



# IMPULSADOS POR UN SUEÑO

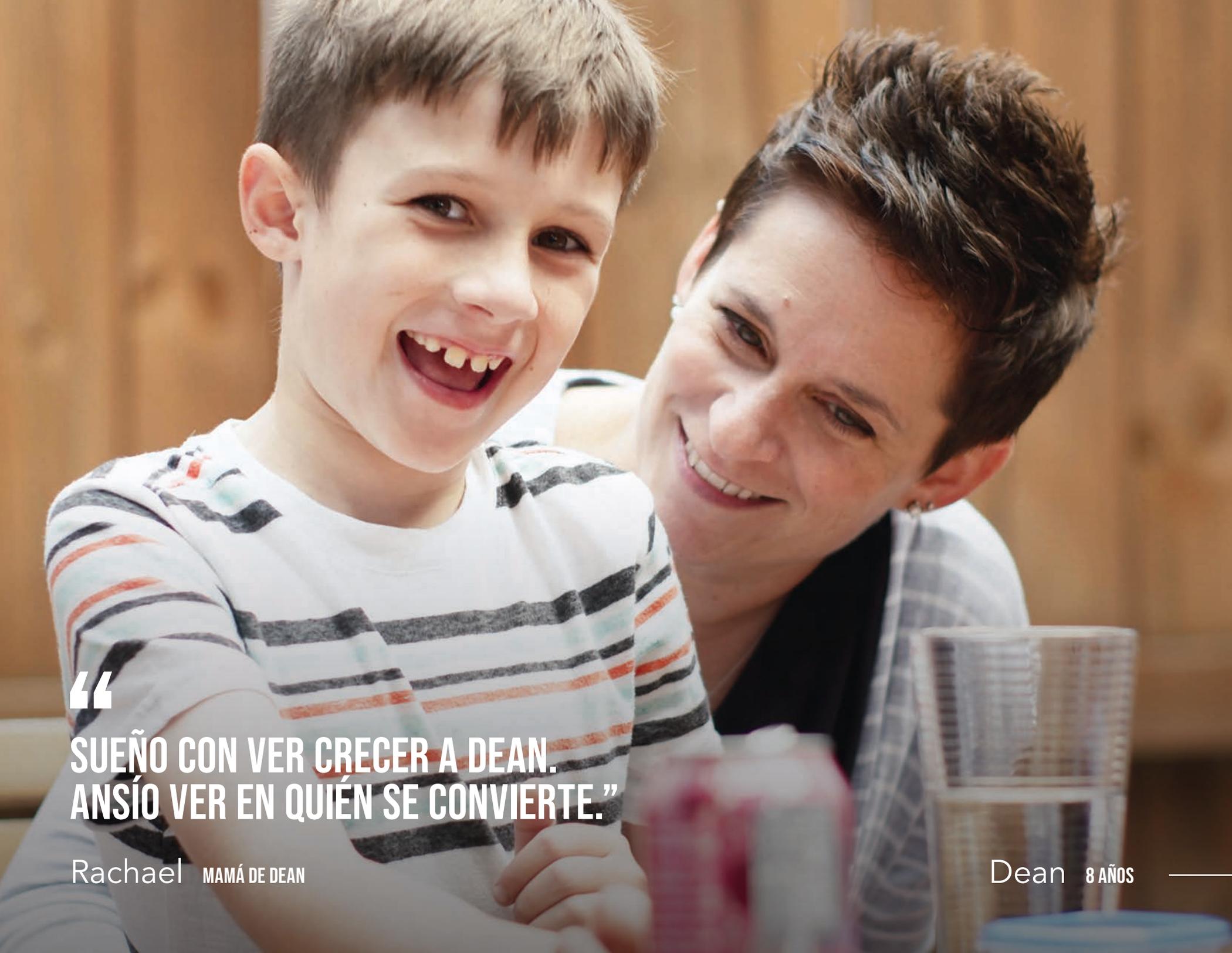
Una vida libre de fibrosis quística

# NUESTRA MISIÓN ES CURAR LA FIBROSIS QUÍSTICA.

Brindándoles a todas las personas con fibrosis quística (FQ) la oportunidad de llevar vidas largas y gratificantes, al financiar las investigaciones y el desarrollo de medicamentos, asociarse con la comunidad de la FQ y promover la atención especializada de alta calidad.

La histórica aprobación de Trikafta® en el 2019 por parte de la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés) marcó el inicio de una nueva era en la FQ. Esta terapia de moduladores se enfoca en la causa subyacente de la fibrosis quística y ha sido trascendental en gran parte para la comunidad de la FQ, pero no todos pueden beneficiarse. Nuestro objetivo es una cura para el 100% de las personas que padecen de FQ.





“

SUEÑO CON VER CRECER A DEAN.  
ANSÍO VER EN QUIÉN SE CONVIERTE.”

Rachael MAMÁ DE DEAN

Dean 8 AÑOS

# IMPULSADOS POR UN SUEÑO DE QUE ALGÚN DÍA TODAS LAS PERSONAS CON FIBROSIS QUÍSTICA TENGAN LA OPORTUNIDAD DE VIVIR UNA SANA Y LARGA VIDA.

La oportunidad de correr un maratón, el enamorarse y el poder escuchar el llanto de un recién nacido.  
La oportunidad de ver a un hijo terminar el kínder y luego se gradúa de la universidad.  
La oportunidad de tomar a un nieto de la mano y envejecer junto a sus seres queridos.

La Fundación de Fibrosis Quística es reconocida en todo el mundo y ha sido líder en la lucha contra la fibrosis quística, incentivando extraordinarios avances médicos y científicos. Al trabajar junto con la comunidad de la FQ, la Fundación de FQ ha promovido el desarrollo de más de una docena de tratamientos para la FQ —una cantidad sin precedentes en un breve periodo de tiempo— y ha ayudado a añadir décadas de vida a las personas que padecen de FQ. Gracias a este trabajo, la esperanza de vida de alguien que nace con FQ se ha duplicado en los últimos 30 años.

A pesar de este progreso, mucha gente con FQ no se beneficia con las terapias existentes, ya sea porque su enfermedad está demasiado avanzada o porque sus mutaciones genéticas específicas no responden. Aquellos que no pueden tomar las terapias actuales siguen enfrentando complicaciones difíciles —que llevan a hospitalizaciones, faltar a la escuela y al trabajo e interrupciones considerables en su rutina diaria. Muchos niños y adultos con FQ aún enfrentan la devastadora posibilidad de una esperanza de vida reducida.

Nuestra visión es una cura para toda persona con fibrosis quística y una vida libre de la carga de esta enfermedad. No dejaremos a nadie en el camino.

En las personas con fibrosis quística, un gen defectuoso causa una acumulación espesa de mucosidad en los pulmones, el páncreas y otros órganos. En los pulmones, la mucosidad obstruye las vías respiratorias y atrapa bacterias, lo que resulta en infecciones, un extenso daño pulmonar e insuficiencia respiratoria.

# UNA ESTRATEGIA CLARA PARA ALCANZAR NUESTRA VISIÓN

Al trabajar junto con la comunidad de la FQ, la Fundación ha logrado avances sin precedentes en el tratamiento y la atención de la fibrosis quística. Y nos detendremos. El día de hoy, buscamos llegar a una nueva frontera, al explorar investigaciones que presentan un potencial para una cura, mientras ayudamos a las personas con FQ a vivir las vidas más sanas posibles a través de atención integral y apoyo. Empleamos a las mejores mentes científicas y tecnología para impulsar nuestros esfuerzos de investigación –promoviendo nuevas terapias con más rapidez, mientras trabajamos para encontrar una cura. Nuestro programa Camino a una Cura (*Path to a Cure*, por su nombre en inglés) es una ambiciosa iniciativa de investigación que se basa en la muy exitosa estrategia de filantropía de riesgo de la Fundación, para acelerar el ritmo del progreso en el descubrimiento y desarrollo de medicamentos para la FQ y finalmente ayudar a ponerle fin a esta enfermedad.

La atención altamente especializada ha aumentado la esperanza de vida en personas con FQ y sigue siendo un pilar de nuestros esfuerzos para asegurar que todas las personas con esta enfermedad puedan vivir una vida larga y sana. La Fundación es una fuente crucial de financiamiento para una red de más de 120 centros de atención acreditados para la FQ en los Estados Unidos. Estas subvenciones brindan un apoyo vital a los equipos de atención multidisciplinaria, para que la gente con FQ reciba una atención coordinada de una variedad de especialistas. A medida que la FQ cambia, seguimos evolucionando nuestro imponente modelo de atención para hacer posible una atención excepcional para toda persona con FQ, en base a sus necesidades médicas particulares.

Además de apoyar una atención personalizada, la Fundación trabaja para abordar los padecimientos de salud graves que pueden surgir como resultado de los efectos perjudiciales de la FQ en el cuerpo, tales como infecciones pulmonares, problemas gastrointestinales, diabetes relacionada con la FQ y retos de salud mental, para que aquellos con FQ puedan pasar más tiempo haciendo lo que aman.

Al vivir más tiempo, la gente con fibrosis quística hace frente a nuevos desafíos. Trabajando en conjunto con la comunidad de la FQ, ofrecemos formas significativas de fomentar vínculos y apoyar a la gente con FQ para que viva su mejor vida posible sin importar en qué punto de su travesía se encuentra. Las personas con FQ son esenciales en todo lo que hacemos.

**Aprende más en [cff.org/5YearPlan](https://cff.org/5YearPlan)**



“

**SUEÑO CON ESTAR PRESENTE PARA MI HIJO, LEVI.  
QUIERO SER EL MEJOR EJEMPLO POSIBLE.”**

Emily 31 AÑOS

# DETERMINACIÓN SIN LÍMITES

Al trabajar junto con la comunidad de la FQ, la Fundación impulsa resultados extraordinarios.



## AUMENTÓ MÁS DEL DOBLE LA ESPERANZA DE VIDA

de quienes viven con FQ durante las últimas tres décadas, al fomentar la atención especializada y los avances terapéuticos de alta calidad.



## REPARTIÓ MÁS DE 4 MIL SUBVENCIONES

para la investigación y la atención de FQ durante los últimos seis años; actualmente trabaja con cientos de científicos en más de 300 laboratorios en todo el país.



## APOYÓ LA INVESTIGACIÓN INNOVADORA

que llevó al descubrimiento del gen que causa la fibrosis quística en 1989. Después de más de 30 años, en el 2020, la Fundación realizó 101 reuniones e involucró a 48 compañías de biotecnología en los EE.UU. y Europa para impulsar el avance de terapias genéticas para todas las personas con FQ.



## ESTABLECIÓ UN MODELO DE ATENCIÓN RECONOCIDO

en todo el mundo que incluye a **más de 120 centros de atención acreditados para la FQ** que brindan atención especializada de alta calidad. Desde el 2014, la Fundación ha incrementado los fondos para la atención de FQ en un 120%. Hoy en día, seguimos evolucionando nuestro modelo de atención para personas con FQ para cumplir con las necesidades que surgen a medida que viven más tiempo.



## FUE PIONERA EN EL USO DE LA FILANTROPIA DE RIESGO

un modelo de financiamiento a la investigación, que ha estimulado el descubrimiento de múltiples terapias innovadoras que se enfocan en la causa subyacente de la FQ. El modelo de la filantropía de riesgo es admirado y emulado por grupos sin fines de lucro de todas partes por su asombrosa capacidad de impulsar resultados. Hoy en día, invertimos más de 225 millones de dólares al año en investigación y atención para la FQ. Esto incluye promover nuestro programa Camino a una Cura, una ambiciosa iniciativa de investigación que desafía a desarrolladores de fármacos e investigadores prominentes para que aceleren el ritmo de los avances en la FQ.



## FOMENTÓ EL DESARROLLO DE MÁS DE UNA DECENA DE TRATAMIENTOS

para la FQ y añadió décadas de vida en las personas con FQ. Actualmente, hay **más de 40 terapias** en desarrollo farmacológico con potencial de mejorar significativamente las vidas de aquellos con FQ.



## DEFIENDE LAS POLÍTICAS PARA PROTEGER A LA COMUNIDAD

de la FQ al abogar por atención de alta calidad para las personas con FQ y sus familias. Esto ha resultado en triunfos históricos que incluyen protecciones para las enfermedades preexistentes y pruebas obligatorias a recién nacidos para detectar la FQ en **los 50 estados**.



## APOYÓ A LA COMUNIDAD DE LA FIBROSIS QUISTICA

en cada paso de su recorrido a través de Compass, un servicio gratuito que ayuda a las familias con FQ a lidiar con temas financieros, legales, de seguro médico y otro tipo. Cada año, Compass recibe alrededor de **11,000 llamadas** de miembros de la comunidad de la FQ.



## SE ASOCIÓ CON LA COMUNIDAD DE LA FQ

para aprender de forma continua e interactuar con quienes viven con esta enfermedad, lo que resultó en numerosos programas que apoyan a la gente con FQ sin importar en qué punto de su travesía se encuentran. El día de hoy, gracias a la comunidad, hemos incrementado nuestros esfuerzos de interacción comunitaria con alrededor de **más de 1,000 eventos a nivel nacional** y nuevos programas impulsados por la comunidad que mejoran la calidad de vida —como BreatheCon, CF Peer Connect, ROSE UP y Voz de la Comunidad.



## LANZÓ LA RED DE DESARROLLO TERAPÉUTICO

(TDN, por sus siglas en inglés) como modelo para las redes de investigación en todo el mundo. Hoy en día, la red lleva a cabo **más de 60 ensayos clínicos** al año en **91 centros de investigación**, que conforman la red de ensayos clínicos sobre FQ más grande de cualquier lugar en el mundo. Esta red es el núcleo para avances en áreas clave de enfoque, como la investigación sobre infecciones, la enfermedad pulmonar avanzada y las mutaciones sin sentido y poco comunes.



“

MI SUEÑO ES VER A MIS NIETOS  
GRADUARSE Y CASARSE.”

Carmen 55 AÑOS

# LA OPORTUNIDAD DE PONER FIN A UNA ENFERMEDAD

Ganar esta lucha significa trabajar más y con mayor rapidez.

Las terapias genéticas—nuestra mayor esperanza para curar la fibrosis quística—son más complejas que cualquier cosa que hemos hecho y requerirán una inversión sustancial. El avance de una terapia genética podría costarle a la Fundación 10 veces más que el desarrollo de una terapia novedosa hace una década.

Con tu apoyo, podemos invertir nuestros recursos de hoy en la investigación, mientras recaudamos fondos para mañana y así poder llegar a la meta.

## TERAPIAS GENÉTICAS

Los avances en las investigaciones genéticas se han disparado en los últimos años. Las primeras terapias potencialmente curativas se vislumbran ahora en el horizonte para personas con ciertas formas de ceguera y otras enfermedades poco comunes.

La Fundación es pionera en aplicar esta ciencia emergente a la FQ. Las terapias basadas en genética presentan un desafío en particular para la FQ debido a las defensas naturales de los pulmones y a las múltiples formas en que la FQ afecta el cuerpo. Cada estrategia requiere un conjunto distinto de herramientas científicas y conocimiento. La Fundación respalda actualmente más de 40 estudios enfocados en emplear terapias genéticas para la FQ.

Las mutaciones sin sentido representan uno de los retos más importantes en la fibrosis quística. Además de la FQ, hay más de mil enfermedades causadas por este tipo de mutación genética, que prácticamente han eludido a los investigadores que están en busca de terapias aprobadas por la FDA. Aunque nuestro enfoque se centra en la investigación de vanguardia para la FQ, tenemos la esperanza de que las terapias genéticas futuras también puedan beneficiar a muchos otros que viven con enfermedades genéticas.

**Aprende más en [cff.org/pathtoacure](https://cff.org/pathtoacure)**

# ESTE ES EL TIEMPO

Tú eres parte importante de nuestro progreso.

Estamos iniciando una nueva era en la fibrosis quística, con nuevas terapias trascendentales y tratamientos prometedores en el horizonte. No obstante, no todas las personas con FQ pueden beneficiarse de las terapias disponibles, y muchos aún enfrentan retos difíciles.

Con tu apoyo, confiamos en que algún día, ni una sola persona perderá a un hijo, a un hermano, a un padre o a un amigo a causa de la fibrosis quística. Tienes una oportunidad única en la vida de ser parte de poner fin a esta enfermedad. Por favor considera unirte a nosotros y ayudarnos a hacer historia en la medicina.

Juntos, logremos que la FQ tenga cura.

**"Nuestra visión para el futuro es clara: terapia transformativa y una cura para todas las personas con fibrosis quística. Nuestro trabajo más importante y desafiante aún está por delante. Con tu apoyo y la comunidad de la FQ de nuestro lado, acabaremos con la fibrosis quística".**

**MICHAEL BOYLE, MD**

Presidente y director ejecutivo



“

SUEÑO CON SACAR MI LICENCIA DE CONDUCIR  
Y VOLVERME MÁS INDEPENDIENTE.”

Azer 16 AÑOS

**TODAS LAS PERSONAS CON FIBROSIS  
QUÍSTICA MERECEEN UNA VIDA LIBRE DE  
ENFERMEDAD, UNA VIDA LLENA DE ALEGRÍA.**





Evan 6 AÑOS



**Fundación de Fibrosis Quística**  
4550 Montgomery Ave.  
Suite 1100 N  
Bethesda, MD 20814

[cff.org](http://cff.org)