



CONGRESO DE LOS DIPUTADOS
SECRETARÍA GENERAL
REGISTRO GENERAL

08 SEP. 2022 11:55:27

Entrada **231701**

PREGUNTA ESCRITA AL GOBIERNO

Competencia	Competencias de la Cámara
Subcompetencia	Control e información
Tipo Expediente	184-Pregunta al Gobierno con respuesta escrita.

Fdo.: Guillermo DÍAZ GÓMEZ
Diputado

A LA MESA DEL CONGRESO DE LOS DIPUTADOS

Guillermo Díaz Gómez, diputado del Grupo Parlamentario Ciudadanos, al amparo de lo dispuesto en el artículo 185 y siguientes del vigente Reglamento de la Cámara, presenta la siguiente pregunta para la que se solicita respuesta por escrito **sobre la estrategia de prevención y abordaje de la fibrosis quística en niños en España.**

Congreso de los Diputados, 8 de septiembre de 2022

EXPOSICIÓN DE MOTIVOS

Hoy, 8 de septiembre, se celebra el Día Mundial de la fibrosis quística, una enfermedad que afecta a más de 48.000 personas en Europa y a unas 2.500 en España. Se trata de una patología hereditaria que, por la alteración de un gen, provoca la generación de fluidos espesos que pueden llegar a provocar la congestión de los pulmones o el mal funcionamiento de órganos como el páncreas, impidiéndole realizar su función de absorción de nutrientes. Esto supone que la vida y la autonomía de las personas que la padecen se vean claramente afectadas, reduciendo su capacidad de desempeñarse libremente en el día a día.

En los últimos años se han alcanzado numerosos avances en torno a la fibrosis quística, gracias principalmente a los pacientes y sus familias, a los profesionales, las sociedades científicas y la industria farmacéutica. De hecho, el tratamiento temprano para esta patología puede aliviar los síntomas, pero también reduce las complicaciones asociadas, lo que permite mejorar precisamente esa libertad y autonomía que los individuos que la sufren pueden disfrutar. Desde octubre de 2021, los mayores de 12 años pueden acceder al Kaftrio, una de las opciones más vanguardistas a la hora de tratar la fibrosis quística. Asimismo, desde el pasado mes de mayo, los pacientes pediátricos de entre seis y 11 años también pueden beneficiarse de él, aunque con limitaciones en lo referente a condiciones de administración y dosis.

Pese a la buena noticia que supone ese acceso, las limitaciones impuestas para estos pacientes pediátricos hace que sea imposible para muchas familias acceder de forma segura y en condiciones de equidad al tratamiento que puede mejorar la vida de sus hijos. La restricción no permite la adecuada administración del fármaco a pacientes con un peso inferior a 30 kilogramos (kg) o, lo que es lo mismo, a una gran mayoría de estos pacientes pediátricos. Además, es muy normal que sea necesario ajustar las dosis del tratamiento a lo largo del proceso, pero las restricciones afectan a la disponibilidad de las dosis más bajas, lo que hace aumentar el riesgo de una mala administración de este fármaco.

En definitiva, es necesario abordar esta problemática que pone obstáculos en el camino de los pacientes pediátricos y de sus familias a la hora de abordar su fibrosis

quística de forma más compatible con su libertad y autonomía. La fibrosis quística es un ejemplo de cómo el acceso a nuevos tratamientos no siempre soluciona la problemática que enfrentan los pacientes de enfermedades raras como esta, puesto que los detalles que se imponen a la hora de administrar estos tratamientos en nuestro país en muchas ocasiones acaban por limitar el acceso de los pacientes a estas soluciones, perjudicando sus perspectivas de mejora y de convivencia con su enfermedad. De hecho, tanto la Asociación Española de Fibrosis Quística como la Sociedad Científica de Fibrosis Quística han denunciado esta situación y han reclamado acciones para facilitar el acceso de los niños que sufren fibrosis quística a este tratamiento.

Por todo ello, y con motivo del Día Mundial de la Fibrosis Quística, se presentan las siguientes preguntas:

1. ¿Qué medidas tiene previsto el Gobierno poner en marcha para facilitar el acceso de los pacientes pediátricos de fibrosis quística a los tratamientos con Kaftrio?
2. ¿Tiene previsto el Gobierno abordar las restricciones que, actualmente, impiden que pacientes pediátricos de menos de 30 kg puedan beneficiarse de un fármaco aprobado ya para su uso de forma segura?
3. ¿Qué acciones prevé el Gobierno para abordar la necesidad terapéutica de estos pacientes, dadas las restricciones que les impiden el acceso a Kaftrio?
4. ¿Llevará a cabo el Gobierno las modificaciones necesarias en las restricciones impuestas al uso de Kaftrio para pacientes pediátricos, tal y como demandan la Asociación Española de Fibrosis Quística y la Sociedad Científica de Fibrosis Quística?
5. ¿Qué acciones está propiciando el Gobierno para facilitar e impulsar la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos para el abordaje de la fibrosis quística en niños en nuestro país?

Guillermo Díaz Gómez
Diputado del Grupo Parlamentario Ciudadanos