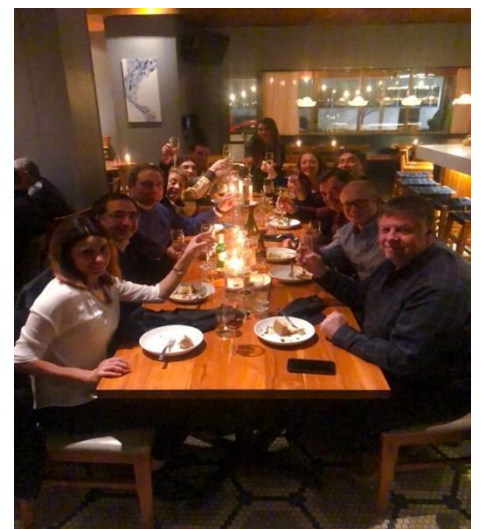


Highlights

Congreso Americano de Fibrosis Quística

Entre el 31 de octubre y el 2 de noviembre, de 2019, se llevó a cabo en Nashville, USA, el 32° Congreso Americano de Fibrosis Quística. GBT tuvo la oportunidad de patrocinar a cuatro referentes médicos Argentinos, dentro del programa de educación médica continua, que fueron acompañados por Vanesa Rosu representante del área comercial de Argentina.



fibrosis Quística



La Fibrosis Quística (FQ), es una enfermedad genética, con discapacidad visceral permanente y progresiva. Afecta a unas 30.000 personas en los Estados Unidos.

Un tratamiento destacado del congreso fue aprobado por la Administración de Drogas y Alimentos (FDA).

El tratamiento es la combinación de tres medicamentos, llamada Trikafta, y fue aprobado cinco meses antes de la fecha límite de la agencia. El medicamento podría beneficiar al 90% de los pacientes con la enfermedad, un gran avance sobre los medicamentos anteriores que funcionaban en una

pequeña fracción de las personas con la enfermedad o que tenían efectos más modestos.

El medicamento es el producto de décadas de trabajo científico constante e incremental que comenzó con la investigación en laboratorios académicos y fue impulsado y financiado por los defensores de los pacientes a través de un inusual modelo de “filantropía de riesgo” que ahora está siendo emulado por otros grupos de pacientes. El salto adelante fue precedido por muchos pasos - Trikafta es la cuarta terapia desarrollada por Vertex Pharmaceuticals, una compañía con sede en Boston



Plenarios destacados



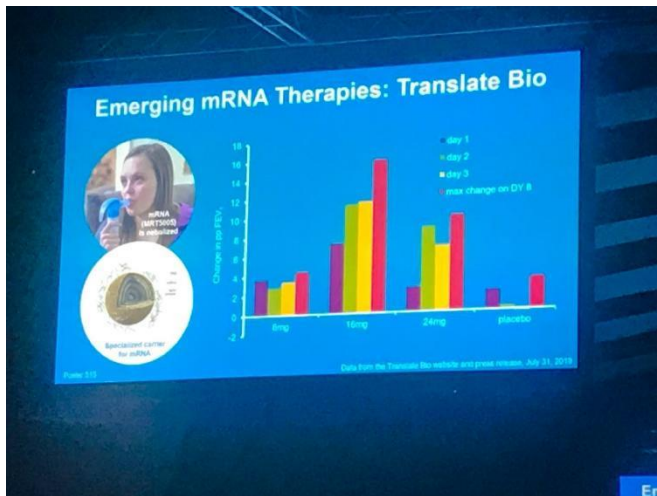
Comenzamos el congreso con una plenaria latinoamericana donde cada país describió cómo se forma su equipo interdisciplinario de profesionales de FQ, destacando de nuestro país el centro del **Hospital Pediátrico Humberto Notti** de Mendoza, Argentina, donde su jefe el **doctor Luis**

Parra, jefe de servicio, compartió su experiencia.

Luego finalizó dicho plenario con un debate entre los países con ocho mesas de trabajo.

Otro plenario a destacar fue el de **Jane Davies**, quien describió el progreso y la promesa de terapias moduladoras **CFTR** altamente efectivas para personas con FQ. Ella destacó los beneficios a largo plazo que dicha terapia ha tenido en la proporción relativamente pequeña de la comunidad de FQ para quienes un modulador altamente efectivo ha estado disponible durante varios años, aquellos con la mutación **G551D** que están en tratamiento con **ivacaftor** y usarán esta evidencia para describir el impacto que podríamos esperar de un **medicamento de combinación triple** en una población más grandes. Las oportunidades adicionales que presenta la introducción de la restauración funcional de **CFTR** en la vida temprana se ilustrarán con datos de preescolar e infantil. También discutió algunos de los desafíos que quedan, incluido el

desarrollo de tratamientos para personas con mutaciones más raras y el acceso a moduladores **CFTR** en ciertas regiones del mundo.



Gran parte del congreso se centró en discutir las **terapias genéticas** y las tecnologías innovadoras que incluyen **terapias de ARN, células madres, y tecnologías de edición genética**, que se están moviendo hacia el ámbito clínico a un ritmo inesperado. Estas Tienen la clave para una mejora de la enfermedad. Sin embargo, pasar

de la promesa de estas tecnologías a la realidad de una terapia y cura efectiva para todos requerirá tiempo, tenacidad y visión.

Futuro de GBT

En el 2020 continuaremos analizando terapias combinadas con el fin de nuevos lanzamientos para esta patología.

Así mismo continuar acompañando a los profesionales Argentinos dentro del programa de educación médica continua.

Speakers destacados

Jane Davies

Lynsi Collins

Sue Sullivan

Marie Egan