



AERYOH CELEBRA LA FINANCIACIÓN DE LA INNOVACIÓN PARA TRATAR ESTA ENFERMEDAD RARA

Las niñas y niños con XLH ya tienen acceso al fármaco innovador que palia sus síntomas

- El Ministerio de Sanidad ha aprobado la financiación del primer fármaco biológico que restaura los niveles de fosfato en la sangre y mejora los síntomas de este tipo de raquitismo

Madrid, 2 de febrero de 2021.- Uno de los principales problemas que enfrentan las personas que conviven con una enfermedad rara es que los recursos destinados a investigación en fármacos que curen o palien los síntomas de la enfermedad son aún más limitados de lo habitual. Es por este motivo que uno de los principales caballos de batalla de las organizaciones de pacientes es precisamente **poner en valor las innovaciones terapéuticas y trabajar para que sean financiadas** por el Sistema Nacional de Salud, pues estas enfermedades atacan, además de a la salud de las personas, a la economía de estas familias.

Pues bien, eso es lo que ha hecho la Asociación Española de Raquitismos y Osteomalacia Heredados (AERYOH) con el fármaco Crysvida® (burosumab), **primer tratamiento biológico dirigido a la fisiopatología del raquitismo XLH** (hipofosfatemia ligada al cromosoma X).

Este fármaco es un anticuerpo monoclonal humano que está indicado para el tratamiento de la hipofosfatemia ligada al cromosoma X en niños y adolescentes de 1 a 17 años con signos radiográficos de esta enfermedad ósea y en adultos.

Por el momento este fármaco ha sido aprobado para administrarse en niños de entre 1 y 17 años de edad.

La hipofosfatemia ligada al cromosoma X (XLH) es una enfermedad que afecta a los huesos, músculos y dientes entre otros, debido a la excesiva pérdida de fósforo a través de la orina. Esta pérdida provoca una inadecuada mineralización de los huesos, entre otros síntomas. Se trata de una **enfermedad rara que afecta a aproximadamente 1 de cada 20.000 personas en España**.

Así, tras varios años trabajando y luchando para la financiación de este fármaco por parte del Ministerio de Sanidad, AERYOH puede anunciar que esto es ya una realidad desde principios de este año. **“Nos sentimos muy contentos con esta noticia**, ya que, todos los estudios han demostrado que el fármaco permite controlar los síntomas de la enfermedad de manera muy satisfactoria”, manifiesta la presidenta de AERYOH, Sonia Fernández.

Y es que el nuevo fármaco ayuda a normalizar la cantidad de fosfato en el organismo al bloquear la actividad de FGF23, restaurando los niveles de fosfato en la sangre y mejorando los síntomas de la XLH.

“Es una buena noticia para muchas familias, pues los resultados de los ensayos clínicos confirman los beneficios de este nuevo fármaco en la reducción de la gravedad del raquitismo de los pacientes pediátricos con XLH”, subraya Sonia Fernández.



Hay que recordar que las niñas y niños con raquitismos heredados han vivido en primera persona los **efectos colaterales de la pandemia de COVID-19** en pacientes crónicos. La avalancha que ha sufrido el sistema sanitario durante las distintas oleadas, las limitaciones a la movilidad y el confinamiento han provocado retiradas de tratamientos, suspensión de terapias, alteraciones del sueño y miedo al contagio. Todos estos factores han afectado negativamente a la evolución de los menores y han desembocado en un aumento del dolor debido a la escasa movilidad.

“Se cortó el acceso a este fármaco innovador para el XLH en algunas CCAA porque todos los recursos de los hospitales en cuestión iban destinados al COVID-19; las terapias asociadas (fisioterapia, rehabilitación) que tienen que recibir muchas niñas y niños asociadas se han visto también afectadas; muchos niños han tenido más dolores óseos y musculares por la falta de movilidad y el confinamiento; no poder salir a la calle también ha hecho que no puedan recibir la vitamina D del sol que es necesaria en sus tratamientos...”, describe Sonia Fernández entre las consecuencias de la pandemia.

Las alteraciones del sueño, que muchas personas han padecido, adquieren mayor importancia en estos menores en los que el sueño es un factor determinante en su tratamiento: estos pacientes necesitan activar la hormona del crecimiento para poder crecer y este mecanismo lo hace cuando dormimos.

Desde AERYOH, se insiste en la **importancia de la equidad y la igualdad en los accesos a los tratamientos y que no se olvide a estos pacientes** cuando estamos ya en plena tercera oleada.

Desde que la asociación se fundó en 2016, ha tratado de alcanzar este importante logro. Para ello, se han mantenido reuniones periódicas con los responsables del Ministerio de Sanidad y las diferentes consejerías de Sanidad. En estos encuentros, AERYOH ha trasladado las necesidades de los pacientes y la importancia de la administración de este fármaco, aportando las evidencias clínicas de mejoría de los pacientes y evidencias y datos de ensayos clínicos realizados a nivel mundial.

También se ha trabajado mucho en foros internacionales, como la Alianza Internacional de XLH, y en el terreno de la sensibilización en torno a los raquitismos, con jornadas familiares, vídeos de profesionales especialistas en este tipo de enfermedades y vídeos testimoniales de pacientes y familias que lo viven cada día.

“Desde AERYOH queremos agradecer a todas las partes implicadas que han hecho posible que hoy la asociación pueda compartir esta fantástica noticia”, concluye su presidenta.

¿Qué es AERYOH?

AERYOH es una asociación sin ánimo de lucro creada en España para unir y dar apoyo a pacientes afectados por raquitismos u osteomalacia heredados así como a sus familiares y/o cuidadores. Se fundó el 10 de octubre de 2016 para dar visibilidad a este conjunto de patologías poco frecuentes, saber de su existencia, el tratamiento de las mismas y promover la investigación para así ayudar a los afectados y a sus familiares a tener una mejor calidad de vida y un correcto y temprano diagnóstico.

La asociación pertenece a la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), a la Alianza Internacional de XLH y a la Alianza Iberoamericana de Raquitismos Heredados (AIRHE).