



El 5 de octubre se celebra el Día de Concienciación sobre este trastorno hepático ultrarraro

Ipsen, Albi España y FNETH lanzan una nueva edición de la iniciativa 'Compromiso PFIC. Una vida. Un futuro' para visibilizar la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC)

- » *La campaña, que se desarrolla en los hospitales universitarios de Vall d'Hebron (Barcelona), la Fe (Valencia) y Reina Sofía (Córdoba), busca concienciar a la población sobre esta enfermedad hepática ultrarrara y apoyar a los pacientes y a sus familiares.*
- » *La PFIC es un grupo heterogéneo y poco frecuente de trastornos hepáticos que afecta a entre 3 y 7 niños al año en España. Esta enfermedad suele manifestarse en niños pequeños, cuando es más agresiva, aunque puede presentarse a cualquier edad.*
- » *Uno de los síntomas que caracterizan la enfermedad es un picor insoportable (o prurito). Puede llegar a ser tan intenso que se traduce en heridas graves en la piel, insomnio, irritabilidad, falta de atención y mal rendimiento escolar.*

Barcelona, 3 de octubre de 2024: Ipsen, compañía biofarmacéutica global centrada en innovación y atención especializada, en colaboración con la Asociación para la lucha contra las enfermedades biliares inflamatorias (Albi España) y la Federación Nacional de Enfermos y Trasplantados Hepáticos (FNETH), ha lanzado una nueva edición de la campaña *Compromiso PFIC. Una vida. Un futuro*, con el objetivo de sensibilizar y concienciar a la sociedad sobre la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC, según sus siglas en inglés), una enfermedad hepática ultrarrara que afecta generalmente a los lactantes y a los niños pequeños.

Esta iniciativa se desarrolla en los hospitales universitarios de Vall d'Hebron (Barcelona), La Fe (Valencia) y Reina Sofía (Córdoba), algunos de los centros en España que cuentan con unidad de referencia en trastornos hepáticos como la PFIC. La campaña busca tanto concienciar sobre la enfermedad como generar apoyo social a través de una iniciativa interactiva. En esta edición, se invita a unirse a todo el que lo desee compartiendo sus sueños a través de las redes sociales. "Su ilusión es ser bombero. La nuestra, ayudarle a hacerlo realidad. ¿Y la tuya?", recoge una ilustración de la campaña, que anima a los participantes a dibujar sus sueños y compartirlos en las redes sociales con el hashtag [#CompromisoPFIC](#). Esta campaña se enmarca en la celebración del Día de Concienciación de la enfermedad que se celebra el 5 de octubre.

"La PFIC es un grupo de enfermedades genéticas que afectan a la formación y secreción de bilis, lo que lleva a una acumulación de ácidos biliares tóxicos en el hígado. Esta acumulación provoca daño hepático progresivo, que puede derivar en cirrosis y fallo hepático", explica la doctora Ruth García Romero, gastroenteróloga pediátrica del Hospital Universitario Miguel Servet, de Zaragoza. Esta enfermedad ultrarrara afecta por igual a ambos sexos y se estima que entre 3 y 7 niños cada año en España. Se produce en 1 por 50.000 a 1 por 100.000 nacimientos, si bien su prevalencia exacta se desconoce¹.

"Es una enfermedad devastadora", afirma Eva Bech, presidenta de la Federación Nacional de Enfermos y Trasplantados Hepáticos (FNETH). "La celebración del Día Mundial y la puesta en marcha de iniciativas como esta es importante para que se conozca la enfermedad y para que el diagnóstico no se llegue a demorar años, como está ocurriendo. En España no son muchos los profesionales que realmente conocen la enfermedad y pocas las unidades de referencia, lo que explicaría este retraso en el diagnóstico y en el acceso a los posibles tratamientos", añade Eva Bech.

Una visión que comparte Elena Arcega, presidenta de la Asociación para la lucha contra las enfermedades biliares inflamatorias (Albi España), quien apunta que "el prurito es uno de los factores

que hacen de la PFIC una enfermedad que impacta terriblemente en la calidad de vida de los pacientes, generalmente niños, y de sus familiares. El picor es tan intenso que dificulta llevar con normalidad la vida diaria. Afecta al descanso de los niños y eso también repercute en otros aspectos de la vida como el rendimiento escolar o disfrutar de la infancia”.

Por su parte, Aurora Berra, directora general de Ipsen Iberia, señala que “es un orgullo ir de la mano de FNETH y ALBI en iniciativas que contribuyen a visibilizar enfermedades minoritarias. Si con campañas como esta podemos contribuir a ampliar el conocimiento sobre la PFIC y a mejorar su diagnóstico temprano, estoy convencida de que conseguiremos mejorar la calidad de vida de los pacientes que padecen esta enfermedad tan debilitante”.

El diagnóstico temprano es fundamental para facilitar el acceso al tratamiento adecuado

La PFIC puede clasificarse en varios subtipos según el defecto genético. Los tres subtipos principales son PFIC de tipo 1 (PFIC 1), tipo 2 (PFIC 2) y tipo 3 (PFIC 3). Hasta el 80 % de los pacientes con PFIC presentan prurito calificado como intenso, asociado a excoriaciones, lesiones graves de la piel, hemorragias o cicatrización¹. El prurito es la principal causa de trasplante de hígado en los pacientes con PFIC; de hecho, el 58 % de los pacientes con PFIC 1 y 2 son trasplantados por este motivo.

El diagnóstico puede ser un proceso prolongado, si bien la presencia de síntomas como el prurito, o de otros como la ictericia y retraso del crecimiento del niño deben levantar sospechas sobre la enfermedad. Si no se diagnostica de manera temprana y se aplica el tratamiento adecuado, la enfermedad puede cursar hacia una enfermedad hepática que requiera de un trasplante de hígado. De hecho, el diagnóstico puede producirse en edades adultas si los síntomas durante la infancia han sido leves.

Una vez establecido el diagnóstico, se pueden plantear opciones de tratamiento quirúrgicas y no quirúrgicas. Los padres o cuidadores y los especialistas en hepatología deben determinar juntos la mejor estrategia de tratamiento. De hecho, muy pocos pacientes sobreviven más allá de los 20 años sin tratamiento o sin trasplante hepático^{1,2}.

“Los inhibidores del transportador de ácidos biliares ileales (IBAT) han surgido como una alternativa terapéutica prometedora. Estos medicamentos no solo reducen los niveles de ácidos biliares en la sangre, sino que también mejoran significativamente los síntomas, como el prurito intenso, y aumentan la calidad de vida de los pacientes, particularmente al mejorar el sueño y reducir la necesidad de trasplante. Con los IBATs, estamos entrando en una nueva era que podría modificar el curso de esta enfermedad rara y ofrecer una alternativa prometedora”, explica Ruth García Romero, gastroenteróloga pediátrica del Hospital Universitario Miguel Servet, de Zaragoza.

Referencias

1. Davit-Spraul A, et al. 2009. Progressive familial intrahepatic cholestasis. *Orphanet J Rare Dis.* 4(1):1-12.
2. Jones-Hughes T, et al. 2021. Epidemiology and burden of progressive familial intrahepatic cholestasis: a systematic review. *Orphanet J Rare Dis.* 16(1):255.

Sobre Ipsen

Somos una empresa biofarmacéutica global centrada en ofrecer fármacos transformadores para los pacientes en tres áreas terapéuticas: oncología, enfermedades raras y neurociencias.

Nuestra cartera de productos está impulsada por la innovación externa y respaldada por casi 100 años de experiencia en desarrollo y por nuestros centros de EE. UU., Francia y Reino Unido. Nuestros equipos, presentes en más de 40 países, y nuestras alianzas a lo largo del mundo nos permiten llevar medicamentos a los pacientes en más de 100 países.



Ipsen cotiza en París (Euronext: IPN) y en EE. UU. a través del *American Depositary Receipt Program* patrocinado de nivel 1 (ADR: IPSEY). Para obtener más información, visite ipsen.com.

Ipsen Pharma España se encuentra ubicada en Hospitalet de Llobregat (Barcelona). En España, la compañía dispone de un sólido porfolio en oncología (riñón, próstata, tiroides y tumores neuroendocrinos), enfermedades raras (acromegalia, colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) y trastornos del crecimiento) y neurociencias (trastornos del movimiento). Para más información, visite ipsen.com/Spain

Sobre FNETH

La Federación Nacional de Enfermos y Trasplantados Hepáticos (FNETH) es una Organización no Gubernamental que desde 2004 trabaja para dar apoyo al colectivo de pacientes del hígado y trasplantados/as y lograr una sociedad sensible, consciente e informada sobre la donación de órganos y enfermedades que conducen al trasplante hepático. FNETH está integrada por 24 asociaciones de pacientes de todo el territorio nacional, y a su vez forma parte de COCEMFE, ELPA, AEHVE, POP, WHA, ILCM, ESOT, Inidress y el Observatorio de la Hepatitis C.

Para más información

Ipsen

Loreto González | +34 93 685 81 00
Email: comunicacion.es@ipsen.com

Duomo Comunicación

Borja Gómez | + 34 91 311 92 90 / 650 40 22 25
Email: borja_gomez@duomocomunicacion.com

Federación Nacional de Enfermos y Trasplantados Hepáticos (FNETH)

Moisés Serrano | 917 396 872/662 234 393
Email: comunicacion@fneth.org