

COMUNICADO DE PRENSA

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

La Federación Española de Fibrosis Quística solicita que se apruebe la financiación del medicamento Kaftrio, que podría beneficiar a más del 75% de las personas con FQ y se les priorice en la vacunación frente a la COVID-19

Con motivo del Día Nacional de la Fibrosis Quística, que tendrá lugar el próximo 28 de abril (cuarto miércoles de abril), la Federación Española de Fibrosis Quística (FEFQ) quiere visibilizar la situación en la que se encuentran las personas con Fibrosis Quística en nuestro país, que todavía no tienen acceso al medicamento Kaftrio; un tratamiento que, aunque no cura, paraliza el deterioro que produce la enfermedad y mejora de forma muy considerable su calidad de vida. Algo especialmente importante en medio de esta pandemia por COVID-19, que sitúa a las personas con Fibrosis Quística entre los grupos de riesgo, pero sin acceso inmediato a la vacuna debido a su perfil más joven.

26 de abril de 2021 -. 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 nacimientos**, mientras que una de cada 35 personas son portadoras sanas de la enfermedad. Es una enfermedad crónica de origen genético que afecta a diferentes órganos y, sobre todo, tiene importantes consecuencias en los pulmones, lo que les hace más vulnerables frente a una posible infección por COVID-19.

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 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 es el medicamento **Kaftrio (ivacaftor / tezacaftor / elexacaftor)**, que fue aprobado por la **Agencia Europea del Medicamento (EMA)** en junio de 2020 y autorizado por la Comisión Europea para su comercialización en agosto de 2020. En ese momento, estaba indicado únicamente para personas con Fibrosis Quística de 12 años en adelante con una mutación F508del y una mutación de función mínima (MF) o dos mutaciones F508del en el gen CFTR. Pero recientemente, en **marzo de 2021**, la EMA ha emitido una opinión positiva para ampliar la indicación del medicamento a personas con Fibrosis Quística de 12 años en adelante **con al menos una copia de la mutación F508del, independientemente de cuál sea su otra mutación**.

Con esta nueva indicación, Europa se equipara a lo aprobado por la FDA en los Estados Unidos y amplía el acceso de Kaftrio a miles de personas más, al tratarse de la mutación más común de la Fibrosis Quística. En España, concretamente, según el "Registro español de Fibrosis Quística" elaborado por la Sociedad Española de FQ, **más del 75% de las personas con Fibrosis Quística** tienen al menos una mutación F508del y, por tanto, serían susceptibles de recibir este tratamiento.

La urgencia y agilidad con la que la EMA ha realizado todo el proceso de evaluación y aprobación de este medicamento, así como de su nueva indicación, denotan el esfuerzo

realizado, tanto por la Agencia como por CF Europe, para que las personas con Fibrosis Quística de toda Europa **puedan tener un acceso rápido a este innovador tratamiento en un momento especialmente sensible para ellas**, debido a la pandemia de COVID-19.

Por ello, **Federación Española de Fibrosis Quística** solicita que España siga el ejemplo de otros países europeos, en los que ya está disponible el medicamento Kaftrio para todas aquellas personas que lo necesitan, como es el caso de Reino Unido, Irlanda, Dinamarca, Finlandia, Suiza, Luxemburgo, Eslovenia, o que cuentan con una evaluación positiva pendiente de aprobación para su comercialización, como ocurre en Alemania, Francia y Portugal. **Pedimos un esfuerzo a la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) para que agilice el proceso de elaboración del Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT), así como a la Dirección General de Farmacia y al Ministerio de Sanidad**, para que agilicen las negociaciones y se pueda llegar cuanto antes a un acuerdo de financiación de este medicamento. **Pedimos también un especial esfuerzo a Vertex Pharmaceuticals**, el laboratorio que comercializa el fármaco, para que al fijar sus precios tengan en cuenta la situación actual de pandemia en la que nos encontramos y la sostenibilidad de nuestro Sistema Nacional de Salud.

Juan Da Silva, presidente de la Federación Española de FQ pide una mayor comprensión hacia la situación de las personas con Fibrosis Quística: *“Europa y España han demostrado que es posible reducir los tiempos burocráticos y agilizar los procedimientos de negociación en este año de pandemia, donde estamos viendo un acceso récord a vacunas frente a la COVID-19. Nos preocupa que la salud del 75% de las personas con Fibrosis Quística en España se siga deteriorando cuando existe un tratamiento aprobado por la EMA que podría evitarlo. En España, tenemos la experiencia de medicamentos como Kalydeco, Orkambi y Symkevi en el que los resultados han sido muy buenos pero que están dirigidos a un grupo reducido de personas y se han tardado años en financiar. Kaftrio es el primero que está dirigido a un mayor número de personas y presenta unos resultados muy buenos, incluso mejores que los comentados anteriormente. **Su acceso puede cambiar radicalmente la vida de las personas con FQ**, al aliviar los síntomas de su enfermedad, mejorar su estado nutricional y reducir el número de infecciones pulmonares agudas, lo que se traduce en menos hospitalizaciones e incluso puede evitar la inserción en lista de espera para un trasplante bipulmonar. Un aspecto especialmente prioritario en esta época en la que la presión hospitalaria es tan elevada. Esto sumado al riesgo que tienen las personas con Fibrosis Quística frente a una posible infección por COVID-19, y viendo que actualmente no están priorizadas en la estrategia de vacunación, nos supone una gran inquietud. Hay más de 2500 personas con FQ en España y el año pasado **el Congreso de los Diputados emitió una Declaración Institucional en apoyo a todas ellas en la que la Cámara se comprometía, entre otras cosas, a facilitar el acceso al mejor tratamiento disponible**. Pedimos al Gobierno y al Ministerio de Sanidad que las palabras se transformen en hechos, agilizando al máximo la negociación con el laboratorio para que el acceso a Kaftrio no se demore y vacunando de forma prioritaria al colectivo de Fibrosis Quística, tal y como se está realizando en Cataluña desde la semana pasada”.*

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 Federación Española de Fibrosis Quística:

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.