Tratamiento

▼ Este medicamento está sujeto a seguimiento adicional, es prioritaria la notificación de sospechas adversas asociadas a este medicamento.

Image

Image

Tratamiento

El tratamiento de elección en la LMC son los **inhibidores de la tirosina quinasa (ITK)**[1]. El primer inhibidor de este tipo fue **imatinib**, que se aprobó en el año 2001 y posteriormente se han incorporado al arsenal terapéutico **dasatinib, nilotinib, bosutinib y ponatinib**[1].

Todos estos ITKs son **inhibidores de tipo competitivo** que se unen con alta afinidad al sitio de unión de ATP, localizado en el dominio quinasa de ABL1, compitiendo contra su sustrato natural y por tanto inhibiendo su actividad quinasa[1]. El bloqueo de la actividad

quinasa de ABL1 inhibe la actividad de la oncoproteína de fusión BCR-ABL1 frenando la proliferación descontrolada de células mieloides que da lugar a la enfermedad[1].

En enero del 2024, se aprobó para su comercialización **▼SCEMBLIX®** , el primer y único inhibidor STAMP que se une específicamente al bolsillo miristoilo del dominio cinasa de ABL1 para restaurar la inhibición de la actividad cinasa de ABL1, ofreciendo así un **mecanismo de acción totalmente nuevo** y diferente al de los ITKs convencionales[2].

Su especificidad permite **reducir los efectos fuera de diana** en comparación con los ITKs convencionales, ya que no existen muchas proteínas con un dominio análogo. Además, es **activo contra la mayoría de las mutaciones** del dominio cinasa de ABL1 que confieren resistencia a los ITKs convencionales[3-6].

Con receta médica. Diagnóstico Hospitalario. Reembolsado por el SNS, con dispensación limitada, sin necesidad de visado, a los pacientes no hospitalizados, en los Servicios de Farmacia de los Hospitales. PVLn Scemblix 20 mg 60 comprimidos 5.369 €. PVLn Scemblix 40 mg 60 comprimidos 5.369 €.

Ficha técnica Scemblix®

ABL1: tirosina cinasa Abelson 1; **ATP**: adenosín trifosfato; **BCR**: región de concurrencia de fracturas; **ITK**: inhibidor tirosina cinasa; **LMC**: leucemia mieloide crónica; **STAMP**: *Specifically Targeting the ABL Myristoyl Pocket*.

Referencias

1. Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia. Manual para el control y el tratamiento de los pacientes con Leucemia Mieloide Crónica. Edición 2020. Disponible en: **https://www.sehh.es/publicaciones/manuales-publicaciones/124461-manual-para-el-control-y-el-tratamiento-de-los-pacientes-con-leucemia-mieloide-cronica** Acceso: mayo 2024.

2. Mauro MJ, et al. Asciminib monotherapy in patients with CML-CP without BCR::ABL1 T315I mutations treated with at least two prior TKIs: 4-year phase 1 safety and efficacy results. Leukemia. 2023 May;37(5):1048-1059.

3. Manley PW, et al. The specificity of asciminib, a potential treatment for chronic myeloid leukemia, as a myristate-pocket binding ABL inhibitor and analysis of its interactions with mutant forms of BCR-ABL1 kinase. Leuk Res. 2020 Nov:98:106458.

4. Hughes TP, et al. Asciminib in Chronic Myeloid Leukemia after ABL Kinase Inhibitor Failure. N Engl J Med. 2019 Dec 12;381(24):2315-2326.

5. Schoepfer J, et al. Discovery of Asciminib (ABL001), an Allosteric Inhibitor of the Tyrosine Kinase Activity of BCR-ABL1. J Med Chem. 2018 Sep 27;61(18):8120-8135.

6. Wylie AA, et al. The allosteric inhibitor ABL001 enables dual targeting of BCR-ABL1. Nature. 2017 Mar 30;543(7647):733-737.

Source URL:
https://www.pro.novartis.com/es-es/hematopro/patologias/lmc/sobre-lmc/tratamiento