



PUT KROZ TERAPIJU CFTR MODULATORA - (NE)OČEKIVANI REZULTATI

ODOBAŠIĆ PALKOVIĆ T.¹, Lalić Čičković I.¹, Barišić I.¹

¹ Klinika za plućne bolesti Jordanovac, Zagreb, Croatia
Zavod za respiracijske infekcije

Objective:

Cistična fibroza (CF, od engl. *cystic fibrosis*) je multisistemska nasljedna bolest uzrokovana mutacijom transmembranskog regulatora provodljivosti gena (CFTR, od eng. *cystic fibrosis transmembrane regulator*) koji je lociran na dugom kraku 7. kromosoma i nadzire stvaranje bjelančevine koja služi kao kanal za prijenos klora i drugih iona kroz staničnu membranu. Iako se radi o neizlječivoj bolesti koja zahvaća gotovo sve egzokrine žlijezde, nalazimo se na putu novijih terapijskih mogućnosti s naglaskom na CFTR modulatore, koji su postali dio standardnog liječenja u mnogim zemljama, pa tako i u Hrvatskoj. Modulatori su male molekule koje obnavljaju ekspresiju i funkciju kloridnog kanala djelujući izravno na procese stvaranja, oblikovanja ili stabilnost mutirane CFTR bjelančevine. Učinkoviti CFTR modulatori modificiraju tijek bolesti i donose značajan pomak u kvaliteti i trajanju života bolesnika s CF.

U Centru za cističnu fibrozu djece i odraslih, KBC Zagreb s uvođenjem terapije CFTR modulatora započelo se u studenom 2021. god. Trenutno je 51 bolesnik u dobi od 18 do 38 godina koji je



na trojnoj terapiji - eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor, a svi se liječe kroz adultni CF Centar, Klinike za plućne bolesti Jordanovac. Prikazom slučaja bolesnika A.Š. dokazuju se pozitivni učinci lijeka u odnosu na razdoblje prije uvođenja modulatorne terapije. Kod bolesnika koji je na terapiji - eleksakaftor/tezakaftor/ivakaftor unazad 18 mjeseci, primijećeno je značajno poboljšanje plućne funkcije, manje plućnih egzacerbacija te samim time manje hospitalizacija, uz poboljšanje uhranjenosti (mišićne mase) i najvažnije za bolesnika, kvaliteta života. Ovakvi slučajevi naglašavaju važnost individualiziranog pristupa liječenju i veliki angažman svih zdravstvenih profesionalaca tima.

CFTR modulatori uistinu su obećavajući terapijski iskorak koji je u potpunosti promijenio sliku cistične fibroze te očekivanja kako bolesnika, tako njihovih obitelji i zdravstvenih stručnjaka. Iako i dalje moramo naglašavati da nisu zamjena za dosadašnje kronično liječenje, svjedočimo velikoj prekretnici u liječenju bolesnika s cističnom fibrozom. Pred multidisciplinarnim timom Centra za cističnu fibrozu djece i odraslih, KBC Zagreb slijede veliki izazovi koji uključuju pitanje dugoročne djelotvornost lijeka, njegove posljedice te daljnja adherentnost bolesnika.