



Los avances de la medicina

Única oportunidad

Niños con dolencias raras buscan ensayos para optar a algún tratamiento

ANA MACPHERSON
Barcelona

Linda Wagner tiene síndrome de hiperinmunoglobulinemia D. Tardó algunos años en saberlo, años de viajar cada tres meses a Washington DC desde Argentina, pasar allí una semana de pruebas y volver casi siempre con las manos vacías. Desde sus 6 años. "Hasta que un día, dos años después de iniciar mis viajes, cuando estaban a punto de darse por vencidos, una becaria descubrió mi mutación y pusieron nombre a lo que me pasaba. Y así pude entrar en un ensayo clínico con un medicamento ya existente para la artritis reumatoide y que podría tener efecto sobre mi enfermedad",

LINDA

"El ensayo funciona, seguiré hasta que se apruebe el medicamento"

BRIAN Y SU MADRE

"Pasamos un año esperando la autorización y creo que llegamos tarde"

cuenta en Barcelona, su actual ciudad de residencia.

Su síndrome le provoca una reacción desmesurada, casi siempre con subidas de fiebre tremendas, ante un simple golpe en la pierna, una heridita, una decepción, un alegrón...

Es una de las pacientes que actualmente participan en el ensayo clínico de un medicamento que ayuda a mitigar estas reacciones en el hospital de Sant Joan de Déu. Este centro ha puesto en marcha la primera unidad de ensayos clínicos pediátricos. Ensa-

yo, clínico y pediátrico son términos que tienen en la calle connotaciones más bien negativas. Provocan, cuando menos, inquietud. "Pero para nosotros son sinónimo de oportunidad, a veces la única", explica Ángela Zapata, madre de Brian, un joven de 12 años con síndrome de Duchenne, una distrofia muscular que va avanzando y no tiene tratamiento. "Cuando le diagnosticaron a

los 4 años me dijeron: señora, su hijo tiene una distrofia muscular y lo único que se puede hacer es procurar que sea muy feliz". No se paró ahí, "por supuesto, pero sólo podían darle corticoides para ralentizarlo. Se trataba de ganar tiempo para la ciencia, por si llegaba un avance. Y me pasé un año esperando a que se firmara la autorización para ensayar un producto que podría frenar su distro-

fía". El medicamento que están administrando a Brian no cura, pero actúa sobre la progresión de la enfermedad. "Y las negociaciones para hacer el contrato con la farmacéutica para el ensayo clínico duraron meses, y en un chaval con un Duchenne, cuatro meses son un drama", aclara la coordinadora de la unidad de investigación clínica de Sant Joan de Déu, Joana Claverol. Los ensayos en

niños suelen llevarse a cabo en varios países y en muy pocos pacientes, para minimizar la exposición, y cada plan ha de ser aprobado y revisado por un comité pediátrico europeo, el PDCO. Y en cada hospital, el comité ético estudia el riesgo-beneficio del ensayo y las prácticas a las que se somete al pequeño.

La creación de su unidad pretende, entre otras cosas, facilitar



KIM MANRESA

Linda Wagner. Síndrome de hiperinmunoglobulinemia D. Tiene ya 19 años y lleva diez en ensayos clínicos que le han permitido mitigar las subidas y bajadas de fiebre que le causa la más pequeña alteración física o emocional. Participa en un nuevo ensayo desde el 2011 con otros 700 pacientes de todo el mundo



LUNES, 5 NOVIEMBRE 2012

TENDENCIAS

LA VANGUARDIA 29

LOS ENSAYOS CLÍNICOS EN SANT JOAN DE DÉU

42 estudios

La unidad de investigación de Sant Joan de Déu participa en un total de 42 ensayos clínicos pediátricos, de ellos, 14 son investigaciones propias del hospital

Los más frecuentes

Una cuarta parte de los ensayos corresponde a enfermedades infecciosas, artritis e hipercolesterolemia. El 17% es de medicamentos para diferentes tumores pediátricos

400 participantes

Los estudios en marcha reúnen a un total de 400 niños. En la mayoría de los ensayos basta con que participen 4 o 5 pacientes

esas negociaciones a los médicos que proponen participar en un ensayo a alguno de sus pacientes.

Brian empezó el tratamiento del ensayo -que podía ser placebo, porque sus médicos no pueden saber si le dan la sustancia a prueba o el placebo para comparar efectos- en marzo del 2011. "Creo que hemos llegado tarde. Sólo pedía que no me lo dejaran fuera. Por fin una puerta que se me abrió y no acababa de llegar. Te dicen que no te hagas ilusiones, pero eso es imposible. Hace dos meses que dejó de caminar".

El adolescente recibe un pinchazo cada semana. Una de esas sesiones, en el hospital, para pasar también pruebas funcionales. Las otras, en el cole. Una enfermera de la unidad de ensayos clínicos pediátricos de Sant Joan de

Un equipo en Sant Joan de Déu

■ Sant Joan de Déu ha creado una unidad de investigación clínica para agrupar los ensayos que se lleven a cabo por equipos del hospital infantil. Bajo la coordinación de Joana Claverol, esta unidad se ocupa de toda la burocracia, de la relación con las familias, los contratos con la industria y de administrar los medicamentos de la forma que menos altere la calidad de vida de los pacientes y sus familias, lo que les lleva a diversos puntos de España y países próximos.

Para autorizar un fármaco, este ha de pasar por varias fases: primero, sobre un cultivo celular; luego, sobre animales, y luego, en humanos, que es cuando empieza el ensayo clínico. La fase I sólo se hace sobre adultos sanos para determinar la toxicidad. La II trata de determinar cómo actúa en el cuerpo para encontrar la dosis adecuada. La III y evalúa los efectos. En Sant Joan de Déu, el 58% está en esta fase, y si funciona, el paciente sigue con ese producto hasta que se autorice.

Déu acude a su escuela o a su casa, en Manlleu, a pincharle. Eso mismo hacen los diferentes miembros del equipo con otros pacientes metidos en diversos ensayos: van a Lisboa, Santander, Las Palmas de Gran Canaria y, pronto, a Oporto. Los que están más cerca del hospital acuden a las salas de la unidad, con el suelo lleno de juguetes. Los que han de ir en ayunas porque tienen que pasar controles de colesterol van a las 7.30 de la mañana, y allí están los de la unidad.

Desde que en el 2006 Europa obliga a que los laboratorios farmacéuticos incorporen ensayos pediátricos a cada nueva molécula que investiguen, el panorama ha empezado a cambiar. "Desde que se hacen tenemos 13 fármacos nuevos, y 30 antitumorales

para adultos ya tienen indicación pediátrica", explica Joana Claverol. El año pasado, el 11% de los ensayos europeos ya incluía un plan pediátrico.

Más de la mitad de los medicamentos que se administran a los niños son meras extrapolaciones a partir de datos de adultos, y en el 50% de los casos se limitan a adaptarlos a un menor tamaño. "Ni siquiera los comprimidos están pensados para que los tomen niños. Y los niños no son adultos pequeños, tienen diferente metabolismo y una absorción y eliminación distintas. Los medicamentos no se comportan igual en su cuerpo", explica la doctora Claverol. Pero además, hay enfermedades exclusivamente pediátricas para las que no hay nada. "No hay alternativa terapéutica".

MEDICACIÓN DE ADULTO

Más de la mitad de los fármacos infantiles son adaptaciones a un peso menor

CAMBIO LEGAL

Europa obliga a los laboratorios a ensayos pediátricos con cada nueva molécula

"Llevo diez años en ensayos", cuenta Linda. "En el 2010, el medicamento que probaba empezó a retroceder, y aparecieron algunos efectos secundarios, como las taquicardias, antes todo era mucho más leve, y ahora volvía a tener inflamaciones, puntadas en el costado, no podía ponerme de pie. Hacía primero de bachillerato y tuve que dejarlo. No había forma de seguir las clases con las fiebres arriba y abajo. Y en mayo del 2011 se iniciaba un nuevo ensayo. Es un depresor de las defensas que me administran cada mes y medio, y a los seis meses paré para ver cuánto aguantaba sin él, y no aparecieron los síntomas hasta los siete meses. Luego volvieron los febrones, así que volví a empezar. Somos 15 en España, 700 en todo el mundo. Lo de ahora es una extensión del ensayo, me lo dan porque funciona. Así hasta que se apruebe el medicamento. El otro día fui por primera vez a una discoteca".



FUNDACIÓ SANT JOAN DE DÉU

Brian Zapata. Síndrome de Duchenne. Tiene 12 años y le diagnosticaron a los 4. Desde marzo del 2011 participa en un ensayo clínico de una sustancia que actúa sobre la progresión de su distrofia muscular, que ha seguido evolucionando y le obliga ya a usar una silla de ruedas. Su enfermedad no tiene tratamiento