LA DISCUSIÓN

Fecha: 26/07/2025 Audiencia: 10.500 Sección: wwwladiscusioncl
Vpe: $149.430 Tirada: 3.500 Frecuencia: 0
Vpe pág: $896.400 Difusión: 3.500
Vpe portada: $896.400 Ocupación: 16,67%

EMA desaconsejó autorizar medicamento contra distrofia de Duchenne

La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) pidió este viernes a la Comisión Europea denegar la licencia solicitada para Elevidys, una terapia génica diseñada para tratar la distrofia muscular de Duchenne en niños de 3 a 7 años que aún pueden caminar, lo que argumentó en la falta de demostración de los beneficios clínicos del fármaco.

La decisión de denegarle la licencia se basa en un ensayo con 125 menores que recibieron una única infusión intravenosa de Elevidys o un placebo, y, tras 12 meses de seguimiento, la mejoría fue casi idéntica en ambos grupos y, en cifras, el resultado no fue estadísticamente significativo.

El fármaco, desarrollado por Roche, introduce un virus, que contiene material genético diseñado para producir una versión truncada -más corta- de la distrofina, con la esperanza de frenar la progresión de la enfermedad. Aunque los pacientes produjeron la versión corta de la proteína, los niveles logrados no se vincularon a mejoras funcionales.

Los pacientes con esta enfermedad no producen distrofina normal, una proteína presente principalmente en los músculos esqueléticos y en el músculo cardíaco, y que ayuda a proteger los músculos durante la contracción y relajación. Su ausencia provoca un deterioro muscular progresivo que termina en la pérdida total de la función muscular.

Este medicamento, cuyo costo alcanza los 3.500 millones de pesos, se hizo conocido en Chile con el caso de Tomás Ross. Su madre, Camila Gómez, inició una caminata de 1.300 kilómetros, desde Ancud hasta el Palacio de La Moneda, para lorgar el financiamiento y pedir su inclusión en la Ley Ricarte Soto.