

Tendències

Els avenços de la medicina

Única oportunitat

Nens amb malalties rares busquen assajos per optar a algun tractament

ANA MACPHERSON
Barcelona

Linda Wagner té la síndrome d'hiperimmunoglobulinèmia D. Va trigar uns quants anys a saber-ho, anys de viatjar cada tres mesos a Washington DC des de l'Argentina, passar-li una setmana de proves i tornar gairebé sempre amb les mans buides. Des dels 6 anys. "Fins que un dia, dos anys després d'iniciar els meus viatges, quan estaven a punt de donar-se per vençuts, una becària va descobrir la meua mutació i van posar nom al que em passava. I així vaig poder entrar en un assaig clínic amb un medicament ja existent per a l'artritis reumatoide i que podria tenir efecte sobre la

LA LINDA
"L'assaig funciona, continuaré fins que s'aprovi el medicament"

EN BRIAN I LA SEVA MARE
"Vam passar un any esperant l'autorització i crec que hem fet tard"

meua malaltia", explica a Barcelona, la seva ciutat de residència actual.

La seva síndrome li provoca una reacció desmesurada, gairebé sempre amb pujades de febre tremendes, davant un simple cop a la cama, una ferideta, una decepció, una gran alegria...

És una de les pacients que actualment participen en l'assaig clínic d'un medicament que l'ajuda a mitigar aquestes reaccions a l'hospital Sant Joan de Déu. Aquest centre ha posat en marxa la primera unitat d'assajos clí-

nics pediàtrics. Assaig, clínic i pediàtric, són termes que tenen al carrer connotacions més aviat negatives. Provoquen, si més no, inquietud. "Però per nosaltres són sinònim d'oportunitat, de vegades l'única", explica Àngela Zapata, mare d'en Brian, un jove de 12 anys amb síndrome de Duchenne, una distròfia muscular que va avançant i no té tractament. "Quan li van diagnosticar

als 4 anys em van dir: 'Senyora, el seu fill té una distròfia muscular i l'únic que s'hi pot fer és procurar que sigui molt feliç'. No es van aturar aquí, 'evidentment, però només podien donar-li corticoides per alentir-lo. Es tractava de guanyar temps per a la ciència, per si arribava un avenç. I em vaig passar un any esperant que es firmés l'autorització per assajar un producte que podria

frenar la seva distròfia". El medicament que estan administrant a en Brian no cura, però actua sobre la progressió de la malaltia. "I les negociacions per fer el contracte amb la farmacèutica per a l'assaig clínic van durar mesos, i en un nen amb un Duchenne, quatre mesos són un drama", aclareix la coordinadora de la unitat de recerca clínica de Sant Joan de Déu, Joana Claverol. Els

assajos en nens se solen dur a terme en diversos països i en molt pocs pacients, per minimitzar l'exposició, i cada pla ha de ser aprovat i revisat per un comitè pediàtric europeu, el PDCE. I a cada hospital, el comitè ètic estudia el risc-benefici de l'assaig i les pràctiques a què se sotmet l'infant.

La creació de la seva unitat pretén, entre altres coses, faci-



Linda Wagner. Síndrome d'hiperimmunoglobulinèmia D. Ja té 19 anys, i en fa deu que col·labora amb assajos clínics que li han permès mitigar les pujades i baixades de febre que li causa la més petita alteració física o emocional. Participa en un nou assaig des del 2011 amb 700 pacients més de tot el món

KIM MANRESA

L'estudi per a un tumor infantil depèn de l'assaig rendible en adults

Compartir engrunes

A. MACPHERSON Barcelona

El 80% dels càncers pediàtrics es curen. Però aquest 20% restant en què es troben els que no tenen possibilitats de curació, els que tenen metastasis i recaigudes i aquells en qui fracassa el tractament, busca desesperadament una altra possibilitat. "L'adult

que es troba en aquest apartat pot escollir entre una infinitat d'assajos; miri per exemple els que s'ofereixen a l'Institut de Recerca de la Vall d'Hebron, sense anar més lluny. Això no existeix en nens", explica el doctor Jaume Mora, cap d'oncologia de Sant Joan de Déu. "Pediatria és el món al revés. Són els familiars

i els metges els qui busquen un estudi en el qual poder entrar".

No fa gaire es va provar un medicament esperançador en càncer de pulmó, que obligat per les normes europees actuals, calia assajar en altres tumors que hipotèticament poguessin beneficiar-se'n, com els pediàtrics. Totes les farmacèutiques sabien que era

una diana important per al càncer. Es va posar en marxa la inversió i va començar a donar resultats en un sarcoma rar, el d'Ewing, que afecta nens i adults joves en ossos i teixits tous. "Estaven encantats amb els assajos clínics internacionals, una resposta del 30%. No és que fos meravellós, però hi havia alguna possibilitat. En fer els estudis en fase III van fracassar en adults. Els resultats al pulmó no eren els esperats i totes les farmacèutiques van tancar els assajos. Ens havien posat la mel als llavis i ja no el tenim. Ja no existeix aquest possible tracta-

OCASIONS PERDUDES

Les troballes en càncer infantil de vegades es desaprovechen perquè no interessen en adults

ON CAL BUSCAR

Dues grans bases de dades informen metges i famílies de tot el que sorgeix

ELS ASSAJOS CLÍNIC A SANT JOAN DE DÉU**42 estudis**

La unitat de recerca de Sant Joan de Déu participa en un total de 42 assajos clínics pediàtrics. Del total, 14 són investigacions pròpies de l'hospital

Els més freqüents

Una quarta part dels assajos correspon a malalties infeccioses, artritis i hipercolesterolèmia. El 17% es de medicaments per a diferents tumors pediàtrics

400 participants

Els estudis en marxa reuneixen un total de 400 nens. En la majoria d'assajos n'hi ha prou que hi participin quatre o cinc pacients

tar aquestes negociacions als metges que proposen de participar en un assaig a algun dels seus pacients.

En Brian va començar el tractament de l'assaig -que podia ser placebo, perquè els seus metges no poden saber si li donen la substància a prova o el placebo per comparar efectes- el març del 2011. "Crec que hem fet tard. Només demanava que no me'n deixessin fora. Per fi una porta que se m'obria i no acabava d'arribar. Et diuen que no et facis il·lusions, però això és impossible. Fa dos mesos que va deixar de caminar".

L'adolescent rep una punxada cada setmana. Una d'aquestes sessions, a l'hospital, per passar també proves funcionals. La resta, a l'escola. Una infermera de la

Un equip a Sant Joan de Déu

■ Sant Joan de Déu ha creat una unitat de recerca clínica per agrupar els assajos que es duïen a terme per equips de l'hospital infantil. Sota la coordinació de Joana Claverol, aquesta unitat s'ocupa de tota la burocràcia, de la relació amb les famílies, els contractes amb la indústria i d'administrar els medicaments de la forma que menys alteri la qualitat de vida dels pacients i les respectives famílies, cosa que els porta a diversos punts d'Espanya i països pròxims.

Per autoritzar-lo, un fàrmac ha de passar per diverses fases: primer sobre cultiu cel·lular, després sobre animals i després en humans, que és quan comença l'assaig clínic. La fase I només es fa sobre adults sans per determinar la toxicitat. La II mira de determinar com actua al cos per trobar la dosi adequada. La III ja n'avalua els efectes. A Sant Joan de Déu, el 58% és en aquesta fase, i si funciona, el pacient continua amb aquest producte fins que s'autoritzi.

unitat d'assajos clínics pediàtrics de Sant Joan de Déu va a la seva escola o a casa seva, a Manlleu, a punxar-lo. Això mateix fan els diferents membres de l'equip amb altres pacients involucrats en diversos assajos: van a Lisboa, Santander, Las Palmas de Gran Canària i, aviat, a Porto. Els que són més a prop de l'hospital van a les sales de la unitat, amb el terra ple de joguines. Els que hi han d'anar en dejú perquè han de passar controls de colesterol, hi van a les 7.30 del matí, i allà hi ha els de la unitat.

Des que el 2006 Europa obliga que els laboratoris farmacèutics incorporin assajos pediàtrics a cada nova molècula que investiguin, el panorama ha començat a canviar. "Des que es fan tenim 13 fàrmacs nous, i 30 antitumorals per a

adults ja tenen indicació pediàtrica", explica Joana Claverol. L'any passat, l'11% dels assajos europeus ja incloïen un pla pediàtric.

Més de la meitat dels medicaments que s'administren als nens són simples extrapolacions a partir de dades d'adults, i en el 50% dels casos es limiten a adaptar-los a una mida inferior. "Ni tan sols els comprimits no estan pensats perquè els prenguin nens. I els nens no són adults petits, tenen un altre metabolisme i una absorció i eliminació diferents. Els medicaments no es comporten igual al seu cos", explica la doctora Claverol. Però, a més, hi ha malalties exclusivament pediàtriques, per a les quals no hi ha res. "No hi ha alternativa terapèutica".

"Fa deu anys que treballo en

MEDICACIÓ D'ADULT

Més de la meitat dels fàrmacs infantils són adaptacions a un pes inferior

CANVI LEGAL

Europa obliga els laboratoris a fer assajos pediàtrics amb cada nova molècula

assaigs", explica la Linda. "El 2010 el medicament que provava va començar a retrocedir i van aparèixer alguns efectes secundaris, com les taquicàrdies. Abans tot era molt més lleu, i ara tornava a tenir inflamacions, punxades al costat, no podia posar-me dreta. Feia primer de batxillerat i ho vaig haver de deixar. No hi havia manera de seguir les classes amb les febres amunt i avall, i el maig del 2011 s'iniciava un nou assaig. És un depressor de les defenses que m'administren cada mes i mig, i als sis mesos vaig parar per veure quant aguantava sense, i no van aparèixer els símptomes fins als set mesos. Després van tornar les febres, així que vaig tornar a començar. Som 15 a Espanya, 700 a tot el món. Això d'ara és una extensió de l'assaig, m'ho donen perquè funciona. I així fins que s'aprovi el medicament. L'altre dia vaig anar per primera vegada a una discoteca".●



Brian Zapata. Síndrome de Duchenne. Té 12 anys i l'hi van diagnosticar als 4. Des del març del 2011 participa en un assaig clínic d'una substància que actua sobre la progressió de la distròfia muscular, que ha continuat evolucionant i l'obliga ara a anar en cadira de rodes. La seva malaltia no té tractament

ment i ningú no el desenvoluparà", explica el doctor Mora.

Per això cal anar buscant assajos a què afegir-se. "A Europa hi ha una base de dades, l'Orphanet, que recull tot el que es publica i s'assaja sobre malalties rares. Cadascú hi penja la informació, la teva situació, la teva oferta". Dos o tres dels seus pacients estan en aquesta recerca. També per mitjà del Clinical Trials, del servei nacional de salut dels Estats Units. El servidor permet, tant a professionals com a pacients i familiars, buscar i informar-se sobre assajos i novetats. Perquè els

assaigs pediàtrics són una raresa que cal compartir.

Encara que sigui de retruc. És el cas d'una altra substància que està en desenvolupament per tractar alguns càncers de mama, de pròstata i d'ovari, i de la qual, fent proves amb altres línies cel·lulars, es va comprovar l'acció que tenia en el sarcoma d'Ewing. La sanitat dels Estats Units va promoure assajos en fase II per a aquests tumors minoritaris. "I tenim en aquest estudi dos dels nostres pacients, encara que només han admès més grans de 18 anys. Normes. Serà una ex-

DE RETRUC

Els nens amb sarcoma d'Ewing opten a un fàrmac que funciona amb altres càncers

UNA REALITAT DIFÍCIL

Per a la indústria, un producte pediàtric sempre és una despesa més que un benefici

cepció, perquè l'interès que té és per al càncer de mama, però com que funciona, estarà disponible en el futur i el podem utilitzar", explica Jaume Mora. "Per a la indústria, aquests medicaments són una despesa més que un benefici. Mai no ens arribarà un assaig per a una malaltia estrictament pediàtrica, només podem compartir aquestes engrunes".

Hi ha investigacions que es duen a terme gairebé per filantropia. És el cas d'un medicament desenvolupat com a immunoteràpia, del qual s'ha detectat l'efec-

te que té per millorar la supervivència en metastasi. Els National Institutes of Health dels EUA financen aquest nou desenvolupament, que cap indústria no duria a terme perquè mai no li seria rendible.

"Tenim famílies desesperades a Europa perquè només hi ha un assaig molt restringit. Durant uns quants anys, el CatSalut pagava l'enviament a Nova York de pacients nostres perquè participessin en l'assaig. Però es va aturar el 2010. Ara no és possible. I això passa en el que ja se sap que funciona".●