

## **Se comprueba la eficacia de un nuevo fármaco en el tratamiento de pérdida de peso en un tipo de obesidad severa, el Síndrome de Bardet-Biedl**

- **Los resultados del estudio internacional efectuado por miembros del CIBEROBN en España en el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús de Madrid, acaban de ser publicados en la revista científica *Lancet Diabetes Endocrinology***
- **Esta investigación respalda el empleo de este fármaco, proporcionando evidencia científica para su aprobación como primera elección para el tratamiento de la obesidad e hiperfagia en paciente diagnosticados con este síndrome**

**Madrid, 30 de noviembre de 2022.-** Un trabajo reciente publicado en la revista científica *Lancet Diabetes Endocrinology* ha permitido constatar que el fármaco Setmelanotide, un nuevo fármaco en estudio para formas de obesidad severa, produce una pérdida significativa de peso en pacientes con síndrome de Bardet-Biedl, un trastorno genético raro de la obesidad que afecta a múltiples sistemas del cuerpo con sintomatología tan diversa como problemas de visión, problemas en los riñones y problemas de aprendizaje, del que, hasta la fecha, no se disponía de tratamiento para su obesidad.

Los resultados de esta investigación internacional desarrollada por miembros del CIBEROBN en España en el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús de Madrid, respaldan, por tanto, el empleo de este fármaco, proporcionando evidencia científica para su aprobación como primera elección para el tratamiento de la obesidad e hiperfagia en paciente diagnosticados con Síndrome de Bardet-Biedl.

### **Estudio colaborativo: Canadá, Estados Unidos, Francia, Reino Unido y España**

La obesidad estudiada en este ensayo clínico es congénita, pudiendo diagnosticarse en cualquier edad de la vida. Aunque el mecanismo específico se está investigando, los pacientes con síndrome de Bardet-Biedl presentan obesidad grave de inicio precoz, hiperfagia acusada e hiperinsulinismo.

El estudio se llevó a cabo en colaboración con investigadores de Canadá, Estados Unidos, Francia, Reino Unido y España. En nuestro país, se ha hecho seguimiento a pacientes procedentes del Servicio de Endocrinología del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús de Madrid, siendo el investigador principal Jesús Argente, jefe de grupo del CIBEROBN, quien a su vez es autor senior y de correspondencia del artículo científico recientemente publicado.

Se incluyeron pacientes de seis años en adelante, hasta un total de 38, con diagnóstico clínico de síndrome de Bardet-Biedl o síndrome de Alström y obesidad, asignándolos al azar en la administración o bien de setmelanotida o placebo una vez al día. Para la valoración del estudio, se atendió a los resultados alcanzados de al menos una reducción del 10% del peso corporal una vez superada la semana 52 de administración de setmelanotida.

El número de participantes con síndrome de Alström es reducido dado que esta obesidad es una enfermedad rara. Sin embargo, se trata de uno de los estudios más grandes de pacientes con síndrome de Bardet-Biedl con obesidad severa tratados farmacológicamente y confirmando su eficacia. “Los resultados de este estudio evidencian, por tanto, que este medicamento es realmente una terapia efectiva para el tratamiento de uno de los trastornos genéticos de la obesidad, el síndrome de Bardet-Biedl”, comenta Argente.

#### **Artículo de referencia:**

Andrea M Haqq, Wendy K Chung, Hélène Dollfus, Robert M Haws, Gabriel Á Martos-Moreno, Christine Poitou, Jack A Yanovski, Robert S Mittleman, Guojun Yuan, Elizabeth Forsythe, Karine Clément, Jesús Argente. *Efficacy and safety of setmelanotide, a melanocortin-4 receptor agonist, in patients with Bardet-Biedl syndrome and Alström syndrome: a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial with an open-label period*. Lancet Diabetes Endocrinology.

[https://doi.org/10.1016/S2213-8587\(22\)00277-7](https://doi.org/10.1016/S2213-8587(22)00277-7)

#### **Sobre el CIBEROBN**

El CIBER (Consortio Centro de Investigación Biomédica en Red) depende del Instituto de Salud Carlos III –Ministerio de Ciencia e Innovación– y está cofinanciado por el Fondo Europeo de Desarrollo Regional (FEDER). El CIBER de Fisiopatología de la Obesidad y Nutrición (CIBEROBN) es un consorcio integrado por 33 grupos de trabajo nacionales de contrastada excelencia científica, que centra su labor investigadora en el estudio de la obesidad, la nutrición y el ejercicio físico a fin de generar conocimiento útil para la práctica clínica, la industria alimentaria y la sociedad en su conjunto. Esta institución trabaja además sobre los beneficios de la dieta mediterránea, la prevención de alteraciones metabólicas, la obesidad infantil y juvenil, y la relación entre obesidad y el cáncer.