**Actualizaciones de la Fundación PKD**

Bienvenidos a todos a las actualizaciones de nuestro nuevo panel de la Fundación PKD: investigación, defensa y educación. Mi nombre es Craig Ramseyer, soy miembro de la junta directiva de la Fundación PKD.

Estoy terminando mi sexto año en el directorio de la Fundación. Soy un paciente de PKD.

Llevo 12 años como receptora de un trasplante de donante. Me gustaría darle la bienvenida al programa de hoy.

A medida que trabajamos para acabar con la PKD, la creación de recursos en una comunidad para las personas afectadas es una prioridad principal.

Por eso hemos creado PKD Connect. Para que los pacientes y los cuidadores puedan encontrar seminarios web educativos, consejos nutricionales, consejos para el manejo del dolor y cualquier otra cosa que necesiten para comprender y manejar mejor la poliquistosis renal. Con eventos como la caminata por PKD y PKDCON, podemos combinar esa educación con formas de conectarnos como comunidad porque nadie debería estar solo en su viaje por PKD.

Y cuando se trata de la comunidad de PKD que aboga por sus necesidades en Capitol Hill, es otra función importante de nuestra Fundación que incluye asegurar la protección de los donantes vivos y otras leyes centradas en el paciente.

A través de nuestros esfuerzos de promoción, hemos ayudado a realizar cambios importantes a nivel estatal para los donantes en vida. Como todos saben, financiar la investigación de la poliquistosis renal es una de las formas más importantes en que la Fundación trabaja para acabar con la poliquistosis renal.

Con más de 1300 proyectos de investigación financiados y más de $50 millones proporcionados para la investigación de la PKD, no vamos a disminuir la velocidad en nuestra lucha por encontrar una cura. A través de herramientas como el registro ADPKD, nuestra comprensión de la PKD, las necesidades de los pacientes con PKD, continúa creciendo.

A lo largo de la conferencia PKD Connect, hemos recaudado más de $26,000.

Gracias a todos los que han donado. Si disfrutó de PKDCON y desea ver más educación sobre PKD de la Fundación, considere hacer una donación usando el código QR, o el enlace que aparece al costado de la página de su evento, o la página de la Fundación ahora mismo.

Nos encanta poder brindar educación y oportunidades para que la Fundación PKD se conecte. Todos ustedes juegan un papel importante para que eso sea posible.

Ahora que hemos repasado brevemente todo lo que la fundación PKD ha logrado en las últimas décadas, es hora de centrarnos en todo lo que sucede hoy en los planes de la fundación para el futuro. El director ejecutivo, Andy Betts, el director de investigación, el Dr. Chris Riscone, y el director de avances, Chad Iseman, me acompañan hoy para compartir las últimas actualizaciones sobre todo lo relacionado con la investigación, la promoción y la educación.

Entonces, caballeros, digámosle a la gente qué hay de nuevo con la Fundación PKD y Andy, ¿por qué no nos abren?

Absolutamente. Gracias Craig.

Aprecio su servicio a la junta y también a la comunidad. Y gracias por acompañarnos en esta sesión de hoy.

Esta conferencia ha sido todo acerca de la esperanza.

Todo lo que hacemos en la Fundación PKD es traer esperanza. Hacemos esto, obviamente a través de esta conferencia, pero también a través de nuestro programa de tutoría entre pares, la línea Our Hope. Entonces, use esas instalaciones, vaya a nuestro sitio web, vaya a PKD Connect y asegúrese de estar conectado, para que no esté solo en este viaje.

De lo que queremos hablar hoy, sin embargo, es un poco más de lo que llamamos la verdadera esperanza, el final de la PKD.

El próximo año, habremos estado en esto durante cuatro décadas, 40 años, y hemos aprendido mucho en ese tiempo. Pero aún queda mucho por aprender, y sé que a veces puede resultar frustrante el progreso, pero esto es un maratón, no lo consideremos como una carrera de velocidad. Como todos sabéis muy bien.

Quiero mostrarles esta diapositiva antes de pasársela a nuestro director de investigación, Chris Riscone. Y esta diapositiva realmente demuestra lo que hemos hecho, dónde hemos estado y también hacia dónde vamos a ir en el futuro. Entonces, hace cinco años, esta base de cuatro pilares, por así decirlo, solo tenía un color y era en gran medida ese pilar de la izquierda, nuestro programa de investigación. Hemos estado investigando a lo largo del tiempo, financiando esos terrenos básicos y traslacionales tanto como podemos. Y como parte de ese pilar, hemos financiado más de 50 millones de dólares en subvenciones a 1300 proyectos de investigación e investigadores diferentes. Y lo que eso significa es que en los últimos cinco años hemos aumentado la cantidad de subvenciones que hemos dado en un 230 por ciento.

Así que nos hemos asegurado de que queremos acelerar tanto como podamos y nos aseguraremos de que estamos construyendo hacia el futuro tanto como podamos.

De esas subvenciones que actualmente recibe una subvención de la fundación, más de la mitad de ellas pueden salir y aprovechar aún más fondos de los NIH y fondos federales, lo cual es una noticia fantástica, queremos asegurarnos de que eso continúe. Se han apalancado más de 1500 millones de dólares y seguimos haciéndolo a través de nuestros esfuerzos de defensa de los que Chris hablará en esta presentación.

Así que eso es lo que hemos hecho en el lado izquierdo, pero realmente hemos tratado de crear lo que escuchó a Bev hablar sobre esto ayer, fue la campaña Future Focus. Así que hemos recaudado 68,9 millones de dólares hacia la meta de 70 millones de dólares, y esto realmente nos ha permitido construir estas otras almohadas, para que podamos acabar con la PKD.

Entonces, lo que eso ha significado es que ahora tenemos 18 millones de dólares en nuestra dotación, lo que nos permite mantener el modelo de subvenciones a perpetuidad, por lo que no tenemos que preocuparnos por financiarlo cada dos años, estamos comprometidos con la financiación. cada año, y estamos comprometidos a mantener el nivel para asegurarnos de llegar a una cura.

Tenemos diferentes colaboraciones que están ocurriendo, con un grupo llamado CPATH y en reuniones mensuales se están uniendo más de cien asistentes diferentes de los reguladores de la FDA y los NIH, de la industria y de la academia también.

Queremos asegurarnos de facilitar esas conversaciones para que podamos encontrar el próximo biomarcador, las próximas herramientas de desarrollo de fármacos que nos llevarán al tratamiento más rápido. Esta es una parte central de lo que hemos hecho con el volumen renal total.

Y queremos asegurarnos de que podemos acelerar el nivel en el que podemos construir nuestras colaboraciones. Para que podamos involucrar más a la industria en el espacio.

¿Qué más ha sucedido en los últimos 18 meses? Es posible que haya escuchado esto en un taller el día de hoy. Hemos lanzado el registro ADPKD. Ese registro tiene más de 2000 inscritos y esto es una gran parte de lo que queremos hacer como organización, para asegurarnos de que entendemos más sobre la enfermedad y que los investigadores puedan entender más sobre la enfermedad.

Esto es esencial, es algo en lo que hemos trabajado duro, y creo que a medida que avanzamos, nos aseguraremos de que eso crezca aún más.

Así que los siguientes pilares son de un color diferente. Y esto es más o menos porque estas son las cosas que queremos hacer a continuación. Entonces, cuando miras dónde estamos ahora y miras de dónde venimos dentro de cinco años, vamos a lograr mucho.

Vamos a tener estos cuatro pilares en su lugar.

Queremos asegurarnos de que el Estándar Nacional de atención que estaban trabajando con las clínicas de todo el país.

Estamos trabajando con instituciones, queremos crear un Centro de excelencia insignia para PKD para asegurarnos de que reciba la atención adecuada.

Tienes un equipo de atención a tu disposición.

Eso está acreditado.

Eso es trabajar en la mejor investigación clínica posible. Al mismo tiempo, para aquellos que no pueden ser un buque insignia, queremos asegurarnos de tener programas de mentores y aprendices para que podamos obtener la mayor cantidad posible de educación sobre atención médica, localmente. Y sobre todo, queremos que se amplíe el registro.

Queremos 10.000 conjuntos de datos diferentes en este registro. Cuantos más datos podamos obtener más tiempo para hacer conjuntos de datos longitudinales.

Cuantos más investigadores puedan trabajar para completar los ensayos clínicos y asegurarse de que lleguemos a los tratamientos más rápido.

Así que hemos recorrido un largo camino.

Todavía tenemos mucho por hacer, pero estamos comprometidos con esto. Queremos ver el final de la PKD. Y sabemos que no es una tarea pequeña y que requerirá mucho compromiso, mucho esfuerzo y estamos aquí para lograrlo con ustedes, nuestra generosa y maravillosa comunidad.

Así que se lo pasaré a Chris Rusconi, nuestro director de investigación, para asegurarme de que pueda cumplir esos objetivos.

Mis trabajos para pasárselo a Chris, y él lo entrega, ¿verdad?

Esa es la forma en que se supone que debe funcionar.

Gracias, Andy, y hola a todos. Agradecemos que nos acompañe en esta sesión. Soy Chris Rusconi, soy el director de investigación de la fundación. Y durante los próximos 20 minutos, lo que haré será compartir actualizaciones sobre programas de investigación, educación y promoción.

Y hablarán con Chad Iseman, el Director de Promoción de la fundación, para compartir por qué es un momento emocionante para ser parte de la Fundación PKD.

Así que ahora esta es una configuración de mesa realmente importante. Básicamente, la Fundación te sirve como paciente.

Entonces, cuando mira ese anillo, un paciente necesita básicamente lo que nos enfocamos en hacer en la Fundación es integrar los esfuerzos de nuestro programa que serían nuestra educación, nuestra defensa, nuestro apoyo y nuestra investigación para brindarle el máximo beneficio. y vuestras familias.

Entonces, lo que haré es comenzar hablando sobre la investigación y la programación educativa, y luego compartiremos una actualización sobre la promoción.

Entonces, la Fundación financia y realiza investigaciones, y lo hacemos a través de cuatro pilares diseñados para mejorar sus resultados.

El primero es nuestro programa de subvenciones para mejorar nuestra comprensión de la enfermedad.

El siguiente es el Consorcio de resultados de la enfermedad renal poliquística, o a menudo denominado PKDOC para ayudar a acelerar los tratamientos. Luego está el registro de ADPKD que está diseñado para mejorar los resultados, y luego, en el futuro, como aludió Andy, está el programa de los Centros de Excelencia para mejorar la atención, cada uno de estos programas se basa en la base de nuestra programación de defensa y educación que son diseñado para amplificar y apoyar estos esfuerzos. Ahora, en esta presentación, a menudo hablaré de PKD en general al analizar nuestros esfuerzos de investigación, por lo que antes de profundizar en la programación, quiero resaltar específicamente nuestros esfuerzos de ARPKD en la siguiente diapositiva.

Por lo tanto, incluida en nuestra cohorte actual de beneficiarios, la Fundación ha comprometido 1,4 millones de dólares en subvenciones centradas en AR para nueve investigadores desde 2016.

Este año presentamos ARPKD como un tema dentro de PKDOC como un medio para acelerar el desarrollo de tratamientos farmacológicos para pacientes y familias con ARPKD. Y recientemente formamos un grupo de trabajo de ARPKD dentro de la Fundación, compuesto por miembros de la junta, personal y miembros de la comunidad para desarrollar una estrategia de comunicación y avance de investigación de varios años para guiar nuestros esfuerzos en el desarrollo de investigación y programación para familias afectadas por ARPKD.

Así que ahora quiero profundizar más en nuestra programación de investigación. Por eso, nuestra cartera de programas de investigación se ha creado realmente para aprovechar los esfuerzos de investigación a lo largo del Continuum en el que la investigación puede beneficiar a los pacientes.

Eso comienza con nuestro programa de subvenciones en el que estamos financiando una serie de proyectos para aumentar nuestra comprensión de la enfermedad.

Luego viene PKDOC, donde financiamos y codirigimos estos esfuerzos para acelerar el desarrollo de fármacos y trabajar para impulsar a la industria al desarrollo de tratamientos para la poliquistosis renal.

El siguiente es el registro ADPKD, somos nosotros, la Fundación, comprometiéndonos directamente con sus pacientes, para realizar investigaciones y desarrollar conjuntos de datos que nos enseñen cómo tratar mejor a los pacientes. Y para acelerar los ensayos clínicos y en el futuro, como el programa de centros de excelencia, esto se iniciará como un programa de centros de excelencia de ADPKD y lo que esto hará es que la Fundación se comprometa directamente con los proveedores de atención médica y con usted para mejorar la atención clínica.

Así que ahora, lo que quiero hacer es básicamente recorrer cada uno de estos programas, compartir lo que hemos hecho y hacia dónde vamos.

Por lo tanto, nuestro programa de becas está diseñado para lanzar nuevas vías de investigación de PKD.

Este programa está en muy buena forma y se ha movido a un modelo de financiación anual sostenible bajo el liderazgo de Andy.

Y entonces, en estos días, nos enfocamos realmente en dos cosas: la sostenibilidad y buscamos formas en que podamos mejorar este programa. Entonces, antes de continuar y compartir algunas estadísticas sobre este programa, solo quiero hablar sobre la función más reciente que agregamos a este programa para mejorarlo, y es agregar la voz del paciente al proceso de revisión. Entonces, ahora tenemos un grupo de partes interesadas. Revisores que colaboran con el comité científico asesor y revisión de Grant.

Y esto es realmente importante para nosotros, por dos razones. En primer lugar, desde la perspectiva de la Fundación, nos brinda la voz directa del paciente y la comprensión del impacto de la investigación a medida que tomamos nuestras decisiones de financiación.

Y también de manera importante, este modelo de tener revisores de consumidores interesados ​​se está volviendo más común en todos los programas de financiamiento de subvenciones.

Y así nos da la oportunidad de tenerlos como pacientes involucrados y ayudar a nuestros investigadores a comprender cómo comunicarse con ustedes en el proceso de redacción de subvenciones y mejorar su competitividad en estos otros programas de subvenciones. Ahora lo que quiero hacer es compartir algunas estadísticas sobre el programa de subvenciones en esta diapositiva.

Ahora lo que quiero hacer es compartir algunas estadísticas sobre el programa de subvenciones en esta diapositiva.

Entonces, como proporcionamos en nuestro informe anual más reciente, la fundación actualmente está financiando 19 subvenciones con un compromiso total de casi 2,9 millones de dólares, lo que creo que es un nivel de financiación del que todos deberíamos estar orgullosos.

Ahora piense en nuestro programa de subvenciones tal como lo describí. Es realmente un programa semilla para iniciar esfuerzos. Y luego, una de las características de nuestro trabajo de defensa es que trabajamos arduamente para asegurarnos de que haya dólares federales disponibles para financiar la investigación de la PKD.

Así que estos programas trabajan juntos. Y lo que quiero hacer en las próximas viñetas es básicamente compartir el increíble trabajo que han hecho los investigadores de PKD para obtener fondos adicionales. Entonces, primero, nuestros beneficiarios han sido increíblemente competitivos en el acceso a los fondos de los NIH con más del cincuenta por ciento de nuestro 2014 - 2019 logrando éxito en la obtención de fondos adicionales. Y esto es realmente un logro asombroso.

Es mucho más alto que el promedio de los solicitantes NIH promedio. Entonces, los investigadores lo están haciendo muy bien. Luego analizamos la financiación, actualmente hay más de 30 millones de dólares de financiación activa de los NIH para la investigación de la PKD, que es un nivel muy alto de financiación.

Y luego, cuando miramos al Departamento de Defensa, que financia el acceso directamente a través del trabajo de defensa de la Fundación, hay más de 28 millones de dólares en fondos activos del Departamento de Defensa para la búsqueda de PKD.

Entonces, en general, creemos que esto es realmente fantástico.

Tanto con respecto a nuestro programa de subvenciones como, lo que es más importante, la matriculación de estos beneficiarios en fondos federales para la continuación de su investigación.

Entonces, hablemos un poco sobre el Consorcio de resultados de la enfermedad renal poliquística, o PKDOC para abreviar. Así que, junto con Ron Perrone de Tufts Medical Center, Frank Czerwiec de Goldfinch Bio y John-Michael Sauerof the Critical Path Institute, soy copresidente de este Consorcio. Y lo que quiero compartir de las próximas diapositivas es qué es PKDOC, qué se ha hecho para avanzar en los tratamientos para ADPKD y qué estamos haciendo para evolucionar nuestros esfuerzos para expandir la línea de tratamiento farmacológico tanto para AD como para ARPKD a través de PKDOC. Entonces, PKDOC es una colaboración entre la Fundación, el Critical Path Institute y la FDA. Y en sus antecedentes, el Critical Path Institute, que a menudo se llama CPATH, es una asociación público-privada con la FDA formada para promover la innovación médica. Y así, en 2010, la Fundación cofundó PKDOC con Ron Perrone liderando esos esfuerzos para la Fundación con CPATH y la FDA. Y hacemos esto por un par de razones. El primero es reunir a las autoridades sanitarias, la industria y los científicos académicos para definir cómo desarrollar fármacos para la ADPKD o la PKD. Y en segundo lugar, colaborar en la construcción de estas herramientas necesarias para acelerar el desarrollo de tratamientos farmacológicos para la PKD.

Ahora lo que me gustaría hacer es compartir lo que ha logrado PKDOC y hacia dónde vamos.

Así que no creo que sea una exageración decir que los esfuerzos de PKDOC son responsables de la tubería actual, la tubería de tratamiento actual de ADPKD. Y vale la pena señalar que cuando observa otras enfermedades renales genéticas raras, como el síndrome de Alport o FSGS, ADPKD es el único con un tratamiento aprobado. Creo que eso está realmente relacionado con las colaboraciones como PKDOC, las colaboraciones de la comunidad de pacientes, la dedicación real de los científicos clínicos y la dedicación de los patrocinadores de la industria y en el espacio.

Ahora, si retrocedemos una década, PKDOC identificó la necesidad de un biomarcador para respaldar los ensayos clínicos en ADPKD, y luego colaboró ​​con esa gran comunidad de investigación y reguladores en el desarrollo del volumen renal total.

Y si no está familiarizado con el volumen total de los riñones, es básicamente una medida de cómo pueden crecer estos riñones con la progresión de la PQRAD.

Entonces, para encontrar el volumen renal total como biomarcador para seleccionar pacientes para estudios clínicos y respuestas al tratamiento. Eso condujo a la tubería actual de ADPKD, fue fundamental en la aprobación de Tolvaptan.

Y entonces, ¿adónde vamos? Ahora nos vamos a centrar en dos cosas dentro de PKDOC y es una evaluación similar de lo que se necesita para desarrollar medicamentos y es realmente en dos áreas. Uno es para el tratamiento anterior de ADPKD. Entonces, si observa los medicamentos actuales aprobados para ADPKD, son para pacientes con un riesgo rápido de progreso.

Nos gustaría ver medicamentos aprobados que puedan tratar a los pacientes, mejorar el tratamiento de pacientes con enfermedades más tempranas. Por lo tanto, proporcione a los pacientes un mayor lapso de salud. Y reducir aún más el riesgo de que cualquier paciente con PQRAD llegue a insuficiencia renal. Y el segundo es enfocarse en herramientas para tratar y herramientas y ciencia regulatoria para tratar ARPKD. Creemos que una de las razones por las que aún no hay una tubería para ARPKD es que no hay un camino claro para el desarrollo de fármacos. Y entonces pensamos que al traer ARPKD al consorcio podemos ayudar a facilitar el desarrollo de una tubería para ARPKD. Entonces, si tenemos éxito en el futuro como lo ha sido el consorcio en el pasado, lo que creemos es que esto evolucionará hacia una tubería ADPKD y una tubería ARPKD.

Iniciamos los esfuerzos en estas prioridades con una cumbre regulatoria el mes pasado. Todos los materiales de Summit están disponibles.

Los animo a escuchar las charlas de pacientes y científicos y los paneles de discusión para obtener una comprensión más profunda de cómo se ven estos esfuerzos para cumplir con estos objetivos de expansión, AD Pipeline y crear una tubería AR.

Ahora, en una sesión anterior de hoy, Elise Hoover, directora de investigación de la Fundación, brindó una actualización detallada de nuestro registro de ADPKD.

Entonces, lo que voy a hacer aquí es proporcionar una instantánea del estado actual y luego hablar más sobre hacia dónde vamos con el registro en el contexto de la creación del programa Centros de Excelencia.

Así que solo echamos un vistazo al registro para echar un vistazo.

Se acerca el segundo año y estamos muy agradecidos por el tremendo compromiso de todos ustedes para apoyar este esfuerzo. Publicamos nuestro primer informe anual en marzo de este año para compartir lo que hemos aprendido hasta ahora.

Y si no ha leído este informe, le recomiendo que visite la página de inicio del registro y lo descargue. En términos de Compromiso, más de dos mil pacientes se han inscrito y participan en este registro, lo que lo convierte en el registro de resultados informado por pacientes más grande de los Estados Unidos.

Actualmente estamos recopilando varios cientos de elementos de datos a través de nueve encuestas de resultados informados por pacientes. Estos temas de encuesta, y en muchos casos las propias encuestas, se construyen en consulta con el comité directivo del registro y el comité asesor de pacientes del registro.

Actualmente, estas encuestas cubren una serie de temas que incluyen Conceptos básicos sobre el estado de la enfermedad y los antecedentes familiares, encuestas para comprender el dolor y el impacto de vivir con PKD, encuestas sobre manifestaciones extrarrenales de la PKD y, más recientemente, hemos agregado encuestas sobre la utilización de la atención médica. y acceso para ayudar a informar nuestros esfuerzos de defensa. Y durante los últimos nueve meses, hemos empleado el registro para conectar a los pacientes con los ensayos clínicos y el registro ha realizado más de 3100 contactos de pacientes para respaldar el reclutamiento para cinco estudios clínicos diferentes.

Así que solo quiero concluir esta diapositiva diciendo que creemos que estamos construyendo una herramienta realmente poderosa para comprender cómo progresa la ADPKD y qué enfoques mejoran los resultados y quiero agradecer a aquellos de ustedes que ya están participando.

Siga completando esas encuestas porque los datos más poderosos son las observaciones repetidas a lo largo del tiempo.

Y si actualmente no participa en el registro, considere registrarse y unirse a nosotros en este esfuerzo.

Y ahora, solo para concluir los esfuerzos de investigación, quiero compartir un nuevo esfuerzo que la Fundación está trabajando para lanzar, que es el programa de Centros de Excelencia PKD. Por lo tanto, el programa de centros de excelencia está diseñado para mejorar la atención al paciente mediante el compromiso directo con los médicos, la expansión de la registro para ayudar a desarrollar conjuntos de datos para impulsar la atención, la mejora de la calidad y la expansión de nuestros esfuerzos educativos para crear un ecosistema de aprendizaje, centrado en esta mejora de la atención. Así que tocaré estos aspectos a un alto nivel en las próximas diapositivas. Y comenzaremos con una mesa puesta, diapositiva para compartir una visión, estrategia y objetivos para este programa.

Porque la visión de este programa es mejorar la atención de todos los pacientes con ADPKD integrando un concepto de equipo de atención, investigación y educación mediante el establecimiento de la red de centros de excelencia.

Nuestra estrategia es múltiple. En primer lugar, implica desarrollar las mejores prácticas actuales para crear un equipo de atención. Modelo para PKD.

En segundo lugar, implica recopilar los datos necesarios para informar la creación de estándares de atención o pautas de atención clínica. Ahora me detendré un poco en esto para explicar a qué me refiero cuando decimos "normas de atención o pautas de atención clínica" porque es realmente importante.

Entonces, por definición, un estándar de atención es básicamente un proceso de diagnóstico y tratamiento que un médico debe seguir para un determinado tipo de enfermedad del paciente o circunstancias clínicas.

Estos se derivan de datos de estudios observacionales como nuestro registro, de estudios clínicos de intervención y de la práctica clínica y están disponibles para muchas enfermedades, pero aún no están disponibles para la PKD.

Entonces, lo que queremos crear a través de estos esfuerzos son pautas nacionales de atención, de modo que cualquier proveedor de atención médica que trate a un paciente con PKD sepa cómo se debe cuidar al paciente, según los detalles de su caso. Ahora, dada la complejidad de la poliquistosis renal, esto requerirá no una sola pauta de atención, sino una serie de pautas de atención. Será un esfuerzo de varios años, nos basaremos en la comprensión actual de la enfermedad. Esfuerzos actuales para crear documentos de consenso como lo que está pasando con KDIGO, pero esto realmente va a ser fundamental para nuestra estrategia.

Además de recabar datos para tal fin. También vamos a recopilar datos para informar las disparidades de salud en PKD, sabemos que existen.

Queremos entender cuáles son esas brechas, para que podamos desarrollar un plan de acción para cerrar estas brechas. Y luego, en base a lo que estamos aprendiendo, vamos a crear programas educativos para enseñar tanto a los pacientes como a los proveedores de atención médica cuál es la mejor manera de cuidar a los pacientes con poliquistosis renal.

Entonces, a largo plazo, eso se reduce básicamente a tres objetivos. El primero es acreditar y financiar una red de centros de excelencia que cumplan con criterios predefinidos. Y hablaré de algunos de ellos en un momento. Y como aludió Andy, una expansión del registro en un par de formas. Uno, para incluir hasta 10 000 registros de pacientes como mínimo, y recopilar estos datos de los centros de excelencia y directamente de los pacientes e incluir ahora la expansión para incluir datos de registros clínicos verificados, así como los datos de la encuesta de resultados informados por los pacientes que ya estamos recopilando. , nuevamente para impulsar el desarrollo de estos de estos estándares de atención y pautas de atención.

Y luego, el último objetivo es básicamente mejorar la calidad de la atención brindando educación a los proveedores de atención médica y a los pacientes para impulsar la adopción de estos estándares de atención, que se derivarán de estos esfuerzos.

Así que ahora vamos a hablar un poco sobre los equipos de atención.

Hablaré del registro y hablaré de la educación.

Esta diapositiva habla de lo que entendemos por equipos de atención.

Describe cómo debería ser un equipo de atención idealizado para un paciente con ADPKD.

Ahora, verás que este equipo de atención es integral. Incluye no solo nefrólogos que se especializan en PKD, sino también una variedad de especialidades como radiólogos, cardiólogos, hepatólogos, equipos de manejo del dolor y profesionales de la salud mental, por nombrar algunos necesarios para ayudar a abordar las posibles complicaciones de vivir con PKD desde un punto de vista físico y la perspectiva del bienestar mental. Y también incluye especialistas por ejemplo, como los dietistas renales que pueden aconsejarte sobre las acciones que puedes realizar en el presente para mejorar tu calidad de vida.

Es importante destacar que si observa la esquina superior izquierda, este modelo también incluye el navegador del paciente para ayudarlo a coordinar su atención para que no esté solo en este viaje, sino que haya alguien que lo ayude a administrar el acceso a esta atención integral. equipo. Y entonces, es este modelo representado en la diapositiva que tenemos la intención de ayudar a desarrollar tanto a través del proceso de selección de sitios para convertirse en Centros de Excelencia, y luego también a través de incentivos que se proporcionarían a los sitios seleccionados para ser un programa de Centros de Excelencia para ayúdelos a desarrollar esta estructura de equipo de atención completa.

Entonces, ¿cómo encaja el Registro en este programa? Entonces, esta imagen muestra la recopilación actual de datos del Registro, y he hablado sobre la importancia de recopilar datos adicionales necesarios para descubrir la mejor manera de tratar a los pacientes.

Por lo tanto, expandir el registro para incluir este tipo de datos conectará los Registros directamente con los sitios que participan en el programa de centros de excelencia, para recopilar esos datos de registros médicos verificados y realmente creemos que con un conjunto de datos de registro ampliado de resultados informados por los pacientes combinados con resultados verificados datos de registros clínicos que le enseñarán mejor cómo tratar a los pacientes y facilitarán el desarrollo de estos estándares nacionales de los que hemos estado hablando.

Entonces, para la última parte de esta sección, quiero mostrarles cómo encaja la educación en esta imagen.

Entonces, la Fundación se encuentra en una posición realmente única dentro de nuestro ecosistema de tener acceso tanto a los pacientes como a los proveedores de atención médica, por lo que vamos a aprovechar ese ecosistema completo para proporcionar programación educativa para mejorar nuestros resultados y así es como estamos. va a hacerlo

Históricamente, nuestro principal programa de educación ha sido brindar educación al paciente a través de lo que estamos haciendo ahora en PKDCON y a través de PKD Connect y nuestros seminarios web, y esto es algo que continuaremos haciendo a medida que construimos esta Visión.

Recientemente, lo que hemos hecho es comenzar el proceso de pilotaje de educación médica certificada para proveedores de atención médica. Para informarles mejor sobre el cuidado de la PKD. Y nuestra visión, para el programa del centro, es básicamente expandirlo e integrar estos esfuerzos brindando educación local a los pacientes, a través de los centros, y luego brindando educación adicional sobre el cuidado de la salud a través de la educación entre pares y las mejores prácticas de aquellos sitios que están fuera de los centros. a la amplia comunidad de proveedores de atención médica.

Y, en última instancia, nuestra visión para estos esfuerzos es crear este ecosistema de aprendizaje, donde la práctica informa la investigación y la investigación informa la práctica clínica, y donde estamos utilizando nuestro programa educativo para enseñar a los médicos cómo cuidar mejor a los pacientes, enseñando a los pacientes qué atención deben suponer.

Así que está facultado para educar, para abogar por la atención que se merece.

Ahora, me gustaría terminar con algunas diapositivas que destacan nuestro trabajo en defensa.

Por lo tanto, desarrollamos y brindamos nuestra programación de promoción a través de la colaboración con CURA Strategies.

Los animo a que visiten nuestro stand de defensa y, si están interesados, asistan a la sesión de apoyo justo después de esta sesión. Este año ha sido un gran año.

Vimos la creación de una Red de defensa de base dedicada y, trabajando juntos con todos ustedes, tuvimos un año realmente exitoso en el logro de nuestros objetivos legislativos y hemos establecido un conjunto ambicioso de objetivos para el próximo año y compartiré un poco de cada uno de estos con usted en las próximas diapositivas.

Entonces, en 2020, lanzamos la Red de campeones de defensa o ACN, como nos referimos a ella de forma abreviada, y este es un grupo de miembros de la comunidad de PKD en los EE. UU. que participan en esfuerzos formales de defensa con los legisladores federales.

Actualmente tenemos 36 miembros de 22 estados. Se eligen a mano en función de un proceso de solicitud y, a medida que analizo nuestros éxitos en la siguiente diapositiva, este grupo es, como todos en la comunidad, quienes proporcionaron formas realmente poderosas de apoyar nuestros esfuerzos legislativos y de defensa. Y para decir si esto es algo que le interesa, considere solicitar la clase de ACN 2021, puede encontrar más información sobre esto en el stand de defensa como parte de PKDCON.

Entonces, ¿qué hacemos este último año?

Bueno, como parte de la Coalición Honor the gift, abogamos por la aprobación exitosa de la ley de cobertura integral de medicamentos inmunosupresores para pacientes con trasplante de riñón, o el proyecto de ley inmuno para abreviar y este proyecto de ley garantiza la cobertura de atención médica de por vida para medicamentos inmunosupresores para receptores de trasplante de riñón. . Así que esa fue una importante pieza de legislación que creo que como comunidad estamos muy orgullosos de haber sido parte de haber superado.

También defendimos con éxito, como ya hemos mencionado, la inclusión de la PKD como un tema dentro del programa de investigación médica dirigido por el Congreso del Departamento de Defensa, que solo este año, solo a través de los esfuerzos de nuestros investigadores, les permite asegurar una mayor de 12 millones de dólares en subvenciones para investigación. Y finalmente, comenzamos a sumergirnos en el agua de la defensa a nivel estatal, ampliamos nuestros esfuerzos y participamos en una Coalición Nacional para asegurar la aprobación de la ley de protección de donantes vivos en seis estados enumerados aquí y estos esfuerzos continúan. .

Entonces, ¿qué hay en nuestra agenda para 2021?

Bueno, primero, como siempre lo hacemos, abogaremos por mantener y maximizar la inversión federal en investigación en PKD, bajo el programa de investigación médica dirigido por el Congreso. En segundo lugar, vamos a abogar por una legislación que impacte directamente y fomente las donaciones de riñones entre la comunidad de PKD, incluida la legislación de la ley de protección de donantes vivos.

Esté atento a las alertas de defensa de la Fundación y las formas en que puede participar con nosotros para trabajar en la aprobación de esta legislación.

Y, por último, existen disparidades significativas en el cuidado de la salud en el cuidado de los riñones, incluso para la PKD. Entonces, uno de los otros esfuerzos clave de promoción en los que participaremos es realmente elevar y abordar las consecuencias de disparidades raciales en el diagnóstico de la enfermedad renal, el tratamiento y el acceso al trasplante a través de la lente PKD, por lo que aún no está del todo claro cuáles serán estos, cómo serán los esfuerzos legislativos aquí, pero estamos comprometidos a participar y ayudar a liderar el avance de esos esfuerzos de los legisladores. Y con eso, solo quiero concluir diciendo que espero que vean que estamos trabajando para expandir e integrar nuestros esfuerzos de investigación, defensa y educación, realmente, para abordar las necesidades de ustedes y sus familias.

Y con eso, quiero pasar esta sesión a Chat Iseman, el director de avances de la Fundación para compartir por qué es un momento emocionante para ser parte de la Fundación PKD.

Gracias, Chris.

Me encanta.

He visto esa presentación una o dos veces y cada vez que aprendo algo nuevo e incluso como empleado, estoy impresionado por el trabajo que hace esta organización. Entonces, hola, mi nombre es Chad Iseman y soy el director de desarrollo de la Fundación PKD. Antes de unirme a la Fundación PKD en junio del año pasado, fui vicepresidente de la Fundación Nacional del Riñón, donde pasé 15 años brindando programas y recaudando fondos en nombre de los pacientes renales. Es mi pasión profesional apoyarte.

Y estoy realmente honrado de ser parte de la Fundación PKD y la comunidad PKD.

Genial. Demos un gran agradecimiento más a los patrocinadores de este año por ayudar a sufragar el costo de organizar PKDCON y ayudar a que la asistencia sea gratuita. En el nivel Diamante Otsuka. Y en el nivel Platino Reata Pharmaceuticals y Sanofi Genzyme. En el nivel Oro, Natera, y en el nivel Plata Palladio Biosciences, Talaris Therapeutics y el fondo Roger L. Kohn y Kay M. Gilbert.

Fue con su apoyo que podemos brindar esta gran educación de forma gratuita.

Gracias de nuevo.

Entonces, 2021 marca el año de muchos hitos para la Fundación PKD. Además, para organizar el primer PKDCON virtual, también completaremos nuestro mayor esfuerzo de recaudación de fondos hasta la fecha, como han escuchado de la campaña Future Focus de $70,000,000. Desde 2018, este ambicioso esfuerzo de recaudación de fondos allanó el camino para un aumento del doscientos treinta por ciento en las inversiones en investigación, y nuestro camino al 300 %.

Como Chris acaba de mencionar, Future Focus también proporcionó los recursos para lanzar el Registro Nacional de ADPKD más grande del país. Para ayudarnos a completar los 1,1 millones de dólares restantes en la campaña Future Focus, considere apoyar a la Fundación PKD con una donación que sea significativa para usted.

Si escanea este código QR con la cámara de su teléfono inteligente y tiene una billetera digital, como Apple Pay o Google Pay, configure Microsoft Pay. Puede hacer una donación sin siquiera ingresar la información de su tarjeta de crédito, lo que facilita la donación a nuestra misión.

¿Y adónde van tus donaciones una vez que das a la Fundación PKD? El 80 por ciento de cada dólar se destina directamente a respaldar nuestra misión, incluido nuestro programa de subvenciones, el registro, respaldar nuestro Consorcio de resultados y todos nuestros esfuerzos educativos. Estamos orgullosos de ser una organización sin fines de lucro de Charity Navigator con calificación de cuatro estrellas y la calificación más alta. posible.

Vale la pena repetirlo, en total, la Fundación PKD en 40 años ha financiado más de $ 50 millones en investigación básica, para más de 1300 investigadores, y hemos obtenido otros 1.500 millones de dólares en financiamiento para investigadores de PKD de otras fuentes.

La generosidad de la comunidad de PKD ha dado lugar a muchos hitos importantes en los últimos 40 años. Incluyendo la financiación del primer investigador en el espacio PKD, encontrar el primer gen relacionado con PKD y muchos más desde entonces. Y establecer el volumen renal total como el biomarcador crítico necesario para aprobar el primer tratamiento para la PKD, sin mencionar la media docena de otros medicamentos en ensayo clínico mientras hablamos.

Pero para continuar con este proceso, necesitamos su participación. La forma más fácil de participar es caminando con nosotros. Entonces, Walk for PKD es la comunidad de PKD más grande del país, que reúne a más de 55 ciudades, diez mil caminantes, casi mil equipos cada año y, al igual que el año pasado, estamos celebrando virtualmente en 2021.

Tenemos algunas adiciones divertidas y emocionantes en la tienda este año. Nuestro objetivo es recaudar 1 millón de dólares.

El cien por cien de los cuales va directamente a la investigación.

Así que si te saltaste el año pasado, vuelve. Si es nuevo en la fundación PKD, no hay mejor manera de involucrarse que caminar con nosotros en Walk for PKD. Puede registrarse en cualquier momento en walkforpkd.org

Otra forma divertida de apoyar a la Fundación PKD es la plataforma Team Kidney and Fundraise Your Way.

La plataforma de recaudación de fondos Team Kidney proporciona todas las herramientas que necesita para tener éxito. Puede iniciar una página de recaudación de fondos para donar las ganancias de una venta de pasteles, un porcentaje de la venta de un restaurante o su propio evento como una noche de trivia o karaoke.

También puede crear un desafío personal, por lo que si le gusta correr, puede donar regalos en honor a un maratón que está corriendo o un 5k. Un paseo en bicicleta a distancia, tal vez incluso establezca su propio desafío único para superar el desafío del cubo de hielo.

Y por último, puedes celebrar hitos y eventos significativos con nosotros.

Puede recaudar fondos para su cumpleaños, aniversario de trasplante, boda o cualquier otra ocasión significativa y, al mismo tiempo, crear conciencia sobre la Fundación PKD.

Nuestra plataforma en línea lo hace fácil, y nuestro equipo de recaudación de fondos de la comunidad está aquí para ayudarlo.

Entonces, ahora que PKDCON casi ha terminado y te vas de este fin de semana un poco más informado, ¿cómo puedes continuar con el impulso y mantenerte involucrado e inspirado en tu propia salud y los acontecimientos de la Fundación PKD?

No más allá de nuestro sitio web y la esquina superior derecha de pkdcure.org, encontrará acceso a casi todo lo que necesita para mantenerse conectado, incluidos enlaces de redes sociales, registros, formas de participar y formas de retribuir.

Y para mantenerse informado sobre todo lo que sucede en la Fundación PKD, PKD News es su fuente de acceso. Este boletín electrónico una vez al mes proporciona actualizaciones sobre investigación, educación, eventos y formas de mantenerse involucrado en la comunidad PKD.

Haga clic en el sobre en la esquina superior derecha de nuestro sitio web para suscribirse.

Y por último, pero no menos importante, suscríbase a la revista gratuita PKD Life.

Eres el centro de todo lo que hacemos como organización. Y la revista PKD Life no es una excepción.

Cuando creamos un PKD Life, empezamos por escuchar lo que quiere que lea como paciente.

Así que esta revista de estilo de vida fue creada para ti por. Te suscribes en pkdcure.org/pkdlife.

En nombre de todo el personal y la junta de la Fundación PKD. Gracias.

Usted acaba de ser parte de lo que pensamos, todavía tenemos algunos números que procesar, pero creemos que este es el evento PKD más grande en los casi 40 años de historia de esta organización, casi 2,000 inscritos de 40 países asistieron veinticinco diferentes sesiones y mesas redondas. Como personal y voluntarios, nos tomamos muy en serio nuestra misión de dar esperanza y esperamos sinceramente que su tiempo con nosotros este fin de semana sea inspirador y esclarecedor.

Gracias por ser parte de PKDCON 2021.

Chad, muchas gracias por tu presentación. Andy y Chris, gracias también por sus presentaciones. Amigos, creo que pueden ver por qué el progreso se está logrando tan rápido en términos de financiamiento de varios programas para PKD.

Cuando tienes caballeros como este y otros tantos en la Fundación PKD. haciendo un gran trabajo. Esperamos que todos hayan disfrutado de esta actualización sobre la Fundación PKD y sus esfuerzos para mejorar la comunidad PKD.

A medida que nos acercamos al final de nuestro primer PKDCON virtual, queremos agradecerle por unirse a nosotros.

Esperamos que haya aprendido mucho, haya hecho algunas conexiones nuevas y se sienta optimista sobre el futuro de la investigación de PKD.

Esté atento a su correo electrónico para recibir una encuesta inmediatamente después de la conferencia y anunciar las sesiones grabadas de PKDCON a finales de este verano.

A continuación en la agenda, estas son las mesas redondas de pacientes. Por favor, acérquese y únase a nosotros allí. Todos los temas de la mesa redonda se enumeran en la agenda, únase a una discusión de mesa redonda.

Lo hace simplemente haciendo clic en el tema de su elección.

Estas mesas redondas son una oportunidad para conectarse con otros miembros y siéntase libre de visitar más de una mesa durante la próxima hora. Gracias a todos por acompañarnos.