos antipsicóticos utilizados para la salud mental y el comportamiento en la EH también pueden tener el efecto de calmar los movimientos. También hay consideraciones en torno al costo, especialmente en países como Estados Unidos, donde la cobertura del seguro puede diferir o no existir en absoluto debido a la falta de atención médica universal. Empresas como Neurocrine con nuevos fármacos en el mercado pretenden paliar este problema a través de diferentes canales, incluidos programas de asistencia.

«La disponibilidad de múltiples tratamientos para la corea de la EH aumenta la conciencia pública sobre la EH... y aumenta las opciones para los miembros de la familia de la EH en sus decisiones de atención médica. »

Cabe señalar que Teva introdujo una versión de deutetrabenazina (Austedo XR) en los EE. UU. en mayo de este año, lo que probablemente no sea una coincidencia: las empresas con medicamentos que tratan el mismo trastorno a menudo adaptan sus estrategias de investigación en función del conocimiento público, como la inminente aprobación de la FDA de otra empresa. Las razones para prescribir o tomar un medicamento u otro difieren de un médico a otro y de un paciente a otro. Cada uno responde a los medicamentos de manera diferente y la cobertura y las aprobaciones varían enormemente de un lugar a otro.

Mensaje para casa

Mientras esperamos tratamientos que puedan retardar la progresión de la enfermedad, medicamentos como INGREZZA pueden mejorar la calidad de vida y es una adición bienvenida a nuestro arsenal de herramientas para combatir la EH. La aprobación de valbenacina en EE.UU. es una buena noticia para la comunidad de la EH. Aumenta la

conciencia pública sobre la enfermedad de Huntington y crea una competencia sana para mantener los costos bajos. Lo más importante es que la disponibilidad de múltiples tratamientos para la corea aumenta las opciones para los miembros de la familia con EH en sus decisiones de atención médica.

Dicho esto, fuera de EE.UU., solo los participantes en los ensayos KINECT-HD podrán tener acceso a este medicamento, y Neurocrine aún no ha confirmado su compromiso de buscar la aprobación regulatoria en otros países. Planean dirigirse a la comunidad directamente en un futuro próximo a través de un seminario web público dirigido a los miembros de la familia con EH. HDBuzz espera que todas las empresas que desarrollan terapias para la EH trabajen para lograr el acceso global a medicamentos que puedan mejorar la calidad de vida de las personas con EH.

Leora Fox trabaja en la Sociedad Estadounidense de la Enfermedad de Huntington, que tiene relaciones y acuerdos de confidencialidad con empresas que trabajan en medicamentos para la EH, incluida Neurocrine Biosciences. Este artículo fue escrito en base a información pública. Rachel Harding no tiene conflictos de intereses que declarar. [Más información sobre nuestra política de privacidad en las Preguntas frecuentes](#)

GLOSARIO

Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos La autoridad reguladora gubernamental en los EE.UU. responsable de aprobar nuevos medicamentos.

Ensayo clínico Experimentos muy bien planeados diseñados para responder determinadas preguntas sobre cómo afecta un fármaco a humanos
terapias tratamientos

dopamina Un compuesto químico (neurotransmisor) que está involucrado en el control del movimiento, el estado de ánimo y la motivación

Placebo Un placebo es una medicina falsa que no contiene ingredientes activos. El efecto placebo es un efecto psicológico que hace que la gente se sienta mejor aunque estén tomando una pastilla que no funciona.

Corea Movimientos involuntarios, irregulares 'nerviosos' que son frecuentes en la EH.

© HDBuzz 2011-2024. El contenido de HDBuzz se puede compartir gratuitamente, bajo una Licencia Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported.

HDBuzz no proporciona consejo médico. Para más información visite hdbuzz.net

Generado el 28 de febrero de 2024 — Descargado desde <https://es.hdbuzz.net/348>

Algunas partes de esta página todavía no han sido traducidas. Se muestran a continuación en el idioma original. Estamos trabajando para traducirlo todo lo antes posible.