

En la 33.ª Conferencia Nacional sobre Educación en Materia de FQ: Resúmenes de los ponentes

En la 33.ª Conferencia Nacional sobre Educación en Materia de FQ, Partners in Progress (Compañeros en el Progreso), celebrada virtualmente el 1 y 2 de agosto de 2020, expositores de renombre nacional de todo el país compartieron sus conocimientos y experiencia en una amplia gama de temas relacionados con la FQ. Estas presentaciones ya están disponibles para su visualización en el canal de YouTube de la CFRI (en Inglés). Los resúmenes que figuran a continuación van seguidos de un enlace a cada presentación específica.

Doble riesgo:

La FQ en la era de COVID-19

Richard Moss, MD

Universidad de Stanford, Palo Alto, CA

Esta plática revisa los rasgos de COVID-19, como la forma en que el virus infecta los tejidos y la respuesta inmune inflamatoria, los síntomas y tratamientos primarios, los factores de riesgo y las perspectivas de protección por infección natural o vacunación. Los informes muestran que la comunidad de la FQ se ha desenvuelto muy bien en el uso de medidas de salud pública de

distanciamiento físico, cobertura de la cara e higiene de las manos para mantener bajas las tasas de infección. Esto se demuestra por las tasas de infección del 3 a 4.6 % de los pacientes con FQ probados que son positivos para el virus. Además, parece que la mayoría de los pacientes con FQ que se infectan han tenido resultados generalmente favorables, con solo 5 muertes hasta el 25 de junio de 2020 de entre 151 casos conocidos, una tasa de mortalidad (Case Fatality Rate, CFR) del 3.3 %, que es menor que la actual CFR en los EE. UU. (5.0 %) o en todo el mundo (5.1 %). Dentro de la FQ como diagnóstico principal, los factores de riesgo adicionales que parecen surgir para la enfer-

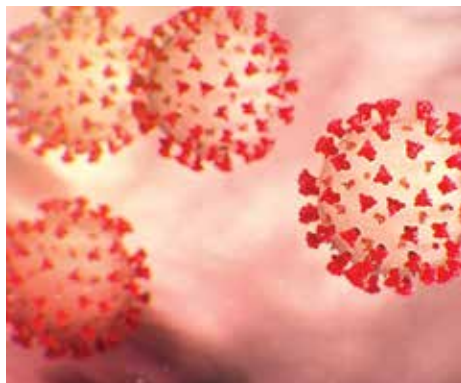


medad de COVID-19 en los casos notificados incluyen la edad, la diabetes relacionada con la FQ y el trasplante de pulmón, que también

Continúa en la página 3

Levantando La Voz Durante la Pandemia

El devastador impacto de COVID-19 ha afectado a nuestra comunidad de fibrosis



quística a muchos niveles. CFRI ha seguido sensibilizando y abogando en nombre de la comunidad de la FQ y las enfermedades raras a través de reuniones virtuales con representantes electos, alertas de acción sobre cuestiones legislativas apremiantes y actualizaciones informativas sobre políticas y legislación que afectan a nuestra comunidad. CFRI ha promovido de manera independiente y en asociación con otras organizaciones relacionadas con la salud a nivel estatal y federal para abordar el racionamiento médico discriminatorio que promueve la eliminación del texto de los planes de emergencia estatales que excluye

o priva a las personas con enfermedades pulmonares avanzadas de la posibilidad de recibir respiradores durante una escasez. Hemos instado a los miembros de nuestra comunidad a expresar sus opiniones relacionadas con el acceso a la telemedicina y la expansión de la licencia médica remunerada. El CFRI está creando conciencia para detener la rápida expansión de los Programas de Acumulación de Copagos, que ya no permiten a los pacientes aplicar sus tarjetas de copagos de los fabricantes de medicamentos a su deducible anual. CFRI continuará manteniendo a nuestra comunidad informada y apoyada mientras abordamos los desafíos de COVID-19 y la vida con una enfermedad extraña y desafiante.

Comunidad CFRI Otoño de 2020

Jefe de Redacción
Siri Vaeth, MSW

Editores
Bridget Barnes
Zoe Davies, NP
Alicia Maciel, MBA

Escritores Colaboradores
Sabine Brants, MA
Mary Convento
Siri Vaeth, MSW

Disposición y Diseño
Marina Michaelian Ward

Consejo de Administración
Bill Hult, Presidente
Jessica Martens, Vicepresidenta
Colleen Dunn, MS, RT, CCRC, Secretaria
Oscar Flamenco, CPA, Tesorero
Francine Bion
Zoe Davies, NP
Julie Desch, MD
Elyse Elconin Goldberg
Jean Hanley, MD
Doug Modlin, PhD
Richard Moss, MD
Arek Puzia, CPA, MBA
Ahmet Uluer, DO, MPH

Director Ejecutivo
Siri Vaeth, MSW

**Supervisor de
Programas y Finanzas**
Mary Convento

Asociado de Programas y Difusión
Sabine Brants, MA

Asociado de Apoyo y Programas
Stacie Reveles

**Asociado de
Medios Sociales y de Difusión**
Danielle Mandella

**Asistente de
Programas y Desarrollo**
Leeya Kannankunni

CFRI Community se publica y distribuye a los amigos del CFRI de forma gratuita. Envíe las correcciones de dirección y otras correspondencia a la CFRI:
1731 Embarcadero Road, Suite 210
Palo Alto, CA 94303
Teléfono: Línea gratuita 855.cfri.now (855.237.4669) Fax: 650.404.9981
correo electrónico: cfri@cfri.org
Sitio web: www.cfri.org

Con nuestro permiso, puede reproducir la información original de este boletín con créditos a CFRI Community y al autor.

Notas de la Directora Ejecutiva

Instituto: una sociedad u organización que tiene un objeto particular o un factor común, especialmente de carácter científico, educativo o social.

Queridos amigos,

Espero que se encuentren sanos y salvos. Todos nosotros en CFRI pensamos en aquellos que han perdido a sus seres queridos por COVID-19, y aquellos cuyas vidas se han visto alteradas por incendios, tornados y huracanes. Somos una comunidad resistente, y este año es un testimonio de nuestra fortaleza.

El año 2020 marca otro tipo de hito, ya que el CFRI celebra 45 años de financiamiento de investigación y servicio a nuestra comunidad. El CFRI fue formado por un grupo de padres cuyos hijos con FQ no se esperaba que sobrevivieran a su adolescencia. Con su apoyo, hemos crecido enormemente desde 1975 y seguimos financiando la investigación innovadora de FQ al tiempo que incorporamos la educación, el apoyo psicosocial y la defensa en nuestra misión.

La FQ sigue siendo una enfermedad dura y caprichosa. Muchos miembros de nuestra comunidad todavía están esperando terapias de transformación. Cada uno de nosotros desempeña un papel en la búsqueda de una cura.

A medida que nos acercamos a finales de 2020, reafirmemos nuestro compromiso colectivo con el trabajo que queda por hacer. Gracias por su constante generosidad y apoyo.

Atentamente,



Siri Vaeth, MSW | Directora Ejecutiva de CFRI y madre de una hija adulta con FQ



Siri Vaeth, Directora Ejecutiva

Del yoga a la fisioterapia: Los programas virtual de Bienestar de FQ mejoran la salud física y mental

Los programas de bienestar del CFRI dan vida al impacto positivo del movimiento y el ejercicio en la salud física y mental. Estos programas en línea son gratuitos, divertidos e interactivos, y están abiertos a las personas con FQ, así como a sus padres, cónyuges, parejas y hermanos de todo el país. Además de una clase de fisioterapia con Nicole Irizarry, DPT, y Karen Von Berg, DPT, ofrecemos clases de fortalecimiento con Taylor Lewis, MA, y clases de yoga impartidas por Martha Modawell, instructora de yoga certificada y madre de dos hijas con FQ, y Colleen Lewis, instructora de yoga certificada y adultos con FQ. Nuestros instructores y participantes de la clase se conectan desde todo Estados Unidos. Ofreceremos una clase final de yoga en el otoño de 2020 dirigida por Colleen Lewis. Al hacer ejercicio juntos, nuestra comunidad construye la resistencia emocional y física, mientras forja nuevas conexiones y amistades. Para ver el programa actual, vaya a la página de eventos en cfri.com.



La Iniciativa de Bienestar de FQ de CFRI está apoyada hasta la fecha por una subvención de Vertex Pharmaceuticals y de InterWest Insurance Services, LLC.

La 33.ª Conferencia Nacional de Educación

Continuación de la portada

son factores de riesgo conocidos en la población general; pero la enfermedad pulmonar avanzada no está sobrerrepresentada. En el futuro, hay muchas cuestiones importantes para la comunidad de la FQ en relación con COVID-19, entre ellas el mantenimiento de la atención médica general y de los centros de FQ y las medidas del estado, el acceso a los medicamentos para la FQ, el estado de la investigación clínica y los ensayos de medicamentos, la lucha contra la discriminación si los hospitales se ven desbordados durante los picos, y cómo la FQ encajará en una cola previsible para la vacunación tanto durante los ensayos clínicos como una vez que una o más vacunas obtengan la licencia y estén disponibles.



La aplicación de la fagoterapia a la fibrosis quística: Una nueva vista a un antiguo concepto

Douglas Conrad, MD, *Universidad de California San Diego, San Diego, CA*

A medida que la edad del paciente con FQ y la exposición de por vida a antibióticos de amplio espectro aumenta, la susceptibilidad a la terapia antibiótica estándar disminuye.



La terapia bacteriófaga o fagoterapia ofrece un enfoque para manejar estas infecciones crónicas. Los fagos son virus que se encuentran en todo el medio ambiente, incluso en los humanos, y representan una pequeña amenaza para sus huéspedes humanos. Los fagos pueden tener un ciclo de vida lítico o lisogénico. Como parte de su ciclo de vida lítico, infectan taxones de bacterias específicas y se replican rápidamente, matando a su huésped bacteriano en el proceso.

Los fagos tienen varias características que los hacen atractivos como potenciales agentes terapéuticos: **a)** los fagos son seguros y pueden administrarse a pacientes con insuficiencia hepática o renal, **b)** se dirigen a taxones específicos como pseudomonas o staphylococcus, **c)** pueden administrarse tópicamente al pulmón mediante nebulización o sistémicamente mediante acceso intravenoso, **d)** los fagos pueden diseñarse para dirigirse a miembros virulentos o

altamente resistentes de la comunidad microbiana de las vías respiratorias. Entre los desafíos que se plantean al uso generalizado de la fagoterapia figuran la normalización del preparado, el acceso a bibliotecas de fagos líticos bien caracterizados, los obstáculos reglamentarios con las juntas de examen institucionales locales y los requisitos de la FDA. El acceso actual a la fagoterapia para los pacientes con FQ es posible gracias al acceso a un nuevo fármaco de investigación para un solo paciente, sin financiación, y a un pequeño número de ensayos clínicos sobre pseudomonas aeruginosa.

El potencial de las nuevas tecnologías para el tratamiento de la fibrosis quística

Marie Egan, MD

Escuela de Medicina de Yale, New Haven, CT

Aunque una terapia moduladora de CFTR efectiva tiene el potencial de cambiar la vida de muchos pacientes con la fibrosis quística (FQ), es poco probable que estos medicamentos sean una terapia revolucionaria para todos. Allí son alrededor del 10 % de los pacientes con FQ que no producen una proteína mutante para modular, potenciar u optimizar y para estos pacientes, pueden ser necesarios enfoques alternativos. Existe la necesidad de desarrollar nuevos enfoques terapéuticos que funcionen para esta población de pacientes y puedan avanzar terapias de FQ. Estas novedosas terapias incluirán ácido nucleico y terapias basadas en la genética y cada una de ellas resultará en una proteína CFTR funcional en las células CF previamente afectadas. Esta charla examina el potencial de las terapias de RNA, las terapias de transferencia genética y las terapias de edición genética para el tratamiento de la FQ, así como los desafíos que deberán afrontarse a medida que aprovechemos el poder de estas terapias emergentes.



Nuestros pacientes son ahora adultos: ¿Tenemos que preocuparnos por el cáncer?

Denis Hadjiladis, MD, MHS, *Escuela de Medicina Perelman, Universidad de Pennsylvania, Philadelphia, PA*

La esperanza de vida de los pacientes con fibrosis quística (FQ) continúa aumentando en las últimas décadas y se estima que

será de unos 45 años. A medida que la población envejece, han surgido nuevos problemas para la población con FQ; además, un mayor número de pacientes con FQ están inmunosuprimidos como resultado de un trasplante de pulmón.



El cáncer es un problema que se ha identificado, especialmente en los pacientes después del trasplante. Los cánceres gastrointestinales son comunes ya sea por los efectos directos del CFTR, por cuestiones relacionadas con la insuficiencia pancreática o por una combinación de los anteriores. El cáncer colorrectal es la localización más común de la malignidad y cuenta con procedimientos de detección disponibles. En la población de trasplantes, el linfoma postraslante (Post-Transplant Lymphoma, PTL) es común, en particular para los pacientes que reciben órganos de donantes que son positivos del virus de Epstein-Barr (Epstein-Barr virus, VEB), mientras que el VEB es negativo. Otro cáncer que es más común después del trasplante es el cáncer de la piel. Se recomienda un seguimiento cuidadoso de los pacientes con mayor riesgo de padecer cáncer de la piel y la reducción del riesgo mediante el uso de protección solar, evitando o minimizando la exposición a los medicamentos que aumentan el riesgo de cáncer de la piel, y exámenes frecuentes de la piel. A medida que la población con fibrosis quística continúa envejeciendo, es probable que la incidencia del cáncer aumente. Sin embargo, la aprobación de modificadores de CFTR altamente eficaces podría reducir el riesgo, si está relacionado con la presencia de CF.

Fibrosis quística y el sueño

Caroline Okorie, MD, MPH, *Escuela de Medicina de la Universidad de Stanford, Palo Alto, CA*

La falta de sueño se asocia con un estado de ánimo más bajo, una función inmunológica disminuida, enfermedades cardíacas, diabetes mal controlada y una calidad de vida general más baja. Desde el punto de vista respiratorio, el sueño es un momento vulnerable asociado a una disminución de la capacidad de intercambio de gases respiratorios (es



Continúa en la última página

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, Corbus Pharmaceuticals, Translate Bio, Chiesi USA, Gilead Sciences, y Viatrix

cfri Cystic Fibrosis
Research Inc.

1731 Embarcadero Road • Suite 210
Palo Alto, California 94303



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

La 33.ª Conferencia Nacional de Educación

Continuación de la página 3

decir, de la ventilación), una disminución del volumen pulmonar por cada respiración y un aumento de la resistencia de las vías respiratorias superiores. Por lo tanto, es especialmente importante que las personas con afecciones pulmonares subyacentes, como la FQ, estén atentas a la forma en que el sueño afecta su salud general. Las diversas causas de un sueño deficiente en la población general incluyen el estrés, las exigencias de horarios, la electrónica y los malos hábitos de sueño. Los pacientes con FQ experimentan factores adicionales, como tos crónica, dolor, acidez estomacal, deposiciones frecuentes y efectos secundarios de los medicamentos. Más de la mitad de todos los pacientes con FQ tienen problemas de sueño y la frecuencia aumenta con la gravedad de la enfermedad pulmonar.

Los registros de sueño, la actigrafía y los estudios de sueño son todas herramientas disponibles para medir la calidad del sueño. Condiciones como la apnea obstructiva del sueño, el síndrome de las piernas inquietas y el insomnio pueden disminuir aún más la calidad del sueño (y la salud en general) de los pacientes con FQ. Un estudio del sueño puede ayudar a detectar los primeros signos de disminución de la ventilación y la hipoxemia en los pacientes con enfermedad pulmonar de FQ. La detección temprana puede dar lugar al pronto tratamiento con ventilación no invasiva u oxígeno suplementario. El insomnio también puede afectar a los pacientes con FQ. En el caso del insomnio crónico, la terapia cognitivo-conductual se considera actualmente el estándar de referencia para el tratamiento. Como sabemos lo importante que es la buena calidad del sueño para la salud en general, es importante que el sueño forme parte de la discusión en cualquier visita de cuidado de la salud.

Programas de calidad de vida de la FQ: Apoyo para la salud mental de nuestra comunidad

La pandemia de COVID-19 ha empeorado los síntomas de la depresión y la ansiedad de muchos en la comunidad de la fibrosis quística (FQ). Los estudios demuestran que la depresión puede afectar negativamente el cumplimiento del régimen médico. En respuesta, ofrecemos una gama de programas para abordar las necesidades psicosociales de nuestra comunidad. Este incluye apoyo de consejería. El CFRI ofrece hasta 120 USD por sesión para seis sesiones de asesoramiento a personas con FQ (niños y adultos), sus padres, parejas, cónyuges y hermanos con el proveedor autorizado de su elección. Los participantes deben vivir en EE. UU. También se ofrecen tres grupos, uno para adultos con FQ; uno para padres de menores con FQ; y otro para padres/cónyuges/parejas de adultos con FQ. Los grupos se realizan a través de Zoom. Estos programas se ofrecen sin cargo a los miembros de nuestra comunidad, gracias a nuestros patrocinadores. Para más información, visite nuestro sitio web o envíe un correo electrónico a Sabine Brants a sbrants@cfri.org. *Iniciativa "Partners in Living", los programas de calidad de vida de FQ son apoyados a través de subvenciones de Vertex Pharmaceuticals, Gilead Sciences, Genentech, Chiesi USA, y contribuciones a través del programa de calidad de vida de CFRI, un legado de vida de Peter y Kathy Judge.*

