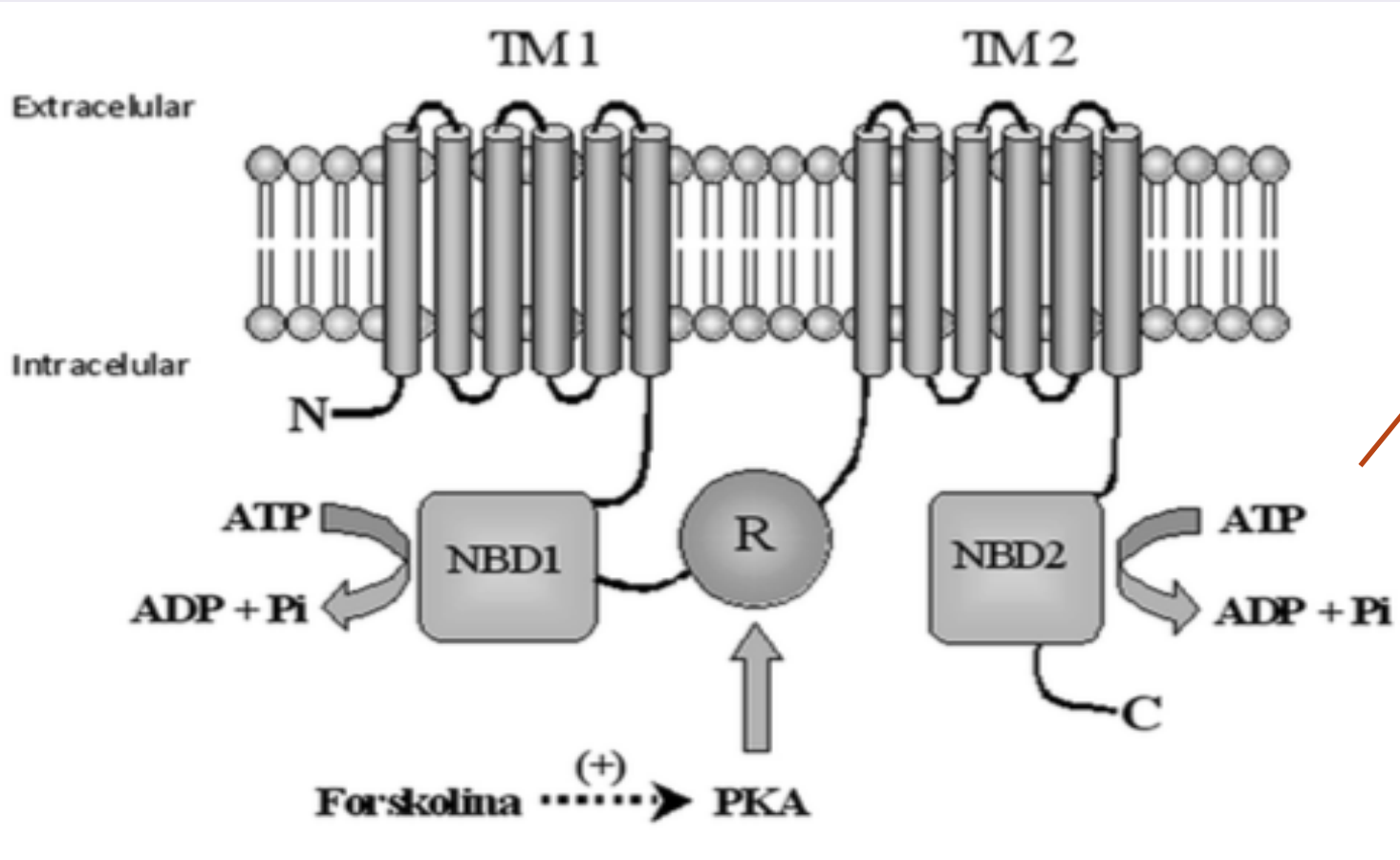


UN NUEVO TRATAMIENTO PARA LA FIBROSIS QUÍSTICA

INTRODUCCIÓN Y ANTECEDENTES:

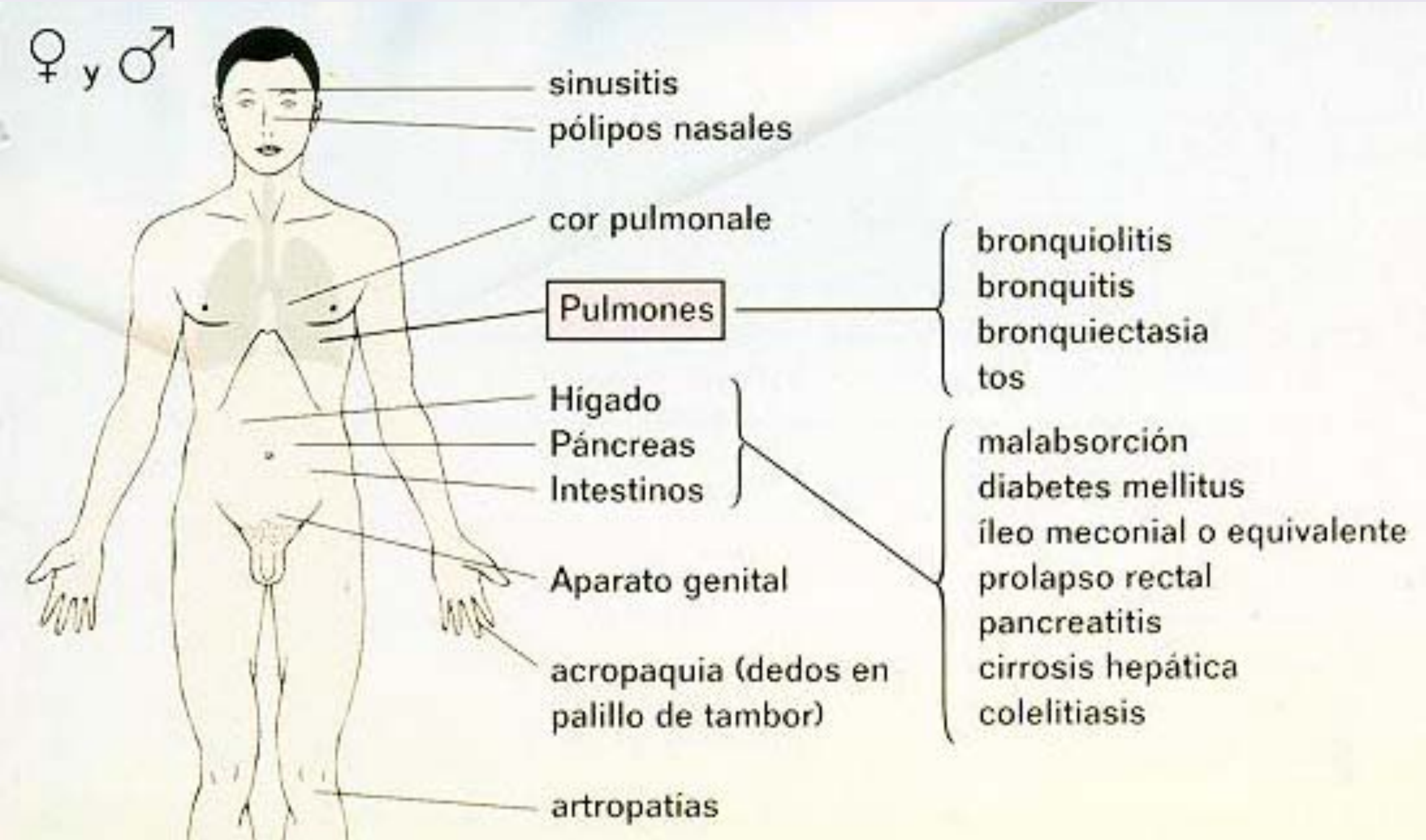
La fibrosis quística (FQ) es una enfermedad genética autosómica recesiva producida por una alteración en el gen de la proteína CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane conductance Regulator)



CFTR es un canal transmembrana de Cl⁻ dependiente de AMPc localizado en la membrana apical de glándulas seromucosas secretoras

Diagnóstico: Criterios clínicos y test del sudor ([Cl⁻] ≥ 60 mmol/l)

Las manifestaciones clínicas más importantes son respiratorias y gastrointestinales



OBJETIVOS:

- Revisión bibliográfica sobre la FQ incluyéndose su fisiopatología, manifestaciones clínicas, diagnóstico y tratamiento
- Revisión de fármacos novedosos y su investigación, concretamente en el medicamento ivacaftor

METODOLOGÍA:

Revisión bibliográfica en fuentes primarias (artículos publicados en revistas científicas), secundarias (pubmed) y terciaria (libros impresos y online).

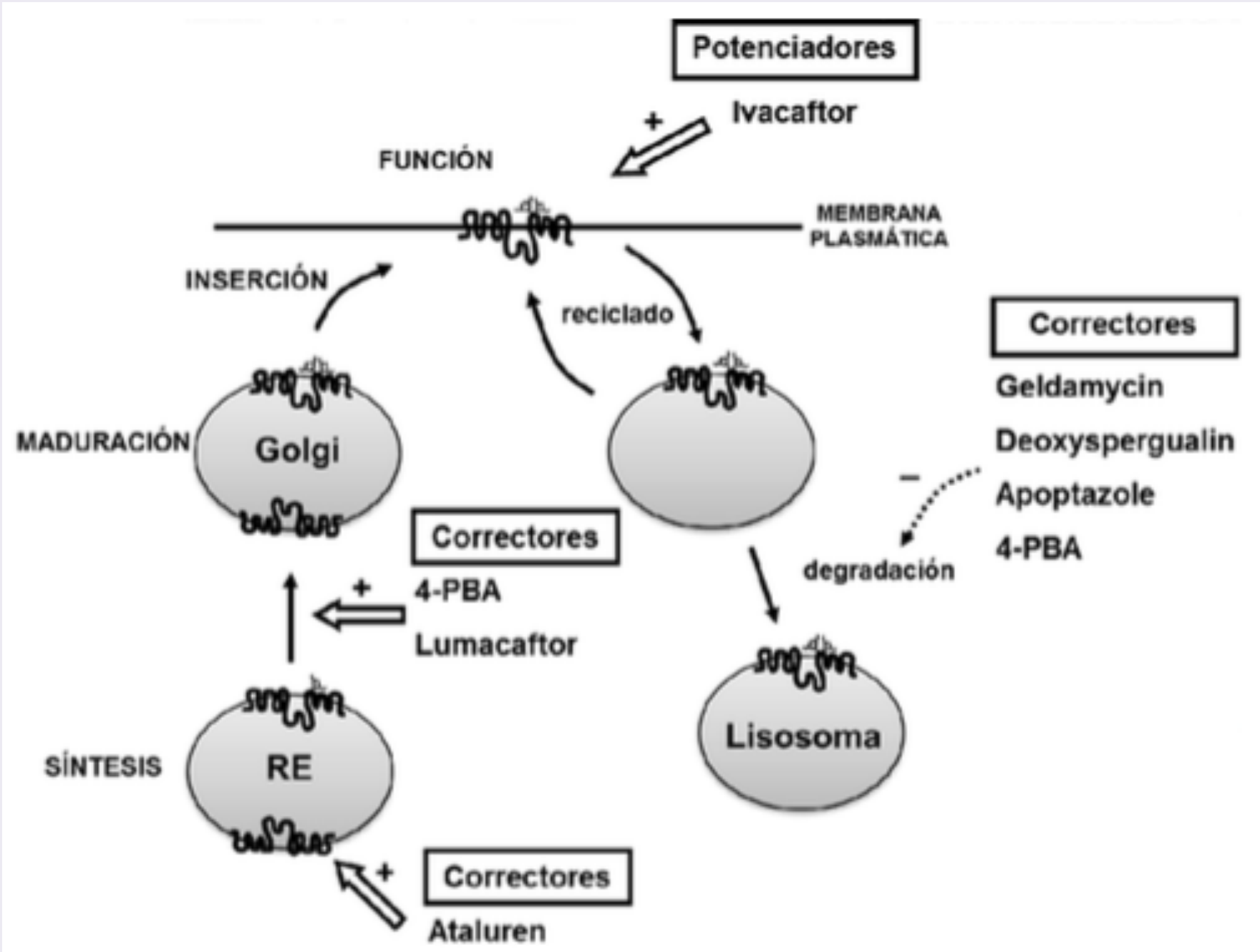
Los potenciadores mejoran la funcionalidad del canal, mientras que los correctores aumentan el número de canales en la membrana



Comprimidos 150 mg

IVACAFTOR

Posología: 150 mg/12h
Con comida grasa



RESULTADOS Y DISCUSIÓN:

Ivacaftor es un potenciador de la proteína CFTR estudiado para la mutación G551D e indicado para mutaciones de clase III: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.

Dos EECC pivotaes: 219 pacientes con la mutación G551D	
EECC 1	EECC 2
Pacientes mayores de 12 años	Pacientes entre 6 y 12 años
Aleatorizados para 150 mg de ivacaftor o placebo cada 12h con alimentos grasos durante 48h. Variable de eficacia: mejora FEV1 a las 24 y 48 semanas	
Mejoría de FEV1 en 10,6% frente al placebo	Mejoría de FEV1 en 12,5% frente al placebo
Estudio complementario: Mujer de 25 años con DRFQ consigue superarla tras iniciar el tratamiento con ivacaftor.	

CONCLUSIONES:

- Las nuevas investigaciones suponen un avance que era necesario para mejorar el tratamiento y pronóstico de estos pacientes corrigiendo las causas y no solo sus consecuencias
- Los medicamentos que actúan en la causa y que mejoren las manifestaciones clínicas disminuirían la cantidad de medicamentos y, por tanto, una mejora en la adherencia