



TRANSFORMANDO EL CURSO DE LA FIBROSIS QUÍSTICA

Experiencia colombiana con Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor a 2 años

C. Vaquez Sagra^{1,2}, M. Higuera Carrillo^{3,4}, J. De la Hoz-Valle^{5,6}, L. Varón Portela², B. Rios¹, M. Gantivar¹, F. Bermejo¹
¹Hospital Infantil Universitario San José, Bogotá, Colombia, ²Fundación Universitaria Ciencias de la Salud, Bogotá, Colombia, ³Universidad Nacional de Colombia, Pediatría, Bogotá, Colombia, ⁴Universidad El Bosque, Bogotá, Colombia, ⁵Fundación Santa Fe de Bogotá, Bogotá, Colombia, ⁶Universidad de Los Andes, Bogotá Colombia, Colombia

INTRODUCCIÓN

La fibrosis quística es una enfermedad genética que afecta principalmente la función pulmonar y el estado nutricional. La terapia con Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, ha demostrado mejorar desenlaces clínicos. Existe limitada evidencia en vida real a largo plazo en América Latina

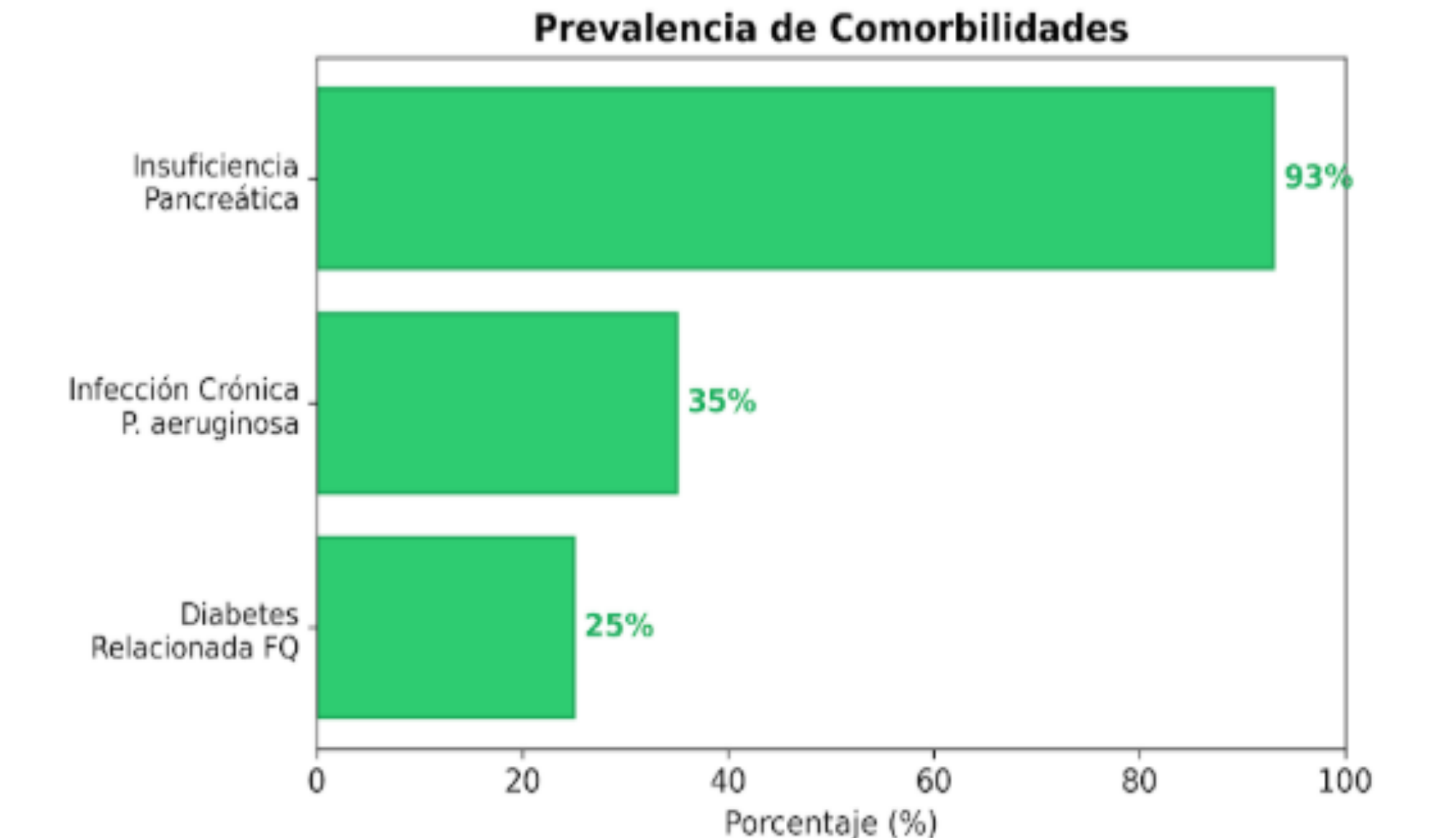
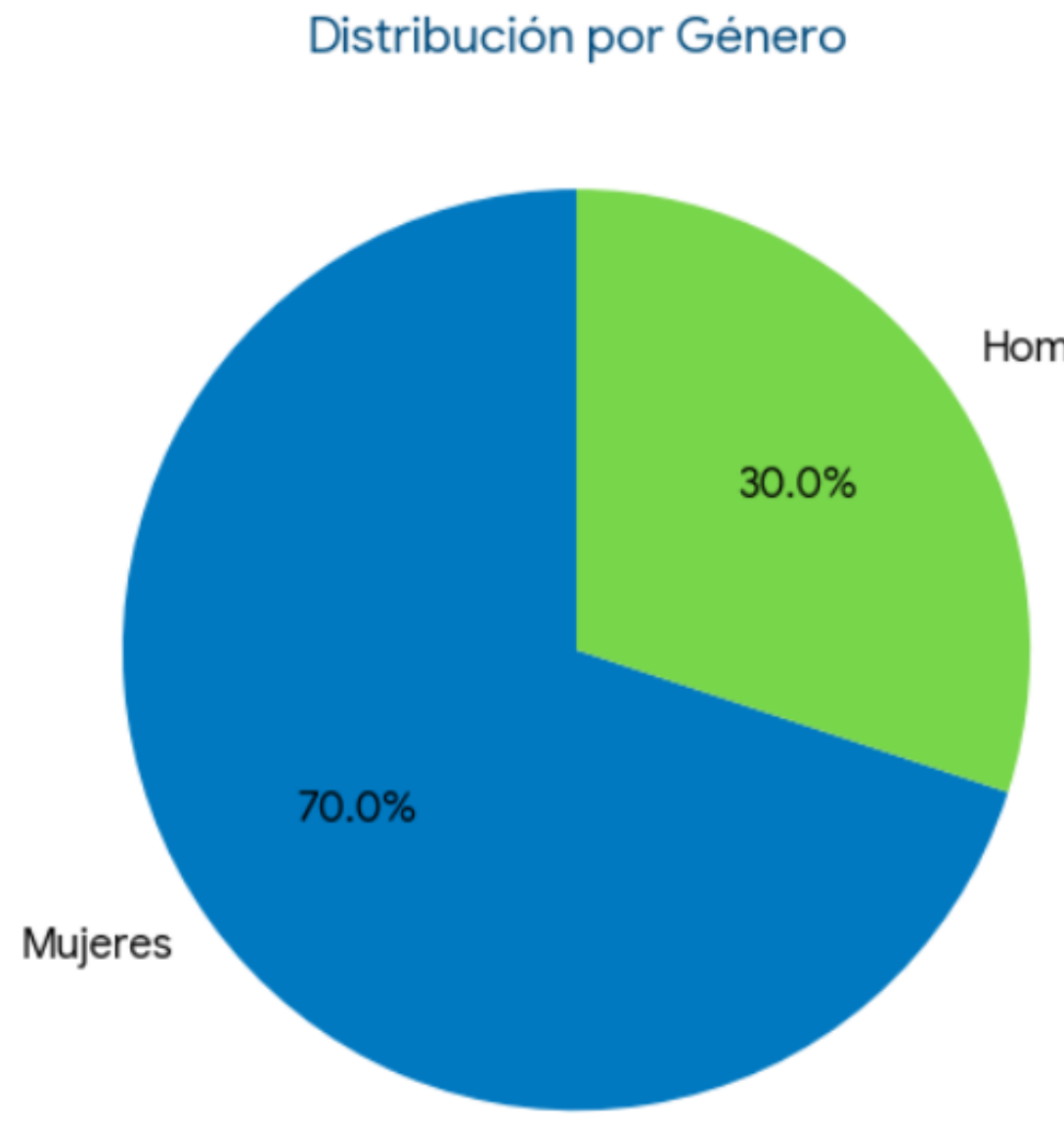
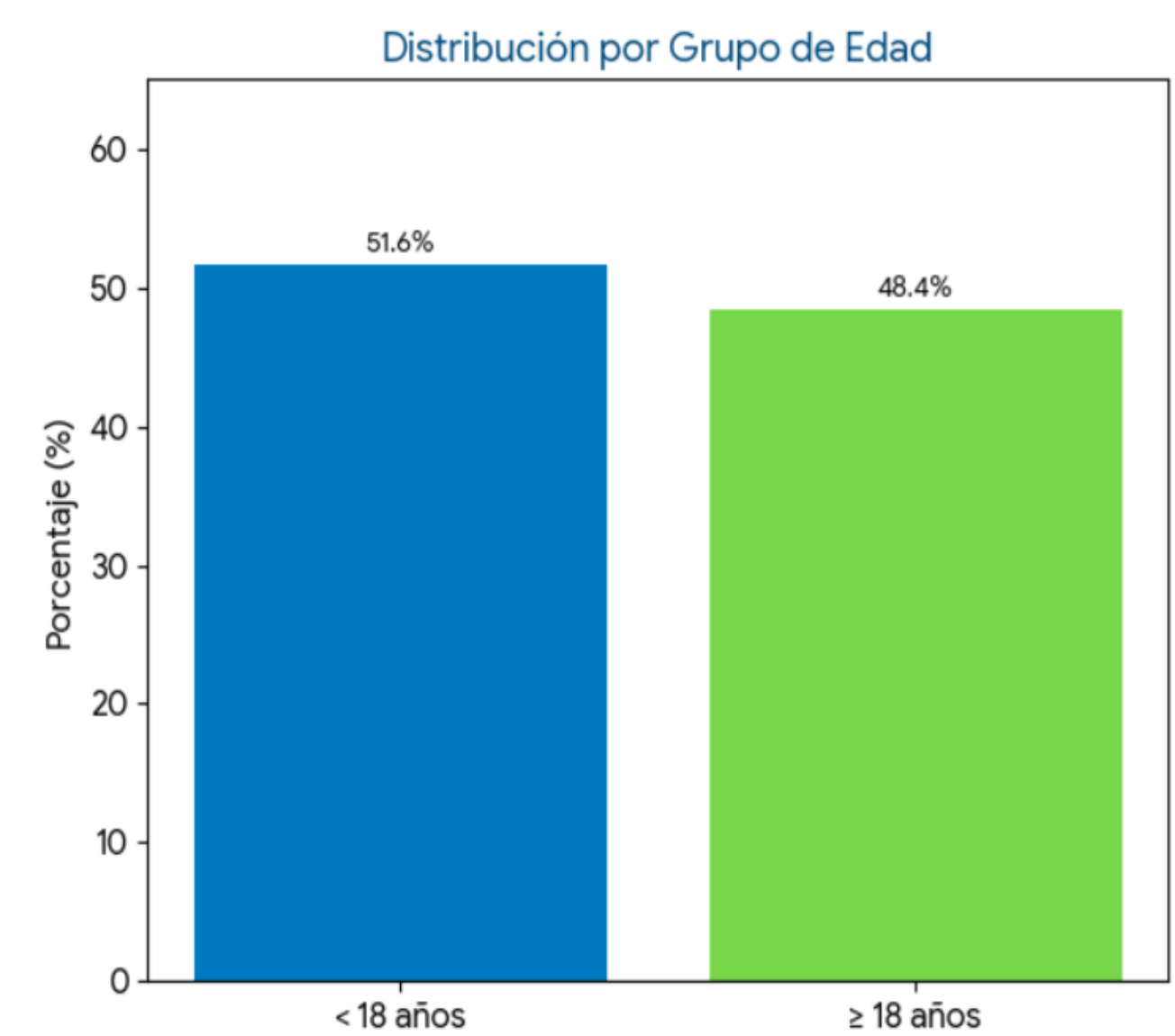
OBJETIVO

Evaluar la efectividad y seguridad a 24 meses del tratamiento con elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, en una cohorte de pacientes con Fibrosis quística seguidos en el programa Integral de FQ en el Hospital Infantil Universitario de San José. Bogotá - Colombia.

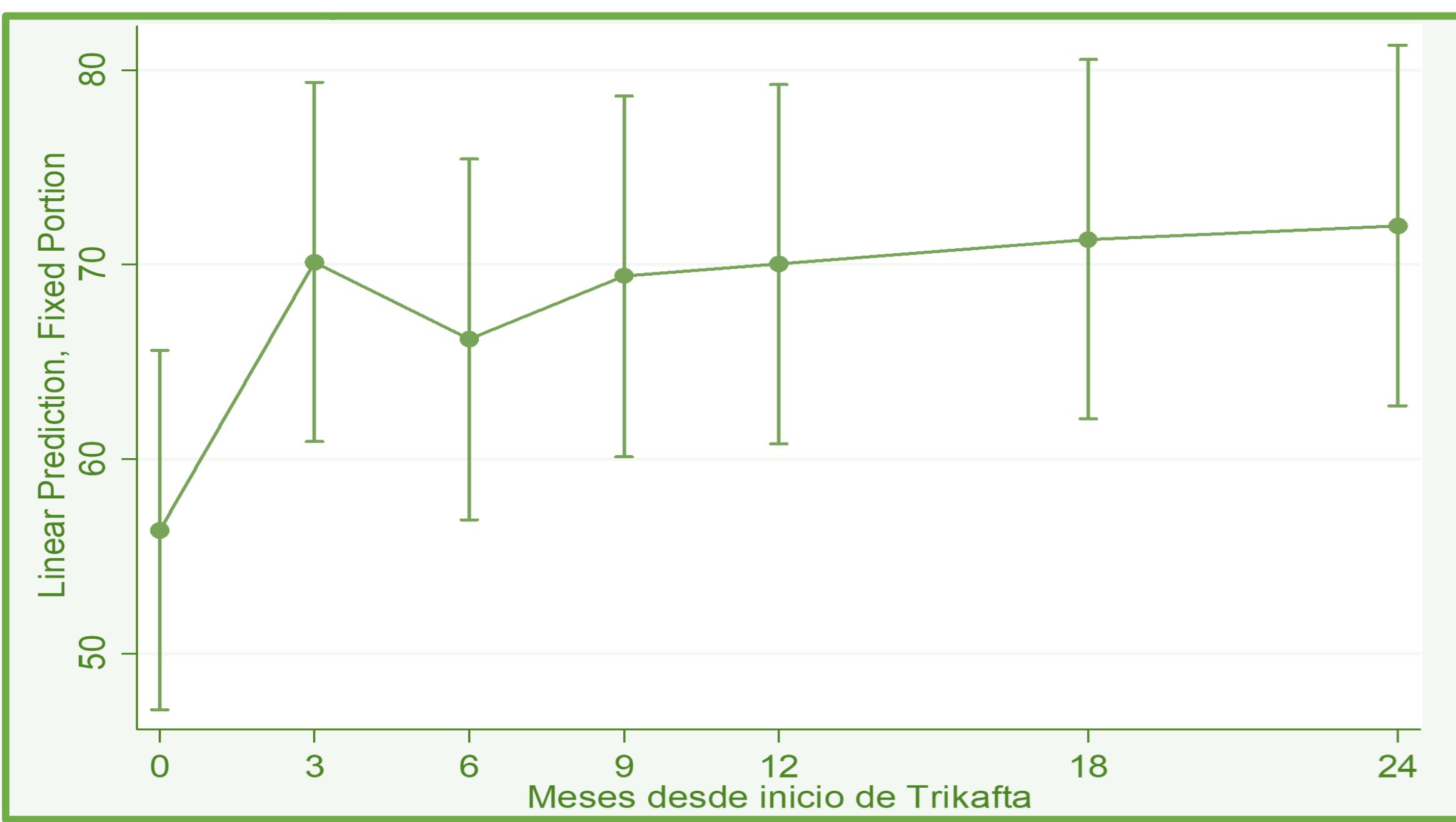
METODOLOGÍA

Diseño: Estudio longitudinal
 Población: N = 31 pacientes
 Seguimiento: 24 meses
 Trimestral: función pulmonar, antropometría
 IMC y dinamometría
 Semestral: función hepática
 Análisis: Los cambios longitudinales se analizaron mediante modelos de efectos mixtos.

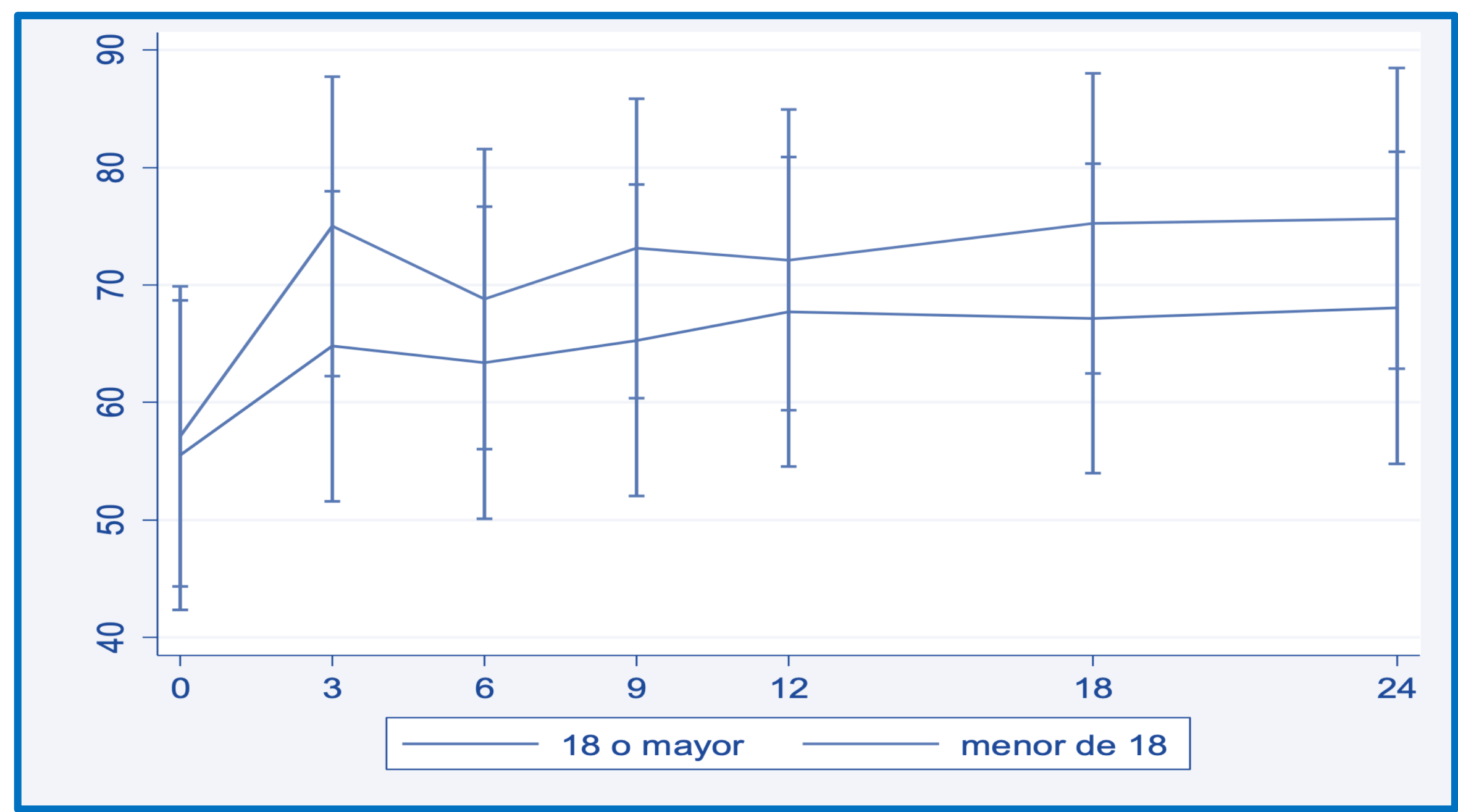
Total: 31 pacientes con ETI seguidos a 2 años, Edad media al inicio del tratamiento de 16,6 +/- 7,5 años



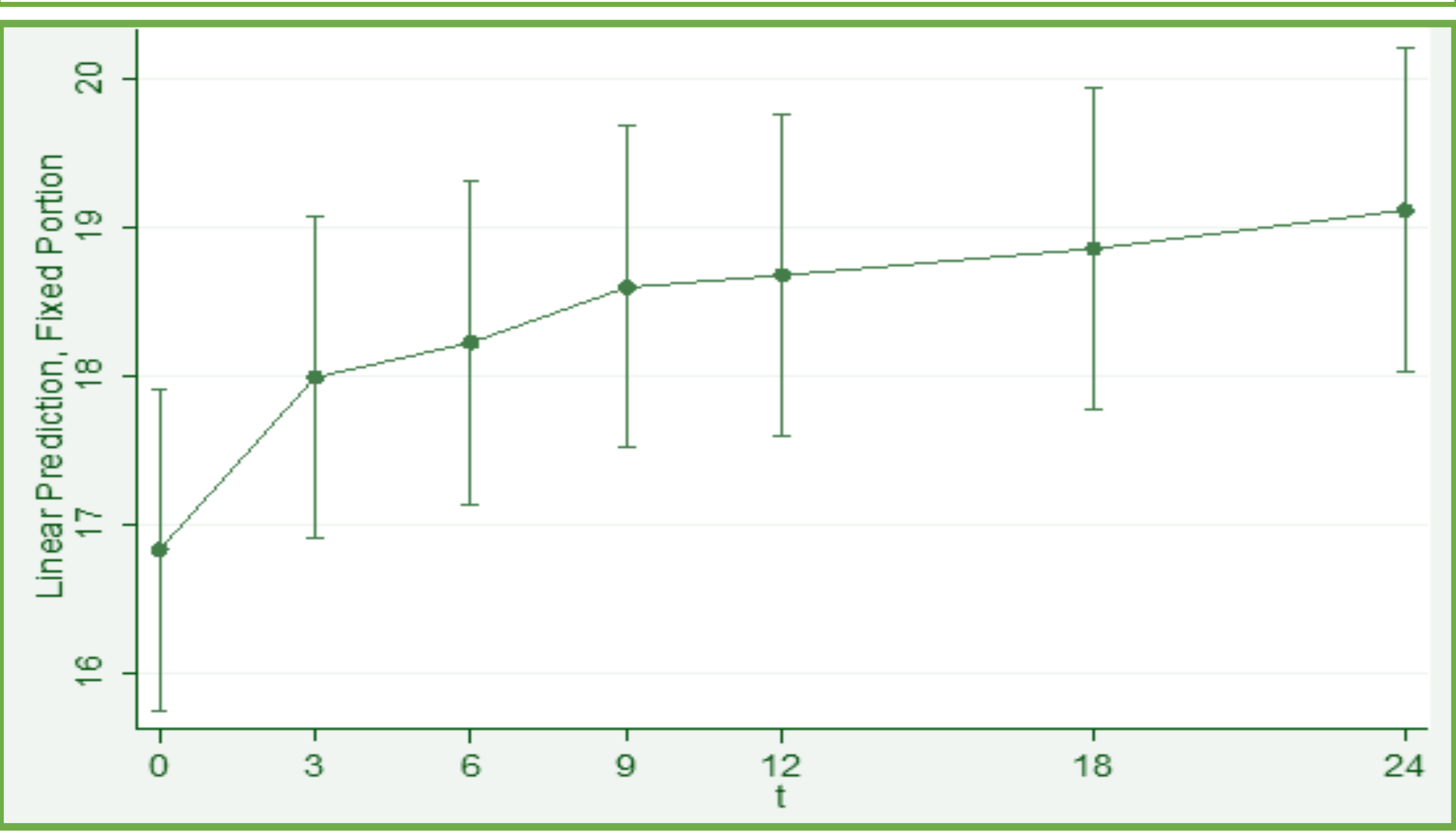
RESULTADOS



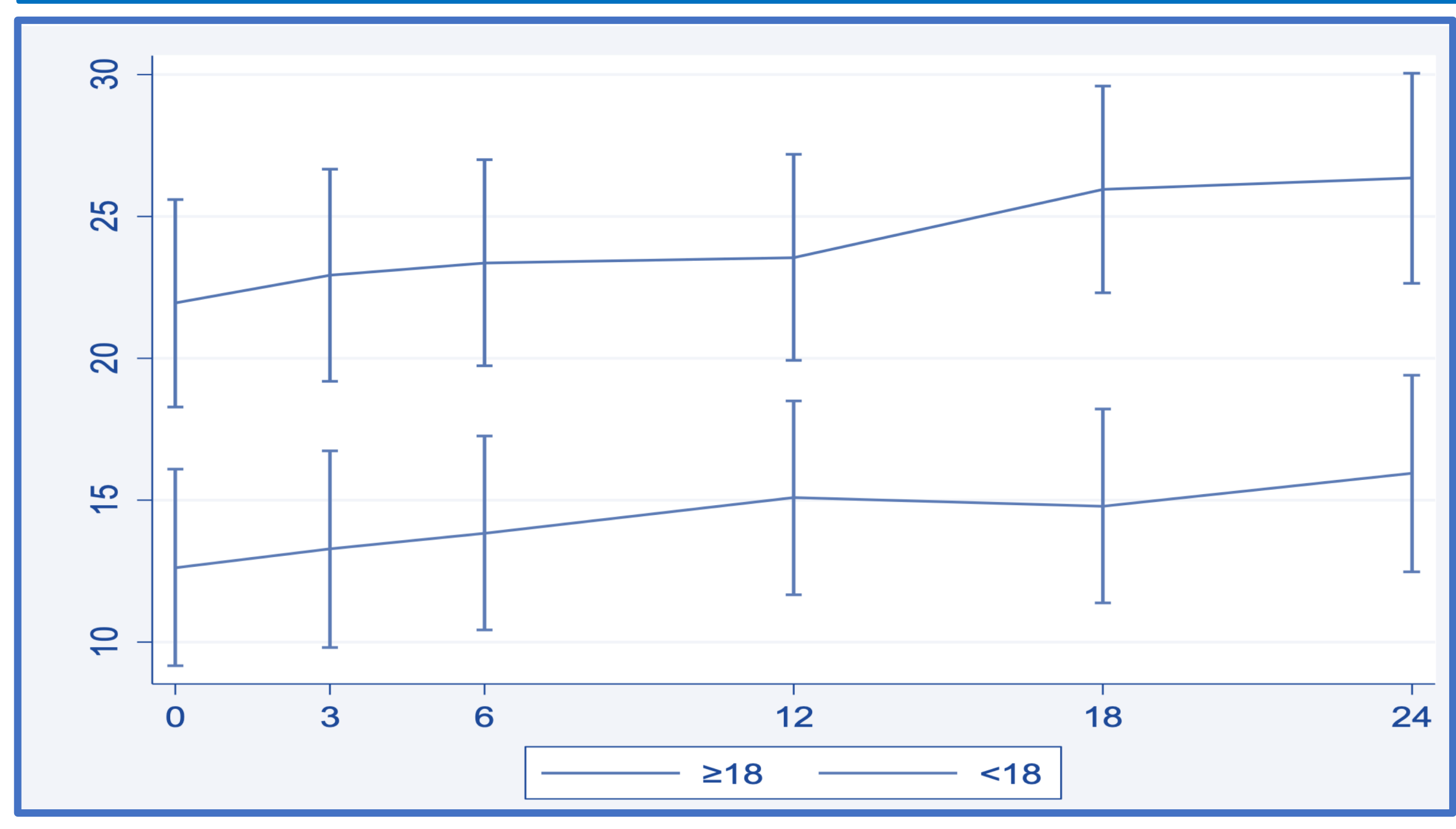
Gráfica 1: Función pulmonar (ppVEF1) en 24 meses
 Mediana de ppFEV₁ cambió del 51% (RIC 37–76) a 70% (RIC 54–93): +15,7 puntos porcentuales IC 95%: 11,8–19,5; p<0,001



Gráfica 2: Función pulmonar (ppVEF1) a través de los 24 meses de seguimiento por edad



Gráfica 3: IMC a través del seguimiento de 24 meses
 +2,28; IC 95%: 1,79–2,77; p<0,001



Gráfica 4: Dinamometría (Kg) a través de los 24 meses de seguimiento por edad
 +3,83; IC 95%: 2,20–5,46; p<0,001

Variable	Basal	24 meses	Cambio (β)	IC 95%	p valor
AST (U/L)	26.1	29.0	+2.88	-1.48 a 7.24	0.405
ALT (U/L)	25.5	28.6	+2.99	-10.95 a 16.93	0.559
Bilirrubina indirecta (mg/dL)	0.25	0.40	+0.13	0.04 a 0.23	0.000
Bilirrubina directa (mg/dL)	0.21	0.25	+0.03	-0.00 a 0.07	0.070
Bilirrubina total (mg/dL)	0.45	0.64	+0.17	0.06 a 2.85	0.000
Vitamina D (ng/mL)	28.2	27.5	+0.48	-3.05 a 4.01	0.957
Fuerza de prensión (kg)	17.5	21.0	+3.83	2.20 a 5.46	0.000

* Valor p para el efecto longitudinal global del tiempo, obtenido a partir de un modelo lineal de efectos mixtos
 Las enzimas hepáticas permanecieron estables, con aumentos leves de bilirrubina sin relevancia clínica.

Se demostraron mejoras sostenidas a 2 años en el VEF1 (mayor en < 18 años), el estado nutricional y la fuerza muscular evaluada por dinamometría (Gráficas 1–4). Estos resultados son consistentes con estudios internacionales, pese a las dificultades de acceso (intermitencia en la entrega). Destaca el incremento en la fuerza muscular, que sugiere mayor masa muscular magra, no evaluada en los estudios pivotaes. Se demostró la seguridad del ETI en relación con las pruebas de función hepática. Los niveles de vitamina D no presentaron variaciones.

CONCLUSIONES

- La terapia mejora de forma sostenida múltiples desenlaces clínicos.
- Presenta un perfil de seguridad adecuado en condiciones de vida real.
- Refuerza la necesidad de acceso oportuno a terapias modificadoras de la enfermedad.

Referencias:
 Daines CL, et al. Long-Term Safety and Efficacy of Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor in Adults and Adolescents with Cystic Fibrosis and at Least One F508del Allele: A Phase 3 Open-Label Extension Study. Am J Respir Crit Care Med. 2025 Oct;211(10):1901-1914.
 Caterini JE, et al. Exercise intolerance in cystic fibrosis—the role of CFTR modulator therapies. J Cyst Fibros. 2022 Mar;21(2):282-292.



CONTACTO:
 Catavas77@gmail.com

“Todos los pacientes con fibrosis quística deben tener acceso oportuno y equitativo a terapias modificadoras de la enfermedad y atención multidisciplinaria”