

APROBACIONES DE LA FDA DURANTE 2020 EN ONCOLOGÍA Y EERR

Cada año, el CDER aprueba una amplia gama de nuevos medicamentos y productos biológicos:

Algunos de estos productos son productos nuevos e innovadores que nunca se han utilizado en la práctica clínica. A continuación se muestra una lista de nuevas entidades moleculares y nuevos productos biológicos terapéuticos aprobados por el CDER en 2020. Esta lista no contiene vacunas, productos alérgicos, sangre y productos sanguíneos, derivados del plasma, productos de terapia celular y génica u otros productos aprobados en 2020 por el Centro de Evaluación e Investigación Biológica .

Oncología

EERR

2020 Fármaco Aprobado por la FDA/Compañía	Principio activo	Indicación y datos relevantes
Orgovyx <i>MyovantSciences, Inc.</i>	Relugolix	<p>Cáncer de Próstata avanzado. Primer medicamento oral de esta clase que puede eliminar la necesidad de algunos pacientes de desplazamientos al hospital para la administración de otro tipo de tratamientos</p> <p>https://www.fda.gov/drugs/drug-approvals-and-databases/drug-trial-snapshot-orgovyx: Debido a que las células de cáncer de próstata usan testosterona para crecer, el ensayo evaluó la capacidad de ORGOVYX para mantener el nivel de testosterona tan bajo como después de la castración. En este ensayo, el 97% de todos los pacientes tratados con ORGOVYX alcanzaron y mantuvieron niveles bajos de testosterona equivalentes al nivel de castración.</p>
Margenza <i>MacroGenics</i>	Margetuximab (anti-HER2 mAb)	<p>MARGENZA es un fármaco para el tratamiento del cáncer de mama metastásico HER2 positivo en pacientes adultas que han sido tratadas previamente por su enfermedad metastásica.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot</i>: Los pacientes que recibieron MARGENZA en combinación con quimioterapia vivieron más tiempo sin progresión del cáncer en comparación con los pacientes que recibieron un fármaco aprobado trastuzumab en combinación con quimioterapia</p>
Gallium 68 PSMA-11	Gallium 68 PSMA-11	<p>Primer medicamento para la obtención de imágenes por tomografía por emisión de positrones (PET) de lesiones positivas al antígeno de membrana específico de la próstata (PSMA) en hombres con cáncer de próstata.</p> <p>Ga 68 PSMA-11 está indicado para pacientes con sospecha de metástasis de cáncer de próstata (cuando las células cancerosas se diseminan desde el lugar donde se formaron por primera vez a otra parte del cuerpo) que son potencialmente curables mediante cirugía o radioterapia. Ga 68 PSMA-11 también está indicado para pacientes con sospecha de recurrencia del cáncer de próstata en base a niveles elevados de antígeno prostático específico (PSA) en suero. Ga 68 PSMA-11 es un agente de diagnóstico radiactivo que se administra en forma de inyección intravenosa.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot</i>: Las imágenes de PET realizadas después de la inyección de Ga 68 PSMA-11 mostraron sitios de lesiones positivas al antígeno 2020de membrana específico de la próstata (PSMA) en hombres con cáncer de próstata.</p>

<p>Danyelza Y-mAbs Therapeutics, Inc</p>	<p>Naxitamab-gqgk</p>	<p>DANYELZA es un medicamento que se usa en combinación con un factor estimulante de colonias de granulocitos y macrófagos (GM-CSF) para tratar a niños de 1 año de edad y mayores y adultos con neuroblastoma de alto riesgo en hueso o médula ósea cuyo tumor no ha respondido a otros tratamientos otras recaída</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> En un ensayo, aproximadamente el 45 por ciento de los pacientes que recibieron DANYELZA con GM-CSF experimentaron una respuesta total o parcial ,el 30% de esos pacientes, la respuesta fue de 6 meses o más. En otro ensayo, el 34% de los pacientes que recibieron DANYELZA con GM-CSF experimentaron una respuesta completa o parcial que en el 23% se mantuvo 6 meses o más</p>
<p>Gavreto Blueprint Medicines Corporation</p>	<p>Pralsetinib</p>	<p>GAVRETO es un medicamento utilizado para tratar a pacientes adultos con cáncer de pulmón NSCLC que se ha diseminado a otras partes del cuerpo y es causado por genes RET anormales (reorganizados durante la transfección).</p> <p><i>DrugTrialSnapshot:</i> El 57 por ciento de los 87 pacientes con NSCLC previamente tratados experimentaron una respuesta total o parcial de más de 6 meses en el 80% de ellos. GAVRETO fue aprobado bajo el programa de aprobación acelerada de la FDA, que proporciona acceso más temprano al paciente a un nuevo medicamento prometedor mientras que la compañía continúa llevando a cabo ensayos clínicos para confirmar que el medicamento funciona bien.</p>
<p>Detectnet</p>	<p>Copper Cu 64 dotatateinjection</p>	<p>Es un fármaco para la detección tumores neuroendocrinos (NET) con receptores de somatostatina positivos en adultos.</p> <p>Los NET son tumores poco frecuentes que se desarrollan en ciertas células productoras de hormonas del sistema neuroendocrino</p> <p>DETECTNET se inyecta en una vena como preparación para la realización de un PET.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot</i></p>
<p>Zepzelca Pharma Mar, S.A</p>	<p>Lurbinectedin</p>	<p>ZEPZELCA es un medicamento que se usa para tratar a pacientes adultos con cáncer de pulmón de células pequeñas (CPCP) metastásico durante o después del tratamiento con terapia que contiene platino.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> Treinta y siete (35%) de 105 pacientes con SCLC que recibieron ZEPZELCA experimentaron una respuesta parcial que duró más de 6 meses para el 35% de esos pacientes.</p> <p>Fue aprobado bajo el programa de aprobación acelerada de la FDA, que brinda a los pacientes un acceso más temprano a un nuevo medicamento prometedor mientras la compañía continúa realizando ensayos clínicos</p>

<p>Cerianna Zionexa US Corp</p>	<p>Fluoroestradiol F18</p>	<p>Agente diagnóstico por imágenes para ciertos pacientes con cáncer de mama de lesiones positivas al receptor de estrógeno (RE) además de la biopsia de tejido en pacientes con cáncer de mama recurrente o metastásico. <i>DrugTrialsSnapshot</i></p>
<p>Qinlock Deciphera Pharmaceuticals, Inc.</p>	<p>Ripretinib</p>	<p>Primer medicamento aprobado específicamente como tratamiento de cuarta línea para el tumor del estroma gastrointestinal avanzado (GIST), un tipo de tumor que se origina en el tracto gastrointestinal. Qinlock está indicado para pacientes adultos que han recibido un tratamiento previo con tres o más terapias con inhibidores de la cinasa, incluido imatinib.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> La supervivencia libre de progresión para los pacientes que tomaron QINLOCK fue de aproximadamente 6 meses en comparación con 1 mes para los pacientes que tomaron un placebo.</p>
<p>Retevmo Eli Lilly and Company</p>	<p>Selpercatinib</p>	<p>Retevmo es la primera terapia aprobada específicamente para pacientes con cáncer con alteraciones del gen RET (fusiones-mutaciones) para tratar tres tipos de tumores: cáncer de pulmón de células no pequeñas, cáncer de tiroides medular y otros tipos de cáncer de tiroides:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Pacientes adultos con cáncer de pulmón de células no pequeñas (NSCLC) metastásica • Adultos y niños de 12 años o más con cáncer de tiroides medular avanzado o metastásico (CCM) • Adultos y niños de 12 años o más con cáncer de tiroides avanzado o metastásico que han recibido yodo radiactivo que no funcionó o ya no funciona. <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> El 64% de los 105 pacientes con NSCLC previamente tratados experimentaron una respuesta total o parcial de sus tumores que duró más de 6 meses para el 81% de ellos. De los 39 pacientes que nunca se habían sometido a tratamiento, el 84% experimentó una respuesta total o parcial de sus tumores que duró más de 6 meses para el 58% de ellos.</p> <p>El 69% de los 55 pacientes tratados previamente para el CCM experimentaron una respuesta total o parcial de sus tumores que duró más de 6 meses para el 76% de ellos. De los 88 pacientes que nunca se habían sometido a tratamiento con un medicamento aprobado, el 73% experimentó una contracción total o parcial de sus tumores que duró más de 6 meses para el 61% de ellos.</p> <p>El setenta y nueve por ciento de los 19 pacientes tratados previamente con cáncer de tiroides experimentaron una respuesta total o parcial de sus tumores que duró más de 6 meses para el 87% de ellos. Los ocho pacientes que no habían recibido tratamiento que no fuera el yodo radiactivo experimentaron una respuesta total o parcial de sus tumores que duró más de 6 meses para el 75 % de ellos.</p> <p>RETEVMO fue aprobado bajo el programa de aprobación acelerada de la FDA, que proporciona a los pacientes acceso más temprano a un nuevo medicamento prometedor mientras la compañía continúa llevando a cabo ensayos clínicos</p>

<p>Tabrecta Novartis</p>	<p>Capmatinib</p>	<p>Tratamiento de pacientes adultos con cáncer de pulmón de células no pequeñas (NSCLC) que se ha diseminado a otras partes del cuerpo. Tabrecta es la primera terapia aprobada por la FDA para tratar el NSCLC con mutaciones específicas (aquellas que conducen a una transición mesenquimal-epitelial o la omisión del exón 14 de MET).</p> <p>La FDA también aprobó el ensayo FoundationOneCDx (F1CDx) como diagnóstico complementario para Tabrecta en la actualidad. La mayoría de los pacientes tenían muestras de tumores que se analizaron para detectar mutaciones que conducen a la omisión del exón 14 de MET mediante pruebas locales y se confirmaron con el F1CDx</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> Diecinueve (68%) de 28 pacientes con NSCLC que no habían sido tratados previamente y que recibieron TABRECTA experimentaron una reducción total o parcial de sus tumores. La contracción del tumor duró más de 12 meses para el 47% de esos pacientes.</p> <p>Veintiocho (41%) de 69 pacientes con NSCLC que han sido tratados previamente y que recibieron TABRECTA experimentaron una reducción parcial de sus tumores. La contracción del tumor duró más de 12 meses para el 32% de esos pacientes.</p> <p>TABRECTA fue aprobado bajo el programa de aprobación acelerada de la FDA, que brinda a los pacientes un acceso temprano a un nuevo medicamento prometedor mientras la compañía continúa realizando ensayos clínicos</p>
<p>Trodelvy Immunomedics, Inc.</p>	<p>Sacituzumabgo vitecan-hziy</p>	<p>Pacientes adultos con cáncer de mama triple negativo metastásico que recibieron al menos dos terapias previas para la enfermedad metastásica.</p> <p>La eficacia se demostró en IMMU-132-01 (NCT 01631552), un ensayo multicéntrico de un solo brazo que incluyó a 108 pacientes con cáncer de mama metastásico triple negativo (mTNBC) que recibieron al menos dos tratamientos previos para la enfermedad metastásica. Los pacientes recibieron sacituzumabgovitecan-hziy 10 mg / kg por vía intravenosa los días 1 y 8 cada 21 días. Se obtuvieron imágenes del tumor cada 8 semanas y se trató a los pacientes hasta la progresión de la enfermedad o la intolerancia al tratamiento.</p> <p>Las principales medidas de resultado de eficacia fueron la tasa de respuesta global (TRO) evaluada por el investigador mediante RECIST 1.1 y la duración de la respuesta. La ORR fue del 33,3% (IC del 95%: 24,6; 43,1). La duración media de la respuesta fue de 7,7 meses (IC del 95%: 4,9; 10,8).</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot</i></p>
<p>Pemazyre IncyteCorporation</p>	<p>Pemigatinib</p>	<p>Primer tratamiento aprobado para adultos con ciertos tipos de colangiocarcinoma avanzado previamente tratado. En el momento del diagnóstico, la mayoría de los pacientes con colangiocarcinoma tienen una enfermedad avanzada, lo que significa que la enfermedad ya no se puede tratar con cirugía. Se han encontrado fusiones de FGFR2 en los tumores de aproximadamente el 9% al 14% de los pacientes con colangiocarcinoma. Pemazyre actúa bloqueando el FGFR2 en las células tumorales para evitar que crezcan y se propaguen.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> En el ensayo, 38 de 107 pacientes (36%) tratados con PEMAZYRE lograron una reducción parcial o completa del tumor. De estos pacientes, el 63% tuvo una respuesta que duró 6 meses o más y el 18% tuvo una duración de 12 meses o más.</p>

<p>Tukysa Seattle Genetics</p>	<p>Tucatinib</p>	<p>Tratamiento de cáncer de mama positivo para el receptor del factor de crecimiento epidérmico humano (HER) 2 que se ha diseminado a otras partes del cuerpo, incluido el cerebro (metastásico) o que no se puede extirpar mediante cirugía.</p> <p>Debe utilizarse en pacientes que hayan sido previamente tratadas por su enfermedad metastásica con al menos un régimen anti-HER2 y en combinación con otros dos medicamentos para el tratamiento del cáncer de mama metastásico (trastuzumab y capecitabina).</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> La supervivencia libre de progresión para los pacientes que tomaron TUKYSA junto con trastuzumab y capecitabina fue de aproximadamente 8 meses en comparación con 6 meses para los pacientes que tomaron un placebo con trastuzumab y capecitabina.</p>
<p>Ayvakit Blueprint Medicines Corporation</p>	<p>Avapritinib</p>	<p>Tratamiento de adultos con tumor del estroma gastrointestinal (GIST) irreseccable o metastásico que alberga una mutación en el exón 18 del receptor alfa del factor de crecimiento derivado de plaquetas (PDGFRA), que incluye Mutaciones D842V.</p> <p>Avapritinib es la primera terapia aprobada para pacientes con GIST que albergan una mutación del exón 18 de PDGFRA.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> Treinta y seis de 43 pacientes (84%) experimentaron una reducción total o parcial del tumor que duró seis meses o más en 22 pacientes (61%).</p>
<p>Koselugo AstraZeneca</p>	<p>Selumetinib</p>	<p>Niños de 2 años de edad o mayores con un tipo de tumor llamado neurofibroma plexiforme o NP que ocurre en una enfermedad rara llamada neurofibromatosis tipo 1 (NF1). KOSELUGO se usa en pacientes cuyos tumores causan síntomas y no se pudieron extirpar quirúrgicamente.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> En el ensayo, 33 de 50 pacientes (66%) que recibieron KOSELUGO experimentaron una reducción parcial del tumor. De estos pacientes, el 82% tuvo una reducción del tumor que duró 12 meses o más.</p>
<p>Tazverik Epizyme</p>	<p>Tazemetostat</p>	<p>Tratamiento de pacientes adultos y pediátricos de 16 años o más con metástasis o localmente avanzado con sarcoma epiteliode no elegible para resección completa. El sarcoma epiteliode es un subtipo poco común de sarcoma de tejido blando que a menudo se presenta en adultos jóvenes. Tazverik bloquea la actividad de la metiltransferasa EZH2, que puede ayudar a evitar que las células cancerosas crezcan.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> La aprobación de Tazverik se basó en los resultados de un ensayo clínico en el que participaron 62 pacientes con sarcoma epiteliode metastásico o localmente avanzado. Los pacientes recibieron 800 miligramos (mg) de Tazverik dos veces al día hasta que la enfermedad progresó o el paciente alcanzó un nivel inaceptable de toxicidad. Las evaluaciones de la respuesta tumoral se realizaron cada ocho semanas durante el ensayo clínico. El ensayo midió cuántos pacientes experimentaron una contracción completa o parcial (en una cierta cantidad) de sus tumores durante el tratamiento (tasa de respuesta general). La tasa de respuesta general fue del 15%, con 1,6% de los pacientes con respuesta completa y 13% con respuesta parcial. De los nueve pacientes que tuvieron una respuesta, seis (67%) tuvieron una respuesta que duró seis meses o más.</p>

<p>2020</p> <p>Fármaco Aprobado por la FDA/Compañía</p>	<p>Principio activo</p>	<p>Indicación y datos relevantes</p>
<p>Orladeyo BioCrystPharmaceuticals, Inc</p>	<p>Bertralstat</p>	<p>Fármaco que se utiliza para prevenir ataques de angioedema hereditario (AEH) en pacientes de 12 años o más. El angioedema hereditario es una afección poco común, hereditaria y, a veces, potencialmente mortal con episodios repetidos (ataques) de hinchazón severa en varias partes del cuerpo, incluido el estómago, las extremidades, la cara y la garganta.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> Los pacientes que recibieron ORLADEYO tuvieron menos ataques de angioedema en comparación con los que recibieron el placebo.</p>
<p>Oxlumo AlynlamPharmaceuticals</p>	<p>Lumasiran</p>	<p>Primer tratamiento para la hiperoxaluria primaria tipo 1 (PH1), un trastorno genético poco común. Las hiperoxalurias primarias (PH) son causadas por una producción excesiva de oxalato, una sustancia que se consume en los alimentos y que también produce el organismo. PH1 es el tipo más común y grave. Los pacientes pueden experimentar daño renal progresivo, que puede provocar insuficiencia renal y la necesidad de diálisis (un tratamiento que purifica la sangre). A medida que la función renal empeora, el oxalato puede acumularse y dañar otros órganos, incluidos el corazón, los huesos y los ojos.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> Los pacientes tratados con OXLUMO tuvieron una disminución del 65% en el oxalato en orina después de 6 meses de tratamiento en comparación con una disminución del 12% en los pacientes que recibieron placebo. En un segundo ensayo, los pacientes tratados con OXLUMO tuvieron una disminución del oxalato en orina del 71%.</p>
<p>Zokinvy EigerBioPharmaceuticals, Inc.</p>	<p>Ionafarnib</p>	<p>Reducción del riesgo de muerte debido al síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford y para el tratamiento de ciertas laminopatías progeroides de procesamiento deficiente en pacientes de un año de edad o mayores. Los pacientes con síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford y laminopatías progeroides experimentan una enfermedad cardiovascular acelerada por la acumulación de progerina defectuosa o proteína similar a la progerina en las células. La mayoría de los pacientes mueren antes de los 15 años de edad por insuficiencia cardíaca,</p>

		<p>ataque cardíaco o accidente cerebrovascular</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> La esperanza de vida de los pacientes con HGPS tratados con ZOKINVY aumentó en un promedio de tres meses durante los primeros tres años de seguimiento y en un promedio de 2,5 años durante el tiempo máximo de seguimiento (11 años) en comparación con los pacientes no tratados.</p>
<p>Enspryng Genentech, Inc.</p>	<p>Satralizumab-mwge</p>	<p>Tratamiento del trastorno del espectro de neuromielitis óptica (NMOSD) en adultos con un anticuerpo particular: pacientes que son anti-acuaporina-4 o anticuerpos AQP4 positivos. El NMOSD es una enfermedad autoinmune rara del sistema nervioso central que afecta principalmente a los nervios ópticos y la médula espinal.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> ENSPRYNG reduce los ataques de la enfermedad. En el ensayo 1, el 76% de los pacientes tratados con ENSPRYNG no presentaron recaídas a las 96 semanas, en comparación con el 41% de los pacientes tratados con placebo. En el ensayo 2, el 91% de los pacientes tratados con ENSPRYNG no presentaron recaídas a las 96 semanas, en comparación con el 57% de los pacientes tratados con placebo.</p>
<p>Viltepso NS Pharma</p>	<p>Viltolarsen</p>	<p>Tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes que tienen una mutación confirmada del gen DMD susceptible de omitir el exón 53.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> VILTEPSO aumentó los niveles de distrofina en los músculos de los pacientes tratados. Se cree que este aumento puede predecir el beneficio clínico en los pacientes.</p> <p>VILTEPSO fue aprobado bajo el programa de aprobación acelerada de la FDA, que brinda al paciente acceso temprano a un nuevo medicamento prometedor mientras la compañía continúa realizando ensayos clínicos.</p>
<p>Evrysdi Genentech Inc</p>	<p>Risdiplam</p>	<p>EVRYSDI es un fármaco para el tratamiento de la atrofia muscular espinal (AME) en pacientes de 2 meses de edad o más.</p> <p>La atrofia muscular espinal es una enfermedad genética rara que afecta principalmente a niños y adultos jóvenes. Es causada por un bajo nivel de proteína en las neuronas motoras que son responsables del funcionamiento normal de los músculos. La falta de proteínas causa pérdida de neuronas motoras, debilidad muscular progresiva y puede provocar una muerte prematura por insuficiencia respiratoria.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> En un ensayo, el 41% (7/17) de los lactantes tratados pudieron sentarse sin apoyo durante más de 5 segundos después de 12 meses de tratamiento con EVRYSDI. En el segundo ensayo, los pacientes tratados con EVRYSDI, en promedio, mejoraron la función muscular después de 12 meses de tratamiento, mientras que los pacientes tratados con placebo, en promedio, continuaron deteriorándose.</p>

<p>Dojolvi UltragenyxPharmaceuticalInc</p>	<p>Triheptanoïn</p>	<p>DOJOLVI es un fármaco que proporciona calorías y ácidos grasos para pacientes pediátricos y adultos con trastorno de oxidación de ácidos grasos de cadena larga.</p> <p>Los trastornos de oxidación de ácidos grasos de cadena larga (LC-FAOD) son un grupo de trastornos genéticos, raros y potencialmente mortales causados por defectos en las enzimas necesarias para producir la energía de los ácidos grasos. Los pacientes con LC-FAOD pueden sufrir dolor muscular, fatiga e insuficiencia cardíaca.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> Después de cuatro meses de tratamiento, los pacientes que recibieron DOJOLVI mostraron una función cardíaca similar a los pacientes que recibieron trioctanoína (una fuente diferente de calorías y ácidos grasos).</p>
<p>Uplizna Viela Bio, Inc.</p>	<p>Inebilizumab-cdon</p>	<p>Tratamiento del trastorno del espectro de neuromielitis óptica (NMOSD) en pacientes adultos que son anti-acuaporina-4 o anticuerpos AQP4 positivos . El NMOSD es una enfermedad autoinmune rara del sistema nervioso central que afecta principalmente a los nervios ópticos y la médula espinal.</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> El riesgo de una recaída de NMOSD en los pacientes que fueron tratados con UPLIZNA se redujo en un 77% en comparación con el grupo de tratamiento con placebo.</p>
<p>Tepezza Horizon</p>	<p>Teprotumumab-trbw</p>	<p>Tratamiento de adultos con enfermedad ocular tiroidea, una afección poco común en la que los músculos y los tejidos grasos detrás del ojo se inflaman, lo que hace que los ojos se desplacen hacia adelante. y protuberancias hacia afuera (proptosis).</p> <p><i>DrugTrialsSnapshot:</i> Después de 6 meses de tratamiento, una mayor proporción de pacientes tratados con TEPEZZA (71-83%) demostró una reducción de la proptosis en comparación con los pacientes tratados con placebo (10-20%).</p>