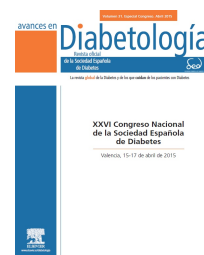




Avances en Diabetología



P-123. - Un registro global para lipodistrofias infrecuentes: LD Connect

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

^aHospital Clínico Universitario de Santiago de Compostela. Santiago de Compostela. ^bPatientCrossroads. San Diego. Estados Unidos. ^cDiabetes. Endocrinology and Obesity Branch. National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases. Bethesda. Estados Unidos. ^dNutrition and Metabolic Diseases Fellowship Program. University of Texas Southwestern Medical Center. Dallas. Estados Unidos. ^eUS Medical Affairs. Diabetes. AstraZeneca. Philadelphia. Estados Unidos. ^fThe Division of Metabolism. Endocrinology & Diabetes. University of Michigan. Ann Arbor. Estados Unidos. ^gLipodystrophy 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) 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.