



16. november 2020

SPOROČILO ZA JAVNOST

V tem tednu poteka 12. evropski teden osveščenosti o cistični fibrozi, redki in hudi kronični bolezni, ki prizadene najbolj pljuča in prebavila, pa tudi druge organske sisteme. Glavni vzrok obolevanja in umrljivosti je bolezen pljuč. Ob hudo napredovani cistični fibrozi je edina možnost preživetja obojestranska presaditev pljuč, ki jo sedaj opravljajo v Sloveniji, avgusta letos pa so prvič presadili pljuča tudi otroku s cistično fibrozo.

Vsak 30. Evropejec je prenašalec gena, ki povzroča cistično fibrozo. V Evropi je preko 40.000 otrok in mladih odraslih s cistično fibrozo, v Sloveniji pa živi okoli 110 bolnikov s to boleznijo.

Cistična fibroza nastane zaradi mutacij v genu CFTR (*cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*), ki tvori beljakovino, ta pa sodeluje pri uravnavanju proizvodnje sluzi in prebavnih sokov. Mutacije zmanjšajo količino beljakovine na celični površini ali vplivajo na delovanje beljakovin.

Učinkovite metode za zdravljenje cistične fibroze so zdravila, ki delujejo na beljakovino CFTR. Dolgoletne raziskave so v zadnjih letih obrodile sadove. Sedaj tudi naši bolniki prejemajo zdravilo, ki jim je, kot pravijo sami, spremenilo kvaliteto življenja na bolje. Prva zdravila so začeli jemati v letošnjem letu (maja Orkambi, avgusta Trikafto).

Novo zdravilo Trikafta (trženo v ZDA) vsebuje tri učinkovine in se uporablja za zdravljenje cistične fibroze pri bolnikih starih 12 let ali več, ki imajo vsaj eno mutacijo F508del. V letu 2017 je bilo v Sloveniji takšnih bolnikov 88%, vendar to zdravilo trenutno ni namenjeno mlajšim od 12 let in tistim, ki imajo presajena pljuča. Od 16. novembra 2020 je mogoče zdravilo Kaftrio (trženo v Evropi) s trojno učinkovino, v kombinaciji z zdravilom Kalydeco predpisati in izdati na recept zdravnika specialista ustreznega področja medicine tudi v Sloveniji. Vsa ta zdravila so v celoti krita iz obveznega zdravstvenega zavarovanja.

Na strokovnem posvetu, ki bo potekal v petek, **20. novembra 2020** z začetkom ob **17. uri** preko **spletne videokonference**, bodo strokovnjaki predstavili priročnik Presaditev pljuč in posebej kirurgijo presaditve pljuč, ki jo od septembra 2018 opravljajo v UKC Ljubljana, financiranje zdravljenja za redke bolezni ter zdravljenje z zdravilom Kaftrio in Kalydeco. Na koncu bodo predstavljene osebne izkušnje oseb, ki se zdravijo z zdravilom Trikafta.