Medicamentos para enfermedades poco frecuentes "medicamentos huérfanos"

El paciente que padece una enfermedad poco frecuente, aparte de los problemas ocasionados por su propia enfermedad, deberá enfrentarse a otros derivados de la rareza de su patología. Existirán pocos médicos con experiencia, se tardará mucho en establecer un diagnóstico, habrá pocas o ninguna alternativa terapéutica, y muy probablemente no habrá en marcha ninguna investigación que les brinde, al menos, esperanza. Ésto ocasiona una situación de desamparo que no experimentan otros pacientes y que es independiente de la propia gravedad del proceso.

En 1983 se utilizó por primera vez la expresión "medicamento huérfano" para referirse a un tratamiento dirigido a pacientes con enfermedades poco frecuentes. Ese mismo año se aprobó en Estados Unidos el "Orphan Drug Act", que promovía la investigación y el desarrollo de este tipo de fármacos. Desde diciembre de 1999, en Europa disponemos también de un reglamento sobre medicamentos huérfanos. Incluso con ayuda institucional, este nicho del mercado farmacéutico resulta poco atractivo para la industria del sector. Por ese motivo, los medicamentos huérfanos suelen ser desarrollados por empresas pequeñas e innovadoras, como Orphan Europe.

Orphan Europe (www.orphan-europe.com) es una empresa farmacéutica creada con el objetivo de proporcionar medicamentos huérfanos a pacientes que sufren enfermedades poco frecuentes. Se creó en París en 1990 como empresa privada. En 1996 se estableció una filial en el Reino Unido, seguida por otra en Alemania en marzo de 1997. En 1998 se crearon filiales en España e Italia y en julio de 2000 en Polonia. En un futuro próximo está previsto que prosiga su expansión a otros países de la Unión Europea, así como a Europa oriental.

La empresa se ha comprometido a ofrecer el apoyo necesario a quienes actúan en este campo. Para ello trabaja en estrecha colaboración con expertos de

las respectivas Especialidades. A los profesionales de la asistencia sanitaria les ofrecen información sobre enfermedades poco frecuentes, así como formación en el diagnóstico y tratamiento de las mismas. Con el propósito de aumentar el conocimiento y atraer la atención hacia estas enfermedades, apoyan también la organización de congresos y seminarios científicos.

El listado de medicamentos actualmente comercializado por Orphan Europe, con su indicación terapéutica, es el siguiente:

Adagen (pegademasa)
– inmunodeficiencia combinada severa con déficit de ADA

Normosang (hemina humana)
– crisis agudas de porfiria

Cystagon (bitartrato de cisteamina)
– cistinosis nefropática

NTBC (nitisinona)
– tirosinemia hereditaria de tipo I

Ammonaps (fenilbutirato sódico)
– trastornos del ciclo de la urea

OE 312 (ácido L-carbamil N-glutámico)
– trastornos del ciclo de la urea (déficit de N-acetilglutamato sintetasa)

Cyanokit (hidroxocobalamina)
– antídoto para la intoxicación por cianuro

Cystadane (betaína anhidra)
– homocistinuria

Sucraid (sacrosidasa)
– déficit de sucrasa-isomaltasa

Vitamina E
– malabsorción

Galzin (acetato de zinc)
– enfermedad de Wilson

Busulfan IV
– régimen de preparación previo a un trasplante de médula ósea

Ibuprofeno IV
– cierre de ductus arterioso persistente en neonatos

Nota: Este texto ha sido elaborado utilizando información obtenida de la página web de Orphan Europe, con permiso expreso de sus directivos.