

El *sitaxentán* es un nuevo antihipertensivo que ha sido evaluado por la EMEA y autorizado por la Comisión Europea por el procedimiento europeo centralizado. Pertenece a la clase farmacológica "Antihipertensivos antagonistas de endotelina" siendo el 2º fármaco autorizado en nuestro país (el primero fue bosentán).

Se encuentra indicado en la hipertensión arterial pulmonar (HAP) clase funcional III de la OMS, para mejorar la capacidad de ejercicio. Su eficacia se ha demostrado en HAP primaria y asociada a enfermedad del tejido conjuntivo.

La HAP es una enfermedad rara (por ello se le ha calificado como medicamento huérfano) y progresiva que afecta a las arterias pulmonares, con un promedio de supervivencia de 3.5 años en pacientes con estado funcional de grado II y III.

En los estudios clínicos ha demostrado su eficacia en la HAP pero sin ninguna evidencia significativa frente a los tratamientos existentes (bosentán y sildenafil) por lo que representa un nuevo medicamento para esta patología tan grave.

TRABECTEDINA

YONDELIS® 0,25 mg 1 vial polvo PVL: 530 € Pharma Mar, S.A.
1 mg 1 vial polvo PVL: 1.994 €

Con receta médica. Uso hospitalario. Medicamento huérfano.
Código ATC: L01CX01.

La *trabectedina* es un nuevo antineoplásico antiproliferativo que ha sido evaluado por la EMEA y autorizado por la Comisión Europea por el procedimiento europeo centralizado. Es una tetrahidroisoquinolina extraída primeramente del *Ecteinascidia turbinata* marino, aunque hoy en día se obtiene de forma sintética.

Se encuentra indicado en el tratamiento de pacientes con sarcoma de tejidos blandos en estadio avanzado en los que haya fracasado el tratamiento con antraciclinas e ifosfamida, o bien que no sean candidatos a recibir dichos fármacos. La eficacia se basa fundamentalmente en datos de pacientes con liposarcoma o leiomiomasarcoma.

Dada la rareza de la patología, la Comisión Europea lo ha calificado como medicamento huérfano. Presenta un nuevo mecanismo de acción y es alternativa para los pacientes con este tipo de sarcoma para los que no había tratamiento.

ZICONOTIDA

PRIALT® 100 mcg/ml vial 1ml PVL: 397 € Eisai Fca, S.A.
100 mcg/ml vial 5ml PVL: 1.975 €

Con receta médica. Uso hospitalario. Medicamento huérfano.
Código ATC: N02BG08.

La *ziconotida* es un nuevo analgésico no opiáceo que ha sido evaluado por la EMEA y autorizado por la Comisión Europea por el procedimiento europeo centralizado. Es un análogo sintético de un ω -conopeptido que bloquea los canales de calcio tipo N inhibiendo la liberación de neurotransmisores responsables del dolor.

Se encuentra indicado en el tratamiento del dolor grave crónico en pacientes que necesitan analgesia intratecal.

Aunque su eficacia ha sido demostrada en los ensayos clínicos, por el momento no ha presentado ventajas frente a los tratamientos existentes (con los que no hay estudios comparativos) por lo que se le considera una alternativa más en el tratamiento de este tipo de dolor.

Con esta breve revisión se completa la información de todos los principios activos nuevos autorizados en el 2007, algunos de los cuales fueron ya informados en el volumen anterior (Vol.30): entecavir y natalizumab (nº2), idursulfasa, darunavir y dasatinib (nº3), clofarabina y deferasirox (nº4).

E.F.G. Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

• NUEVOS PRINCIPIOS ACTIVOS GENÉRICOS

En el año 2007 se han autorizado 19 nuevos principios activos en EFG (tabla II) incluidos en 180 formatos. Si tenemos en cuenta el total de formatos de nuevos medicamentos EFG que se han incluido en la financiación pública en este periodo de 2007 (1.133)² respecto al total (1.999) ello significa que el 58,68 % de los mismos fueron EFG (tabla III).

Tabla II
Principios activos nuevos autorizados como EFG en 2007

Articaína/Epinefrina	Mometasona
Calcitriol	Octeotrida
Cefpodoxima* (comp.)	Olanzapina
Cefuroxima	Oxcarbapentina
Domperidona	Perindopril
Fludarabina	Tibolona
Fosinopril/HCTZ	Topiramato
Granisetron	Vecuronio bromuro
Losartán/HCTZ	Vinorelbina
Metoclopramida	

*= nueva forma farmacéutica (ya hay EFG en inyectable desde 1999)

HCTZ= hidro clorotiazida

2. No todas las EFG autorizadas en 2007 (1292) se han financiado, por diferentes causas; de ahí que el nº sea menor

Si volvemos a analizar la evolución de las EFG autorizadas en los cuatro últimos años (2004-2007), podemos ver un incremento gradual significativo en la autorización de los mismos. Ello queda reflejado en los siguientes datos (tabla III):

- en el año 2004 se autorizaron 19 nuevos principios activos en EFG. Si tenemos en cuenta el total de nuevos medicamentos que se incluyeron en la financiación pública durante 2004, el 45,30% fueron EFG.
- en el año 2005 se autorizaron 11 nuevos principios activos en EFG. Si tenemos en cuenta el total de nuevos medicamentos que se incluyeron en la financiación pública durante 2005, el 51 % fueron EFG.
- en el año 2006 se autorizaron 25 nuevos principios activos en EFG. Si tenemos en cuenta el total de nuevos medicamentos que se incluyeron en la financiación pública durante 2006, el 71,58% fueron EFG.
- en el año 2007 se autorizaron 19 nuevos principios activos en EFG. Si tenemos en cuenta el total de nuevos medicamentos que se incluyeron en la financiación pública durante 2007, el 56,68% fueron EFG.

Tabla III. Evolución EFG autorizados (2004 - 2007)

	2004	2005	2006	2007
Nº de principios activos nuevos con genéricos	19	11	25	19
Financiación de formatos genéricos (A)	676	644	1.098	1.133
Total financiación de formatos de medicamentos (incluidos genéricos) (B)	1.492	1.256	1.534	1.999
(A) / (B)	45,30	51%	71,58%	56,68%

• NUEVOS PRINCIPIOS ACTIVOS COMO MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Durante 2007 en la financiación pública se han autorizado 12 nuevos principios activos como medicamentos huérfanos, siendo 8 de Uso Hospitalario y 4 de Diagnóstico Hospitalario. Estos principios activos son:

USO HOSPITALARIO:

- Clofarabina (Evoltra® viales).- su indicación autorizada es en el “*Tratamiento leucemia linfoblástica aguda en pacientes pediátricos que han presentado recidiva o son refractarios al tratamiento tras haber recibido un mínimo de 2 regímenes de tratamiento previo y para los que no existe ninguna otra opción terapéutica con la que se prevea una respuesta duradera.*”.
- Eculizumab (Soliris® viales).- su indicación autorizada es en el “*Tratamiento de pacientes con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN).*”.
- Idursulfasa (Elaprase® viales).- su indicación autorizada es en el “*Tratamiento a largo plazo del síndrome de Hunter (mucopolisacaridosis tipo II) para > 5 años.*”.
- Mecasermina (Increlex® viales).- su indicación autorizada es en el “*Tratamiento de larga duración de trastornos del crecimiento en niños y adolescentes con deficiencia primaria grave del factor de crecimiento insulínico tipo I (deficiencia primaria de IGF).*”.

- Nelarabina (Atriance® viales).- indicada en el “*Tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda de células T y linfoma linfoblástico de células T que han presentado recidiva o son refractarias al tratamiento tras haber recibido un mínimo de 2 regímenes de quimioterapia.*”.
- Sitaxentan (Thelin® comprimidos).- su indicación autorizada es en la “*Hipertensión arterial pulmonar (HAP) clase funcional III de la OMS, para mejorar la capacidad de ejercicio.*”.
- Trabectedina (Yondelis® viales).- su indicación autorizada es en el “*Tratamiento de pacientes con sarcoma de tejidos blandos en estadio avanzado en los que haya fracasado el tratamiento con antraciclinas e ifosfamida, o bien que no sean candidatos a recibir dichos fármacos. La eficacia se basa fundamentalmente en datos de pacientes con liposarcoma o leiomiomasarcoma.*”.
- Ziconotida (Prialt® viales).- su indicación autorizada es en el “*Tratamiento del dolor grave crónico en pacientes que necesitan analgesia intratecal.*”.

DIAGNÓSTICO HOSPITALARIO:

- Dasatinib (Sprycel® comprimidos).- presenta dos indicaciones autorizadas:
 - *Tratamiento de adultos con leucemia mieloide crónica (LMC) en fase crónica, acelerada o blástica, con resistencia o intolerancia al tratamiento previo, incluido mesilato de imatinib.*
 - *Tratamiento de adultos con leucemia linfoblástica aguda (LLA) con cromosoma Filadelfia positivo (Ph+) y crisis blástica linfoide procedente de LMC con resistencia o intolerancia al tratamiento previo.*
- Deferasirox (Exjade® comprimidos).- su indicación autorizada es en el “*Tratamiento de la sobrecarga férrica crónica debida a:*
 - *trasfusiones sanguíneas frecuentes (≥7 ml/ kg /mes de concentrado de hematíes) en pacientes con betatalasemia mayor, de edad igual o superior a 6 años.*
 - *trasfusiones sanguíneas cuando el t^º con deferoxamina este contraindicado o no sea adecuado en pacientes con: otras anemias, edad de 2-5 años, sobrecarga férrica por trasfusiones sanguíneas poco frecuentes (< 7 ml/ kg /mes de concentrado de hematíes).*”
- Lenalidomida (Revlimid® cápsulas).- su indicación autorizada es “*En combinación con dexametasona, en el tratamiento de los pacientes con mieloma múltiple que hayan recibido al menos un tratamiento previo.*”.
- Rufinamida (Inovelon® comprimidos).- su indicación autorizada es en el “*Terapia coadyuvante en el tratamiento del síndrome de Lennox-Gastaut en pacientes de edad superior a 4 años.*”.

Haciendo un pequeño análisis en la evolución en los 3 últimos años de los nuevos principios activos autorizados y calificados como medicamentos huérfanos:

	2005		2006		2007	
	nº	%	nº	%	nº	%
Mtos huérfanos	6	30	6	28,57	12	44,44
Total del año	20		21		27	