



COMUNICADO DE PRENSA

27 de abril (4º miércoles de abril) - Día Nacional de la Fibrosis Quística

La Fundación Española de Fibrosis Quística espera que el acceso temprano a las indicaciones pediátricas de los últimos e innovadores tratamientos para la enfermedad sea pronto una realidad en España

Con motivo del Día Nacional de la Fibrosis Quística, que tendrá lugar el próximo 27 de abril (cuarto miércoles de abril), la Fundación Española de Fibrosis Quística (FuEFQ), que aglutina a la Federación Española de Fibrosis Quística (FEFQ) y a la Sociedad Española de Fibrosis Quística (SEFQ), quiere concienciar sobre la necesidad e importancia de invertir en tratamientos innovadores desde edades tempranas para evitar deterioros irreversibles en la salud de muchas niñas y niños con FQ.

22 de abril de 2022 -. La Fibrosis Quística es una de las enfermedades genéticas graves más frecuentes y se estima una incidencia en nuestro país en torno a **uno de cada 5.000-7000 nacimientos**, mientras que una de cada 35 personas son portadoras sanas de la enfermedad. Se trata de una enfermedad crónica de origen genético que afecta a diferentes órganos y, sobre todo, tiene importantes consecuencias en los pulmones.

En los últimos años se ha avanzado mucho en el conocimiento y tratamiento de la enfermedad, pero, a pesar de eso, sigue siendo una **patología sin curación**. Por ello, es muy importante el **acceso a los últimos tratamientos, como son los nuevos moduladores de la proteína CFTR, que suponen una mejora considerable en la calidad de vida** de las personas con Fibrosis Quística, ya que, aunque no curan, frenan el deterioro que produce la enfermedad.

El último de estos tratamientos moduladores, Kaftrio[®], fue incluido en nuestro Sistema Nacional de Salud (SNS) el día 1 de diciembre de 2021 para personas con FQ mayores de 12 años con al menos una copia de la mutación F508del. Esto comprende aproximadamente al 70% de la población con FQ en España. Recientemente, la Agencia Europea del Medicamento (EMA) **ha ampliado la indicación de este tratamiento para niñas y niños de entre 6 y 11 años**, y ya ha sido autorizado también por la Comisión Europea para su comercialización en Europa.

España se encuentra actualmente en proceso de negociación para aprobar la financiación de esta nueva indicación, que podrá beneficiar a muchos niñas y niños con Fibrosis Quística, permitiéndoles acceder de forma temprana a este tratamiento revolucionario y tener una calidad de vida futura sin las limitaciones que hasta ahora conlleva su enfermedad. Además del medicamento Kaftrio[®], también están todavía en proceso de inclusión en el SNS las indicaciones pediátricas de **Kalydeco[®] para 6 meses a 2 años, Orkambi[®] para 2 a 5 años y Symkevi[®] para 6 a 11 años**. Por este motivo, el colectivo de personas con Fibrosis Quística, familiares y profesionales médicos que representa la **Fundación Española de Fibrosis Quística** quiere insistir en la necesidad de invertir en prevención, de dar a muchos niñas y niños con Fibrosis Quística la oportunidad de un futuro nunca visto hasta ahora, poder frenar el deterioro que les produce su enfermedad antes de que éste sea irreversible.

*“El pasado año en España se dio un paso muy importante aprobando la financiación del tratamiento Kaftrio® para mayores de 12 años. En el corto tiempo que lleva disponible, las personas que han podido beneficiarse de él nos transmiten a diario el gran cambio que notan y la mejor calidad de vida que les ha producido. Sabemos que la presentación pediátrica tiene excelentes resultados frenando el deterioro que produce la FQ y consideramos que esta indicación y otras, de moduladores dirigidos a otros rangos de edad, deben estar igualmente disponibles para ganar tiempo mientras este último tratamiento no llega para esas edades o en aquellos casos en donde los médicos consideren. Las autoridades sanitarias tienen una responsabilidad y una oportunidad muy grande para que nuestras niñas y niños con FQ no vean limitada su futura calidad de vida por no poder acceder de forma temprana a este tratamiento. Quiero ser optimista y espero que el compromiso demostrado el año pasado con la indicación de adultos, continúe y muy pronto podamos recibir la noticia de un acuerdo de financiación para las indicaciones pediátricas”, explica **Juan Da Silva, presidente de la FuEFQ y FEFQ.***

Desde la Sociedad Española de FQ, los profesionales médicos señalan la importancia de que enfermedades minoritarias graves, como la Fibrosis Quística, tengan un acceso a la innovación terapéutica altamente eficaz, diferenciada del resto de aprobaciones habituales. En el caso de pediatría, la situación es aún más urgente, ya que son los últimos a los que les llega esta innovación. Por ello, reclaman que las aprobaciones deberían ser automáticas cuando un órgano regulador superior como la EMA, donde participa la agencia reguladora española (AEMPS), autoriza esta utilización en edades más tempranas.

*“Desde principios de año los pacientes con acceso a Kaftrio® han podido comprobar en vida real lo que se había podido observar en los ensayos clínicos: este nuevo fármaco les cambia la vida, les abre el futuro donde no lo había, ¡es espectacular! Desde la Sociedad científica española de FQ seguiremos insistiendo en la necesidad de que este tipo de tratamientos lleguen lo antes posible a sus destinatarios. Los pacientes se deterioran progresivamente y no tienen tiempo que perder. Confiamos que la ampliación a edades más tempranas de los moduladores existentes sea una realidad lo antes posible. La enfermedad, no solo ya no avanza, sino que se puede recuperar parte de la función perdida con la evolución de la enfermedad. Este nuevo escenario que se nos ha abierto nos presenta nuevos retos. Sin duda, el más importante es encontrar un tratamiento para todos los pacientes y finalmente un tratamiento curativo. Mientras tanto, asegurar también un adecuado tratamiento de las secuelas condicionadas será un objetivo de todo el colectivo sanitario multidisciplinar que tratamos la FQ. Siempre estaremos al lado de los pacientes y sus representantes en la mejora de su atención”, comenta **el Dr. Óscar Asensio, presidente de la SEFQ y vicepresidente de la FuEFQ.***

Todavía queda un 30% de la población con Fibrosis Quística en nuestro país que no puede beneficiarse de ninguno de estos tratamientos moduladores debido a sus mutaciones, aunque sí están abiertas varias líneas de investigación en busca de un tratamiento efectivo. Por eso, resulta fundamental seguir apoyando la investigación básica y clínica que pueda dar una solución al 100% de las personas con FQ, tal y como señala también Juan Da Silva: *“Los avances en investigación de estos últimos 10 años han sido enormes y nos muestran la importancia de apostar por la investigación. Desde la Fundación seguiremos luchando para encontrar una cura o nuevas terapias, apoyando la investigación y trabajando para que el acceso a esos tratamientos en España sea lo más ágil posible. Mirando sin complejos al futuro, un futuro que nunca fue tan esperanzador”.*

#DíaNacionalde la Fibrosis Quística

Para más información:

Federación Española de Fibrosis Quística
Estefanía Alabau – Responsable de comunicación
comunicacion@fibrosisquistica.org
www.fibrosisquistica.org
Tel: 96 331 82 00 – 647 390 356

Sobre la Fibrosis Quística:

La Fibrosis Quística es una enfermedad crónica y hereditaria que representa un grave problema de salud. Es una enfermedad degenerativa que afecta principalmente a los sistemas respiratorio y digestivo.

Consiste en una alteración genética que afecta a las zonas del cuerpo que producen secreciones, dando lugar a un espesamiento y disminución del contenido de agua, sodio y cloro originándose la obstrucción de los canales que transportan esas secreciones y permitiendo que dicho estancamiento produzca infecciones e inflamaciones que destruyen zonas del pulmón, hígado, páncreas y sistema reproductor principalmente. Es una patología grave de tipo evolutivo con una esperanza de vida limitada y que hoy día no tiene curación.

En los últimos años se ha avanzado mucho en el conocimiento y tratamiento de la enfermedad, pero, a pesar de eso, sigue siendo una patología sin curación. Cuando la enfermedad se encuentra en un estadio muy avanzado, existe la posibilidad del trasplante pulmonar y/o hepático.

Se estima que la incidencia de la Fibrosis Quística en nuestro país es de un caso de cada 5.000 nacimientos, mientras que uno de cada 35 habitantes son portadores sanos de la enfermedad.

Sobre la Fundación Española de Fibrosis Quística (FuEFQ):

La Fundación Española de Fibrosis Quística es una organización sin ánimo de lucro, constituida el 5 de noviembre de 2015, de la unión entre la Federación Española de Fibrosis Quística y la Sociedad Española de Fibrosis Quística, y cuyo como fin principal es la mejora de la calidad de vida de las personas con Fibrosis Quística y sus familias. Esto se lleva a cabo a través de la promoción de la formación y adecuación del personal sanitario y no sanitario que trata a dichos pacientes; el apoyo del estudio, la investigación y la divulgación de la enfermedad en todos sus ámbitos, del conocimiento científico en general y de programas asistenciales que reviertan directamente en el usuario.

Sobre la Federación Española de Fibrosis Quística (FEFQ):

La Federación Española de Fibrosis Quística (FEFQ) es la organización que agrupa y representa a las asociaciones autonómicas de Fibrosis Quística de España.

Se constituyó el 24 de octubre de 1987 y fue inscrita en el Registro Nacional de Asociaciones el 24 de noviembre de 1988. Fue declarada "Entidad de Utilidad Pública" por el Ministerio del Interior en noviembre de 2005, por su labor sanitaria en beneficio de las personas con Fibrosis Quística y sus familias, por su función de integración social de las personas con riesgo de exclusión y por fomentar la investigación. Además, ha obtenido el Sello de Excelencia a la Gestión y al Compromiso Social, nivel 3 estrellas, de la Fundación Develop, auditada por Bureau Veritas.

Sobre la Sociedad Española de Fibrosis Quística (SEFQ):

La Sociedad Española de Fibrosis Quística es la organización que agrupa y representa a los profesionales sanitarios que tratan a los pacientes con esta enfermedad en España.