

Vertex Adjudica Aprobación para la fibrosis quística Combo Orkambi

Anna Edney

02 de julio 2015 - 13:04 ART Actualizado en 02 de julio 2015 - 17:08 ART

Vertex Pharmaceuticals Inc. obtuvo la aprobación de Estados Unidos para su tratamiento combinado para la forma más común de la fibrosis quística, dando la farmacéutica lo que los analistas han proyectado será un nuevo éxito de taquilla.

La Administración de Alimentos y Medicamentos despejó la medicina, llamada Orkambi, a la venta para los pacientes mayores de 12 años que sufren de la enfermedad pulmonar mortal, según una carta publicada en un FDA base de datos. Orkambi es una combinación de un medicamento llamado Kalydeco que Vertex ya vende para un grupo más pequeño de pacientes con fibrosis quística y otro medicamento llamado lumacaftor.

"La aprobación de hoy amplía significativamente la disponibilidad de tratamientos dirigidos a los defectos específicos que causan la fibrosis quística," John Jenkins, director de la oficina de la FDA de nuevos fármacos, dijo en un comunicado.

Orkambi debería estar disponible en cuestión de días, dijo Vertex. Las acciones subieron 4 por ciento, a \$ 131,26 al cierre en Nueva York.

La FDA designó Orkambi un medicamento huérfano, lo que significa que tendrá derecho a siete años de exclusividad de comercialización libres de competencia de los genéricos, ya que se trata de una enfermedad rara. Vertex estudió Orkambi en dos ensayos clínicos que mostraron los pacientes que tomaron el medicamento, teniendo en cuenta como dos pastillas cada 12 horas, la función pulmonar mejora experimentada en comparación con aquellos que tomaron un placebo, dijo la FDA.

El tratamiento de combinación

La FDA aprobó inicialmente Kalydeco para su uso en unos 1.200 estadounidenses pacientes con fibrosis quística que tienen una determinada mutación genética. Desde entonces, el uso de la droga se ha

ampliado a cerca de 2.000 personas. Combinando Kalydeco con lumacaftor, Vertex con sede en Boston está buscando para tratar un adicional de 8.500 pacientes.

La fibrosis quística afecta a 30.000 niños y adultos en los EE.UU., de acuerdo con la Fundación de Fibrosis Quística. Puede ser una enfermedad mortal que causa pulmones de los pacientes y otros órganos a obstruir con moco espeso y pegajoso.

Orkambi está dirigido a pacientes con dos copias de la mutación F508del en el gen CFTR, defectos en los que conducen a la fibrosis quística. Sobre el 50 por ciento de las personas con la afección en los EE.UU. tienen dos copias de la mutación F508del, según la Fundación de Fibrosis Quística.