

GOBIERNO DE NAVARRA

DESARROLLO ECONÓMICO

DERECHOS SOCIALES

HACIENDA Y POLÍTICA FINANCIERA

PRESIDENCIA, FUNCIÓN PÚBLICA,  
INTERIOR Y JUSTICIA

RELACIONES CIUDADANAS E  
INSTITUCIONALES

EDUCACIÓN

**SALUD**

CULTURA, DEPORTE Y JUVENTUD

DESARROLLO RURAL, MEDIO  
AMBIENTE Y ADMINISTRACIÓN LOCAL

SEGURIDAD Y EMERGENCIAS

## Salud solicita al Ministerio y al laboratorio los datos de los ensayos clínicos con Ataluren para iniciar el estudio sobre su eficacia

*Osasunbidea confía en tener para mediados de este año los resultados del estudio “caso control histórico” sobre este medicamento contra la enfermedad de Duchenne, el primero que se realiza en España*

Viernes, 22 de febrero de 2019

El Departamento de Salud ha enviado ya la solicitud formal al Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar social, y al laboratorio fabricante de Ataluren, para que en el plazo de tiempo más breve posible le faciliten el conjunto de datos (dataset) de los ensayos clínicos con este fármaco contra el síndrome de Duchenne registrados en la Agencia Europea del Medicamento (EMA).

El consejero Domínguez anunció recientemente que el Ministerio y la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) han autorizado a Osasunbidea a realizar un estudio “caso-control histórico”, el primero de estas características en nuestro país, para poder determinar cuál ha sido la eficacia de este medicamento en las niñas y niños que han estado o están siendo tratados con Ataluren en España.

El responsable del Departamento de Salud se comprometió con los padres del niño Izan, afectado de Duchenne, a realizar este estudio analítico para poder determinar el grado de eficacia de este medicamento, con el deseo de ofrecer a la familia la mejor de las opciones disponibles.

A pesar de que casi medio centenar de niñas y niños han estado o están en tratamiento con este medicamento, las autoridades sanitarias de nuestro país carecen de información sobre la evolución registrada durante esos ensayos clínicos, más allá de la percepción e impresión de los clínicos que los atienden.

El estudio “caso-control histórico” del SNS-O permitirá realizar una comparación de los datos de los ensayos clínicos y extraer evidencias de los resultados de este medicamento en la vida real, lo que ayudará a reducir la incertidumbre en la toma de decisiones.

El SNS-O se ha comprometido también con el Ministerio a publicar los resultados del estudio en una revista científica especializada. El estudio tiene una duración prevista de dos a tres meses a partir de la recepción de los datos del laboratorio, por lo que los resultados podrían estar disponibles para mediados de este año.

Osasunbidea está diseñando en este momento el protocolo del estudio y confía en obtener en breve la aprobación del Comité de Ética de la Investigación con Medicamentos de Navarra (CEIm), para poder iniciar

el trabajo en cuanto se le faciliten los datos técnicos de los ensayos realizados con Ataluren.

Esta línea de trabajo va en consonancia con el criterio de los responsables del Hospital La Fe de Valencia, que es uno de los centros de referencia para el tratamiento de este tipo de enfermedades y que actualmente sigue a la mitad de las niñas y niños tratados con el citado fármaco. Profesionales de este centro hospitalario han señalado recientemente que “el hecho de que la enfermedad lleve un curso tan variable hace muy difícil sacar conclusiones válidas en la vida real, salvo que se hagan estudios de casos y controles con muestras grandes”, como el que se va a llevar a cabo en Navarra por primera vez.