

Los pacientes con inmunodeficiencia primaria deben tener acceso a terapias con inmunoglobulinas seguras, eficaces y de alta calidad

Las inmunodeficiencias primarias (IDP) son un amplio grupo de más de 480 enfermedades genéticas raras y crónicas en las que el sistema inmunitario no funciona adecuadamente o no funciona en absoluto. Las personas con una IDP son propensas a infecciones graves y recurrentes, enfermedades autoinmunes e inflamaciones desreguladas. Cuando las IDPs no se diagnostican o se diagnostican erróneamente, el sistema inmunitario defectuoso provoca enfermedades, incapacidad, daños permanentes en los órganos e incluso la muerte. Alrededor del 60% de los pacientes con una IDP necesitan terapias de sustitución de inmunoglobulinas (Igs) a lo largo de su vida para mantener los niveles de anticuerpos dentro de un nivel adecuado que les permita combatir infecciones potencialmente mortales. Los pacientes con una IDP no disponen de opciones de tratamiento alternativas.

Los tratamientos de sustitución con inmunoglobulinas son medicamentos derivados del plasma que requieren de donantes sanos que den su plasma, ya sea mediante plasmaféresis o a partir de una donación de sangre, para el desarrollo de estos medicamentos. Dado que los productos para el tratamiento con Ig proceden de la sangre humana, es muy importante garantizar que los productos sean seguros y estén libres de infecciones por agentes patógenos transmitidos por la sangre. La combinación de procedimientos adecuados de selección de donantes, el cribado con la generación actual de pruebas serológicas estándar y el fraccionamiento de los medicamentos mediante los procesos de fabricación actuales con atención a las buenas prácticas de fabricación, garantizan que las Ig sean productos terapéuticos buenos y seguros. Las terapias con Ig se preparan a partir de grandes fondos de plasma obtenidos de miles de donantes sanos, salvaguardando la diversidad del repertorio de inmunoglobulinas que supera con mucho el de un individuo, proporcionando al paciente un amplio espectro de anticuerpos frente a patógenos específicos que se encuentran en la población general.

Por lo tanto, es crucial contar con un sólido marco regulador para este tipo de medicamentos. En efecto, es clave que las agencias reguladoras nacionales, responsables de la autorización, regulación y control de los medicamentos, garanticen que los medicamentos bajo su jurisdicción cumplen el nivel de seguridad, eficacia y calidad necesario para su comercialización. Para evaluar adecuadamente un producto, las autoridades reguladoras nacionales deben disponer de información sobre:

- la seguridad y la calidad de la materia prima del plasma: el fraccionador sólo puede garantizar la seguridad de la materia prima mediante el uso de proveedores que excluyan a los donantes de alto riesgo y que utilicen pruebas de detección viral de buena calidad.
- el proceso de fabricación, incluyendo: los pasos de fabricación y los controles relacionados; los pasos de inactivación y/o eliminación viral, la consistencia del proceso y la especificación de liberación de lotes.
- sobre el producto final, incluyendo: la potencia del producto y la vida útil, otros mercados en los que está disponible el producto, un historial del producto y los estudios clínicos que demuestran la eficacia del producto.

La realidad de los recursos de que disponen los distintos países en lo que respecta a la capacidad de reglamentación en el ámbito de los medicamentos derivados del plasma varía enormemente. A pesar de las diferencias, los organismos reguladores de los países que no cuentan con disposiciones establecidas para la regulación de los productos derivados del plasma deben garantizar la seguridad y la calidad de dichos productos:

- Establecer alianzas con autoridades reguladoras nacionales similares.
- Trabajar directamente con los fabricantes, no a través de intermediarios o agentes.
- Considerar en primer lugar los productos autorizados por las autoridades reguladoras nacionales reconocidas.
- Establecer mecanismos de preselección y auditoría de proveedores.
- Centrarse en las pruebas de la calidad del plasma y la seguridad de la fabricación, más que en las pruebas del producto acabado.
- Consultar con instituciones y expertos independientes.

Además, las inmunoglobulinas son medicamentos biológicos, cuyas propiedades dependen de cada uno de los procesos de fabricación utilizados para producirlas. Como tales, las inmunoglobulinas no pueden considerarse medicamentos genéricos, cuyas propiedades pueden transponerse entre una marca de producto y otra. En el caso de los medicamentos biológicos, "el proceso es el producto" y cada producto debe someterse a ensayos para comprobar sus efectos en los pacientes antes de que se apruebe su comercialización general.

Las inmunoglobulinas son productos que salvan vidas de pacientes con IDPs y muchas otras afecciones. Por lo tanto, es crucial que estos medicamentos esenciales sigan un proceso de fabricación riguroso y una supervisión reguladora sólida que tenga en cuenta y utilice principios reguladores bien establecidos para garantizar que son seguros, eficaces y de buena calidad para los pacientes que deben tratar. Una Guía de IPOPI para usuarios, evaluadores y financiadores sobre la seguridad y eficacia de las terapias con inmunoglobulinas para inmunodeficiencias primarias está disponible en el sitio web de IPOPI [aquí](#).