

La 32.º Conferencia Nacional de Educación sobre la Fibrosis Quística de CFRI: Resúmenes de los ponentes

En la 32.º Conferencia Nacional de Educación sobre la FQ de CFRI, conferenciantes de renombre nacional de todo el país compartieron sus conocimientos y experiencia en una amplia gama de temas relacionados con la FQ. Los siguientes resúmenes ofrecen una breve descripción general de cada plática, seguida de un enlace a la presentación específica. Estas presentaciones fueron grabadas y están disponibles para ser vistas en el canal de CFRI en YouTube.

Innovaciones en el Diagnóstico y Tratamiento de la CFRD

Marina Basina, MD (Doctora en Medicina)
Centro Médico de la Universidad de Stanford,
Palo Alto, CA

La diabetes relacionada con la fibrosis quística (CFRD) es una de las complicaciones más comunes de la fibrosis quística (FQ) y se presenta en el 20% de los adolescentes y en el 40 al 50% de la población adulta.

Existen similitudes y diferencias entre la diabetes tipo 1 y tipo 2. La CFRD está asociada con la disminución de la función pulmonar.



La insuficiencia de insulina es una de las características de la CFRD que ha demostrado comprometer el estado nutricional en la enfermedad.

Los niveles elevados de azúcar en la sangre en las personas con CFRD no controladas

predisponen a las personas con CFRD a varias infecciones. La insulina es la mejor terapia estándar para la CFRD. Es exigente y añade más complejidad a las terapias pulmonares diarias. Existen factores específicos que complican el manejo del CFRD que incluyen

Continúa en la página 3

La Administración de Drogas y Alimentos Aprueba la Terapia de Triple Combinación para la Fibrosis Quística.

El 21 de octubre de 2019, la Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos (FDA) aprobó el Trikafta, la primera



terapia moduladora de combinación triple de CFTR para la fibrosis quística (FQ). Trikafta está aprobado para personas con FQ de 12 años de edad o más, que tienen al menos una copia de la mutación F508 del, proporcionando así una terapia a casi el 90% de las personas con FQ.

Trikafta, fabricado por Vertex Pharmaceuticals, fue revisado y aprobado en sólo tres meses. Dijo el Comisionado de la FDA en funciones Ned Sharpless, M.D. (Doctor en Medicina), “En la FDA, estamos buscando constantemente maneras de ayudar a

acelerar el desarrollo de nuevas terapias para enfermedades complejas, mientras mantenemos nuestros altos estándares de revisión.”

Dos estudios con 510 pacientes con FQ confirmaron la eficacia del Trikafta. El primer estudio demostró un aumento medio del 13.8% del valor inicial del VEF1 en comparación con el placebo, así como mejoras en los síntomas respiratorios, mientras que el segundo estudio demostró una tasa reducida de exacerbaciones pulmonares y una mejoría del IMC (índice de masa corporal).

Comunidad CFRI Otoño de 2019

Jefe de edición

Siri Vaeth, MSW

Editores

Bridget Barnes
Sabine Brants, MA
Zoe Davies, RN
Alicia Maciel, MBA

Disposición y Diseño

Marina Michaelian Ward

Consejo de Directores

Bill Hult, Presidente
Jessica Martens, Vicepresidenta
Arek Puzia, CPA, MBA, Secretario
Oscar Flamenco, CPA, Tesorero
Francine Bion
Zoe Davies, NP
Julie Desch, MD
Colleen Dunn, MS, RT, CCRD
Elyse Elconin Goldberg
Doug Modlin, PhD
Richard B. Moss, MD
Ahmet Uluer, DO, MPH

Directora Ejecutiva

Siri Vaeth, MSW

Supervisora de Programas y Finanzas

Mary Convento

Asociada de Programas y Difusión

Sabine Brants, MA

Asistente de Programas

Leeya Kannankunni

CFRI Community es publicada y distribuida a los amigos de CFRI de forma gratuita.

Envíe correcciones de direcciones y demás correspondencia a CFRI:

1731 Embarcadero Road, Suite 210
Palo Alto, CA 94303

Teléfono: gratuito 855.cfri.now
(855.237.4669)

Fax: 650.404.9981

Correo electrónico: cfri@cfri.org

Sitio web: www.cfri.org

Con nuestro permiso, usted puede reproducir la información original de este boletín con créditos para la Comunidad CFRI y el autor.

Notas de la Directora Ejecutiva

Queridos amigos,

Es un momento emocionante para la comunidad de la fibrosis quística. La reciente aprobación de la Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos (FDA) de la terapia moduladora de triple combinación de (CFTR), Trikafta, proporcionará una opción de tratamiento significativa para hasta el 90% de las personas con fibrosis quística. Para muchos, esta será su primera experiencia con un modulador CFTR. La rápida revisión y aprobación de la terapia por parte de la FDA habla de la efectividad del medicamento, así como del poder de nuestra comunidad para transmitir nuestra urgente necesidad de nuevos procedimientos.

Pero, por supuesto, hay muchos con fibrosis quística que no son elegibles para utilizar este medicamento, sobre la base de sus mutaciones CFTR. Mientras celebramos, también seguimos enfocados en el 10% de aquellos con mutaciones raras que todavía no tienen nuevas opciones. Todavía tenemos mucho trabajo por delante. Y debemos recordar que todavía la cura nos evita.

A medida que se acerca el año 2020, estamos planificando nuestros programas y servicios para satisfacer mejor las necesidades de nuestra diversa comunidad. Nuestros programas educativos, esfuerzos de promoción, apoyo psicosocial y premios de investigación solo pueden prosperar con su participación. ¡Por favor, únense a nosotros!

Saludos cordiales.

Siri Vaeth, MSW (Maestría en Trabajo Social)
Directora Ejecutiva CFRI y Madre de una hija adulta con FQ



Siri Vaeth, Directora Ejecutiva

Apoyo Financiero para los Gastos Relacionados con la Salud, Incluidos los de FQ

El Fondo de Asistencia ayuda a los pacientes que enfrentan altos costos médicos de bolsillo al proporcionarles asistencia financiera en la forma de pagos compartidos, deducibles y otros gastos relacionados con la salud. Su misión es proporcionar a las personas con enfermedades críticas o crónicas acceso a terapias a través de una serie continua de servicios y programas. Para averiguar si usted es elegible para recibir asistencia financiera, complete una solicitud en el sitio web, www.tafcares.org o llame al 855.845.3663.



Los Programas de Asistencia al Paciente Proporcionan el Apoyo Necesario

Por favor, consulte los Programas de Asistencia al Paciente en el sitio web de CFRI para obtener información acerca de muchos programas de nuestros asociados, incluyendo Genentech, Vertex, AbbVie, Novartis, Chiesi USA, y RespirTech. Para obtener más información, visite www.cfri.org.

la insuficiencia pancreática que conduce a la mala absorción de nutrientes, las infecciones crónicas y las exacerbaciones de la CFRD.



El uso de la tecnología de la diabetes puede ayudar a reducir la carga del tratamiento de la diabetes, mejorar el bienestar, ayudar a reducir la variabilidad de la glucosa y minimizar el riesgo de niveles bajos de azúcar en la sangre debido a la terapia de insulina. También se habló sobre la tecnología disponible, la historia de su desarrollo y su uso en la CFRD.

Mire la presentación de la Dr. Basina en <https://tinyurl.com/yy5kwrjt>

Los Pormenores de los Problemas Gastrointestinales en la Fibrosis Quística

Mary Abigail Garcia, MD
UC San Diego / Hospital Infantil Rady,
San Diego, CA

La fibrosis quística es una afección genética caracterizada por un transporte deficiente de cloruro y bicarbonato a través del canal de iones CFTR. Como resultado, la secreción



de moco defectuoso ocurre causando obstrucción de los conductos y lúmenes en diferentes órganos del cuerpo. Esta presentación se centró en los efectos de la FQ en el tracto gastrointestinal, especialmente en el diagnóstico y manejo de las diferentes afecciones gastrointestinales que afectan a los pacientes con FQ.

Los síntomas abdominales – falta de apetito, pérdida de gusto, dolor abdominal, flatulencia y distensión: son muy comunes en la FQ. Las molestias gastrointestinales suelen surgir al principio del curso de la enfermedad y pueden tener un impacto grave en la calidad de vida del paciente. Los problemas gastrointestinales tienen una influencia significativa en los resultados de la enfermedad, incluyendo, entre otros, el crecimiento y la nutrición, la función pulmonar y el bienestar percibido por el paciente.

La insuficiencia pancreática, que afecta hasta el 85% de todas las personas con FQ, y la enfermedad por reflujo gastroesofágico (ERGE) son síntomas gastrointestinales comunes de la FQ. La presentación trató sobre síntomas y consecuencias, así como el diagnóstico y varias opciones de tratamiento. Las complicaciones gastrointestinales menos comunes y más graves incluyen el Síndrome de Obstrucción Intestinal Distal (SOID) y los cánceres gastrointestinales. La presentación también abordó las afecciones hepáticas relacionadas con la fibrosis quística, así como la influencia de la nutrición en los síntomas gastrointestinales.

Mire la presentación de la Dra. Garcia en <https://tinyurl.com/yxbfjwsc>

Felicidad al Respirar

Travis Flores
Los Angeles, CA

Tengo Fibrosis Quística, y estoy muriendo debido al rechazo orgánico crónico de mi segundo trasplante de pulmón doble... pero también soy más feliz que nunca. ¿Cómo? Es un superpoder. Uno que todo el mundo tiene, pero la mayoría no se da cuenta hasta el final de su vida. Voy a ayudarte a descubrir ese poder ahora, para que cada día de tu vida sea pleno. Así que, cuando te despiertes estés feliz, y cuando te vayas a la cama sonrías a todas las cosas increíbles de tu vida. Cuando sueñes será en cosas felices y a lo largo de tu vida podrás ayudar a otros a liberar su superpoder interior también.

Estar enfermo es de lo peor. ¿Morir? No es precisamente nuestro más grande anhelo.

Hay muchos factores estresantes con los que las personas sanas se enfrentan día a día, por lo que cuando se añade un pronóstico terminal a la mezcla... la vida parece tornarse un poco más clara. Las cosas que más le importan a la mayoría de la gente, es decir, los medios sociales, el número de seguidores o sus “Me gusta”, el dinero, la religión, etc., todo se desvanece. Lo que nos queda es una elección: ser felices o ser miserables.



Cuando tanto es negativo, la miseria es la ruta fácil. Mucha gente elige eso, ¿y quién puede culparlos? Especialmente cuando todo parece estar en tu contra. Pero este superpoder es nuestra capacidad de elegir la felicidad por encima de la miseria en las peores situaciones. Puede venir en varias formas: risa, sonrisa, amor, alegría, gratitud. La felicidad viene de dentro, y con cada momento de negatividad que encontramos, tenemos la oportunidad de encontrar la felicidad, recordándonos a nosotros mismos de la elección que siempre tenemos el poder de hacer.

Muero con una sonrisa... porque elijo ser feliz en este momento, cuando me enfrento a la muerte.

Mire la presentación de Travis en <https://tinyurl.com/y3eoc8dr>



Dé gracias. Dé vida.

Misión de CFRI

Cystic Fibrosis Research, Inc. existe para financiar investigaciones, proporcionar apoyo educativo y personal, y para divulgar el conocimiento acerca de la fibrosis quística, una enfermedad genética potencialmente mortal.

Visión de CFRI

A medida que trabajamos para encontrar una cura para la fibrosis quística, CFRI imagina informar, con la participación y el empoderamiento, a la comunidad FQ para ayudar a todos los que tienen esta enfermedad difícil a alcanzar la más alta posible calidad de vida.

Visite nuestro sitio web:

www.cfri.org

para obtener más información sobre nosotros y sobre la fibrosis quística.

cfri@cfri.org

Por su generoso apoyo a la Comunidad CFRI, un agradecimiento especial a:

AbbVie, Genentech, Vertex Pharmaceuticals, Proteostasis Therapeutics, Translate Bio, Chiesi USA, y Gilead Sciences



1731 Embarcadero Road • Suite 210
Palo Alto, California 94303



Cystic Fibrosis Research, Inc.
a 501(c)(3) nonprofit organization
Federal EIN# 51-0169988

Programas de Calidad de Vida de la FQ



Grupos de apoyo para cuidadores de personas con fibrosis quística

CFRI ofrece un grupo de apoyo mensual para cuidadores de personas con fibrosis quística, que está abierto a participantes de todo el país. Los grupos se reúnen el tercer martes de cada mes y son impartidos por un trabajador social con conocimientos vastos en los temas que enfrentan los cuidadores de personas con FQ. Los participantes pueden participar en persona, así como unirse desde cualquier lugar del país por teléfono. *Disponible en inglés*

Grupo de apoyo en línea para adultos con FQ

CFRI ofrece un grupo de apoyo mensual en línea para adultos con FQ, que está abierto a participantes de todo el país. El grupo es dirigido por un trabajador social con conocimientos amplios en los problemas que enfrentan los adultos con FQ.

El grupo se reúne el tercer lunes de cada mes, de 6:00 p.m. PST a 7:30 p.m. (9:00 p.m. a 10:30 p.m. EST). *Disponible en inglés*



Vivir conscientemente con FQ

La clase en línea de CFRI 'Viviendo con la FQ', creada y enseñada por Julie Desch, MD (Doctora en Medicina), quien a su vez tiene fibrosis quística, se basa en las técnicas de reducción del estrés basadas en la atención plena y enfoca estas prácticas específicamente en vivir con la FQ. Las clases son gratuitas y están abiertas a personas con FQ y a sus familiares (cónyuges/parejas, padres, hermanos) de todo Estados Unidos y otros lugares. Los participantes deben tener al menos 16 años de edad.

Disponible en inglés

Programa de apoyo de consejería

Los niños y adultos con FQ, así como sus familiares (padres, hermanos, cónyuges/parejas) pueden inscribirse en sesiones de terapia individuales con un proveedor autorizado de su elección. CFRI cubrirá hasta \$120 por sesión durante seis sesiones (ya sea su copago o los honorarios de su terapeuta). *Disponible en inglés*

Para obtener más información sobre cualquiera de estos programas, visite nuestro sitio web: www.cfri.org.

