

DESIGUALDAD EN EL ACCESO A LOS NUEVOS TRATAMIENTOS



**Federación Española
de Fibrosis Quística**



MINISTERIO
DE DERECHOS SOCIALES, CONSUMO
Y AGENDA 2030

SECRETARÍA DE ESTADO
DE DERECHOS SOCIALES



La Fibrosis Quística (FQ) es una enfermedad rara, degenerativa y crónica que provoca discapacidad y empeora la calidad de vida. Una enfermedad como la FQ produce consecuencias en la vida diaria y en la participación social de la persona. A lo largo de toda la vida de la persona con FQ van a aparecer una serie de problemas psicosociales en los momentos de diagnóstico, inicio de la etapa escolar, adolescencia, transición de los servicios pediátricos a los adultos, transición a la vida adulta, inserción laboral, periodos de dependencia (situación de trasplante, recaídas etc.), que requerirán de intervención profesional para el buen desarrollo social. La enfermedad y su tratamiento influyen en la capacidad de afrontar las tareas normales de la vida diaria y los acontecimientos vitales inesperados, y en el caso de las mujeres estas dificultades se ven agudizadas (Nobile et al., 2011).

En 2021 apareció una nueva medicación que vino a revolucionar la calidad de vida y el tratamiento: los moduladores de la proteína CFTR. Son unos medicamentos innovadores que tratan la causa subyacente de la FQ y no sus síntomas, por lo que frenan el deterioro de la enfermedad. Con la llegada de las nuevas medicaciones, el escenario cambia y aparece una gran esperanza, ya que se está considerando que frenan el deterioro y reducen la exigencia de los tratamientos.

Ahora bien, esta nueva medicación no es para todas las posibles mutaciones, pues se calcula que se pueden beneficiar de este tratamiento entre un 70% y un 75% de las personas con FQ, mientras que el resto debe seguir únicamente con el tratamiento paliativo tradicional (Solé, 2022). Dentro de este porcentaje que no se puede beneficiar de esta nueva medicación, también están las personas trasplantadas, ya que el trasplante, además de la FQ, tiene sus propias particularidades y características.

En este sentido, el trasplante y la calidad de los cuidados paliativos continúan siendo elementos fundamentales para los/as pacientes con FQ que no reciben el tratamiento con moduladores. Este tratamiento ha demostrado efectos importantes en diversos aspectos de la salud: la mejora de la función respiratoria, la reducción de las exacerbaciones pulmonares, la optimización del estado nutricional, la disminución de los niveles de cloruro en sudor y, por tanto, una mejora general en la calidad de vida (Büyükşahin et al., 2023).

A largo plazo, el efecto de los moduladores intensificará la diferencia en los resultados de salud entre las personas que toman este tratamiento y aquellas



que no. Al mismo tiempo, pueden surgir consecuencias en el bienestar emocional y la salud mental de las personas, especialmente si se sienten excluidas o "abandonadas" por el sistema sanitario (Allen et al., 2023). Por ello, para los/as pacientes que no toleran los moduladores o que no tienen acceso a ellos, es urgente el desarrollo de planteamientos innovadores que permitan reducir la mencionada diferencia en los resultados de salud (Taylor-Cousar, Robinson, Shteinberg y Downey, 2023).

Actualmente, existen ensayos clínicos en curso que investigan terapias innovadoras focalizadas en las personas que no toman moduladores. Por un lado, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) ha recomendado la ampliación de la indicación de los nuevos moduladores para el tratamiento de personas con FQ a partir de los 2 años de edad que tengan al menos una mutación no de clase I en el gen CFTR. Esta ampliación beneficiará a aproximadamente el 95-97% de las personas con FQ en la Unión Europea, un 15-17% más que con la indicación actual. Sin embargo, aquellas personas con dos mutaciones de clase I no responderán a esta terapia.

La recomendación del CHMP se basó en diversos estudios clínicos y de laboratorio, incluyendo ensayos controlados y datos de la Fundación de Fibrosis Quística de Estados Unidos. Ahora, la decisión final sobre la autorización de comercialización se enviará a la Comisión Europea. Si se aprueba, miles de pacientes más en Europa podrían acceder a estos tratamientos, acercándose a la meta de tratar la causa subyacente de la enfermedad.

Por otro lado, existen líneas de desarrollo prometedoras que podrían cambiar el curso de la enfermedad en los próximos años:

- Terapia génica (ADN): Un ensayo clínico en marcha está evaluando una terapia basada en la administración inhalada de material genético para restaurar la función de la proteína CFTR, independientemente del tipo de mutación.
- Terapia génica (ARNm): También en fase de estudio, los tratamientos con ARN mensajero en administración inhalada buscan corregir el defecto genético subyacente en las células afectadas.



Además, las personas que no pueden acceder a los nuevos moduladores presentan una exigencia mayor de tratamientos que aborden los efectos secundarios de la FQ a medio y largo plazo (Allen et al., 2023). Por tanto, es fundamental seguir impulsando la investigación en este grupo para garantizar el desarrollo de opciones terapéuticas adecuadas (Palla, 2023).

Con todo ello, persiste un desafío global debido a las desigualdades en salud, lo que exige a los/as profesionales relacionados con la FQ que evalúen continuamente su labor en el ámbito clínico, la investigación, la defensa y la política desde la perspectiva de la equidad. Este enfoque es fundamental para asegurar y mejorar los resultados de salud para todas las personas con FQ.