

HIGHLIGHTS NACFC 2017

INDIANAPOLIS 2-4 NOVEMBER



Highlights NACFC 2017

North American Cystic Fibrosis Conference



Evolución longitudinal de la densidad ósea en niños

En los pacientes adultos puede observarse una enfermedad ósea relacionada con la fibrosis quística (EOFQ), pero el origen de este déficit óseo aún debe determinarse.

Los datos indican que la disminución de la acreción cálcica relacionada con la fibrosis quística aparece de forma más tardía en adolescentes o en adultos jóvenes.



Paso de los pacientes a centro de adultos: interés de la herramienta CF-RISE

El paso al centro de adultos puede constituir una etapa delicada para los pacientes afectados por fibrosis quística. Uno de los retos para el éxito de la transición es la necesidad de una base mínima de conocimientos sobre la enfermedad por parte de los pacientes. La asociación estadounidense de la fibrosis quística ha puesto a punto una herramienta de evaluación de los conocimientos constituida por 12 módulos y una lista de control.

Se dirige a pacientes de entre 16 y 25 años de edad: www.cfrise.com



Alteración de las incretinas en la fibrosis quística

El impacto clínico de la intolerancia a los hidratos de carbono puede preceder entre 6 y 24 meses al diagnóstico de diabetes.

Se recomienda el cribado mediante HGPO desde los 10 años de edad. Sin embargo, esta intolerancia puede ser más temprana y afectar hasta el 39% de los pacientes antes de los 5 años [1].

Los pacientes afectados de fibrosis quística que presentaban una intolerancia a los hidratos de carbono en los datos de HGPO mostraban tasas más elevadas de GIP que los pacientes sin intolerancia o los de control [2].

1. Y YI, A Norris, K Wang, X Sun, A Moran, J Engelhardt, K Larson Ode. Abnormal glucose tolerance in infants and young children with cystic fibrosis. American Journal of Respiratory Critical Care Medicine. 2016;194:974.
2. Yi, Y. Perturbation of incretin and islet hormones in very young children with cystic fibrosis. Abstract 642. NACFC 2017.



Nuevos antibióticos de amplio espectro

En estos últimos años se han comercializado varios agentes que combinan una beta-lactamina y un inhibidor de beta-lactamasa: ceftolozano y tazobactam en 2014; ceftazidima y avibactam en 2015; y meropenem y vaborbactam en 2017. Poseen una buena actividad contra *Pseudomonas aeruginosa*, pero una actividad variable frente a otras bacterias gramnegativas como *Burkholderia cepacia*, *Achromobactero* *Stenotrophomonas*.



Efecto de la asociación entre lumacaftor e ivacaftor en la capacidad de ejercicio de pacientes afectados por fibrosis quística

La intolerancia al ejercicio en pacientes con fibrosis quística es un factor predictivo de la mortalidad con independencia de la función respiratoria. Se está realizando un estudio en el que los primeros datos recogidos indican mejores respuestas en los pacientes en tratamiento respecto al estado basal.

CONGRES NACFC 2017 – Jueves, 2 de noviembre de 2017

W09: Investigación actual sobre el ejercicio en FQ

Matthew A Tucker, Augusta University, GA, EE. UU.



Tratamientos moduladores de CFTR: enfoques innovadores

- Estudio de la traducción del ARN mensajero: la síntesis del primer dominio transmembrana de CFTR (TMD1) es más lenta que la de los demás dominios. La traducción del ARN mutado F508delCFTR no posee un perfil diferente de la proteína no mutada y el corrector C18, un análogo de VX-809, no modifica sustancialmente este perfil.
- Inhibición de la ubiquitinación: reacción enzimática en cadena que permite dirigir la degradación mediante el proteasoma de las proteínas que presentan un defecto de plegado, como la proteína CFTR portadora de la mutación F508del (F508del-CFTR).
- Descripción de la proteína CFTR en su forma activa, fosforilada, en criomicroscopía electrónica: la desfosforilación, y con ello la inactivación, de la proteína por fosfatasa cierra este vestíbulo y contiene el dominio R regulador en el interior del mismo a la altura de la membrana. Estos datos importantes permiten dirigirse mejor a los lugares de las moléculas con el fin de estabilizar la estructura.
- Estudio de la actividad de CFTR en el conducto de las glándulas sudoríparas muestreadas en los pacientes: Permite comprender las variaciones de la prueba del sudor en pacientes tratados mediante los moduladores de CFTR.



La estimulación colinérgica modifica las propiedades de la mucosidad

La fibrosis quística (FQ) se caracteriza por una mucosidad anómalamente viscosa que se acumula en las vías respiratorias. La estimulación por CCh produce una disminución de la velocidad del transporte de la mucosidad a pesar del aumento del transporte de fluido observado en las células no mutadas y FQ, mientras que la combinación CCh/PGE2 estimula el transporte de mucosidad. Se confirma que las anomalías de aclaramiento mucociliar en la FQ no se deben únicamente a la deshidratación de dicha mucosidad, sino también a anomalías de la constitución del moco.



¿Son útiles los probióticos?

Se había indicado que el consumo de probióticos modula la inflamación bronquial relacionada con la alergia y reduce los agravamientos bronquiales en la fibrosis quística. Sin embargo, dos nuevos estudios prospectivos en doble ciego y en *cross-over*, uno con *Lactobacillus GG* y el otro con *Lactobacillus GG* y *Rhamnosus* y *Bifidobacterium animalis*, no confirman estos datos.

El interés de los probióticos parece evidente, aunque se necesitan más estudios para precisar el lugar que ocupan, sus tipos y la mejor población diana (niños, adultos).