

Congrés anual de la FQ a Milà

Recerca intensiva per enllestir nous moduladors més eficaços i per més afectats, a l'espera de la teràpia gènica

El Dr Antonio Àlvarez va ser un dels metges assistents al Congrés Europeu de FQ que aquest any es va celebrar a Milà, i amb ell vam tenir una llarga conversa per tal de que ens expliqués les seves sensacions sobre aquesta important trobada anual de la FQ que, amb el Congrés anual americà, resulta ser un dels esdeveniments més destacats a nivell sanitari per debatre i donar a conèixer els darrers aspectes que intervenen en la lluita contra la malaltia.

Com ens va explicar el doctor, al llarg de 4 dies, desenes de metges, sanitaris, investigadors, d'Europa principalment, però també dels USA i de la resta del món, es troben per intercanviar coneixement i experiències en dotzenes de conferències, xerrades, presentacions, taules rodones, etc sobre tot allò relacionat amb la FQ: les recerques genètiques, les noves teràpies moduladores, els processos de les infeccions pulmonars i les resistències antibiòtiques, els efectes de la malaltia avançada i la funció pulmonar, el suport socio sanitari als malalts, la medicina de precisió i els controls de la medicina telemàtica, les millores de la qualitat de vida dels malalts i les altres afectacions endocrines, digestives, etc. de la FQ... Com és obvi, la dotzena aproximada d'especialistes del nostre país que es van poder desplaçar, van haver de repartir-se en funció dels propis interessos i la seva respectiva especialitat. Cal recordar que hi havia en setmanes posteriors altres trobades també importants, la SEPAR, el Mundial de Pediatria, etc.

D'entre els temes més destacats, cal comentar la immediata aparició d'un nou fàrmac modulator, molt semblant al que coneixem, només que una mica més potent que el Kaftrio a l'hora de disminuir la prova de la suor. Aquest nou modulator simplifica l'aportació que suposa el Kaftrio que ara requereix dues pastilles

En molt breu temps està prevista l'aparició d'un nou modulator, l'Aliftrek, que simplificarà la dosi i ampliarà els que es podran beneficiar

amb el suport de:



Ajuntament de L'Hospitalet



El Dr Álvarez en un moment de la conversa

Dotzenes de taules rodones, conferències i ponències van tractar des de les resistències als antibiòtics fins a la necessitat de l'exercici físic

al matí i una al vespre, de manera que aquest nou modulador només precisarà dos comprimits al matí i prou i això, sense perdre cap eficàcia, mantenint els mateixos efectes adversos i garantint una bona tolerància. A més, amb aquest nou modulador que tindrà el nom comercial d'Aliftrek, s'amplien també les mutacions que es podran tractar, de manera que augmentaran els beneficiaris. Això ja està a punt, perquè la Agència Europea ja ha donat el seu vist i plau i ara depèn de cada país el temps i el mecanisme per la seva implantació.

En el Congrés es va parlar força d'aquests nous tractaments i també del que representa la disminució de la concentració d'ions de clorur en la suor, i es va posar en valor aquesta prova, no només com a mètode diagnòstic, sino també com una eina per valorar la funció de la proteïna CFTR. Això permet observar el grau de millora que es produeix amb aquesta proteïna gràcies a aquest tractament amb els moduladors.

Una altra de les importants aportacions de la trobada va tenir a veure amb tot el que es refereix a la teràpia gènica, que està en una fase molt primària, però sobre la que hi ha un notable impuls de moltes companyies i sobre la qual es veuran aviat assajos clínics, més enllà dels que ja s'estan fent, que han de comportar grans avenços futurs. Un punt aquest, el del treball sobre teràpies

gèniques on els europeus, segons el Dr Álvarez, estem en tan bona posició com els americans.

També van ser molt importants les referències del Congrés sobre les infeccions pulmonars i la resistència antibiòtica, no només per causa de la pseudomones, sinó d'altres bacteris menys recurrents, i totes les estratègies que estan en marxa per vèncer aquesta resistència.

Com, per exemple, la teràpia amb fags, que són aquests virus que ataquen els bacteris i sobre els quals ja hi ha molta documentació i recerca així com sobre el microbioma pulmonar, alterat en els malalts de FQ i procliu a la incidència bacteriana i com afrontar-ho amb èxit. S'ha comprovat en aquest sentit, que el tractament amb els moduladors afecta positivament el microbioma pulmonar de manera que cada vegada s'observa una millor resposta.

Respecte de la malaltia avançada i el factor de la funció pulmonar, es va posar molt l'accent en no esperar a fases superiors de la malaltia, afavorint que hi hagi una relació molt directa entre els equips de transplantament i els de FQ per tal de millorar l'atenció. Cal dir que les xifres de transplantament que es van fer públiques, posen de manifest una baixada molt sensible d'aquestes solucions d'últim recurs que també han estat donant resultats molt apreciables en els darrers anys. I de manera general, a tot arreu. Aquí, per exemple, segons el Dr Álvarez, hem passat de transplantar sis o set pacients anuals a transplantar-ne un o cap, dades que ho expliquen tot.

També van haver unes quantes sessions sobre la importància per la funció pulmonar de l'activitat física i l'esport, de manera que es va insistir molt que cal conscienciar als afectats joves, que més enllà del benefici que produeixen els moduladors no s'ha de minusvalorar l'enorme profit pulmonar que suposa l'exercici físic també pels que prenen el Kaftrio, així com tot allò que té a veure amb la fisioteràpia que tampoc s'ha d'abandonar malgrat hi hagi una sensació molt generalitzada que ja no fa falta perquè ja no s'espectora, o perquè es respira molt millor.

D'alguna manera, l'èxit dels moduladors ha dut també a primer terme tot allò que té a veure amb la càrrega emocional i psicològica. En part perquè s'han produït fenòmens d'efectes secundaris relacionats amb l'insomni o la irritabilitat i en part perquè l'èxit del tractament provoca sensacions errònies de normalitat i a vegades d'ansietat. També d'això van haver diverses aportacions interessants i algunes altres referides al mecanisme de transició entre l'afectat infantil i l'adult adolescent, que cada vegada es veurà, afortunadament, d'una manera més evident.

I, finalment, cal fer esment de les conferències realitzades sobre les comorbiditats, sobre les afectacions endocrines i metabòliques relacionades amb la FQ i també sobre les insuficiències pancreàtiques i efectes en la nutrició que, gràcies als tractaments, en fases molt inicials poden fins i tot acabant revertint-se en malalts molt joves.

El Congrés europeu, tal com ens va explicar el Dr Álvarez, va servir igualment per posar al dia la multitud d'assaigs clínics que es fan arreu i que, en aquest marc, els seus representants directes van tenir la possibilitat d'intercanviar resultats i experiències. Alhora, els investigadors van poder explicar que els treballs sobre nous moduladors segueixen una línia ascendent que fa preveure nous èxits, moduladors més precisos i encara més efectius que faran l'espera menys penosa mentre arriben els nous tractaments genètics. La trobada d'especialistes va comportar també estrényer relacions i intercanviar casos clínics, experiències diverses i aprendre del conjunt. Li vam preguntar per últim al Dr Álvarez sobre el possible cost del nou modulador que s'espera que estigui llest per l'any vinent. Pel que es va explicar al Congrés, el seu cost està sempre en funció del que decideixien les autoritats de cada país, però l'espectativa és que sigui el mateix que el Kaftrio.

Les xifres de transplantaments en les fases més avançades de l'enfermetat han disminuït de forma radical aquí, i a la resta del continent europeu i del món



El Dr Antonio Álvarez, un dels participants en el Congrés europeu

Congreso anual de la FQ en Milàn

Investigación intensiva para obtener nuevos moduladores más eficaces, en espera de la terapia génica

El Dr Antonio Álvarez fue uno de los médicos asistentes al Congreso Europeo de FQ que este año se celebró en Milán, y con él tuvimos una larga conversación para que nos explicara sus sensaciones sobre este importante encuentro anual de la FQ que, con el Congreso anual americano, resulta ser uno de los acontecimientos más destacados a nivel sanitario para debatir y dar a conocer los últimos aspectos que intervienen en la lucha contra la enfermedad.

Cómo nos explicó el doctor, a lo largo de 4 días, decenas de médicos, sanitarios, investigadores, de Europa principalmente, pero también de los USA y del resto del mundo, se encuentran para intercambiar conocimiento y experiencias en docenas de conferencias, charlas, presentaciones, mesas redondas, etc sobre todo aquello relacionado con la FQ: las investigaciones genéticas, las nuevas terapias moduladoras, los procesos de las infecciones pulmonares y las resistencias antibióticas, los efectos de la enfermedad avanzada y la función pulmonar, el apoyo sociosanitario a los enfermos, la medicina de precisión y los controles de la medicina telemática, las mejoras en la calidad de vida de los enfermos y las otras afectaciones endocrinas, digestivas, etc. de la FQ... Como es obvio, la docena aproximada de especialistas de nuestro país que se pudieron desplazar, tuvieron que repartirse en función de los propios intereses y su respectiva especialidad. Hay que recordar que había, en semanas posteriores, otros encuentros también importantes, la SEPAR, el Mundial de Pediatría, etc.

De entre los temas más destacados, hay que comentar la inmediata aparición de un nuevo fármaco modulador, muy parecido al que conocemos, solo que algo más potente que el Kaftrio a la hora de disminuir la prueba del sudor. Este nuevo modulador

**En muy breve espacio de tiempo
está prevista la aparición de un
nuevo modulador, el Aliftrek,
que simplificará la dosis y
ampliará los beneficiarios**

con el apoyo de:



Ajuntament de L'Hospitalet



El Dr Álvarez en un momento de la conversación

Docenas de mesas redondas, conferencias y ponencias trataron desde la resistencia a los antibióticos hasta la necesidad del ejercicio físico

simplifica la aportación que supone el Kaftrio que ahora requiere de dos pastillas por la mañana y una por la noche, de forma que este nuevo modulador solo precisará dos comprimidos por la mañana y esto, sin perder ninguna eficacia, manteniendo los mismos efectos adversos, pero no más, y garantizando una buena tolerancia. Además, con este nuevo modulador que tendrá el nombre comercial de Aliftek, se amplían también las mutaciones que se podrán tratar, de forma que aumentarán los beneficiarios. Esto ya está a punto, porque la Agencia Europea ya ha dado su visto bueno y ahora depende de cada país el tiempo y el mecanismo por su implantación.

En el Congreso se habló bastante de estos nuevos tratamientos y también de lo que representa la disminución de la concentración de iones de cloruro en el sudor, y se puso en valor esta prueba, no solo como método diagnóstico, sino también como una herramienta para valorar la función de la proteína CFTR. Esto permite observar el grado de mejora que se produce con esta proteína gracias a este tratamiento con los moduladores.

Otra de las importantes aportaciones del encuentro tuvo que ver con todo lo que se refiere a la terapia génica, que está en una fase muy primaria, pero sobre la que hay un notable impulso de muchas compañías y respecto de la cual se verán pronto ensa-

yos clínicos, más allá de los que ya se están haciendo, que tienen que implicar grandes adelantos futuros. Un punto este, el del trabajo sobre terapias génicas donde los europeos, según el Dr Álvarez, estamos en tan buena posición como los americanos.

También fueron muy importantes las referencias del Congreso sobre las infecciones pulmonares y la resistencia antibiótica, no solo a causa de la pseudomonas, sino de otras bacterias menos recurrentes, y todas las estrategias que están en marcha para vencer esta resistencia. Como, por ejemplo, la terapia con fagos, que son estos virus que atacan las bacterias y sobre los cuales ya hay mucha documentación e investigación así como sobre el microbioma pulmonar, alterado en los enfermos de FQ y proclive a la incidencia bacteriana y cómo afrontarlo con éxito. Se ha comprobado en este sentido, que el tratamiento con los moduladores afecta positivamente el microbioma pulmonar de forma que cada vez se observa una mejor respuesta.

Respecto de la enfermedad avanzada y el factor de la función pulmonar, se puso mucho el acento en no esperar a fases superiores de la enfermedad, favoreciendo que haya una relación muy directa entre los equipos de trasplante y los de FQ para mejorar la atención. Hay que decir que las cifras de trasplantes que se hicieron públicas, ponen de manifiesto una bajada muy sensible de estas soluciones de último recurso que también han estado

dando resultados muy apreciables en los últimos años. Y de manera general, en todas partes. Aquí, por ejemplo, según el Dr Álvarez, hemos pasado de trasplantar seis o siete pacientes anuales a trasplantar a uno o ninguno, datos que lo explican todo.

También hubo unas cuantas sesiones sobre la importancia para la función pulmonar de la actividad física y el deporte, de forma que se insistió mucho que hay que concienciar a los afectados jóvenes, que más allá del beneficio que producen los moduladores no se tiene que minusvalorar el enorme provecho pulmonar que supone el ejercicio físico también para los que toman el Kaftrio, así como todo aquello que tiene que ver con la fisioterapia que tampoco se tiene que abandonar a pesar de que hay una sensación muy generalizada de que ya no es necesaria porque ya no se expectora, o porque se respira mucho mejor.

De alguna manera, el éxito de los moduladores ha llevado también a primer término todo aquello que tiene que ver con la carga emocional y psicológica. En parte porque se han producido fenómenos de efectos secundarios relacionados con el insomnio o la irritabilidad y, en parte, porque el éxito del tratamiento provoca sensaciones erróneas de normalidad y a veces de ansiedad. También de esto hubo varias aportaciones interesantes y algunas otras referidas al mecanismo de transición entre el afectado infantil y el adulto adolescente, que cada vez se verá, afortunadamente, de una manera más constante.

Y, finalmente, hay que hacer mención de las conferencias realizadas sobre las comorbilidades, sobre las afectaciones endocrinas y metabólicas relacionadas con la FQ y también sobre las insuficiencias pancreáticas y efectos en la nutrición que, gracias a los tratamientos, en fases muy iniciales pueden incluso acabar revirtiéndose en enfermos muy jóvenes.

El Congreso europeo, tal como nos explicó el Dr Álvarez, sirvió igualmente para poner al día la multitud de ensayos clínicos que se hacen por todas partes y que, en este marco, sus representantes directos tuvieron la posibilidad de intercambiar resultados y experiencias. A la vez, los investigadores pudieron explicar que los trabajos sobre nuevos moduladores siguen una línea ascendente que hace prever nuevos éxitos, moduladores más precisos y todavía más efectivos que harán la espera menos penosa mientras llegan los nuevos tratamientos genéticos. El encuentro de especialistas comportó también estrechar relaciones e intercambiar casos clínicos, experiencias diversas y aprender del conjunto. Le preguntamos por último al Dr Álvarez sobre el posible coste del nuevo modulador que se espera que esté listo por el año próximo. Por lo que se explicó en el Congreso, su coste está siempre en función de lo que deciden las autoridades de cada país, pero se espera que sea igual que el Kaftrio.

Las cifras de trasplantes en las fases más avanzadas de la enfermedad han disminuido de forma radical aquí, y en el resto de Europa y del mundo



El Dr Antonio Álvarez, uno de los participantes en el Congreso europeo