



MOLGRAMOSTIM INHALADO EN PROTEINOSIS ALVEOLAR: INTERVENCIÓN FARMACÉUTICA EN ACCESO A MEDICAMENTOS EN INVESTIGACIÓN Y OPTIMIZACIÓN TERAPÉUTICA.

Jornadas farmacológicas
ACTUALFARMA

Moreno García P., Ramírez Córcoles A., Aldaz Francés R. Complejo hospitalario universitario de Albacete.

INTRODUCCIÓN

La proteinosis alveolar pulmonar (PAP) autoinmune es una enfermedad rara caracterizada por la acumulación de material lipoproteico en los alveolos por disfunción de los macrófagos alveolares y mediada por autoanticuerpos frente a GM-CSF, provocando un deterioro del intercambio gaseoso y la función pulmonar. El lavado pulmonar es el tratamiento estándar; sin embargo, no actúa sobre el mecanismo fisiopatológico subyacente. Molgramostim inhalado, forma recombinante de GM-CSF, es una alternativa terapéutica dirigida. Su uso fuera de indicación y su condición de medicamento en fase de investigación implican dificultades regulatorias, logísticas y asistenciales en los que la Farmacia Hospitalaria desempeña un papel fundamental.

OBJETIVOS

Describir la intervención farmacéutica en la evaluación, tramitación, acceso y seguimiento de molgramostim inhalado en una paciente con PAP autoinmune refractaria.

MÉTODOS

Estudio descriptivo de un caso clínico en un hospital de tercer nivel. Se realizó validación farmacoterapéutica individualizada mediante evaluación de la literatura, valorando calidad de la evidencia y aplicabilidad al caso. Se elaboró un informe clínico-farmacéutico conjunto con neumología para la solicitud del medicamento a la AEMPS, justificando la necesidad terapéutica no cubierta y ausencia de alternativas. La gestión logística incluyó identificación de proveedor internacional autorizado, importación, verificación de condiciones de transporte y mantenimiento de cadena de frío, así como planificación de stock para garantizar continuidad del tratamiento.

RESULTADOS

Paciente mujer de 58 años con PAP autoinmune, con progresión clínica pese a lavado pulmonar, presentando insuficiencia respiratoria hipoxémica (pO_2 : 55,4mmHg; $SatO_2$: 87%) y DLCO reducida: 47%. Se autorizó por parte de la dirección del centro el uso de molgramostim inhalado 300 μ g/día. La paciente inició el tratamiento en febrero de 2025. A los 6 meses de tratamiento se evidenció mejoría radiológica significativa de la afectación parenquimatosa pulmonar, función pulmonar mantenida y leve mejoría del DLCO: 56%, aunque persistían valores positivos de anticuerpos anti-GM-CSF. Tras un año de tratamiento, la paciente refiere gran mejoría clínica, manteniéndose estables los parámetros de función pulmonar y el patrón radiológico. La intervención farmacéutica permitió completar la tramitación en plazos adecuados y asegurar la disponibilidad del tratamiento sin interrupciones, minimizando riesgos asociados a la importación.

CONCLUSIONES

El acceso a medicamentos en investigación en patologías raras requiere un abordaje estructurado y especializado. El farmacéutico hospitalario desempeña un papel fundamental al integrar la evaluación y la gestión regulatoria. Su participación activa en la educación del paciente y en el seguimiento farmacoterapéutico permite optimizar la adherencia, efectividad y seguridad del tratamiento. La intervención farmacéutica aporta valor clínico y organizativo, facilitando el acceso equitativo a terapias innovadoras y promoviendo un uso racional y eficiente de los recursos sanitarios.



Infundimos conocimiento

