



## La FDA Combate las Enfermedades Raras: Nueva Ayuda Para Pacientes Sin Tratamientos

Hace algunos años personas sufriendo de una enfermedad poco común se encontraban con muy pocas esperanzas de gozar de un tratamiento médico. Esto cambió con la aprobación por el Congreso en 1983, del **Orphan Drug Act** (Acta de las Drogas Huérfanas), una ley que ofreció a las compañías manufactureras de drogas, incentivos especiales para desarrollar productos para tratar enfermedades con menos de 200,000 pacientes por año. Los incentivos incluyen una exclusividad mercantil de siete años, un crédito en los impuestos por asociación del producto con investigaciones clínicas, asistencia de experimentación por la Administración de Drogas y Alimentos (FDA) y

subvenciones hasta de \$300,000 por año.

Gracias a la agradable respuesta de los auspiciadores de drogas a este programa, el cual puede ser aplicado hasta en 6,000 enfermedades raras, la FDA ha aprobado más de 200 de las llamadas “drogas huérfanas.”

En seguida, una lista de algunas de las enfermedades raras que ahora pueden ser tratadas con medicamentos “huérfanos” aprobadas por la FDA en recientes años:

- **Sickle cell anemia** (depranocitosis), un desorden de la sangre heredado, que causa anemia crónica y dolor.
  - **Cystic fibrosis** (fibrosis cística), un desorden heredado que afecta a niños y adultos jóvenes.
  - **Pneumocystis carinii** neumonía (Oportunista, causante de neumonía intersticial), una infección que ataca pacientes infectados con VIH en estado avanzado.
  - **Hansen's disease (leprosy)** (lepra) una enfermedad que ataca la piel y el sistema nervioso.
  - **T-cell lymphoma** (tuberculina contagiosa) un tipo de cáncer de la sangre.
- Otras enfermedades raras que ahora tienen un tratamiento huérfano incluyen el cáncer de los ovarios, la enfermedad de Lou

Gehrig, la respiración peligrosa neonatal (en los recién nacidos), la hemofilia (deficiente coagulabilidad de la sangre), el rechazo de los órganos trasplantados, la enfermedad de Huntington (Corea de Huntington) y la artritis reumatoidea juvenil.

### El Uso Humanitario de los Dispositivos

El triunfo del programa de las drogas huérfanas ayudó a estimular la autorización congresional en 1997 para el uso del programa humanitario de dispositivos médicos de la FDA, los cuales ofrecen incentivos para su desarrollo en poblaciones demasiado pequeñas pero con muy pocos pacientes para justificar su producción en una escala mayor. Los dispositivos aprobados bajo este mandato, requieren solamente evidencia de que sus posibles beneficios sean mayores que el riesgo de su uso, un estándar que es menos costoso de alcanzar que el nivel de seguridad y efectividad necesarios para los dispositivos regulares. Las aprobaciones de la FDA bajo este programa incluyen un pequeño tubo para tratar obstrucciones urinarias en bebés sin nacer y un parche cardíaco para reparaciones de huesos en el corazón—productos que no serían obtenibles sin este programa.

**Para más información,** favor de ponerse en contacto con la FDA, *Office of Orphan Product Development* llamando a los teléfonos 301-827-3666 o 1-800-300-7469.

Productos Huérfanos Aprobados—1986 to 2001

