

El 5 de abril de 2022, la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) aprobó el tratamiento con alpelisib (Vijoice, Novartis Pharmaceuticals) para pacientes adultos y pediátricos de dos años o más con manifestaciones graves del espectro de síndromes de sobrecrecimiento relacionado con *PIK3CA* (PROS) que requieren tratamiento sistémico.

La eficacia se evaluó mediante un ensayo clínico con 37 pacientes de más de dos años con manifestaciones clínicas de PROS que recibieron alpelisib. Los síntomas de los pacientes eran graves o potencialmente mortales, requerían tratamiento sistémico y tenían evidencia documentada de la mutación en el gen *PIK3CA*.

La principal medida de eficacia del tratamiento fue la proporción de pacientes con respuesta radiológica en la semana 24, definida como una reducción de  $\geq 20\%$  con respecto al inicio en la suma del volumen de la lesión diana. La duración de la respuesta fue una medida adicional de la eficacia. De los 37 pacientes incluidos en la población de eficacia, el 27% tuvo una respuesta radiológica en la semana 24. Entre los pacientes que respondieron, el 60% tuvo una respuesta que duró 12 meses o más.

El tratamiento con alpelisib se presenta como un tratamiento eficaz para pacientes a partir de dos años con manifestaciones graves PROS que requieren de tratamiento sistémico.



Published in *Oncology News* · April 06, 2022

FDA approves alpelisib for PIK3CA-related overgrowth spectrum

FDA Approved Drugs

[https://www.practiceupdate.com/c/134339/2/1/?elsca1=emc\\_eneews\\_daily-digest&elsca2=email&elsca3=practiceupdate\\_onc&elsca4=oncology&elsca5=newsletter&rid=Njl5MDUyOTgwNDYS1&lid=20844117](https://www.practiceupdate.com/c/134339/2/1/?elsca1=emc_eneews_daily-digest&elsca2=email&elsca3=practiceupdate_onc&elsca4=oncology&elsca5=newsletter&rid=Njl5MDUyOTgwNDYS1&lid=20844117)