

¿Por qué participar en cuestionarios y encuestas?

Una llamada para todos nosotros

A los afectados de esclerosis sistémica, a menudo nos piden responder cuestionarios y encuestas, o participar en protocolos de investigación, incluyendo ensayos terapéuticos.

Las asociaciones suiza, francesa y belga de esclerodermia le han preguntado al profesor Yannick Allanore, presidente de EUSTAR, por qué es importante responder o participar en los mismos.

EUSTAR es la organización europea oficial de los especialistas de la esclerosis sistémica, teniendo como objetivos:

- El mayor conocimiento de la esclerodermia tanto a nivel de la población como de los médicos
- La mejora de la investigación orientada al paciente
- Un mayor apoyo a los afectados de esclerodermia

Profesor Allanore, ¿por qué es importante, como paciente, responder los cuestionarios y encuestas recibidas regularmente desde los centros de referencia o desde nuestras asociaciones?

Esta enfermedad sigue siendo poco conocida en la población, en el ámbito médico y en los profesionales sanitarios. La información relacionada con la esclerosis sistémica es a menudo limitada debido al escaso número de participantes en las encuestas, y por lo tanto, si queremos dar un mensaje claro a todos los niveles, tanto a los pacientes como a los cuidadores médicos, se necesita información precisa y exacta. Otro punto clave es la heterogeneidad de la enfermedad, ya que si sólo se pregunta a un pequeño grupo, el resultado está muy expuesto al error sistemático, en función de la muestra entrevistada.

Para superar estos problemas, necesitamos obtener información de un gran número de pacientes. Se precisa organizar esta información de acuerdo con la duración de la enfermedad, edad u otras características, pero es importante contar con tanta información como sea posible. En los métodos de sondeo y cuestionarios actuales, hay una fuerte tendencia en preguntar la opinión de los pacientes, y después de varios años de análisis de pruebas de laboratorio y otras pruebas complementarias, se desarrollan en reumatología muchos estudios basados en lo que se conoce en inglés como "patient-reported outcomes", que se podría traducir como los "resultados percibidos por los pacientes".

En cuanto a ensayos clínicos, ¿cómo funciona un estudio financiado por una firma farmacéutica o la Unión Europea?

Sea quien sea el patrocinador, debe crear un protocolo validado por expertos en el campo, obtener una decisión favorable de un comité de ética, y planificar un presupuesto para la creación de la logística (por ejemplo, la colección de libros, herramientas de Internet, software, centralización de revisión) y los recursos humanos (por ejemplo enfermeras, examinadores). A continuación, compensan a los hospitales por los costes adicionales incurridos (por ejemplo, el

uso de los recursos del hospital para el estudio). Los pacientes son reclutados, separados en las diferentes áreas de estudio, a ser posible de manera aleatoria, y luego son monitoreados para verificar que el procedimiento no ocasiona ningún riesgo (a menudo el paciente tiene incluso mayor monitorización en su seguimiento rutinario cuando está incluido en un ensayo clínico). Una vez que se alcanza el número total de pacientes requeridos, la finalización de los parámetros lleva mucho tiempo, y una vez que se dispone de todos los datos, el análisis estadístico se lleva a cabo por un equipo independiente para determinar si se han cumplido los objetivos, y para comunicar los resultados. Todos estos pasos esenciales explican por qué se tarda tanto tiempo en completar un ensayo terapéutico.

Si un estudio no puede ser concluido por la falta de respuestas, ¿qué sucede?

Si el número deseado, que es por lo general pre-calculado con la ayuda de estudios previos, no se alcanza, el estudio, por lo general, no proporcionará la respuesta a la pregunta que se esperaba. En el caso de un ensayo clínico, todo el trabajo realizado puede resultar inútil si la respuesta es débil debido a la falta de participantes, y el resultado será inconcluyente, por lo que ni siquiera podemos responder a la pregunta, por ejemplo, de si un determinado tratamiento es más eficaz que otro con el que se ha comparado.

¿Puede contarnos brevemente acerca de un importante estudio llamado DeSSciper y sobre lo que sucederá en 3 años si el estudio no se puede completar debido a la falta de datos?

DeSSciper es un gran estudio observacional, lo que significa que recopila datos obtenidos del cuidado rutinario de los pacientes, seguido de la monitorización estándar propuesta por cada centro sin cambiar nada (no hay pruebas adicionales, ni nuevos ensayos de medicamentos). De hecho, durante este proyecto, estamos buscando grupos homogéneos de pacientes (pacientes con alto riesgo de hipertensión pulmonar, por ejemplo), y después de 3 años de estudio de este tipo de grupos, seremos capaces de comparar si los diferentes regímenes de tratamiento influyen en su enfermedad, por ejemplo por desarrollo de hipertensión pulmonar.

Este estudio también considera la fibrosis pulmonar, úlceras digitales, artritis, y afectación cardiaca. Así que todos los principales aspectos de la enfermedad serán cubiertos. Sin embargo, ya que vamos a centrarnos en grupos específicos, si el número de pacientes es insuficiente, el resultado será aproximado y no seremos capaces de llegar a una conclusión que podría orientar la futura gestión de la enfermedad.

Desde hace algún tiempo, las compañías farmacéuticas han mostrado interés en las enfermedades raras, incluyendo la esclerodermia. ¿Qué pasará si estas compañías farmacéuticas no consiguen resultados en los estudios que financian?

Hay un gran interés en la esclerodermia porque en reumatología hemos visto un gran progreso con la llegada de bioterapias que han cambiado el pronóstico, por ejemplo, de la artritis reumatoide. Después de haber invertido mucho en enfermedades comunes, la industria farmacéutica está ahora interesada en bioterapias para las enfermedades raras, ya que podría ser una nueva salida para sus moléculas, por lo que hay grandes expectativas en este área.

Además, al conocer y usar estas moléculas en otros casos, tenemos cierta confianza en su uso en la esclerodermia. Sin embargo, la industria también ha probado productos en el lupus por ejemplo, en estudios difíciles de llevar a cabo o de interpretar. Si nos encontramos con el mismo resultado en la esclerodermia, alcanzando una escasa participación, o la falta de criterios robustos para estos estudios, existe el riesgo de que estas empresas puedan cambiar sus objetivos y avancen hacia otras enfermedades inflamatorias y autoinmunes.

Si una persona padece una esclerodermia severa pero estable, ¿ puede ser parte de un protocolo para una prueba de medicamentos?

Cada estudio tiene diferentes criterios de inclusión y exclusión en función de sus objetivos. El estudio puede estar dirigido a la búsqueda de una respuesta sobre el potencial de un producto para frenar, detener o prevenir el desarrollo de la fibrosis de la piel.

En estos diferentes escenarios, los pacientes serán reclutados en etapas diferentes de la enfermedad y con duraciones variadas de evolución, por lo que hay muchas posibilidades para diferentes estados de la enfermedad. Sin embargo, debe señalarse que hoy en día la estrategia predominante es tratar de encontrar productos que pueden frenar la progresión y propagación de la fibrosis de la piel, lo que implica considerando como mejor opción el estudio de las afectaciones cutáneas difusas en su primera etapa. Para saber si un paciente puede participar en un estudio, es necesario solicitar al investigador principal los criterios de inclusión y exclusión, y analizar la situación del paciente.

Esto se puede hacer preguntando a los investigadores, que siempre están disponibles para explorar las posibilidades de reclutamiento de pacientes.

Queremos hacer hincapié a todos nuestros lectores que es esencial para todos nosotros que nuestros médicos y compañías farmacéuticas sigan interesados en nuestra causa. De lo contrario, en muy poco tiempo, no vamos a tener nuevos medicamentos y ninguna nueva investigación para mejorar los tratamientos. ¡PODEMOS HACER MÁS!

Artículo traducido del boletín de noticias de FESCA , FESCA NEWS-Winter 2014-2015

http://www.fesca-scleroderma.eu/wordpress/wp-content/uploads/2015/02/2014_Fesca_newsletter.pdf