



ESTUDIOS CLINICOS PARA EL USO DE NUEVOS FÁRMACOS EN SXF.

MSc. M Angélica Alliende. Asesora Científica Corporación X frágil de Chile.

En años anteriores en Chile hemos participado de estudios que han probado varios fármacos nuevos en SXF, pero sin éxito. Para mejorar estos resultados, en otros países se están usando escalas de evaluación del comportamiento, pruebas cognitivas y de lenguaje más sensibles y en tiempo real con dispositivos electrónicos y videos. Además se hacen estas evaluaciones en distintos entornos: médico, escuela y hogar.

Los estudios clínicos que actualmente se están realizando en otros países son:

METFORMINA. Se realiza en el Instituto MIND -USA en individuos SXF de 6 a 25 años. Duración 4 meses con tres visitas al MIND para aplicar pruebas pruebas.

Objetivos principales: Evaluar la seguridad, la tolerabilidad y la eficacia de la metformina en el tratamiento de déficits del lenguaje, problemas de conducta y la obesidad / apetito excesivo en personas con SXF.

MAVOGLURANT. AFQ056 NOVARTIS. Se realiza en varios centros de USA, incluye 100 niños de 32 meses a 6 años. Duración 12 meses

Objetivo principal: Mejoramiento del Lenguaje como marcador del efecto de la droga en la plasticidad neuronal. Se realiza en niños pequeños, en combinación con una intervención intensiva del lenguaje y con la participación activa de los padres.

CANNABIDIOL (CBD). Extracto no psicoactivo de la marihuana en gel, que se aplica dos veces al día, produce disminución de la hiperactividad. Lo produce Zynebra farmacéutica y se está aplicando en Australia, Nueva Zelandia y USA. Aún no está en Chile

X-TOCOMIR. Dra. Yolanda de Diego-Otero. España. Es una mezcla de Alfatocoferol (Vit E) y ácido ascórbico (Vit C) que reduciría el estrés oxidativo del cerebro relacionado con la hiperactividad y la ansiedad. Se ha usado sólo en España en dosis de 10 mg/kg/día Vit E y 10 mg/kg/día de Vit C en pacientes 6 a 18 años x 24 semanas. No hay resultados reportados

CONCLUSIONES

- Los padres deben conocer y elegir bien el nuevo tratamiento, que sea adecuado para su hijo/hija y familia, considerando la seguridad, resultados, duración del proyecto y/o número de citas requeridas.
- En general los tratamientos combinados, farmacológicos y no farmacológicos son los que han reportado mayores beneficios.