

Una dosis mayor de PROLASTIN[®]-C normaliza los niveles de alfa-1-antitripsina de los pacientes afectados por el déficit congénito de esta proteína

- El estudio que demuestra que una dosis más alta de PROLASTIN[®]-C aumenta los niveles de la proteína alfa-1 en pacientes con déficit de AAT a los niveles que se consideran dentro del rango normal de individuos sanos.
- En el segundo semestre de 2013 Grifols iniciará un segundo ensayo: el estudio SPARTA permitirá cuantificar el grado de conservación pulmonar obtenido con PROLASTIN[®]-C
- Aproximadamente 200.000 personas padecen déficit de alfa-1-antitripsina en Europa y Norteamérica, aunque más del 90% de los afectados siguen sin estar diagnosticados
- La sintomatología más frecuente de esta enfermedad en adultos suele coincidir con la enfermedad pulmonar obstructiva crónica (EPOC), mientras que en niños es la causa más común de enfermedad hepática

Barcelona, 22 de mayo de 2013.- Grifols ha presentado los resultados de su estudio SPARK en la reunión anual de la American Thoracic Society (ATS). SPARK es un ensayo clínico de farmacocinética con dosis múltiples que ha demostrado que la administración de dosis más altas de PROLASTIN[®]-C en pacientes afectados de déficit de alfa-1-antitripsina (AAT), una enfermedad hereditaria poco frecuente que puede derivar en un enfisema pulmonar, aumenta los niveles en sangre de la proteína AAT hasta un rango considerado normal en las personas sanas.

Concretamente, la infusión semanal de PROLASTIN[®]-C en una concentración de 120 mg/kg, frente a la dosis de 60 mg/kg actualmente aprobada por las autoridades sanitarias en los países en los que se comercializa este tratamiento (Estados Unidos, Canadá y algunos países de Latinoamérica), ha aumentado el nivel de AAT en sangre hasta el rango 20-53 micromolar (μ M). También se ha demostrado su seguridad y buena tolerancia por parte de los pacientes.

Hace 25 años, se lanzó en Estados Unidos PROLASTIN[®], la primera y única terapia aprobada por la FDA para el tratamiento del déficit de AAT mediante el aumento de los niveles de la proteína en los pacientes. El objetivo de este medicamento plasmático era incrementar los niveles de esta proteína en sangre hasta 11 μ M, un rango considerado como el umbral de protección mínimo para ralentizar la evolución de la enfermedad.

Según algunos expertos, durante todo este tiempo ha quedado probada la seguridad y la eficacia de PROLASTIN[®] y el estudio SPARK ha permitido verificar las mismas condiciones para un producto más concentrado y purificado como es PROLASTIN[®]-C, comprobándose que la metodología aplicada es correcta.

Grifols está utilizando los resultados del estudio SPARK como punto de partida para la puesta en marcha del estudio SPARTA, que será el primer y único ensayo clínico que estudiará a largo plazo el grado de conservación de tejido pulmonar que se obtiene con PROLASTIN[®]-C al administrar esta terapia de reemplazo en distintas pautas y dosis (60 mg/kg y 120 mg/kg) frente a placebo. El estudio multicéntrico SPARTA está previsto que

comience en la segunda mitad de 2013. Para cuantificar los resultados se utilizará el procedimiento de densitometría por TC.

Sobre el déficit de alfa-1-antitripsina

AAT es una proteína presente en la sangre que se suele sintetizar en el hígado y entre sus diversas funciones protege al pulmón de la inflamación causada por agentes agresores internos que atacan el tejido pulmonar o de agentes externos, como son el tabaco u otras sustancias inhaladas contaminantes e irritantes.

El déficit de AAT es una enfermedad hereditaria considerada poco frecuente según el baremo de la Unión Europea para catalogar este tipo de trastornos: patologías potencialmente mortales o debilitantes a largo plazo que afectan a menos de 5 personas por cada 10.000 habitantes.

La prevalencia estimada del déficit de AAT es de 33 casos por cada 100.000 habitantes¹, una prevalencia mayor que otras enfermedades raras de pulmón como son la fibrosis quística o la hipertensión arterial pulmonar. Si se analiza la prevalencia en Norteamérica y Europa, el número estimado de pacientes afectados por déficit de alfa-1 ascendería a unas 200.000 personas. No obstante, más del 90% de los potenciales afectados no están diagnosticados. La estimación que manejan los expertos es que aproximadamente solo un 5% de las personas afectadas tienen un diagnóstico adecuado.

En España se estima que más de 10.000 personas podrían padecer esta enfermedad genética, siendo portadores del fenotipo ZZ causante del déficit grave. La falta de conocimiento de la enfermedad y los síntomas comunes a la EPOC hacen que el diagnóstico en adultos pueda retrasarse hasta 10 años.

La sintomatología difiere dependiendo del grado de gravedad y tipo de mutación genética, pero un adulto con déficit de AAT suele presentar una pérdida progresiva de función pulmonar, factor que coincide con los síntomas característicos de la enfermedad pulmonar obstructiva crónica (EPOC). Es por ello que las guías internacionales de la ATS/ERS y la OMS recomiendan que a los pacientes con EPOC se les realice el test del déficit de AAT una vez en su vida.^{2,3}

Si los pacientes no reciben el tratamiento adecuado, puede derivar en un enfisema pulmonar que, finalmente, podría traducirse en un fallecimiento prematuro si no se realiza un trasplante del órgano. En niños, el déficit de AAT es la causa más común de enfermedad hepática.

Sobre Grifols

Grifols es una compañía global que desde hace más de 70 años contribuye a mejorar la salud y el bienestar de las personas impulsando tratamientos terapéuticos con proteínas plasmáticas, tecnología para el diagnóstico clínico y especialidades farmacéuticas de uso hospitalario.

Actualmente es la tercera compañía del mundo en la producción de medicamentos biológicos derivados del plasma, cuenta con presencia en más de 100 países y es líder mundial en suministro de plasma con 150 centros de donación en Estados Unidos. Grifols está comprometida con la mejora del acceso a sus tratamientos con proteínas plasmáticas mediante la continua innovación y ampliación de sus instalaciones productivas y el estudio de nuevas posibilidades terapéuticas para las proteínas del plasma. La compañía, con sede central en Barcelona, España, emplea a más de 11.000 profesionales.

¹ Orphanet Report Series: prevalence of rare diseases

² ATS/ERS: Standards for the Diagnosis and Management of Individuals with Alpha-1 Antitrypsin Deficiency. Am J Respir Crit Care Med 2003; 168: 818–900

³ α 1-Antitrypsin deficiency: Memorandum from a WHO meeting. Bulletin of the World Health Organization 1997; 75: 397-415

En 2012 las ventas superaron los 2.620 millones de euros. Las acciones ordinarias de Grifols (Clase A) cotizan en el Mercado Continuo Español y forman parte del Ibex-35 (GRF), mientras que las acciones sin voto (Clase B) también cotizan en el Mercado Continuo (GRF.P) y en el norteamericano NASDAQ (GRFS) mediante ADRs (American Depositary Receipts). Para más información visite: www.grifols.com