



# Avances en Diabetología



## P-123. - UN REGISTRO GLOBAL PARA LIPODISTROFIAS INFRECIENTES: LD CONNECT

D. Araujo Vilar<sup>a</sup>, K. Brown<sup>b</sup>, R. Brown<sup>c</sup>, A. Garg<sup>d</sup>, T. Isupov<sup>e</sup>, E. Oral<sup>f</sup> y A. Stratton<sup>g</sup>

<sup>a</sup>Hospital Clínico Universitario de Santiago de Compostela. Santiago de Compostela. <sup>b</sup>PatientCrossroads. San Diego. Estados Unidos. <sup>c</sup>Diabetes. Endocrinology and Obesity Branch. National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases. Bethesda. Estados Unidos. <sup>d</sup>Nutrition and Metabolic Diseases Fellowship Program. University of Texas Southwestern Medical Center. Dallas. Estados Unidos. <sup>e</sup>US Medical Affairs. Diabetes. AstraZeneca. Philadelphia. Estados Unidos. <sup>f</sup>The Division of Metabolism. Endocrinology & Diabetes. University of Michigan. Ann Arbor. Estados Unidos. <sup>g</sup>Lipodystrophy United. Albuquerque. Estados Unidos.

### Resumen

**Introducción:** Los datos sobre la historia natural de los síndromes lipodistróficos infrecuentes (LD) nunca han sido recogidos sistemáticamente, y el conocimiento acerca de la misma procede de informes de casos y de la experiencia médica acumulada. Con la aprobación por la FDA de un nuevo tratamiento para las formas generalizadas de LD (Myalept, AZ), esta información se hace aun más importante y podría ayudar a determinar el impacto de este nuevo tratamiento.

**Objetivos:** Desarrollar un registro basado en los datos aportados por los pacientes con objeto de recoger de forma sistemática la historia natural. Desarrollo del Registro: El registro Lipodystrophy Connect ([www.ldconnect.org](http://www.ldconnect.org)) fue desarrollado usando el programa de PatientCrossroads "HIPAA-compliant", bajo la supervisión del IRB Chesapeake y una Junta de Gobierno. Cada usuario tiene una cuenta protegida. El registro recoge los datos de-identificados proporcionados por los pacientes a través de 6 cuestionarios, y también otros documentos. Los cuestionarios fueron desarrollados por un panel de expertos, pacientes y representantes de la industria. Las encuestas se diseñaron para recoger la información necesaria para caracterizar y clasificar a individuos ya diagnosticados o en los que se sospeche LD. Además, las encuestas permiten sugerir estudios complementarios que serían incluidos en el futuro. Los datos de-identificados pueden ser vistos por participantes y profesionales en la web del registro. Los datos pueden ser exportados a programas estadísticos para su análisis. El registro se inició en enero de 2014. Su diseminación la realizan asociaciones de pacientes (Lipodystrophy United, AELIP), los médicos y la industria. Tanto los grupos de investigación como la industria podrían utilizar los datos sin identificación previa aprobación por la Junta de Gobierno. Participación en el Registro y Recogida de datos: hasta enero de 2015 había en el registro 132 participantes de USA y otros 14 países. El 77.8% tiene LD parcial familiar, el 12.3% LD congénita generalizada; con porcentajes menores de otros subtipos. Se han obtenido datos sobre la historia clínica, la calidad de vida y estilo de vida, entre otros. Ejemplos de los datos recopilados incluyen: el 55% padece diabetes mientras que un 43% nunca la tuvo. El 61% informó que presentaba dislipemia en la actualidad, el 19% la padeció en el pasado, y el 20% nunca la presentó. Planes futuros: los próximos pasos incluyen la traducción a otros idiomas, la verificación de los datos introducidos por el paciente mediante el desarrollo de un algoritmo diseñado por expertos, la

revisión por la Junta de Gobierno de las fotografías y pruebas complementarias subidas por los pacientes, y la incorporación de encuestas adicionales. En el futuro, los datos del Registro se podrán usar para comprender mejor la historia natural, las necesidades de los enfermos, el diseño de ensayos clínicos y el reclutamiento de pacientes.