

El Dr Ó. Asensio ens parla de la Conferència Americana (I) **«Hem avançat tant amb la malaltia que ara ens hem de preocupar de millorar la vida dels afectats»**

Hem volgut reapassar amb el Dr Òscar Asensio les nove-tats d'aquest any de la Conferència Americana de la FQ, la NACFC, celebrada a Boston entre el 26 i el 28 de setembre, sabent que no és senzill resumir en poques línies el que van suposar les 89 ses-sions realitzades i les notables exposicions de pòsters i presenta-cions que es desenvolupen durant la trobada. Per això, d'aquesta conversa llarga elaborarem un parell de càpsules, la primera de les quals és aquesta que teniu a les mans. El Dr. Òscar Asensio, reconegut metge de la Unitat de FQ del Parc Taulí de Sabadell i col·laborador de sempre de la nostra entitat, va estar present a la Conferència i n'ha fet una selecció de les importants novetats hagudes.

El Dr Asensio ens recordava quan l'any 2019, un dels descobridors del gen de la FQ va sortir a l'escenari amb una guitarra i es va posar a cantar perquè estava en marxa el Kaftrio i es preveïen aquests bons resultats que ha donat. El Congrés d'ara no resulta tan espectacular tot i que continuen apareixen novetats que cal assenyalar perquè segueixen sent impoprtants. Perquè, de fet, com explicava el doctor : «hem avançat tant amb la malaltia, que ara del que es tracta és de millorar tan com es pugui la vida dels afectats.»

Com ens explicava, el lema d'aquest Congrés era «Dirigits per un somni» i el somni continua latent, perquè l'objectiu és curar definitivament la malaltia. I es va avançant. Tenint en compte que els americans van dos o tres anys per davant nostre en la prescripció dels moduladors i ja tenen experiències dels resultats en vida real i sobretot en pediatria —recordem que aquí acaba d'arribar el Kaftrio pels nens de 2 a 6 anys justament aquest estiu— ells van

Als Estats Units porten dos o tres anys per davant nostre i ja tenen experiències notables dels resultats dels moduladors sobre els malalts de FQ

amb el suport de:



Ajuntament de L'Hospitalet



El Dr. Òscar Asensio durant l'entrevista

Caldria accelerar l'autorització dels nous fàrmacs a Europa i Espanya perquè qualsevol endarreriment perjudica seriamment la salut dels malats



presentar ja resultats de 96 setmanes en nens, sense més efectes secundaris que els coneguts pels adults i amb resultats clínics bons. També es van avançar resultats del nou Kaftrio, aquesta triple combinació que encara no ha sortit, però que ja s'ha explorat en assajos i que permetrà reduir la dosi a un sol cop al dia, de manera que farà més fàcil l'adherència al tractament. «Feta la comparació d'aquesta única dosi al dia amb l'actual, que és de dues dosis diàries, s'ha vist que és igual de segura, gens inferior en eficàcia i, a més millora el resultat del test del suor. Caldrà, però, mirar-ho amb més perspectiva especialment en infants petits perquè, com que estan en millors condicions físiques en general, costa més de veure en el temps com evoluciona la medicació. Cal considerar que aquests assajos s'estan fent només amb adults i nens més grans de sis anys, però el estudis efectuats son molt esperançadors». El nou fàrmac de monodosi diària segueix el procés habitual d'aprovació de la FDA americana, després de l'EMA europea, que moltes vegades triga a donar el pas de l'aprovació i encara, en el nostre cas, de l'Agència Espanyola, que també acostuma a retardar-ho. Per cert, d'aquest tema també se'n va parlar «perquè en malalties com aquesta, on els beneficis són evidents pels malalts i estalvien patiments i fins i tot tansplantaments, no s'hauria d'alentir el benefici per qüestions estrictament

burocràtiques. Perquè, no oblidem, que l'Agència Espanyola del medicament participa de l'europea i aquí s'exigeixen els mateixos passos que ja s'han fet a Europa per donar via lliure als nous fàrmacs. I el mateix passa amb l'europea respecte de l'americana, amb l'aggravant que aquí a Europa no s'accepten resultats només *in vitro* sinó que s'han de fer assajos amb pacients, cosa que obliga a retards de cinc

o sis anys, quan cinc o sis anys per alguns malalts són molt definitius». Per exemple, com deia el Dr. Asensio, a Estats Units el Kaftrio està autoritzat per malalts amb més mutacions que les que s'accepten a Europa i tot plegat resulta poc entenedor. I a vegades, això pot tenir explicació per raons purament financeres, perquè autoritzar aquests fàrmacs cars, repercuteix sobre l'economia estatal dels diferents països. En aquest aspecte, no obstant això, també es donen diferències. «A Alemanya, per exemple, fan servir un mètode que ells anomenen *fast-track* i que consisteix en què una vegada es reconeix com a apte el medicament es subministre al malalt i les administracions després debaten amb les farmaceutiques el cost final del medicament, cosa que aquí no passa i que perjudica al malalt i que, en última instància, resulta més car per l'administració perquè es perllonga el temps, es pot arribar al trasplantament, etc.»

Un altra aspecte que es va tractar tenia a veure amb els marcadors de millora. Per exemple, el test del suor, «és molt elo-

qüent en la millora detectada després del Kaftrio, encara que no en tots els casos, perquè hi ha diversitat en la farmogenètica de cada malalt a l'hora de veure els nivells alts o baixos en sang. I això també s'està treballant perquè les dosis són estàndards però cada individu és diferent i potser caldrà en el futur personalitzar-ho sobre la base d'aquestes diferències».

Després, com ens explicava el Dr Asensio, es van presentar també resultats de persones sense les mutacions recomanades pels nous moduladors que els han rebut i «s'han observat millores importants i amb el test del suor i aquí s'obre una porta, més enllà de les recerques amb organoides *in vitro*, per demanar l'ús compasiu del medicament per aquests malalts que no tenen altres alternatives. I això és cosa del facultatiu que ha de demanar permís i fer un munt de paperassa i que també té una clara dimensió econòmica. Això resulta, de fet, molt més econòmic que la recerca amb organoides i allà on hi ha evidències de que els resultats són bons caldria acceptar l'ús compasiu». Aquí encara hiu ha un 25% de persones que no poden ser tractats amb moduladors perquè no tenen les mutacions adequades, quan al nord d'Europa o als Estats Units s'està al voltant del 10%. Per tant, «això ens afecta particularment, i n'hauriem de poder donar sortida a aquests casos. De fet des del sud d'Europa hem insistit força a Amèrica per buscar el que se'n diu teràpies genético-agnòstiques, que no hagin de dependre necessàriament del factor mutació. Amb això ja hi ha estudis en adults per veure com van».

Un altra aspecte que es va debatre tenia a veure amb els efectes secundaris a llarg termini que provoquen els nous moduladors. «Un d'ells és la inflamació hepàtica que s'observa des de gairebé l'inici de la medicació i que indicaria que caldria reduir la dosi. Alguns estudis al respecte indiquen que baixant aquesta dosi l'eficàcia del medicament no disminueix però en canvi beneficia el problema de la toxicitat hepàtica. Això, juntament amb la detecció de problemes de salut mental, configuren les noves preocupacions en estudi».

La salut mental, per exemple, té a veure amb els episodis de depressió detectats, d'ansietat, però també en casos de psicosis i de nens més petits amb problemes d'insomni, de terrors nocturns, etc, com explicava el doctor. «No queda clara la relació dels fàrmacs amb aquests episodis perquè tot plegat ha coincidit amb els anys de la covid que va provocar molts impactes de salut mental i, per tant, està tot en estudi, però també d'aquesta qüestió se'n va parlar força».



També convindria donar els moduladors als malalts sense la mutació habitual del Kaftrio perquè està comprovat que els produeix beneficis

(continuarà...)