2007 **Informe**

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN DESARROLLO PARA

Enfermedades Raras

PRESENTADO POR LAS COMPAÑÍAS BIOFARMACÉUTICAS AMERICANAS, LA ALIANZA GENÉTICA Y LA ALIANZA NACIONAL PARA ENFERMEDADES RARAS

Más de 300 Medicamentos están siendo desarrollados para tratar o prevenir Enfermedades Raras

Cada paciente se enfrenta a retos de salud únicos. Y, para millones de americanos que han sido diagnosticados con una enfermedad rara—definida como una condición que afecta a menos de 200,000 pacientes en los Estados Unidos—las opciones de tratamiento pueden ser limitadas. Pero durante los últimos cinco años, se han logrado grandes progresos con la aprobación de varios nuevos medicamentos para Enfermedades Raras, como la Enfermedad de Pompe, los síndromes mielodisplásicos, las deficiencias enzimáticas y los tipos raros de cáncer. Las compañías de investigación biofarmacéutica de los Estados Unidos están continuando con ese progreso contando con 303 medicamentos para muchas enfermedades raras que están actualmente en pruebas clínicas humanas o esperando por la aprobación de parte de la Administración de Alimentos y Medicamentos [Food and Drug Administration (FDA)]. Esto se compara con los 133 medicamentos en desarrollo que existían en 1989 y los 189 medicamentos en 1992.

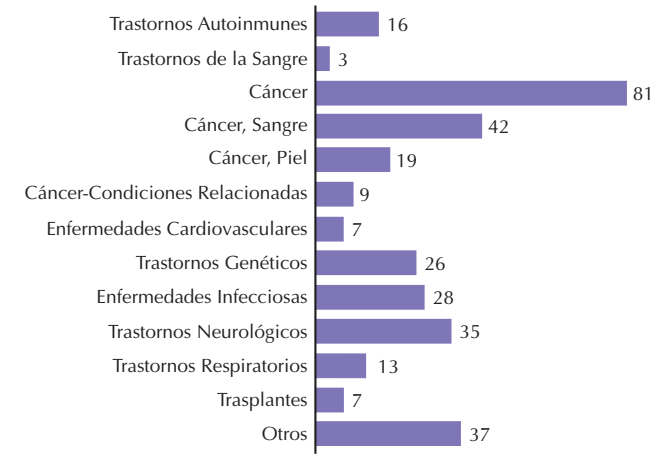
Desde 1995, más de 160 medicamentos fueron aprobados para tratar enfermedades raras en comparación con 108 en la década previa y menos de 10 en la década de los 70. Los avances en la ciencia, tales como un mejor entendimiento de las causas moleculares o genéticas de una enfermedad, han dado a los investigadores nuevas herramientas para explorar las enfermedades raras, las cuales son usualmente más complejas que las enfermedades más comunes. En adición, la Ley de Medicamentos Huérfanos de 1983 otorgó beneficios tributarios y cierta exclusividad en el mercadeo a las compañías que desarrollen un medicamento huérfano. Se le da crédito a dicha legislación por la explosión en las aprobaciones de medicamentos para enfermedades raras después de 1983. Bajo la Ley de Medicamentos Huérfanos, se han designado 1,679 medicamentos como Medicamentos Huérfanos (no todos han sido aprobados), al 10 de enero del 2007.

Los Institutos Nacionales de Salud [National Institutes of Health] estiman que existen 6,000 enfermedades raras que afectan a 25 millones de americanos. Una de las áreas principales de investigación es el cáncer. Tipos raros de cáncer, tales como los tumores sólidos del hígado y de la tiroides, el cáncer de la sangre y los melanomas, representan más de un tercio de todas las investigaciones sobre enfermedades raras, para las cuales hay 139 medicamentos en desarrollo. Otras áreas importantes de investigación incluyen: los trastornos neurológicos, tales como la esclerosis múltiple y la distrofia muscular, para las cuales hay 35 medicamentos en desarrollo; las enfermedades infecciosas, tales como el ántrax y el virus del Nilo Occidental para las cuales hay 28 medicamentos en desarrollo; y los trastornos genéticos, tales como la fibrosis quística, para el cual hay 26 medicamentos en desarrollo.

Algunos ejemplos de medicamentos en desarrollo para enfermedades raras incluyen:

- Un anticuerpo monoclonal para la sarcoidosis crónica, un trastorno del sistema inmunológico.

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN DESARROLLO*



*Algunos medicamentos están listados en más de una categoría.

- Un medicamento para el síndrome Lennox-Gastaut, una forma severa de epilepsia.
- Terapia genética para la fibrosis quística.
- Un medicamento para la epidermólisis bullosa, un grupo de trastornos hereditarios en el cual se desarrollan ampollas cutáneas como respuesta a traumas menores.
- Un medicamento para la ataxia de Friedreich, un trastorno genético.

La investigación biofarmacéutica está ingresando a una interesante nueva era con la comprensión creciente de las poderosas herramientas científicas de investigación genética. Los expertos predicen que el número de medicamentos huérfanos se incrementará en los años venideros en la medida que se desarrollen más medicamentos nuevos dirigidos a trastornos genéticos específicos. Los 303 medicamentos en este informe representan el enorme compromiso de las compañías americanas de investigación para encontrar tratamientos, y talvez curas, para las más de 6,000 enfermedades raras conocidas.

Sin duda, la Ley de Medicamentos Huérfanos de 1983 ha funcionado extremadamente bien para lograr el importante propósito para la cual fue aprobada—el de proveer de incentivos para alentar la investigación de medicamentos huérfanos y ayudar a los 25 millones de americanos que se sienten afligidos por una enfermedad rara.

Billy Tauzin
Presidente y CEO
PhRMA

Medicamentos Huérfanos en Desarrollo

Trastornos Autoinmunes

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA*	Status del desarrollo**
Ampligen®	Hemispherx Biopharma *Philadelphia, PA*	tratamiento del síndrome de fatiga crónica (ver también enfermedades infecciosas)	Fase III (800) 332-6854
Cellcept® micofenolato mofetil	Aspreva Pharmaceuticals *Basking Ridge, NJ* Roche *Nutley, NJ*	tratamiento del pénfigo vulgar	Fase III (908) 212-1020 (973) 235-2000
		tratamiento de miastenia grave	Fase III (908) 212-1020 (973) 235-2000
clorohidrato de clindamicina	Autoimmunity Research Foundation *Thousand Oaks, CA*	tratamiento de sarcoidosis	Fase II (805) 492-3693
desmogleína 3 péptidos sintéticos (PI-0824)	Peptimmune *Cambridge, MA*	tratamiento del pénfigo vulgar	Fase I (617) 715-8000
anticuerpo monoclonal humanizado anti-humano CD16	Genzyme *Cambridge, MA*	tratamiento de adultos con púrpura trombopénica ideopática	Fase I (617) 252-7500
Humira® adalimumab	Abbott Laboratories *Abbott Park, IL*	tratamiento de artritis reumatoide juvenil	Fase III (847) 937-6100
interferón gama-1b	InterMune *Brisbane, CA*	tratamiento de fibrosis pulmonar ideopática	Fase III (415) 466-2200
clorohidrato de minociclina	Autoimmunity Research Foundation *Thousand Oaks, CA*	tratamiento de sarcoidosis	Fase II (805) 492-3693
monarsen	Ester Neurosciences (Medica Venture Partners) *Herzlia Pituach, Israel*	tratamiento de miastenia grave	Fase I/II www.esterneuro.com
Oralgam™ gamaglobulina humana	PediaMed Pharmaceuticals *Florence, KY* Protein Therapeutics *Tucson, AZ*	tratamiento de artritis reumatoide juvenil (ver también otros)	Fase II (520) 844-1187

* La designación es expedida por la Oficina de Desarrollo de Productos Huérfanos de la Food and Drug Administration (FDA) mientras el medicamento está aún siendo desarrollado. La designación permite que el auspiciador del medicamento sea elegible para recibir beneficios al amparo de la Ley de Medicamentos Huérfanos de 1983. Entre los beneficios se incluyen siete años de exclusividad en el mercadeo, luego de la aprobación del medicamento por la FDA para el uso designado.

** Para más información sobre un medicamento específico en este informe, por favor llame al número telefónico listado.

Trastornos Autoinmunes

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Prestara™ dehidroepian-drosterona	Genelabs Technologies *Redwood City, CA*	tratamiento de lupus sistémico eritematoso (SLE) y la reducción en el uso de esteroides en pacientes dependientes de esteroides con lupus sistémico eritematoso (SLE)	Fase III (650) 369-9500
alfafetoproteina recombinante humana (rhAFP) (MM093)	Merrimack Pharmaceuticals *Cambridge, MA*	tratamiento de miastenia grave	Fase I (617) 441-1000
Remicade® infliximab	Centocor *Horsham, PA*	tratamiento de artritis reumatoide juvenil	Fase III (610) 651-6000
		tratamiento de sarcoidosis crónica	Fase II (610) 651-6000
rilonacept (trampa de interleuquín-1)	Regeneron Pharmaceuticals *Tarrytown, NY*	tratamiento de la enfermedad de Still incluyendo artritis reumatoide juvenil y los inicios de la enfermedad de Still en el adulto (ver también genética)	Fase II (914) 345-7400
Riquent® abetimus	La Jolla Pharmaceutical *San Diego, CA*	tratamiento de nefritis lúpica	solicitud presentada (858) 452-6600
Rituxan® rituximab	Genentech *South San Francisco, CA*	tratamiento de pacientes con vasculitis asociada con anticuerpos antineutrófilos citoplásmicos (granulomatosis de Wegener, poliangeítis microscópica y síndrome de Churg-Strauss) (ver también cáncer)	Fase III (650) 225-1000
		tratamiento de trombocitopenia púrpura inmune	Fase II (650) 225-1000

Trastornos de la Sangre

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
deferitrin	Genzyme *Cambridge, MA*	tratamiento de sobrecarga de hierro	Fase II (617) 252-7500
eculizumab	Alexion Pharmaceuticals *Cheshire, CT*	tratamiento de hemoglobinuria paroxística nocturna	solicitud presentada (203) 272-2596
Ferriprox™ deferiprone	Apotex Research *Toronto, Canadá* Cangene *Winnipeg, Canadá*	tratamiento de sobrecarga de hierro con trastornos hematológicos que requiere de terapia de transfusión crónica	Fase III (416) 749-9300

CÁNCER

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
A 10/AS2-1 antineoplaston	Burzynski Research Institute *Houston, TX*	tratamiento para pacientes con glioma del tronco encefálico	Fase II
ACA125	Menarini Ricerche *Roma, Italia* CellControl Biomedical *Alemania*	tratamiento del cáncer epitelial de ovarios	Fase I
Advexin® INGN 201	Introgen Therapeutics *Houston, TX*	tratamiento de cáncer de cabeza y cuello	Fase III (713) 797-9960
AMG 706	Amgen *Thousand Oaks, CA*	tratamiento de tumores estromales gastrointestinales	Fase II (805) 447-1000
atiprimod	Callisto Pharmaceuticals *New York, NY*	tratamiento de tumores carcinoides (ver también cáncer, sangre)	Fase II (212) 297-0010
Avastin® bevacizumab	Genentech *South San Francisco, CA*	tratamiento terapéutico de pacientes con cáncer ovárico	Fase III (650) 225-1000
		tratamiento de cáncer de páncreas	Fase III (650) 225-1000
		tratamiento de carcinoma de células renales	Fase III (650) 225-1000
		tratamiento de glioma maligno	Fase II (650) 225-1000
Azedra™ yodoben-cilguanidina I-131	Molecular Insight Pharmaceuticals *Cambridge, MA*	tratamiento de tumores neuroendocrinos	Fase I (617) 492-5554
CA4P (combretastatin)	OXiGENE *Watertown, MA*	tratamiento de cáncer ovárico	Fase II (781) 547-5900
		tratamiento de cáncer anaplásico de tiroides, cáncer medular de tiroides y estadio IV de cáncer de tiroides papilar o folicular	Fase II (781) 547-5900
carmustine (DTI-015)	Direct Therapeutics *Redwood City, CA*	tratamiento de malignidades intracraneales	Fase II www.directtherapeutics.com
Cerepro™	Ark Therapeutics *Londres, Inglaterra*	uso con Ganciclovir en el tratamiento de glioma maligno	en pruebas clínicas www.arktherapeutics.com
cilengitide	EMD Pharmaceuticals *Durham, NC*	tratamiento de glioma maligno	Fase II (919) 401-7100
conjugado de transferrina humana y una toxina diftérica mutante (CRM 107)	Xenova *Berkshire, Reino Unido*	tratamiento de tumores malignos del sistema nervioso central	en pruebas clínicas

CÁNCER

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Cotara™ tratamiento de necrosis tumoral con yodo 1-131 radiomarcado como quimérico Mab (TNT-1B)	Peregrine Pharmaceuticals *Tustin, CA*	tratamiento de glioblastoma multiforme y astrocitoma anaplásico	Fase II/III (714) 508-6000
DCVax-Brain®	Northwest Biotherapeutics *Bothell, WA*	tratamiento de cáncer primario maligno del cerebro	Fase II (425) 608-3000
dietilnorspermina (DENSPM)	Genzyme *Cambridge, MA*	tratamiento de carcinoma hepatocelular	Fase I (617) 252-7500
ADN del plasmido vector de expresión gen humano IL-12	Expression Genetics *Huntsville, AL*	tratamiento de cáncer ovárico	Fase I (256) 512-0077
Doxorubicin™ Transdrug nanopartículas de doxorrubicina poli (isohexilcianoacrilato) PIHCA	BioAlliance Pharma *París, Francia*	tratamiento de carcioma hepatocelular	Fase I
Efaproxyn™ efaproxiral	Allos Therapeutics *Westminster, CO*	adjunto a toda la terapia de radiación al cerebro para el tratamiento de metástasis cerebral en pacientes con cáncer de mama	solicitud presentada (303) 426-6262
enzastaurina	Eli Lilly *Indianapolis, IN*	tratamiento de glioblastoma multiforme	Fase III (312) 276-2000
Evista® raloxifeno	Eli Lilly *Indianapolis, IN*	reducción del riesgo del cáncer de mama en mujeres postmenopáusicas	Fase III (317) 276-2000
virus del herpes simplex modificado por ingeniería genética (G207)	MediGene *San Diego, CA*	tratamiento de glioma maligno	Fase I (858) 586-2240
gimatecan	Novartis Pharmaceuticals *East Hanover, NJ*	tratamiento de glioma maligno	Fase I (888) NOW-NOVA
GliAtak™	Advantagene *Waban, MA*	tratamiento de tumores malignos del cerebro	Fase I (617) 916-5445
glufosfamide	Threshold Pharmaceuticals *Redwood City, CA*	tratamiento de cáncer del páncreas	Fase III (650) 474-8200
GTI-2040	Lorus Therapeutics *Toronto, Ontario*	tratamiento de carcinoma de células renales (ver también cáncer, sangre)	Fase II (416) 798-1200
GV-1001 (vacuna peptídica de telomerasa humana transcriptasa reversa)	Pharmexa *Horsholm, Dinamarca*	tratamiento de cáncer del páncreas	Fase III www.pharmexa.com

CÁNCER

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Herceptin® trastuzumab	Genentech *South San Francisco, CA*	tratamiento de pacientes con cáncer del páncreas que sobreexpresan p185HER2	Fase II (650) 225-1000
mezcla de citoquinas derivadas de leucocitos humanos	IRX Therapeutics *New York, NY*	para terapia neoadyuvante en pacientes con carcinoma de células escamosas en cabeza y cuello	Fase II (212) 582-1199
I(131)-TM-601 (clorotoxina)	TransMolecular *Birmingham, AL*	tratamiento de glioma maligno	Fase II (617) 995-3050
iboctadekin	GlaxoSmithKline *Philadelphia, PA* *Rsch. Triangle Park, NC*	tratamiento de carcinoma de células renales	Fase II (888) 825-5249
IL 13-PE38QQR	NeoPharm *Waukegan, IL*	tratamiento de glioma maligno	Fase I/II (847) 887-0800
imexón	AmpliMed *Tucson, AZ*	tratamiento de adenocarcinoma de páncreas (ver también cáncer, sangre cáncer, piel)	Fase I (520) 529-1000
IMMU-107	Immunomedics *Morris Plains, NJ*	tratamiento de cáncer de páncreas	Fase I (973) 605-8200
IntraDoce® cisplatina/ epinefrina	Novartis Pharmaceutical *East Hanover, NJ*	tratamiento de carcinoma de células escamosas de la cabeza y cuello (ver también cáncer, piel)	solicitud presentada (888) NOW-NOVA
Intron A® interferón alfa-2b (recombinante)	Schering-Plough *Kenilworth, NJ*	tratamiento de carcinoma in situ de la vejiga	Fase III (908) 298-4000
irofulven	MGI Pharma *Bloomington, MN*	tratamiento de cáncer ovárico	Fase II (952) 346-4700
Junovan™ mifamuritide	IDM Pharma *Irvine, CA*	tratamiento de osteosarcoma en niños y adolescentes	Fase III (949) 470-4757
MORAb-003	Morphotek *Exton, PA*	tratamiento de cáncer ovárico	Fase II (610) 423-6100
MORAb-009	Morphotek *Exton, PA*	tratameinto de cáncer de páncreas	Fase I (610) 423-6100
MTC-DOX para inyección	FeRx *San Diego, CA*	tratamiento de carcinoma hepatocelular	Fase I
neuradiab	Bradmer Pharmaceuticals *Louisville, KY* Duke University Medical Center *Durham, NC*	tratamiento de tumores cerebrales primarios malignos	Fase II (502) 657-6038

CÁNCER

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
NeuTrexin® glucuronato de trimetrexato	MedImmune Oncology *Gaithersburg, MD*	tratamiento de adenocarcinoma colorrectal metastásico	Fase III (301) 398-0000
		tratamiento del adenocarcinoma del páncreas	Fase II (301) 398-0000
		tratamiento de pacientes con carcinoma de pulmón avanzado de células no pequeñas	Fase II (301) 398-0000
Nexavar® sorafenib	Bayer Pharmaceuticals *West Haven, CT* Onyx Pharmaceuticals *Emeryville, CA*	tratameinto de carcinoma hepatocelular (ver también cáncer, piel)	Fase III (203) 812-2000 (510) 597-6500
nimotuzumab	YM Biosciences *Mississauga, Ontario*	tratamiento de glioma	Fase III (905) 629-9761
fijación del aptómero de ácidos nucléicos al nucléolo de la célula tumoral	Antisoma Research *Londres, Inglaterra*	tratamiento de carcinoma de células renales	Fase I
Oncophage® vitespen	Antigenics *New York, NY*	tratamiento de carcinoma de células renales (ver también cáncer, piel)	Fase II (212) 994-8200
Orathecin™ rubitecan	SuperGen *Dublin, CA*	tratamiento de cáncer de páncreas	Fase III (925) 560-0100
OvaRex® oregovomab	Unither Pharmaceuticals *Wellesley Hills, MA*	tratamiento de cáncer epitelial de los ovarios	Fase III
paclitaxel (TOCOSOL)	Sonus Pharmaceuticals *Bothell, WA*	tratamiento de cáncer urotelial	Fase II (425) 787-9500
Panvec-VF™	Therion Biologics *Cambridge, MA*	tratamiento de adenocarcinoma del páncreas	Fase III (617) 252-7500
Panzem® NCD (2ME2)	EntreMed *Rockville, MD*	tratamiento de glioblastoma multiforme (ver también cáncer, sangre)	Fase II (240) 864-2600
		tratamiento de cáncer ovárico	Fase I (240) 864-2600
patupilone	Novartis Pharmaceutical *East Hanover, NJ*	tratamiento de cáncer ovárico	Fase III (888) NOW-NOVA
arginina deiminasa pegilatada	Phoenix Pharmacologics *San Diego, CA*	tratamiento de carcinoma hepatocelular (ver también cáncer, piel)	Fase II (858) 452-6688
Photofrin® porfímero sódico	Axcan Scandipharm *Birmingham, AL*	tratamiento de colangiocarcinoma	Fase II (205) 991-8085
picoplatino	Poniard Pharmaceuticals *South San Francisco, CA*	tratamiento de cáncer de pulmón de células pequeñas	Fase II (650) 583-3774

CÁNCER

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Proxinium™	Viventia Biotech *Toronto, Ontario*	tratamiento del carcinoma de células escamosas Ep-CAM positivo de cabeza y cuello	Fase I
rapamicina (mTOR) inhibidor	ARIAD Pharmaceuticals *Cambridge, MA*	tratamiento de sarcoma óseo	Fase II (617) 494-0400
Rencarex® (WX G250)	Wilex Biotechnology *Munich, Alemania*	tratamiento de carcinoma de células renales	Fase III www.wilex.com
Rexin-G™	Epeius Biotechnologies *San Marino, CA*	tratamiento de cáncer de páncreas	Fase I (626) 441-6695
RTA 744	Reata Pharmaceuticals *Dallas, TX*	tratamiento de gliomas malignos	Fase I (972) 865-2200
RX-0201	Rexahn *Rockville, MD*	tratamiento de glioblastoma	Fase I (240) 268-5300
		tratamiento de cáncer de ovario	Fase I (240) 268-5300
		tratamiento de cáncer de páncreas	Fase I (240) 268-5300
		tratamiento de carcinoma de células renales	Fase I (240) 268-5300
		tratamiento de cáncer de estómago	Fase I (240) 268-5300
SC-1 anticuerpo monoclonal	Cambridge Antibody Technology *Palo Alto, CA* Debiovision *Montréal, Québec*	tratamiento de pacientes con tumores gástricos CD55 (sc-1)-positivos	Fase I (650) 388-3300
SDF-1 (CTCE 9908)	Chemokine Therapeutics *Vancouver, British Columbia*	tratamiento de sarcoma osteogénico	Fase I (604) 822-0301
solasonina y solamargina	Solbec Pharmaceuticals *Osborne Park, Australia*	tratamiento de carcinoma de células renales	Fase I www.solbec.com.au
Somato Ther™ pentetreotida de 111-indio	Lousiana State University Medical Center Foundation *New Orleans, LA*	tratamiento de tumores neuroendocrinos receptores positivo de la somatostatina	Fase II
SP 1049C	Supratek Pharma *Dorval, Québec*	tratamiento de carcinoma del esófago	Fase II
SS1(dsFv)-PE38	Cambridge Antibody Technology *Palo Alto, CA*	tratamiento de cáncer de ovario epitelial	Fase I (650) 388-3300
		tratamiento de mesotelioma maligno	Fase I (650) 388-3300
talactoferrina alfa	Agennix *Houston, TX*	tratamiento de carcinoma de células renales	Fase II (713) 552-1091

CÁNCER

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Tarceva® erlotinib	Genentech *South San Francisco, CA*	tratamiento de gliomas malignos	Fase II (650) 225-1000
Taxoprexin® docosahexaenoico DHA-paclitaxel	Luitpold Pharmaceuticals *Shirley, NY*	tratamiento de cáncer de páncreas (ver también cáncer, piel)	Fase II (631) 924-4000
		tratamiento de adenocarcinoma de estómago o esofágico inferior	Fase II (631) 924-4000
		tratamiento de cáncer de próstata refractorio a las hormonas	Fase II (631) 924-4000
technetium Tc 99m pterotetramida	Endocyte *West Lafayette, IN*	para la identificación de carcinomas	Fase II (765) 463-7175
tegafur/gimeracil/ oteracil	Taiho Pharma USA *Princeton, NJ*	tratamiento del cáncer gástrico	Fase III
temsirolimus	Wyeth *Collegeville, PA*	tratamiento de carcinoma de células renales	Fase III (610) 902-1200
tirapazamina	sanofi-aventis *Bridgewater, NJ*	para el tratamiento de cáncer de cabeza y cuello	Fase III (800) 981-2491
TransMID™	Xenova *Berkshire, Reino Unido*	tratamiento de tumores malignos del sistema nervioso central	en pruebas clínicas
Trisenox® trióxido de arsénico	Cephalon *Frazer, PA*	tratamiento de glioma maligno (ver también cáncer, sangre)	Fase II (610) 344-0200
Virulizin®	Lorus Therapeutics *Toronto, Ontario*	tratamiento de cáncer del páncreas	Fase III (416) 798-1200
Xcytrin® gadolinio motexafina	Pharmacyclics *Sunnyvale, CA*	para usar en conjunto con radiación completa del cerebro para el tratamiento de metástasis cerebral emanada de tumores sólidos	Fase III (408) 774-0330
XR303	Xenova Biomedix *Berkshire, Reino Unido*	tratamiento de cáncer del páncreas	Fase I
Yondelis® trabectedina	Johnson & Johnson Pharmaceutical Research & Development *Raritan, NJ*	tratamiento de pacientes con cáncer epitelial de los ovarios	Fase III (800) 817-5286
		tratamiento de sarcoma de tejido blando	Fase II (800) 817-5286
Zactima™	AstraZeneca *Wilmington, DE*	tratamiento de pacientes con carcinoma folicular de la tiroides, carcinoma medular de la tiroides con vandetanib, carcinoma anaplásico de tiroides y carcinoma avanzado localmente y carcinoma de tiroides metastático papilar	Fase II (302) 886-3000

CÁNCER, SANGRE

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
17-AGG	Kosan Biosciences *Hayward, CA*	tratamiento de mieloma múltiple	Fase I (510) 732-8400
		tratamiento de leucemia mielógena crónica	Fase I (510) 732-8400
Actimid™ CC 4047	Celgene *Warren, NJ*	tratamiento de mieloma múltiple	Fase II (908) 673-9000
Amsidyl® amsacrina	Pfizer *New York, NY*	tratamiento de leucemia aguda adulta	solicitud presentada (860) 732-5156
atiprimod	Callisto Pharmaceuticals *New York, NY*	tratamiento de mieloma múltiple y la reabsorción asociada de huesos (ver también cáncer)	Fase I (212) 297-0010
Bethathine® beta alethine	LifeTime Pharmaceuticals *College Park, MD*	tratamiento de mieloma múltiple	Fase I (301) 314-1480
Ceplene™ histamina	EpiCept *Tarrytown, NY*	adjunto a terapia con citokinas en el tratamiento de leucemia mieloide aguda	Fase III (914) 606-3500
CHIR 12.12 (HCD-122)	Novartis Pharmaceutical *East Hanover, NJ*	tratamiento de leucemia linfocítica crónica	Fase I (888) NOW-NOVA
		tratamiento de mieloma múltiple	Fase I (888) NOW-NOVA
Clofarex™ clofarabina	Genzyme *Cambridge, MA*	tratamiento de leucemia mielógena aguda	solicitud presentada (617) 252-7500
Cloretazine®	Vion Pharmaceuticals *New Haven, CT*	tratamiento de leucemia mielógena aguda	Fase III (203) 498-4210
Dacogen™ decitabina	MGI Pharma *Bloomington, MN*	leucemia mieloide aguda (ver también genética)	Fase III (952) 346-4700
		tratamiento de leucemia mielógena crónica	Fase II (952) 346-4700
Doxil® doxorrubicina HCL inyección de liposoma	Johnson & Johnson Pharmaceutical Research & Development *Raritan, NJ*	tratamiento de mieloma múltiple	Fase III (800) 817-5286
epratuzumab	Immunomedics *Morris Plains, NJ*	tratamiento de linfoma no-Hodgkin	Fase II (973) 605-8200
Fodosine™ forodesina	BioCryst Pharmaceuticals *Birmingham, AL*	tratamiento de leucemia linfocítica crónica y leucemias relacionadas que incluyen leucemia prolinfocítica, leucemia célula T de adulto y leucemia de células pilosas	Fase II (205) 444-4600
		tratamiento de linfoma no-Hodgkin, célula T	Fase II (205) 444-4600
		tratamiento de leucemia linfoblástica aguda	Fase I (205) 444-4600

CÁNCER, SANGRE

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Genasesnse® oblimersen	Genta *Berkeley Heights, NJ*	tratamiento de leucemia mieloide aguda	Fase III (908) 286-9800
		tratamiento de leucemia linfocítica crónica	Fase III (908) 286-9800
GTI-2040	Lorus Therapeutics *Toronto, Ontario*	tratamiento de leucemia mieloide aguda (ver también cáncer)	Fase I (416) 798-1200
homoharringtonina	ChemGenex Pharmaceutical *Menlo Park, CA*	tratamiento de leucemia mielógena crónica	Fase II (650) 474-9800
imexón	AmpliMed *Tucson, AZ*	tratamiento de mieloma múltiple (ver también cáncer; cáncer, piel)	Fase I (520) 529-1000
lestaurtinib (CEP 701)	Cephalon *Frazer, PA*	tratamiento de leucemia mieloide aguda	Fase II (610) 344-0200
lintuzumab	PDL BioPharma *Fremont, CA*	tratamiento de leucemia mielógena aguda	Fase I (510) 574-1400
anamicina liposomal	Callisto Pharmaceuticals *New York, NY*	tratamiento de leucemia mieloide aguda	Fase I (212) 297-0010
		tratamiento de leucemia linfoblástica aguda	Fase I (212) 297-0010
lumiliximab	Biogen Idec *Cambridge, MA*	tratamiento de leucemia linfocítica crónica	Fase II (617) 679-2000
MDX-060	Medarex *Princeton, NJ*	tratamiento de linfoma CD30+ de célula T	Fase II (609) 430-2880
		tratamiento de enfermedad de Hodgkin	Fase II (609) 430-2880
MEDI-538	MedImmune Oncology *Gaithersburg, MD*	tratamiento de linfoma indolente de célula B, excluyendo leucemia linfática crónica (CLL) y linfoma no-Hodgkin (NHL) con participación del sistema nervioso central (CNS)	Fase I (301) 398-0000
mesilato de obatoclax	Gemin X *Malvern, PA*	tratamiento de leucemia linfocítica crónica	Fase I (514) 281-8989
Panzem® NCD (2ME2)	EntreMed *Rockville, MD*	tratamiento de mieloma múltiple (ver también cáncer)	Fase II (240) 864-2600
plitidepsina	PharmaMar USA *Cambridge, MA*	tratamiento de mieloma múltiple	Fase II (617) 621-5300
		tratamiento de leucemia linfoblástica aguda	Fase II (617) 5300
pralatrexato (PDX)	Allos Therapeutics *Westminster, CO*	tratamiento de linfoma de célula T	Fase II (303) 426-6262
prednimustina	Pfizer *New York, NY*	tratamiento de linfoma maligno no-Hodgkin	Fase I (860) 760-5156

CÁNCER, SANGRE

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
R-(-)-gossypol	Ascenta Therapeutics *San Diego, CA*	tratamiento de leucemia linfocítica crónica	Fase II (858) 436-1200
Rituxan® rituximab	Genentech *South San Francisco, CA*	tratamiento de leucemia linfocítica crónica (ver también autoinmune)	Fase III (650) 225-1000
romidepsina	Gloucester Pharmaceuticals *Cambridge, MA*	tratamiento de linfoma cutáneo de célula T	Fase II (617) 583-1300
SGN-30 (anti-CD30 mAb)	Seattle Genetics *Bothell, WA*	tratamiento de linfomas CD30-positivos de célula T	Fase II (425) 527-4000
		tratamiento de la enfermedad de Hodgkin	Fase II (425) 527-4000
SGN-40 (anti-CD40 mAb)	Seattle Genetics *Seattle, WA*	tratamiento de leucemia linfocítica crónica	Fase I (425) 527-4000
		tratamiento de mieloma múltiple	Fase I (425) 527-4000
siplizumab (MEDI-507)	MedImmune Oncology *Gaithersburg, MD*	tratamiento de linfomas célula-T	Fase I (301) 398-0000
Talvesta™ talotrexina	Hana Biosciences *South San Francisco, CA*	tratamiento de leucemia linfoblástica aguda	Fase I/II (660) 588-6404
Tasigna® nilotinib	Novartis Pharmaceutical *East Hanover, NJ*	tratamiento de leucemia mielógena crónica	solicitud presentada (888) NOW-NOVA
Theralux™	Celmed BioSciences *Saint-Laurent, Québec*	tratamiento de leucemia mielógena crónica (terapia fotodinámica)	Fase I (514) 336-4886
Trisenox® trióxido de arsénico	Cephalon *Frazer, PA*	tratamiento de leucemia mielocítica aguda, subtipos M0, M1, M2, M4, M5, M6 y M7 (ver también cáncer)	Fase II (610) 344-0200
		tratamiento de leucemia mielógena crónica	Fase II (610) 344-0200
		tratamiento de mieloma múltiple	Fase II (610) 344-0200
vorinostat	Merck *Whitehouse Station, NJ*	tratamiento de mieloma múltiple	Fase I (800) 672-6372
zanolimumab (anticuerpo monoclonal humano anti-CD4)	Genmab *Princeton, NJ*	tratamiento de micosis fungoides (linfoma cutáneo de células T)	Fase III (609) 430-2481
Zarnestra® tipifarnib	Johnson & Johnson Pharmaceutical Research & Development *Raritan, NJ*	tratamiento de leucemia mielógena aguda	solicitud presentada (800) 817-5286
zosuquidar trihydrochloride	Kanisa Pharmaceuticals *San Diego, CA*	tratamiento de leucemia mieloide aguda	Fase III (858) 436-1800

Cáncer, Piel

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Allovectin-7®	Vical *San Diego, CA*	tratamiento de melanomas invasivos y metastásicos (estadio II, III, y IV)	Fase II (858) 646-1100
Cavatak™ virus coxsackie A 21	Viralytics *North Ryde, Australia*	tratamiento de melanoma en estadio II (T4), estadio III y estadio IV	Fase I www.viralytics.com
CNT095	Centocor *Horsham, PA*	tratamiento de pacientes con alto riesgo de melanoma maligno en estadio II, estadio III, y estadio IV	Fase I (610) 651-6000
inmunoglobulina humana (lgG1k) anti-CTLA-4 MDX-010 (ipilimumab)	Bristol-Myers Squibb *Princeton, NJ* Medarex *Princeton, NJ*	tratamiento de melanoma de alto riesgo en estadio II, estadio III, y estadio IV	Fase III (212) 546-4000
imexón	AmpliMed *Tucson, AZ*	tratamiento de melanoma metastásico maligno (ver también cáncer; cáncer, sangre)	Fase I (520) 529-1000
IntraDose® cisplatina/ epinefrina	Novartis Pharmaceutical *East Hanover, NJ*	tratamiento de melanoma metastásico maligno (ver también cáncer)	Fase III (888) NOW-NOVA
mannopentaose fosfato sulfato	Progen Industries *Richlands, Australia*	tratamiento de melanoma de alto riesgo en estadio II, estadio III, y estadio IV	Fase II
MEDI-522	MedImmune Oncology *Gaithersburg, MD*	tratamiento de melanoma metastásico	Fase II (301) 398-0000
vacuna de péptido de melanoma (MDX-010+ MDX1379) (ipilimumab + disomotida/ ovemotida)	Bristol-Myers Squibb *Princeton, NJ* Medarex *Princeton, NJ*	tratamiento de HLA-A2+m en pacientes con melanoma maligno en estadio IIB, IIC, III y IV	Fase III (212) 546-4000
M-Vax®	Avax Technologies *Philadelphia, PA*	para terapia adyuvante en pacientes de melanoma con metástasis en gánglios linfáticos quirúrgicamente resectables (estadio III y estadio IV limitado de la enfermedad)	Fase I (215) 241-9760
Nexavar® sorafenib	Bayer Pharmaceuticals *West Haven, CT* Onyx Pharmaceuticals *Emeryville, CA*	tratamiento de melanoma estadio IIB hasta estadio IV (ver también cáncer)	Fase III (203) 812-2000 (510) 597-6500
Oncophage® vitespen	Antigenics *New York, NY*	tratamiento de melanoma metastásico (ver también cáncer)	Fase III (212) 994-8200
arginina deiminasa pegilatada	Phoenix Pharmacologics *San Diego, CA*	tratamiento de melanoma maligno invasivo (ver también cáncer)	Fase I (858) 452-6688

Cáncer, Piel

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
interleuquina-21 recombinate humana (rIL-21)	ZymoGenetics *Seattle, WA*	tratamiento de melanoma maligno en estadio II (T4), III o IV	Fase I (206) 442-6600
T4N5 loción liposomal	AGI Dermatics *Freeport, NY*	para prevenir neoplasias cutáneas y otras anomalías en la piel en xerodermia pigmentosa	Fase III (516) 868-9026
Taxoprexin® DHA-paclitaxel docosahexaenoico	Luitpold Pharmaceuticals *Shirley, NY*	tratamiento de melanoma metastásico maligno (ver también cáncer)	Fase III (631) 924-4000
Temodar® temozolomida	Schering-Plough *Kenilworth, NJ*	tratamiento de melanoma metastásico avanzado	solicitud presentada (908) 298-4000
ticilimumab (CTLA4 mAb)	Pfizer *New York, NY*	tratamiento de melanoma metastático en estadio IIb hasta estadio IV	Fase III (860) 732-5156
Zadaxin® timosina alfa 1	SciClone Pharmaceuticals *San Mateo, CA* Sigma-Tau Pharmaceuticals *Gaithersburg, MD*	tratamiento de melanoma maligno en estadio IIb hasta estadio IV (ver también infecciosos)	Fase II (650) 358-3456

Cáncer-Condiciones Relacionadas

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
dexrazoxane	TopoTarget *Copenhagen, Dinamarca*	tratamiento de extravación de antraciclina durante quimioterapia	solicitud presentada
Leukotec® inolimomab	Opi *Limonest, Francia*	tratamiento de la enfermedad de injerto contra húesped	Fase III
uricasa modificada con polietileno-glicol (PEG-uricase)	Phoenix Pharmacologics *San Diego, CA*	profilaxis de hiperuricemia en pacientes de cáncer con propensión a desarrollar el síndrome de lisis de tumor durante quimioterápia (ver también otros)	Fase I (858) 452-6688
Prochymal™	Osiris Therapeutics *Baltimore, MD*	tratamiento de la enfermedad aguda de injerto contra húesped	Fase III (410) 522-5005
Prograf® tacrolimus	Astellas Pharma US *Deerfield, IL*	profilaxis de la enfermedad de injerto contra húesped	solicitud presentada (800) 888-7704
factor de crecimiento-20 fibroblasto humano recombinante (velafermina)	CuraGen *Branford, CT*	tratamiento de la mucositis oral inducida por radiación (estomatitis)	Fase II (888) 436-6642
tiosulfato de sodio	Adherex Technologies *Durham, NC*	prevención de ototoxicidad inducida por platino en pacientes pediátricos	Fase II (919) 484-8484
StemEx®	Gamida Cell *Jerusalem, Israel* Teva Pharmaceuticals USA *North Wales, PA*	para uso como soporte hematopoyético en pacientes con males hematológicos recaídas o refractarios que vienen recibiendo terapia en alta dosis	Fase I (215) 591-3000

Cáncer-Condiciones Relacionadas

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Xerecept® inyección de acetato de corticorelina	Celtic Pharma *Hamilton, Bermuda* Neurobiological Technologies *Richmond, CA*	tratamiento del edema cerebral peritumoral	Fase III (212) 616-4000 (510) 595-6000

Enfermedades Cardiovasculares

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
implitapida	Medical Research Laboratories International *Highland Heights, KY*	tratamiento de hipercolesterolemia familiar homóciga	Fase II
ISIS 301012	Isis Pharmaceuticals *Carlsbad, CA*	tratamiento de hipercolesterolemia familiar homóciga	Fase II (760) 931-9200
trombolítica novel activa (NAT)	Nuvelo *San Carlos, CA*	tratamiento de oclusión arterial periférica (PAO)	Fase III (650) 517-8000
microplasmina humana recombinante	ThromboGenics *Dublín, Irlanda*	tratamiento de oclusión arterial periférica (PAO)	Fase I
acetato de tilarginina	ArgiNOx Pharmaceuticals *Redwood City, CA*	tratamiento de choque cardiogénico	Fase III (888) 274-6070
Trinam™ etanolamina	Ark Therapeutics *Londres, Inglaterra*	prevención de complicaciones debido a la enfermedad de hiperplasia neointimal en ciertas anatomosis vasculares	Fase II
vapreotida	Debiovision *Montréal, Québec*	tratamiento de pacientes con hemorragia esofágica variceal con hipertensión portal	solicitud presentada

Trastornos Genéticos

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
40SD02	Biomedical Frontiers *Minneapolis, MN*	tratamiento de sobrecarga crónica de crónica resultante del tratamiento transfusional convencional de beta-talasemia mayor y anemia de célula falciforme	Fase II
AER002	Aerovance *Berkeley, CA*	tratamiento de fibrosis quística	Fase II (510) 549-5500
AT 1001 (migalast)	Amicus Therapeutics *Cranbury, NJ*	tratamiento de la enfermedad de Fabry	Fase II (609) 662-2000
terapia genética de fibrosis quística	Copernicus Therapeutics *Cleveland, OH*	tratamiento de fibrosis quística	Fase I (216) 231-0227

Trastornos Genéticos

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Cystoram™ cisteamina hidrocloruro	Sigma-Tau Pharmaceuticals *Gaithersburg, MD*	tratamiento de la acumulación del cristal de cisteína corneal en pacientes con cistinosis	Fase III (800) 447-0169
Dacogen™ decitabina	MGI Pharma *Bloomington, MN*	tratamiento de anemia de célula falciforme (ver también cáncer)	Fase II (952) 346-4700
DCF 987 (dextrán 1)	BCY LifeSciences *Toronto, Ontario*	tratamiento de fibrosis quística	Fase II (416) 484-4666
denufosol de tetrasodio	Inspire Pharmaceuticals *Durham, NC*	tratamiento de fibrosis quística	Fase III (919) 941-9777
duramicina	Lantibio *Chapel Hill, NC*	tratamiento de fibrosis quística	Fase II (919) 960-0217
homodímero factor XIII [A2], de ADN recombinante de origen	Novo Nordisk *Princeton, NJ*	tratamiento de deficiencias del factor FXIII congénito	Fase I (609) 987-5800
		profilaxis del sangrado asociado con deficiencias del factor FXIII congénito	Fase I (609) 987-5800
Fosamax® alendronato	Merck *Whitehouse Station, NJ*	tratamiento de osteogénesis imperfecta en pacientes pediátricos de 4 años de edad o mayores	solicitud presentada (800) 672-6372
Hemoxin™	Xechem International *New Brunswick, NJ*	tratamiento de la enfermedad de células falcimormes	Fase II (732) 247-3300
ICA 17043 bis (4-fluorofenil) fenilacetamida	ICAgen *Durham, NC*	tratamiento de la enfermedad de células falcimormes	Fase III (919) 941-5206
idebenone (INN)	Santhera Pharmaceuticals *Liestal, Suiza*	tratamiento de cardiomiopatía asociado con ataxia de Friedreich	Fase II www.santhera.com
		tratamiento de neuropatía óptica hereditaria de Leber	Fase II www.santhera.com
INS 316	Inspire Pharmaceuticals *Durham, NC*	tratamiento de fibrosis quística (ver también trastornos respiratorios)	Fase II (919) 941-9777
isofagomine tartrato (AT-2101)	Amicus Therapeutics *Cranbury, NJ*	tratamiento de la enfermedad de Gaucher	Fase I (609) 662-2000
Liazal® liarozol	Barrier Therapeutics *Princeton, NJ*	tratamiento de ictiosis congénita	Fase II (609) 945-1200
mannitol	Pharmaxis *Frenchs Forest, Australia*	para facilitar la depuración de mucosidad en pacientes con bronquiectasia y en pacientes con fibrosis quística en riesgo de bronquiectasia	Fase III www.pharmaxis.com
methylbicyclone (SPI-8811)	Sucampo Pharmaceuticals *Bethesda, MD*	tratamiento de fibrosis quística	Fase II (301) 961-3400
oxalobacter formigenes (OC3)	OxThera *Alachua, FL*	tratamiento de hiperoxaluria primaria	Fase I (386) 418-1428

Trastornos Genéticos

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
PTC 124	PTC Therapeutics *South Plainfield, NJ*	para uso en el tratamiento de fibrosis quística que resulta de una mutación sin sentido (codon de stop prematuro) en el gen regulador de la transmembrana conductora de la fibrosis quística	Fase II (908) 222-7000
		tratamiento de distrofia muscular como resultado de mutaciones prematuras stop en el gen de la distrofina	Fase II (908) 222-7000
virus del vector alfa 1-antitripsina adenoasociado recombinante	Applied Genetic Technologies *Alachua, FL*	tratamiento del déficit de alfa 1 antitripsina	Fase I (386) 462-2204
inhibidor recombinante humano de la C1 esterasa	Pharming *Leiden, Holanda*	tratamiento de (ataques agudos de) angioedema causada por la insuficiencia hereditaria o adquirida del inhibidor de la C1 esterasa, tratamiento profiláctico de angioedema causada por la insuficiencia hereditaria o adquirida del inhibidor de la C1 esterasa.	Fase III
elastasa recombinante neutrófila humana (hNE)	Dyax *Cambridge, MA*	tratamiento de fibrosis quística	Fase II (617) 225-2500
rinolacept (trampa de interleuquina-1)	Regeneron Pharmaceuticals *Tarrytown, NY*	tratamiento del síndrome periódico asociado con el síndrome autoinflamatorio por frío (CIAS-1) (CAPS) (ver también autoinmune)	Fase III (914) 345-7400
timosina beta 4	RegeneRx Biopharmaceuticals *Bethesda, MD*	tratamiento de la epidermolisis bullosa	Fase II (301) 280-1992

Enfermedades Infecciosas

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
ABthrax™ (PA mAb)	Human Genome Sciences *Rockville, MD*	tratamiento del carbunco (ánthrax)	Fase I (301) 309-8504
AmBisome® anfotericina B liposomal	Astellas Pharma US *Deerfield, IL* Gilead Sciences *Foster City, CA*	tratamiento de la histoplasmosis	Fase II (800) 695-4321 (650) 574-3000

Enfermedades Infecciosas

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
anfotericina B inhalación en polvo	Nektar Therapeutics *San Carlos, CA*	prevención de infecciones pulmonares micóticas en pacientes en riesgo de contraer apergillosis debido a la terapia inmunosupresora, incluyendo aquellos que reciben trasplantes de órgano o células madre, o son tratados con quimioterapia o radiación por malignidades hematológicas	Fase I (650) 631-3100
Ampligen®	HEM Pharmaceutical *Philadelphia, PA*	tratamiento del SIDA (ver también autoinmune)	Fase II (800) 332-6854
Anthim™ (ETI-204)	Elusys Therapeutics *Pine Brook, NJ*	tratamiento por exposición a las esporas del *Bacillus anthracis*	Fase I (973) 808-0222
Cayston™ lisina aztreonam para inhalación	Corus Pharma *Seattle, WA* Gilead Sciences *Foster City, CA*	terapia inhalatoria para el control de bacterias gramonegativas en el tracto respiratorio de pacientes con fibrosis quística	Fase III (650) 574-3000
quimérica mAb humanizada al estafilococo (BSYX-A110)	Biosynexus *Gaithersburg, MD* MedImmune *Gaithersburg, MD*	profilaxis de la sepsis por *Staphylococcus epidermidis* en infantes nacidos con bajo peso (1500 gramos o menos)	Fase II (301) 330-5800 (301) 398-0000
anticuerpo monoclonal quimérico	Caprion Pharmaceuticals *Montréal, Québec*	tratamiento de infección bacterial que produce toxina Shiga	Fase I (514) 940-3600
vacuna de ADN de citomegalovirus	Vical *San Diego, CA*	prevención de viremia de citomegalovirus (CMV) clinicamente significativa, enfermedad de CMV y complicaciones asociadas en trasplantes de riesgo de células hematopoyéticas y poblaciones de trasplante sólido.	Fase II (858) 646-1100
doripenem	Johnson & Johnson Pharmaceutical Research & Dvelopment *Raritan, NJ*	tratamiento de la infección broncopulmonar en pacientes con fibrosis quística que son colonizados con *Pseudomonas aeruginosa* o *Burkholderia cepacia*	Fase I (800) 817-5286
inmunoglobulina del virus de la hepatitis C (humana)	NABI Biopharmaceuticals *Boca Raton, FL*	profilaxis por infección de hepatitis C en receptores de trasplante de hígado	Fase I (561) 989-5809
HepeX-B	Cubist Pharmaceuticals *Lexington, MA*	prevención de la reinfección del virus de hepatitis B (HBV) en pacientes que han recibido un trasplante de hígado	Fase II (781) 860-8660
Hsp E7	Nventa Biopharmaceuticals *San Diego, CA*	tratamiento de papilomatosis respiratoria recurrente (RRP)	Fase II (858) 202-4900

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
inmunoglobulina (humana) que contiene gran cantidad de anticuerpos del virus del Nilo Occidental	OMRIX Biopharmaceuticals *New York, NY*	tratamiento a la infección por el virus del Nilo Occidental	Fase I (212) 887-6500
KBPA 101 (mAb humano dirigido contra *Pseudomonas aeruginosa* cero-tipo 011)	Kenta Biotech *Berna, Suiza*	tratamiento de la neumonía nosocomial causada por *Pseudomonas aeruginosa* cero-positiva tipo 011	Fase II
Nabi-HB® inmunoglobulina intravenosa para hepatitis B (humana)	NABI Biopharmaceuticals *Boca Raton, FL*	profilaxis contra la reinfección del virus de hepatitis B en pacientes de trasplante de hígado	solicitud presentada (561) 989-5800
interferón alfa linfoblastoide natural humana	Amarillo Biosciences *Amarillo, TX*	tratameinto de verrugas por el virus del papiloma humano en la cavidad bucal de pacientes VIH-positivos	Fase II (806) 376-1741
Noxafil® posaconazole	Schering-Plough *Kenilworth, NJ*	tratamiento de cigomicosis	solicitud presentada (908) 298-4000
Paromomicina aminosidase	The Institute for One World Health *San Francisco, CA*	tratamiento de leishmaniasis visceral	Fase III (415) 421-4700
mAb recombinante humana al hsp90	NeuTec Pharma *Manchester, Inglaterra*	tratamiento de la candidiasis invasiva	Fase II
SLIT™ Amikacin	Transave *Monmouth Junction, NJ*	tratamiento de las infecciones broncopulmonares por *Pseudomonas aeruginosa* en pacientes de fibrosis quística	Fase II (732) 438-9434
Staphylococcus aureus inmunoglobulina (humana)	Nabi Pharmaceuticals *Boca Raton, FL*	profilaxis contra las infecciones de *Staphylococcus aureus* en neonatos de bajo peso	Fase II (561) 989-5000
TNX-355	Tanox *Houston, TX*	para uso en profilaxis post-exposición por exposición ocupacional al virus de inmunodeficiencia humana (VIH)	Fase III (713) 578-4000
Valortim™ MDX-1303	Medarex *Princeton, NJ* PharmAthene *Annapolis, MD*	tratamiento de la infección de ántrax	Fase I (609) 430-2880 (410) 571-8920
varicela zóster inmunoglobulina (humana)	Cangene *Winnipeg, Manitoba*	inmunización pasiva para el tratamiento de individuos susceptibles y expuestos que están en riesgo por complicaciones de varicela	Fase III (204) 275-4178

Enfermedades Infecciosas

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Veronate® INH-A00021	Inhibitex *Alpharetta, GA*	reducción (prevención) de bacteremia nosocomial causada por estafilococos en infantes nacidos con muy poco peso	solicitud presentada (678) 746-1100
XP-28 (xepol)	Pharmalink *Estocolmo, Suecia*	tratamiento del síndrome post-polio	Fase III
Zadaxin® timosina alfa 1	SciClone Pharmaceuticals *San Mateo, CA*	tratamiento de hepatitis B activa, crónica (ver también cáncer)	Fase II (650) 358-3456

Trastornos Neurológicos

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
4975	Anesvia *South San Francisco, CA*	tratamiento de neuroma intermetatarsal (neuroma de Morton) que no responde a tratamientos conservadores y requiere ya sea neurectomía o neurólisis	Fase II (650) 624-9600
ACR-16	NeuroSearch AB *Goteborg, Suecia*	tratamiento de la enfermedad de Huntington	Fase II www.neurosearch.com
AEOL 10150	Aeolus Pharmaceuticals *Laguna Niguel, CA*	tratamiento de esclerosis lateral amiotrófica (ALS)	Fase I (949) 481-9825
anatibant (XY 2405)	Xytis Pharmaceuticals *Irvine, CA*	tratamiento de pacientes que han experimentado una severa lesión cerebral traumática (en la escala de coma Glasgow del 3 al 8) con el fin de disminuir la mortalidad temprana y mejorar los resultados funcionales y neurológicos de largo plazo	Fase II (949) 226-1118
arimoclomol (BRX-345)	CytRx *Los Angeles, CA*	tratamiento de esclerosis lateral amiotrófica (ALS)	Fase II (301) 826-5648
macrófagos autólogos incubados	Proneuron Biotechnologies *Los Angeles, CA*	terapia para mejorar el resultado neurológico motor y sensorial en casos agudos de lesión en la columna vertebral	Fase II www.proneuron.com
BA 210	BioAxone Therapeutics *Montréal, Québec*	tratamiento de lesión aguda en la columna vertebral	Fase I (514) 282-9990
Botox®	Allergan *Irvine, CA*	tratamiento de la contractura muscular dinámica en pacientes pediátricos con parálisis cerebral	Fase III (714) 246-4500
capsaicina	TheraQuest Biosciences *Blue Bell, PA*	manejo de neuralgia post-herpética	Fase II (610) 272-2071
ceftriacxona sódica	Massachusetts General Hospital *Charlestown, MA*	tratamiento de esclerosis lateral amiotrófica (ALS)	Fase III

Trastornos Neurológicos

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
civamida	Winston Laboratories *Vernon Hills, IL*	tratamiento de neuralgia post-herpética del nervio trigémino	Fase II (847) 362-8200
cladribina	EMD Serono *Rockland, MA*	tratamiento de la esclerosis múltiple crónica progresiva	Fase III (800) 283-8088
clazosentan	Actelion Pharmaceuticals US *South San Francisco, CA*	tratamiento del vasoespasmo cerebral seguido de hemorragia subaracnoidea	Fase II (650) 624-6900
contulakin-G	Cognetix *Salt Lake City, UT*	tratamiento endovenoso del dolor neuropático asociado con lesión a la columna vertebral	Fase I (801) 581-0400
creatina (ALS-02) (HD-02)	Avicena Group *Palo Alto, CA*	tratamiento de esclerosis lateral amiotrófica (ALS)	Fase III (415) 397-2880
		tratamiento de la enfermedad de Huntington	Fase II (415) 397-2880
Duodopa® levodopa y carbidopa	Solvay Pharmaceuticals *Marietta, GA*	tratamiento de la enfermedad de Parkinson en última etapa	Fase III (770) 578-9000
Dysport® toxina botulínica tipo A	Ipsen *Milford, MA*	tratamiento de tortícolis espasmódico (distonía cervical)	Fase III (508) 478-8900
E2080	Eisai *Ridgefield Park, NJ*	tratamiento del síndrome de Lennox-Gastaut	solicitud presentada (201) 403-2500
etilo eicosapentaenoico	Laxdale *Stirling, Reino Unido*	tratamiento de la enfermedad de Huntington	Fase III
fampridine-SR	Acorda Therapeutics *Hawthorne, NY*	tratamiento de lesiones incompletas y crónicas a la columna vertebral	Fase III (914) 347-4300
		alivio de síntomas de esclerosis múltiple	Fase III (914) 347-4300
Fx1006A	FoldRx Pharmaceuticals *Cambridge, MA*	tratamiento de polineuropatía amiloide familiar	Fase I (617) 252-5500
inmunoglobulina (humana)	Talecris Biotherapeutics *Rsch. Triangle Park, NC*	tratamiento de polineuropatía desmielinizante inflamatoria crónica	Fase II (919) 316-6300
LY 156735 (PD6735)	Phase 2 Discovery *Cincinnati, OH* Eli Lilly *Indianapolis, IN*	tratamiento de trastornos del sueño del ritmo circadiano en gente ciega sin percepción de luz	Fase II (513) 475-6618 (317) 276-2000
metionina/ L-metionina	Genopia USA *New York, NY*	tratamiento del SIDA asociado con mielopatías	Fase II
MYO-029	Wyeth *Collegeville, PA*	tratamiento de distrofias musculares Duchenne y Becker	Fase II (610) 902-1200
Myodur™	Ceptor *Hunt Valley, MD*	tratamiento de niños con distrofia muscular de Duchenne	Fase I/II (410) 527-9998

Trastornos Neurológicos

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
NH-001	NeuroHealing Pharmaceuticals *Newton, MA*	para el tratamiento de pacientes en estado vegetativo o estado consciente mínimo por más de 12 meses consecutivos luego de una lesión traumática severa al cerebro (traumática o espontánea)	Fase II (617) 331-4111
S-adenosilmetionina	Genopia USA *New York, NY*	tratamiento del SIDA asociado con mielopatías	Fase II (800) 238-8088
Spheramine®	Schering AG *Berlín, Alemania* Titan Pharmaceuticals *South San Francisco, CA*	tratamiento del mal de Parkinson en estado 3 y 4 de la escala Hoehn y Yahr (mal de Parkinson avanzado)	Fase II (650) 244-4990
tramadol hidroclorido (TQ-1017)	TheraQuest Biosciences *Blue Bell, PA*	tratamiento de la neuropatía asociada al VIH doloroso	Fase I (610) 272-2071
		manejo de neuralgia post-herpética	Fase I (610) 272-2071
Transacin™ (NGX-4010)	NeurogesX *San Carlos, CA*	tratamiento de la neuropatía asociada al VIH doloroso	Fase II (650) 508-2116
TRO-19622	Trophos SA *Cedex, Francia*	tratamiento de esclerosis lateral amiotrófica	Fase I www.trophos.com
ubiquinol	Gel-Tec, Tishcon *Westbury, NY*	tratamiento de la enfermedad de Huntington	Fase III (516) 333-3050
		tratamiento de citopatías mitocondriales	Fase I (516) 333-3050
vigabatrina	Ovation Pharmaceuticals *Deerfield, IL*	tratamiento de espasmos infantiles	en pruebas clínicas (847) 282-1000
Xenazine® tetrabenazina	Prestwick Pharmaceuticals *Washington, DC*	tratamiento de la enfermedad de Huntington	solicitud presentada (202) 296-1400

Trastornos Respiratorios

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
inhibidor (humano) de la proteinasa alfa 1	Kamada *Ness Ziona, Israel*	terapia de inhalación crónica de individuos con deficiencia congénita de inhibidores de proteinasa alfa1 con enfisema panacinar demostrable	Fase III www.kamada.com
inhibidor (humano) de la proteinasa alfa 1 inhalador	CSL Behring *King of Prussia, PA* Nektar Therapeutics *San Carlos, CA*	para desacelerar la progresión de enfisema en pacientes con deficiencia de alfa 1 antitrispina	Fase II (610) 878-4000
ambrisentan	Gilead Sciences *Foster City, CA*	tratamiento de hipertensión arterial pulmonar	solicitud presentada (650) 574-3000
Hsp E7	Nventa Pharmaceuticals *San Diego, CA*	tratamiento de papilomatosis respiratoria recurrente (RRP)	Fase II (858) 202-4900

Trastornos Respiratorios

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
INOmax óxido nítrico	INO Therapeutics *Clinton, NJ*	tratamiento del síndrome de distrés respiratorio agudo en adultos	en pruebas clínicas (908) 238-6600
		para reducir el riesgo de enfermedad crónica al pulmón en neonatos prematuros	en pruebas clínicas (908) 238-6600
INS 316	Inspire Pharmaceuticals *Durham, NC*	para facilitar la remoción de la secreción pulmonar en el tratamiento de pacientes con discinecia ciliar primaria (ver también genética)	Fase II (919) 941-9777
lusupultide (rSP-C surfactante pulmonar)	Altana Pharma *Florham Park, NJ*	tratamiento del síndrome de distrés respiratorio en adultos	Fase III (973) 514-4240
pirfenidona	InterMune *Brisbane, CA*	tratamiento de fibrosis pulmonar ideopática	Fase III (415) 466-2200
PulmoLar™	PR Pharmaceuticals *Fort Collins, CO*	tratamiento de hipertensión arterial pulmonar	Fase I (970) 484-5560
proteina 10kDa de célula Clara humana recombinante	Claragen *College Park, MD* CCIO Sweden *Estocolmo, Suecia*	prevención de displasia broncopulmonar neonatal en recién nacidos prematuros con síndrome de distrés respiratorio	Fase I (301) 452-2899
sitaxsentano	Encysive *Houston, TX*	tratamiento de hipertensión arterial pulmonar en ausencia de la enfermedad pulmonar obstructiva crónica o insuficiencia cardiaca congestiva	solicitud presentada (713) 796-8822
Surfaxin® lucinactanto	Discovery Laboratories *Warrington, PA*	tratamiento del síndrome del distrés respiratorio en recien nacidos prematuros	solicitud presentada (215) 488-9300
		tratamiento del síndrome del distrés respiratorio agudo en adultos	Fase II (215) 488-9300
péptido intestinal vasoactivo (aviptadil)	Biogen Idec *Cambridge, MA* mondoBIOTECH Laboratories *Anstalt, Suiza*	tratamiento de hipertensión arterial pulmonar	Fase II (617) 679-2000

Trasplantes

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Apomate™ (tecnecio Tc99m rh-anexina V)	North American Scientific *Chatsworth, CA*	diagnóstico o evaluación del estado del corazón, corazón-pulmón, pulmón solo, o pulmón bilateral, por el rechazo a un trasplante	Fase II (818) 734-8600

TRASPLANTES

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
Mozobil™ plerixafor	Genzyme *Cambridge, MA*	para el uso en combinación con filgrastrim para mejorar la producción de células progenitoras en el producto de las aféresis por trasplantes subsecuentes de la célula madre seguidos de quimioterapia mielosupresiva o mieloablativa	Fase III (617) 252-7500
PD03491390	Pfizer *New York, NY*	tratamiento de pacientes en proceso de trasplante de órganos sólidos	Fase II (860) 723-5156
vacuna de glicoproteina gp350 recombinante contra el virus de Epstein-Barr	Henogen *Charleroi, Bélgica*	prevención de trastornos linfoproliterativos de post-trasplante en receptores pediátricos de trasplante de órganos sólidos	Fase I
ligando glicoproteina P-selectina recombinante (YSPSL)	Y's Therapeutics *Burlingame, CA*	prevención del funcionamiento retardado del injerto en pacientes con trasplante de riñón	Fase II (650) 777-7000
reparixin	Dompe *L'Aquila, Italia*	prevención del funcionamiento retardado del injerto en trasplante de órganos sólidos	Fase II
TK terapia genética	MolMed *Milan, Italia*	inmunoterapia para la aceleración de la reconstrucción de células T en pacientes en proceso de trasplante de célula madre hematopoyética alogenéica	Fase I/II www.molmed.com

OTROS

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
AMG 531	Amgen *Thousand Oaks, CA*	tratamiento de trombocitopenia púrpura inmune	Fase III (805) 447-1000
ácido aminocapróico	Eastern Virginia Medical School *Norfolk, VA* ISTA Pharmaceuticals *Irvine, CA*	tratamiento tópico de hifema traumática del ojo	Fase III (949) 788-6000
Analatro® latrodectus inmune F(ab)2	Rare Disease Therapeutics *Nashville, TN*	tratamiento de envenenamiento por la araña viuda negra	Fase II (615) 399-0700
Anavip™	Rare Disease Therapeutics *Nashville, TN*	tratamiento de envenenamiento por serpientes Crotalinas	Fase II (615) 399-0700
C1 esterasa inhibidor (humana)	Lev Pharmaceuticals *New York, NY*	tratamiento de angioedema	Fase III (212) 682-3994

Otros

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
C1 esterasa inhibidor, humana, pasteurizada	CSL Behring *King of Prussia, PA*	prevención y/o tratamiento de ataques agudos de angioedema hereditaria	Fase III (610) 878-4000
cloruro de colina	Feinberg School of Medicine *Chicago, IL*	prevención y/o tratamiento por deficiencia de colina en pacientes en nutrición parenteral de largo plazo	Fase II (312) 695-4514
Correcta™ clotrimazole	Effective Pharmaceuticals *New York, NY*	tratamiento de tópico de niños y adultos con pouchitis	Fase II/III (917) 224-7099
CR-002 (mAb humano contra el crecimiento derivado de plaquetas, factor D)	CuraGen *Branford, CT*	para desacelerarr la progresión de nefropatía de IgA y retrasar la insuficiencia renal en pacientes afectados por esta enfermedad	Fase I
debrase presentación de gel	MediWound *Yavne, Israel*	desbridamiento de quemaduras agudas y profundas dermales en pacientes hospitalizados	Fase II
defibrotida	Gentium *Cono, Italia* Sigma-Tau Pharmaceuticals *Gaithersburg, MD*	tratamiento de enfermedad veno oclusiva hepática	Fase III (800) 447-0169
dehidroepian-drosterona (DHEA)	Paladin Labs *Montréal, Québec*	terapia de reemplazo en individuos con insuficiencia suprarrenal	Fase II (514) 340-1112
DX-88	Dyax *Cambridge, MA*	tratamiento de angioedema	Fase III (617) 225-2500
ELAD® células humanas hepáticas inmortalizadas encontradas en el sistema de soporte hepático extracorporal	Vital Therapies *San Diego, CA*	tratamiento para fallo hepático fulminante (insuficiencia hepática aguda)	Fase II (858) 673-6840
glicopirrolato	Sciele Pharma *Atlanta, GA*	tratamiento del babeo patológico (crónico moderado a severo) en pacientes pediátricos	Fase II (800) 461-3696
histrelina	Valera Pharmaceuticals *Cranbury, NJ*	tratamiento de la pubertad central precoz	solicitud presentada (888) 262-8855
icatibanto	Jerini *Berlín, Alemania* KOS Pharmaceutical *Cranbury, NJ*	tratamiento de angioedema	Fase III (609) 495-0500
Ipstyl® lanreotida	IPSEN *Milford, MA*	tratamiento para la acromegalia	Fase I (508) 478-0144
Kiacta™ eprodisato	Neurochem *Saint-Laurent, Québec*	tratamiento de amiloidosis secundaria	solicitud presentada

OTROS

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
mepolizumab	GlaxoSmithKline *Philadelphia, PA* *Rsch. Triangle Park, NC*	tratamiento de primera línea en pacientes con sindrome hipereosinofílico	Fase II (888) 825-5649
MGA-031 (anti-CD3 mAb humanizador)	Macrogenics *Rockville, MD*	tratamiento de la diabetes tipo 1 recientemente iniciada	Fase II/III (301) 251-5172
misoprostol	Gynuity *New York, NY*	tratamiento por muerte fetal intrauterina no acompañada por una expulsión completa de los productos de concepción en el segundo y tercer trimestre de embarazo	en pruebas clínicas (212) 448-1230
NovoSeven®	Novo Nordisk *Princeton, NJ*	tratamiento del sangrado de pacientes que experimentan hemorragia intracraneana	Fase III (877) 668-6777
NT 501	Neurotech USA *Lincoln, RI*	tratamiento de la retinitis pigmentosa	Fase I (401) 333-3880
Oralgam™ gamaglobulina humana	PediaMed Pharmaceuticals *Florence, KY* Protein Therapeutics *Tucson, AZ*	tratamiento de trastornos gastrointestinales (que incluyen el estreñimiento, la diarrea y el dolor abdominal) asociados con la regresión inicial del autismo en pacientes pediátricos (ver también autoinmune)	Fase II (520) 844-1187
fenilefrina	S.L.A. Pharma *Watford, Reino Unido*	tratamiento para la incontinencia fecal relacionada con la anastamosis ileo-anal de reservorio	Fase II
Plaquase™ colagenasa (liofilización) inyectable	Auxilium Pharmaceuticals *Malvern, PA*	tratamiento para la enfermedad de Peyronie	Fase II (484) 321-5900
uricasa modificada con polietileno-glicol (PEG-uricase)	Phoenix Pharmacologics *San Diego, CA*	tratamiento de hiperuricemia en pacientes de gota refractaria a la terapia convencional o para quienes la terapia convencional es contraindicada (ver también cáncer)	Fase I (858) 452-6688
Puricase® polietileno-glicol (PEG-uricase)	Savient Pharmaceuticals *East Brunswick, NJ*	para controlar las consecuencias clínicas de la hiperuricemia en pacientes con gota severa en quienes la terapia convencional es contraindicada o ha sido ineficaz	Fase III (732) 418-9300
Serostim™ somatropina	EMD Serono *Rockland, MA*	tratamiento de pacientes con VIH asociado con el síndrome de redistribución adiposa	solicitud presentada (800) 238-8088
secretina humana sintética (RG 1068)	Repligen *Waltham, MA*	para usarse en conjunto con procedimientos de diagnóstico (incluyendo ERCP) para trastornos del páncreas para incrementar secreción de fluidos pancreáticos	Fase II (800) 622-2259

OTROS

Nombre del producto	Auspiciador	Designación Oficial del FDA	Status del desarrollo
terlipressina (INN)	Orphan Therapeutics *Lebanon, NJ*	tratamiento del síndrome hepatorrenal	Fase III (908) 849-4805
TheraCLEC-Total	Altus Biologics *Cambridge, MA*	tratamiento de insuficiencia del páncreas	Fase II (617) 299-2900
TRX 4	TolerRX *Cambridge, MA*	tratamiento de diabetes mellitus tipo 1 nuevo, en sus inicios	Fase I (617) 354-8100
Voraxaze® glucarpidasa	Protherics *Brentwood, TN*	tratamiento de pacientes en riesgo de toxicidad de metotrexato	Fase II (615) 327-1027
XG 102	Auris Medical *Chicago, IL*	tratamiento de pérdida auditiva neurosensorial aguda	Fase I/II (312) 283-5633
Xifaxan™ rifaximin	Salix Pharmaceuticals *Morrisville, NC*	tratamiento de encefalopatía hepática	Fase III (919) 862-1000

El contenido de este reporte ha sido obtenido mediante fuentes del Gobierno y de la Industria y de la base de datos Adis "R&D Insight" y se basa en la información más reciente. Las designaciones de "Medicamentos Huérfanos" es por la Oficina de Desarrollo de Productos Huérfanos de la Food and Drug Administration (FDA) hasta el 20 de noviembre del 2006. **El informe está actualizado al 02 de enero del 2007.** La información puede no ser comprehensiva. Para información más específica sobre un producto en particular, póngase en contacto con la compañía directamente o visite la página www.clinicaltrials.gov. La serie completa de *Medicamentos en Desarrollo* está disponible en lapágina web de PhRMA.

Es una publicación del Departamento de Comunicaciones y Relaciones Públicas de PhRMA. (202) 835-3460

www.phrma.org | www.innovation.org | www.pparx.org | www.buysafedrugs.info | www.nuestraphrma.org

Se provee este documento como un Servicio Público de PhRMA. Fundada en 1958 como la Asociación de Productores Farmacéuticos.

Derechos de autor (Copyright ©) 2007 por los Investigadores y Productores Farmacéuticos de América (Pharmaceutical Research and Manufacturers of America). Se permite la reimpresión si se da a conocer la fuente.

síndrome de inmunodeficiencia adquirida (SIDA) [acquired immune deficiency syndrome (AIDS)]—Es una manifestación de la infección con el **virus de la inmunodeficiencia humana (VIH)** caracterizada por la presencia de una o más enfermedades oportunistas que ocurren primariamente, -o en algunos casos solamente,- cuando el sistema inmune de un individuo es defectuoso.

adenocarcinoma—Es el cáncer del tejido glandular, o tumor en el que las células derivadas de glándulas forman estructuras que semejan a las glándulas.

síndrome de redistribución adiposa—Es un grupo de trastornos metabólicos raros que pueden ser heredados o adquiridos. Se caracterizan por anormalidades en el tejido graso (adiposo) asociados con una pérdida total o parcial de la grasa corporal, anormalidades en el metabolismo de carbohidratos y lípidos, resistencia severa a la insulina que se produce naturalmente o a la insulina sintética, y disfunciones en el sistema inmunológico. Estos trastornos se diferencian por grados de severidad y por las áreas o sistemas del cuerpo que son afectadas. También pueden ser asociadas con otros trastornos y varias anormalidades en el desarrollo.

adjunto—Es un tratamiento auxiliar que es secundario al tratamiento principal.

adyuvante [adjuvant]—Una sustancia o medicamento que asiste a otra sustancia en su acción.

deficiencia del inhibidor de la alfa-1 proteinasa—A pesar de ser una condición rara, algunas personas son deficitarias congénitamente del inhibidor de la alfa-1 proteinasa (o alfa-1 tripsina, una glicoproteína), que los predispone a enfisema pulmonar temprano en sus vidas, aún en ausencia de exposición a sustancias (como el humo de los cigarrillos) que interfieren con los mecanismos de defensa pulmonar.

esclerosis lateral amiotrófica [amyotrophic lateral sclerosis (ALS)]—También conocida como la enfermedad de Lou Gehrig, es la forma más común de las enfermedades de las motoneuronas, un grupo de enfermedades raras en las que los nervios que controlan la actividad muscular degeneran dentro del cerebro y la columna vertebral causando debilidad y desgaste de los músculos.

carcinoma anaplásico tiroideo—Es una forma agresiva e invasiva de cáncer de la glándula tiroidea. Ocurre con mayor frecuencia en personas mayores de 60 años de edad. Se desconoce la causa. El cáncer anaplásico representa sólo cerca del uno por ciento de todos los tipos de cáncer tiroideo y es una enfermedad muy rara.

presentar solicitud—Cuando se ha presentado una solicitud para mercadear productos por la empresa a la Administración de Alimentos y Medicamentos [Food and Drug Administration (FDA)].

aspergilosis—Es una infección causada por Aspergillus, un hongo encontrado usualmente en edificios viejos o en materia orgánica en descomposición.

bacteremia—Es la presencia de bacterias en el flujo sanguíneo. Las bacterias (anaeróbicas) que causan la **bacteremia gramo-positiva** liberan veneno luego de morir. Esto da como resultado fiebre y causan que los fluidos se escapen de las paredes más permeables de los capilares sanguíneos hacia los tejidos aledaños. Ello puede resultar en shock endotóxico, una caída seria en la presión sanguínea.

célula B—Es un tipo de glóbulos blancos que son importantes para el sistema inmunológico del cuerpo.

candidiasis—Es una infección micótica (*Candida)*, usualmente en las partes húmedas cutáneas del cuerpo, incluyendo la piel, la boca, el esófago y el conducto respiratorio.

carcinoma—Cáncer. **El carcinoma de células escamosas** es uno de los tres tipos más comunes de cáncer de piel, que emana de las células achatadas en la piel, parecidas a escamas y que es el resultado primariamente de la exposición prolongada al sol.

parálisis cerebral—Es un término general para referirse a los trastornos de movimiento y postura que resultan de lesiones al cerebro durante el embarazo, al momento de nacer, en el período neonatal, o en la infancia temprana.

distonía cervical—Trastorno, o carencia de tensión muscular en los músculos del cuello.

cutáneo—Relativo a la piel.

fibrosis quística—Es un trastorno genético de las glándulas exocrinas (tales como las glándulas sudorales o los riñones) que causan secreciones mucosas anormales que obstruyen las glándulas y los tractos en varios órganos.

cistinosis—La cistina, un aminoácido acumulado en los órganos internos, que resulta en lesiones y cistinuria, (presencia de cálculos de cistina en la orina).

citomegalovirus [cytomegalovirus (CMV)]—Es un virus del ADN que puede causar infección sin síntomas o con síntomas que se asemejan a los de una gripe leve.

displasia broncopulmonar—Crecimiento anormal de las células de los pulmones y conductos aéreos

asociado con la exposición de los pulmones inmaduros a altos niveles de oxígeno.

epidermólisis bulosa—Es una condición rara, hereditaria en la cual aparecen ampollas en la piel luego de lesiones menores. Afecta principalmente a niños pequeños y tiene un amplio rango de severidad.

sangrado por várices esofágicas—Son las venas dilatadas y debilitadas de la parte inferior del esófago, que pueden tener fisuras y causar sangrado agudo.

enfermedad de Fabry—Es un trastorno metabólico genético que causa la acumulación de ciertos lípidos. Se hace aparente clínicamente en la niñez y adolescencia con fiebre, dolor y pequeños tumores vasculares. Avanza a generar trastornos en el sistema nervioso central y deficiencias cardíacas en la edad media.

ataxia de Friedreich—Es una enfermedad hereditaria que ocasiona lesiones progresivas al sistema nervioso resultando en síntomas que van desde trastornos en el andar y problemas en el habla, hasta la enfermedad del corazón. La "Ataxia" que se refiere a problemas de coordinación tales como movimientos erráticos o extraños y falta de equilibrio se da en varias enfermedades y condiciones. La "Ataxia" en la ataxia de Friedreich resulta de la degeneración del tejido nervioso en la columna vertebral y en los nervios que controlan el movimiento muscular en los brazos y piernas. La columna vertebral se hace más delgada y las células nerviosas pierden parte de su capa de mielina—la cobertura insular en todas las células nerviosas que ayuda a la conducción de los impulsos nerviosos. La condición, a pesar de ser rara, es la ataxia hereditaria más prevalerte, afectando a cerca de una en cada 50,000 personas en los Estados Unidos.

enfermedad de Gaucher—Es una enfermedad hereditaria causada por la carencia o deficiencia de una enzima (glucocerebrosidasa). Afecta principalmente al hígado, el bazo y la médula ósea.

glioblastoma multiforme—Es la forma más común y más maligna de los astrocitomas. El tumor crece tan rápido que incrementa la presión en el cerebro, produciendo dolores de cabeza, lentitud en el pensamiento, y si es lo suficientemente severo, somnolencia y coma.

glioma—Es un tipo de tumor cerebral que se origina de las células gliales de apoyo dentro del cerebro. Los gliomas suman cerca del 60 por ciento de todos los tumores de cerebro primarios y son frecuentemente malignos.

reacción injerto contra huésped [graft vs. host disease (GVHD)]—En los trasplantes de médula ósea, se utiliza médula ósea normal para reemplazar la médula maligna o defectiva. En un trasplante **alogenéico**, la médula sana se toma de un donante; en un trasplante **autólogo**, se utiliza la médula sana del propio paciente. En la reacción injerto contra huésped, una complicación de dichos trasplantes se produce: las células del sistema inmunológico atacan el tejido del huésped del trasplante.

apoyo hematopoiético—Ayuda para que el cuerpo produzca sangre o células sanguíneas.

hepático—Relativo al hígado.

hepatitis—Es la inflamación del hígado acompañado del daño o muerte de las células del hígado, causada muy comúnmente por infecciones virales, (por ejemplo, **hepatitis B** y **C**), pero también por ciertas drogas, químicos o venenos. La hepatitis puede ser aguda (de duración limitada) o crónica (continua).

hepatocelular—Relativo a las células del hígado.

cáncer/carcinoma hepatocelular—Es el cáncer que comienza en las células del hígado.

histoplasmosis—Es una enfermedad causada por una infección micótica que puede afectar a todos los órganos del cuerpo.

VIH—Virus de inmunodeficiencia humana, el virus que causa el SIDA.

enfermedad de Huntington—La corea de Huntington es una enfermedad hereditaria poco común, en la que la degeneración de los ganglios basales (estructuras en la parte profunda del cerebro) resultan en corea (movimientos rápidos, temblorosos e involuntarios) y demencia (impedimento mental progresivo). Los síntomas usualmente no aparecen sino hasta los 35 a 50 años de edad.

hipercolesterolemia (homocigota familiar)—Es un trastorno metabólico hereditario que resulta en cantidades anormales de colesterol en la sangre. Puede conducir hacia la ateroesclerosis acelerada y a un ataque temprano al corazón. El tratamiento mediante dietas rara vez ayuda en estos casos.

trombocitopenia púrpura inmune—Es una condición en la cual se destruyen las plaquetas sanguíneas por el sistema inmunológico. El número reducido de plaquetas puede resultar en hemorragias anormales hacia la piel (púrpura) y otras partes del cuerpo.

síndrome de Lennox-Gastaut—Se caracteriza por convulsiones y retardo mental en infantes y niños pequeños.

leucemia—Es una forma de cáncer que involucra el crecimiento anormal de los glóbulos blancos, que toman control de la médula ósea y

la previenen de producir el suficiente número de células sanguíneas normales. Esto deja al paciente altamente susceptible de contraer infecciones serias, sufrir anemia y con tendencia al sangrado. Las células se incrementan en la sangre, interfiriendo con las funciones de otros órganos.

linfoma—Tipos de cáncer en los que las células del tejido linfático, que se encuentran principalmente en los ganglios linfáticos y el bazo, se multiplican sin control. Los linfomas caen en dos categorías: una es la enfermedad de Hodgkin, caracterizada por un tipo particular de célula anormal. Todos los otros se llaman linfomas no-Hodgkin, que varían en su malignidad de acuerdo a la naturaleza y la actividad de las células anormales. Los **linfomas de la célula-B y de la célula-T** son causados por la proliferación de los dos tipos principales de glóbulos blancos, llamados linfocitos B y T. Las **micosis fungoides** son un tipo de linfomas que afectan principalmente la piel de las nalgas, espalda u hombros pero también pueden ocurrir en otras partes. Se desconoce su causa.

melanoma—Es un cáncer consistente de células de piel pigmentadas.

metástasis—Tipos de cáncer secundario que se han expandido del área primaria u original donde se originó el cáncer.

metotrexato—Un medicamento contra el cáncer.

mucositis—Es la hinchazón, irritamiento y ulceración de las células mucosas que revisten el tracto digestivo. La mucositis puede producirse en cualquier parte del tracto digestivo desde la boca hasta el ano. Puede ser un efecto colateral muy problemático y doloroso de la quimioterapia.

mieloma múltiple—Es una condición maligna caracterizada por la proliferación descontrolada y función desordenada de células del plasma (un tipo de glóbulos blancos) en la médula ósea. Ocurre entre la edad media y avanzada y deja a los pacientes vulnerables a mayores infecciones y anemia.

esclerosis múltiple [multiple sclerosis (MS)]—Es una enfermedad progresiva del sistema nervioso central en el que se destruyen pedazos aleatorios del recubrimiento de las fibras nerviosas (mielina) en el cerebro y la columna vertebral Los síntomas varían desde el adormecimiento y el cosquilleo hasta la parálisis y la incontinencia.

distrofia muscular—Trastorno muscular hereditario de causa desconocida en el que las fibras musculares se degeneran lentamente. **Duchenne MD** es el tipo más común.

miastenia gravis—Es una enfermedad neuromuscular autoinmune crónica, caracterizada por varios grados de debilitamiento de los músculos esqueléticos (voluntarios) del cuerpo. La característica más común de la miastenia gravis es la debilidad muscular que se incrementa durante períodos de actividad y mejora durante períodos de descanso. Ciertos músculos, tales como aquéllos que controlan los ojos y el movimiento de los párpados, las expresiones faciales, el masticar, el hablar y el engullir están comúnmente involucrados en el trastorno, aunque no en todos los casos. Con las actuales terapias, la mayoría de casos de miastenia gravis no son tan "graves" como lo sugiere su nombre. Para la mayoría de los individuos con la enfermedad, la expectativa de vida no se aminora por el trastorno.

dolor neuropático—Causado por la enfermedad, la inflamación o las lesiones a los nervios periféricos que conectan el sistema nervioso central (el cerebro y columna vertebral) a los órganos sensitivos, músculos, glándulas y órganos internos.

neuropatía—Es la enfermedad, inflamación o lesión a los nervios periféricos que conectan el sistema nervioso central a los órganos sensitivos, músculos, glándulas y órganos internos.

virus del papiloma/papilomatosis—El virus del papiloma es el agente viral de las verrugas, el cual se cree que es contagioso y mayoritariamente inofensivo, afectando sólo a la capa más superficial de la piel.

mal de Parkinson—Es una enfermedad neurológica crónica de causa desconocida, caracterizada por temblores, rigidez y andar anormal. La variedad más común es el mal de Parkinson idiopático.

Fase I—Pruebas de seguridad y perfilamiento farmacológico de los nuevos medicamentos en números reducidos de humanos.

Fase II—Pruebas de efectividad e identificación de efectos colaterales de los nuevos medicamentos en humanos.

Fase III—Pruebas clínicas extensas en humanos para verificar la efectividad y monitorear reacciones adversas de los nuevos medicamentos.

Fase IV—Pruebas adicionales postmercadeo que son requeridas a veces por la Administración de Alimentos y Medicamentos [Food and Drug Administration (FDA)].

terapia fotodinámica [photodynamic therapy (PDT)]—Es un tratamiento que utiliza un medicamento, llamado un fotosensibilizador o agente fotosensibilizador, y un tipo particular de luz. Cuando se

exponen los fotosensibilizadores a un tipo específico de longitud de onda producen un tipo de oxígeno que mata las células cancerígenas cercanas.

neuralgia posterpética—Es un dolor ardiente que puede ser recurrente en el lugar de un ataque de culebrilla ("shingles"), meses, o inclusive años, después de la enfermedad.

pubertad precoz—Es el inicio temprano de la pubertad. Puede ser una variante normal o rasgo familiar, o puede ser causado por enfermedades severas tales como las lesiones hipotalámicas, encefalitis y algunos tumores. Si no se detecta temprano, los niños pueden quedar enanos.

profilaxis—Es el tratamiento cuya intención es la de preservar la salud y prevenir la diseminación de las enfermedades.

pulmonar—Relativo a los pulmones.

renal—Está relacionado con los riñones.

síndrome de dificultad respiratoria [respiratory distress syndrome (RDS)]—Es un trastorno pulmonar de niños prematuros caracterizado por dificultad para respirar y cianosis (carencia de oxígeno en la sangre). El síndrome de dificultad respiratoria es causado por una deficiencia de surfactante, una sustancia que recubre el tejido interno de los pulmones y los previene de colapsar durante la exhalación.

retinitis pigmentaria (retinitis pigmentosa)—Es la degeneración en ambos ojos de los bastones ("rods") y conos ("cones") de la retina -la membrana fotosensible que alinea el interior de la parte posterior del ojo, en el que se proyectan las imágenes por la córnea y el cristalino. Tiene usualmente una base genética. El primer síntoma es usualmente la ceguera nocturna, lo cual progresa hacia un área de ceguera de forma anular y que gradualmente se extiende para reducir el campo de visión.

anemia/enfermedad drepanocítica [sickle cell anemia/disease]—Es una enfermedad sanguínea hereditaria en la que los glóbulos rojos son anormales en su forma y contienen un pigmento transportador de oxígeno anormal llamado hemoglobina S, lo cual da como resultado una anemia crónica y severa y la forma característica de la célula en forma de media luna ("sickle cell") de los glóbulos rojos. Es causada por la mutación de un gen que codifica la hemoglobina.

sistémico/a—Que afecta al cuerpo entero.

xeroderma pigmentosa—Es una forma rara y hereditaria de enfermedad de la piel causada por una sensibilidad extrema a la luz solar que causa que la piel se seque, arrugue, se vuelva pecosa y envejezca prematuramente desde que el paciente tenga alrededor de cinco años de edad. También se desarrollan varios tipos de tumores de piel benignos y malignos.

¿Cómo se puede averiguar sobre las investigaciones clínicas acerca de las enfermedades raras?

Existe un lugar en el Internet que ha sido creado apenas hace unos pocos años por el Gobierno Federal. Su dirección es *www.clinicaltrials.gov* Es importante recordar que termina en ".gov" porque también hay otros sitios comerciales que tienen nombres similares. Cada proyecto de investigación que recibe financiamiento del Gobierno de los Estados Unidos tiene que estar listado en esta página web. Es un requisito. Usted puede ingresar el nombre de la enfermedad y encontrará todo tipo de información sobre los estudios, dónde se están conduciendo, qué es lo que se necesita para ser elegible, y a quién contactar para averiguar más sobre cómo participar. Si usted no tiene una computadora, pregunte a su bibliotecario local para que le ayude a investigar en dicha página web.

¿Cómo es que se puede ayudar a un miembro de la familia que padece de una enfermedad rara a obtener el mejor tratamiento posible?

El Internet es una herramienta maravillosa para encontrar a un doctor y un hospital con experiencia para tratar la enfermedad de su miembro familiar. Pregunte al doctor o al grupo de apoyo a pacientes de su enfermedad y solicíteles ayuda. Los doctores entienden la importancia de involucrar a alguien que tiene experiencia con la enfermedad. También puede investigar en una página web, *www.pubmed.gov*, para ver lo que se ha publicado últimamente acerca de su enfermedad y quién ha escrito artículos sobre ella en las publicaciones médicas.

Es usualmente mejor, en los casos de las enfermedades raras, ser tratadas en un hospital de enseñanza afiliado con una universidad, en lugar de un hospital comunitario más pequeño. Por lo común, los hospitales de enseñanza tienen más experiencia con enfermedades raras.

Otra cosa muy importante por hacer es averiguar si existe una organización de pacientes para su enfermedad. Estas organizaciones pueden ser de enorme ayuda en muchas maneras diarias y es una forma fabulosa para interactuar con otras personas que tienen la misma enfermedad. Los pacientes pueden aprender bastante unos de otros y pueden alertar a los otros acerca de otras fuentes de ayuda. Muchos de los nuevos tratamientos para enfermedades raras que están siendo desarrollados hoy día, pudieron ser posibles por la participación... mediante la búsqueda de fondos y otras maneras... de las organizaciones de pacientes. Cuando usted lea en un periódico que un gen ha sido identificado como responsable de un determinado trastorno genético, o que se ha aprobado algún nuevo medicamento, usted puede estar casi seguro que una organización de pacientes ha jugado un rol significativo en dicha investigación.

¿Dónde puede ir para encontrar información sobre enfermedades raras?

El Internet es una herramienta maravillosa, y aún si no tiene una computadora usted puede tener acceso al Internet a través de su biblioteca comunitaria, un centro de personas de la tercera edad, o a través de otras oficinas de servicio social.

Si usted entra al Internet en casa por su cuenta, sólo recuerde que no hay garantías que todo lo que usted lea en línea sea cierto. Es importante utilizar los sitios web que usted pueda confiar y estos incluyen aquellas páginas web del Gobierno Federal, de las universidades, de los hospitales de enseñanza o de las organizaciones sin fines de lucro. Los Institutos Nacionales de Salud (National Institutes of Health *www.nih.gov*) tienen algunos excelentes sitios en la web con información sobre ciertas enfermedades raras. Un sitio en la web de los Institutos Nacionales de Salud, *www.MedlinePlus.com*, tiene información buena y entendible. Los Centros para el Control y Prevención de las Enfermedades (Centers for Disease Control and Prevention *www.cdc.gov*) también tienen buena información sobre algunas enfermedades raras.

¿Porqué toma tanto tiempo para obtener un diagnóstico? ¿Cómo podemos educar a nuestros doctores?

Es difícil obtener un diagnóstico porque existen 6,000 enfermedades raras y el primer doctor al cual usted visite, pueda ser que nunca ha visto la enfermedad particular que usted tiene. Genetic Alliance, NORD, y otras organizaciones de pacientes están trabajando para alertar entre los médicos, y esfuerzos como el Proyecto del Genoma Humano (Human Genome Project) ciertamente han elevado el nivel de alerta, pero los diagnósticos siguen siendo un problema. Un estudio gubernamental realizado en 1989 demostró que toma más tiempo obtener un diagnóstico en las personas que sufren de una enfermedad rara. En comparación con otras enfermedades. Recientemente, ese estudio fue replicado en menor escala y los resultados fueron aproximadamente los mismos.

¿Hay algo que pueda hacer si la persona a la que ama, no tiene un diagnóstico?

Esta es una situación muy difícil. Es importante que vea al tipo de médico correcto para su enfermedad. También, es una buena idea mantener un registro y escribir las cosas que parezcan importantes para que usted no se olvide de mencionarlas cuando vea al doctor. Usted conoce a la persona que ama mejor que el doctor, por lo que si algo le parece inusual o significativo, hay una gran probabilidad que sea importante.

Recursos adicionales.

Genetic Alliance en *www.geneticalliance.org* y la Organización Nacional para Enfermedades Raras [National Organization for Rare Diseases (NORD)] en *www.rarediseases.org*

Fuente: Organización Nacional para Enfermedades Raras, Inc. [National Organization for Rare Diseases, Inc.].

El Proceso de Descubrimiento, Desarrollo y Aprobación de los Medicamentos

Toma de 10 a 15 años en promedio para que una droga experimental pase del laboratorio a los pacientes en los Estados Unidos. Sólo cinco de cada 5,000 compuestos que entran a las pruebas preclínicas llegan a probarse en humanos. Uno de estos cinco compuestos probados en humanos se aprueba.

	Descubrimiento/Pruebas Preclínicas	Pruebas Clínicas Fase I	Pruebas Clínicas Fase II	Pruebas Clínicas Fase III	FDA	Fase IV
Años	**6.5**	**1.5**	**2**	**3.5**	**1.5**	
Población estudiada	En el laboratorio y estudios en animales	20 a 100 voluntarios sanos	100 a 500 pacientes voluntarios	1,000 a 5,000 pacientes voluntarios	Proceso de revisión/ aprobación	Evaluaciones adicionales post-mercadeo requeridos por el FDA
Propósito	Determinar la seguridad, actividad biológica y fórmulas	Determinar la seguridad y las dosis	Evaluar la efectividad, estudiar los efectos colaterales	Confirmar la efectividad, controlar las reacciones adversas del uso a largo plazo		
Porcentaje de éxito	Se evalúan 5,000 compuestos	5 entran a pruebas			1 es aprobado	

Se presenta solicitud a la FDA (entre Descubrimiento/Pruebas Preclínicas y Pruebas Clínicas)

Se presenta solicitud a la FDA (entre Pruebas Clínicas y FDA)

El Proceso de Desarrollo y Aprobación de los Medicamentos

El sistema de aprobación de nuevos medicamentos en los Estados Unidos es probablemente el más riguroso del mundo.

Toma en promedio 10 a 15 años para que una droga experimental pase de un laboratorio a los pacientes en los Estados Unidos, de acuerdo al Centro Tufts para el Estudio del Desarrollo de los Medicamentos, sobre la base del estudio de los medicamentos aprobados entre 1994 y 1998. Sólo cinco de 5,000 compuestos que ingresaron a las pruebas preclínicas llegaron a probarse en humanos. Y sólo uno de estos cinco compuestos se aprueba para venta al público.

En promedio, le cuesta a una compañía US$ 802 millones para hacer llegar un nuevo medicamento del laboratorio a los pacientes en los Estados Unidos, de acuerdo a un informe de noviembre del 2001, elaborado por el Centro Tufts para el Estudio del Desarrollo de los Medicamentos.

Una vez que un nuevo compuesto ha sido identificado en el laboratorio, los medicamentos se desarrollan de la siguiente manera:

Pruebas Preclínicas. Una compañía farmacéutica lleva a cabo estudios en laboratorios y animales para probar la actividad biológica del compuesto frente a la enfermedad a combatir y el compuesto es evaluado para determinar sus niveles de seguridad.

Solicitud para la Investigación de un Nuevo Medicamento [Investigational New Drug Application (IND)]. Luego de concluirse las pruebas preclínicas, una compañía presenta una **Solicitud para la Investigación de un Nuevo Medicamento** con la Administración para Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos [U.S. Food and Drug Administration (FDA)] para empezar a hacer las pruebas en personas. El permiso para la Investigación de un Nuevo Medicamento se hace efectivo si la FDA no desaprueba la solicitud dentro de los siguientes 30 días. La solicitud debe presentar los resultados de experimentos previos; cómo, dónde y por quiénes serán conducidos los nuevos estudios; la estructura química del compuesto; cómo se piensa que funciona en el cuerpo humano; cualquier efecto tóxico que se pueda haber encontrado durante los estudios en animales; y cómo se produce el compuesto. Todas las pruebas clínicas deben ser revisadas y aprobadas por el Directorio de Revisión Institucional [Institutional Review Board (IRB)] donde se conducirán las pruebas. Se debe presentar al menos una vez al año un informe de avance de las pruebas clínicas a la FDA y al IRB.

Pruebas Clínicas, Fase I. Estas pruebas involucran entre 20 a 100 voluntarios normales y saludables. Las pruebas estudian el perfil de seguridad de una droga, incluyendo los rangos que no causen daño en las dosis de un medicamento. Los estudios también determinan cómo el cuerpo humano absorbe, distribuye, metaboliza y evacúa un medicamento, así como la duración de sus efectos.

Pruebas Clínicas, Fase II. En esta fase, pruebas controladas en aproximadamente 100 a 500 pacientes voluntarios (personas con la enfermedad) evalúan la efectividad de un medicamento.

Pruebas Clínicas, Fase III. Esta fase usualmente involucra entre 1,000 y 5,000 pacientes en clínicas y hospitales. Los médicos controlan a los pacientes de una manera muy cercana para confirmar la eficacia e identificar cualquier efecto adverso del medicamento.

Solicitud para un Medicamento Nuevo [New Drug Application (NDA)]/Solicitud para una Licencia Biológica [Biologic License Application (BLA)]. Luego de concluirse las tres fases de las pruebas clínicas, una compañía analiza toda la información y presenta una Solicitud para un Medicamento Nuevo o Solicitud para una Licencia Biológica con la FDA, si los resultados demuestran exitosamente tanto la seguridad como la efectividad del medicamento. Estas solicitudes contienen toda la información científica que la compañía ha acumulado. Este tipo de solicitudes típicamente contienen 100,000 páginas o más. El tiempo promedio requerido para la revisión de los 28 nuevos medicamentos terapéuticos que fueron aprobados por la FDA en el año 2005 fue de 12.5 meses.

Aprobación. Una vez que la FDA aprueba una Solicitud para un Medicamento Nuevo o una Solicitud para una Licencia Biológica, este medicamento nuevo puede ser recetado por los médicos. Una compañía debe continuar presentando informes periódicos a la FDA, incluyendo cualquier caso de reacción adversa y registros apropiados sobre el control de calidad. Para algunos medicamentos, la FDA requiere pruebas adicionales (Fase IV) para evaluar los efectos de largo plazo.

El descubrimiento y desarrollo de medicamentos nuevos y efectivos es un proceso largo, difícil y caro. Las compañías miembros de PhRMA invirtieron un estimado de US$ 43,000 millones de dólares en investigaciones y desarrollo en el año 2006.

Las siguientes organizaciones han establecido una asociación con PhRMA para presentar *"Medicamentos Huérfanos en Desarrollo para Enfermedades Raras"*:

Genetic Alliance *www.geneticalliance.org*

Sharon F. Ferry, MA, presidenta y CEO, y Janine D. Cody, Ph.D., directora

Genetic Alliance, una coalición de más de 600 organizaciones activistas sobre determinadas enfermedades que atienden a unos 25 millones de americanos, saluda a todas aquellas personas que trabajan para hacer llegar medicamentos a los mercados. Aplaudimos a todos los hombres y mujeres que permiten la innovación desde la fase temprana del descubrimiento hasta la comercialización. Genetic Alliance eleva las voces de millones de individuos y familias que viven con condiciones genéticas. Estamos comprometidos en fortalecer las capacidades en todas las comunidades. La asistencia técnica que proveemos a las organizaciones activistas dan como resultado un crecimiento cuantificable: mayor financiamiento para las investigaciones, mayor acceso a servicios y mayor apoyo a las tecnologías emergentes. Los consumidores informados, los grupos activistas y las organizaciones comunitarias crean una demanda que es atendida por las tecnologías, pruebas y tratamientos geonómicos—creando un clima de negocios favorable para la adopción temprana de nuevos productos que resultan de las organizaciones académicas, de biotecnología y farmacéuticas. Apoyamos la dedicación de PhRMA a las enfermedades raras y todos los retos que ellos representan.

Organización Nacional para las Enfermedades Raras [National Organization for Rare Diseases (NORD)] *www.rarediseases.org*

Abbey S. Myers, presidenta, y Carolyn Asbury, Ph.D., presidenta del Directorio

El mensaje de esperanza de NORD—"fuera de la oscuridad, hacia la luz"—suena más verdadero hoy en día que nunca antes debido a los éxitos en años recientes de las investigaciones biomédicas. Gracias a la Ley de los Medicamentos Huérfanos, la dedicación de las organizaciones de pacientes y la comunidad científica y el desarrollo de nuevas herramientas de investigación, se han llevado al mercado tratamientos para muchas enfermedades raras que anteriormente no tenían atención. Mientras leíamos este informe que documenta el progreso, saludamos a los investigadores, los auspiciadotes, y—sobre todo—a los pacientes y sus familias que nunca pierden la esperanza, aún en las horas más oscuras.

PhRMA

Nuevos Medicamentos. Nueva Esperanza.®

Investigadores y Productores Farmacéuticos de América
Pharmaceutical Research and Manufacturers of America
950 F Street, NW
Washington, DC 20004