

HERRAMIENTA PARA LA EVALUACIÓN DE MEDICAMENTOS PARA EL TRATAMIENTO DE LA ENFERMEDAD DE ANDERSON-FABRY

Abdel-Kader Martín L, Castillo-Muñoz MA, Flores Moreno S.
Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de Andalucía



INTRODUCCIÓN

Cada vez son más frecuentes las situaciones donde se demanda una rápida evaluación de las terapias específicas, utilizadas en errores congénitos del metabolismo (ECM), como la enfermedad de Anderson-Fabry (EAF). Sin embargo, tanto por la epidemiología de los ECM, como por cuestiones éticas, los estudios de eficacia de los tratamientos específicos de estas enfermedades suelen tener una escasa validez interna. A esta situación, se añade el elevado coste de los tratamientos y la falta de alternativas terapéuticas.

OBJETIVO

Elaboración de una herramienta que facilite el desarrollo, análisis y evaluación de estudios cuyo objetivo sea evaluar la eficacia de tratamientos específicos en los pacientes con la EAF.

METODOLOGÍA

Se ha realizado una revisión sistemática en las principales bases de datos referenciales, *Cochrane Library*, *CRD (DARE, NHS EED, HTA)*, *MEDLINE* y *EMBASE*, enfocada a identificar las variables clínicamente relevantes. Se han incluido revisiones sistemáticas, informes de evaluación ensayos clínicos, estudios de intervención no controlados y estudios de cohortes que valoren la eficacia del tratamiento de reemplazo enzimático (TRE), agalsidasa alfa o agalsidasa beta en pacientes con la EAF. La evaluación de la calidad de las revisiones sistemáticas, ensayos clínicos y estudios de cohortes se realizó mediante los respectivos cuestionarios CASPe. Para la evaluación crítica de los estudios de intervención no controlados se ha utilizado un cuestionario específico, elaborado por el *National Institute for Health Research Coordinating Centre for Health Technology Assessment (NCHTA)*.

RESULTADOS

La variable de eficacia de mayor relevancia clínica en la EAF es una variable compuesta por mortalidad, insuficiencia renal terminal, infarto de miocardio, arritmia sintomática, angina inestable, empeoramiento de la insuficiencia cardíaca, ictus y accidente isquémico transitorio. A nivel renal, la variable subrogada que mejor refleja la eficacia del TRE es la tasa de filtración glomerular (TFG). No se ha demostrado una asociación entre el mantenimiento de la proteinuria o la reducción de los niveles de Gb3 y una mejora de la EAF. Por lo que no se recomienda la utilización de estas variables en la valoración de la eficacia del tratamiento específico. A nivel cardíaco y neurológico, no existe evidencia de la eficacia del TRE en variables clínicamente relevantes. Los cambios en la intensidad dolorosa, tras el TRE no son clínicamente relevantes. No existe evidencia suficiente de que el TRE mejore la calidad de vida de los pacientes con la EAF.

CONCLUSIONES

- Los resultados de este estudio proporcionan a los facultativos responsables de la selección de fármacos, una herramienta de gran utilidad en la evaluación de la eficacia del tratamiento específico en la EAF.
- El listado de variables clínicamente relevantes es de gran utilidad para la monitorización del tratamiento y evaluación de la eficacia.
- La mayoría de los estudios miden la eficacia a través de variables subrogadas y no a través de variables clínicas relevantes, como la mortalidad.