Orador 1: Damas y caballeros, comenzaremos en dos minutos.

Chris Rusconi: Hola a todos, bienvenidos a los estudios clínicos de la sesión plenaria de investigación en el registro de ADPKD. Cómo puede influir en la investigación. Soy Chris Rusconi, director de investigación de la fundación. En esta sesión proporcionaré información general relacionada con los ensayos clínicos. El Dr. Michal Mrug brindará una descripción general de los ensayos clínicos abiertos en el espacio de PKD y Elise Hoover, directora sénior de investigación de la Fundación, brindará una actualización sobre el registro de ADPKD de la fundación. En los próximos 10 minutos más o menos, tocaré 3 temas. El primero será un trasfondo de lo que es la investigación clínica. Luego hablaremos sobre cómo es la participación en el ensayo clínico y luego terminaremos hablando sobre por qué es tan importante la participación en los ensayos clínicos.

Por lo tanto, esta diapositiva representa la tubería de tratamiento de PKD patrocinada por la industria. Ahora, el Dr. Mrug se sumergirá en los estudios de inscripción actualmente en esta línea y hablará de eso más adelante, pero lo que quiero señalar aquí es que es genial tener una tubería. Puede notar que la tubería es un poco más pequeña de lo que hemos visto en los últimos dos años. Como hemos visto algunas fallas en etapas tardías, Michal las tratará con un poco más de detalle, pero a pesar de esto, una de las cosas que estamos viendo en otros esfuerzos de investigación, particularmente en la enfermedad renal poliquística *[poco claro ] [00:08:22]* consorcio, hay más empresas entrando en el espacio ADPKD en el espacio PKD en general, y eso crea mucho optimismo para nosotros.

Veremos un crecimiento en esta tubería durante los próximos años y, lo que es más importante, para que este crecimiento ocurra como muchos de ustedes ya lo han hecho, necesitaremos continuar con esta colaboración continua entre pacientes y familias con PKD como ustedes y la industria y los patrocinadores académicos de estos estudios clínicos. Ahora, además de los estudios patrocinados por la industria, hay una serie de otros estudios patrocinados por académicos. Estos incluyen algunos financiados por la fundación que evalúan cosas como la reutilización de medicamentos, pero también otras intervenciones no farmacológicas para la poliquistosis renal, como intervenciones en la dieta y el estilo de vida.

Entonces, ahora en las próximas diapositivas queremos hablar sobre lo que es la investigación clínica. Por lo tanto, hay dos tipos de estudios que se destacan aquí. Hay estudios de observación, estos son aquellos en los que los investigadores analizan datos de salud , buscan vínculos entre el diagnóstico y la progresión de la enfermedad de los síntomas de la calidad de vida, y luego están los estudios de intervención. Estos son estudios que prueban nuevas formas de prevenir, detectar o tratar enfermedades, y es importante tener en cuenta que un estudio de intervención puede ser cualquier enfoque para prevenir, detectar o tratar enfermedades que incluya terapias con medicamentos, pero también incluye cosas como dieta o intervenciones y dispositivos de estilo de vida.

Ahora, si hablamos de ensayos clínicos, solo la definición estricta de lo que es un ensayo clínico. Estos son estudios en humanos de nuevos tratamientos o terapias para enfermedades, y se realizan para garantizar que el tratamiento o la intervención sean seguros y efectivos.

Ahora, una de las razones por las que nos gusta compartir esta información con ustedes y realmente buscamos la colaboración en la población de personas con PKD es que la inscripción insuficiente es uno de los problemas más importantes que enfrenta el desarrollo de medicamentos para la PKD que realmente toma dos fallas. Uno son los ensayos que simplemente no lograron reclutar suficientes voluntarios para completar el estudio. Y luego, el segundo está algo relacionado, pero es diferente, es que no logra reclutar pacientes lo suficientemente rápido como para que la finalización del estudio sea factible. Entonces, nuevamente, es muy importante que si está interesado, participe en estudios clínicos. Entonces, eso es lo que son los ensayos clínicos, y creo que vale la pena preguntar, en este sentido, entonces, ¿por qué algunas personas eligen participar en estudios clínicos?

Entonces, cuando comenzamos a usar el registro ADPDK para ayudar a conectar a los pacientes inscritos en el registro de estudios clínicos, preguntamos sobre la motivación de la gente para contribuir. Y esto es lo que hemos aprendido. En primer lugar , como puede ver en esta diapositiva, hay una variedad de motivaciones para que la gente participe en la investigación. Dicho esto, considerando esto, la mayoría de las personas participan para contribuir al avance de la ciencia y los tratamientos y el acceso a especialistas y la oportunidad de intentar innovar en los tratamientos también son razones importantes por las que las personas comparten que eligen participar en un estudio clínico.

Ahora, creo que probablemente muchos de ustedes hayan escuchado esta frase para llenar el espacio en blanco. Este es un estudio de fase para completar el espacio en blanco, por lo que lo que queremos hacer en esta diapositiva es brindar una descripción general muy rápida de los propósitos de las diferentes fases de los estudios clínicos. Entonces, si está considerando participar, entiende que sabe ampliamente cuál es el propósito. Entonces, la primera fase de los estudios clínicos es un estudio de fase uno. Estos son generalmente estudios pequeños. Están diseñados para obtener una comprensión temprana de la seguridad de un medicamento, sus dosis adecuadas y cómo se comporta el medicamento en personas sanas. Entonces, la mayoría de los estudios de fase uno comienzan al menos en personas sanas.

Ahora la siguiente fase de pruebas clínicas o lo que se llama estudios de fase dos. Por lo general, esta es la primera vez que se estudia un fármaco en la población de pacientes, es decir, el grupo de personas con las que ese fármaco está destinado a ser potencialmente un tratamiento. Estos estudios que dicen que son de tamaño moderado y están diseñados para obtener una comprensión de la seguridad del medicamento en la población prevista de pacientes o la población prevista para su uso, y obtener signos tempranos de eficacia o si el medicamento realmente funciona para ayudar a determinar si los medicamentos debe estudiarse más a fondo y pasar a estudios de fase tres.

Ahora, estudios de fase tres. Por lo general, estos son estudios grandes que están diseñados para demostrar claramente que un fármaco es eficaz en el tratamiento de enfermedades y para comprender mejor la seguridad del fármaco. Es el resultado de los estudios de fase tres junto con los que utiliza la FDA para revisar y determinar si un fármaco debe aprobarse para tratar una enfermedad, por lo que a veces también se denominan estudios fundamentales.

Y luego, en algunos casos, hay estudios que se denominan estudios de fase cuatro. Estos se llevan a cabo después de que se aprueba un medicamento y realmente, por lo general, para demostrar aún más la eficacia del medicamento.

Entonces, esta es la fase de los estudios clínicos y ahora lo que queremos hacer es hacer la transición y hablar sobre cómo es participar en este estudio. Entonces, el primer paso en la participación es el consentimiento informado. Aquí es donde usted, como participante, aprendió del personal del estudio exactamente cómo será participar en el ensayo. Por lo tanto, puede decidir desde una posición realmente informada si desea participar en este estudio.

Ahora, estos formularios de consentimiento son muy, muy cruciales , muy importantes para leer y deben incluir las siguientes cosas que se enumeran aquí. Creo que es importante que incluyan los procedimientos a los que se sometería usted como participante. Deben incluir el riesgo de participación junto con cualquier otro detalle importante, por lo que es importante leer ese consentimiento informado y hablar con el equipo del estudio al respecto y obtener respuestas a todas sus preguntas antes de decidir si desea o no dar su consentimiento.

Ahora, lo siguiente que podemos pensar es otra consideración importante o criterios de elegibilidad para participar en el estudio, y estas son las razones por las que usted es elegible o no para un estudio. Estos criterios de elegibilidad son básicamente características que deben compartir todos los participantes del estudio, por lo que hay algunos ejemplos en el cuadro verde que son criterios de elegibilidad comunes, como la edad en que se diagnostica, el historial médico, la función renal actual, es una consideración para casi todos los estudios clínicos. así como los medicamentos actuales.

Sabes, creo que una de las cosas y hablaremos de esto en un momento. Pero ya sabes, los estudios clínicos toman mucho tiempo. Requieren mucho esfuerzo de los participantes, así como de los patrocinadores del estudio, por lo que es realmente importante que el estudio sea interpretable, y ahí es donde realmente entran los criterios de elegibilidad. Están ahí para garantizar que los resultados del estudio estudio se deben a lo que está bajo el control del estudio. Realmente son fundamentales para ayudar a los investigadores a lograr resultados precisos y significativos y, lo que es más importante, es importante anotar el asterisco en la parte inferior de la diapositiva que indica que todos los criterios de estudio fueron aprobados por una junta de revisión de ética independiente. Por lo tanto, están bien examinados y realmente están allí para garantizar que el estudio sea interpretable y también que usted sea un candidato adecuado para un estudio determinado.

Entonces, ¿qué debe esperar si participa en un ensayo clínico? Entonces, creo que lo más importante que debes saber es que tu mayor compromiso es tu tiempo. Por lo tanto, los estudios requieren su tiempo por una variedad de razones que pueden ser visitas de estudio para chequeos que pueden ser visitas de estudio para análisis como análisis de sangre y orina y visitas de estudio realmente para cualquier procedimiento para monitorear si el tratamiento está funcionando y si es seguro y por lo tanto, poder dedicar su tiempo es realmente fundamental porque la mejor manera de obtener buenos resultados es que todos los participantes completen por completo las visitas y las pruebas del estudio y, dicho esto, la participación total es importante.

Creo que lo que también es realmente importante saber es lo que se destaca en la parte inferior de esta diapositiva, y es que la participación es voluntaria. Por lo tanto, si en algún momento se inscribió en este estudio y ya no desea participar, es libre y bienvenido a retirarse del estudio. Puede hacerlo simplemente comunicándose con su equipo de estudio, quien lo ayudará a comprender cómo salir de este estudio de manera segura. Hablando de seguridad, hablemos de cuáles son los riesgos que implican los ensayos clínicos.

Entonces, estas son obviamente consideraciones muy importantes . Digamos que el riesgo de cada estudio clínico es diferente y, como mencionamos al hablar sobre el consentimiento informado, los investigadores deben informarle todos los posibles riesgos conocidos antes de que acepte participar en el estudio. Dicho esto, existen algunos riesgos típicos de la participación en estudios. El primero son solo los efectos secundarios del medicamento o tratamiento que se está estudiando. Casi todo tendrá algún efecto secundario. Luego, son eventos no deseados durante el ensayo que pueden ocurrir y que pueden o no estar relacionados con el fármaco del estudio. Y finalmente, está el fracaso del tratamiento para trabajar.

Sin embargo, creo que lo importante es que durante el curso del estudio, el equipo de investigación controlará continuamente su salud y seguridad, ya sea que esté recibiendo el fármaco del estudio o un placebo. Placebo es si está en un estudio con un estudio controlado con el comparador, un placebo es una píldora de azúcar que se parece al fármaco del estudio. Es para que el personal del estudio e incluso usted mismo como participante, no sepa lo que está recibiendo. Y finalmente, cuando pensamos en la participación en el estudio, su privacidad y confidencialidad son realmente críticas . Los patrocinadores del estudio entienden que usted deposita una gran confianza en ellos cuando participa y comparte sus datos como parte de su participación. Por lo tanto, todos los patrocinadores del estudio hacen un gran esfuerzo para proteger su identidad y sus datos de manera rigurosa.

Creo que hay tres cosas clave a tener en cuenta: primero, cuando da su consentimiento, se le asignará un número de identificación de estudio único, toda su información de identificación personal, su nombre, su información de contacto, su dirección, su fecha de nacimiento se separará de su identificación del estudio, y eso se coloca en un lugar seguro. Después de eso, todos los datos que se recopilan de usted solo se identifican con su identificación única. Llamamos a esto datos no identificados, por lo que si las personas hablan de datos no identificados, significa que su información personal se ha separado de esos datos . Estos datos también se almacenan en una ubicación segura, y esa es una ubicación segura que está separada de sus identificadores personales y, finalmente, cuando se trata de análisis de datos, solo se analizan los datos no identificados y solo en raras ocasiones un equipo de estudio conectaría su nombre con sus datos y eso solo sería realmente por razones de seguridad.

Si hay una razón por la que tuvieron que comunicarse con usted por su propia seguridad o para informarle sobre eventos de seguridad en un estudio, entonces solo quiero concluir mi parte de la sesión compartiendo esta diapositiva que creo que destaca el desarrollo de tratamientos que son realmente una colaboración entre investigadores y grupos de colaboración de pacientes como PKDOC y patrocinadores de estudios clínicos, por lo que en este caso se usa tolvaptán. Entonces, en el caso de Tolvaptan, hace muchos años, los investigadores, incluido el fundador de la Fundación, el Dr. Jared Grantham, desarrollaron datos en animales que indicaban que la supresión de la vasopresina podría ser un tratamiento potencial para la ADPKD y eso realmente proporcionó algo de lo que llamamos ese tratamiento crítico. inicio de este viaje, la razón para creer.

Entonces, este es un enfoque razonable y algo en lo que creemos lo suficiente como para estudiarlo en humanos. Entonces, después de eso, al mirar esta diapositiva de la fase uno a la fase tres, verá que es más de una década de estudios clínicos. No todos, pero aquí se muestran algunos que resaltan el increíble compromiso de los pacientes. Entonces, creo que ese compromiso es tanto en términos de número de participantes como de tiempo requerido para los estudios. Algunas que son cortas, de 5 a 8 semanas, pero otras que son muy largas. Múltiples años de compromiso para la participación y creo que eso realmente destaca el papel de todos ustedes como pacientes y alimentando y facilitando el desarrollo de tratamientos.

Creo que el último mensaje para llevar aquí es que usted es realmente esencial para el desarrollo de todos los tratamientos para la PKD y, con eso, lo que me gustaría hacer es pasar la sesión al Doctor Michael Rug, quien, entre otros sombreros , preside el panel científico asesor de la Fundación. Bienvenido, Miguel.

Michael Mrug : Me gustaría agradecer al Doctor Rusconi por una buena introducción y por una muy buena introducción del importante concepto de la línea de tratamiento de PKD que se extiende desde el descubrimiento hasta la fase uno a tres, la aprobación de seguimiento y los estudios posteriores a la comercialización. ¿Puedo obtener la siguiente diapositiva?

Entonces, no voy a hablar sobre los componentes individuales de esta tubería que fueron cubiertos por el Dr. Rusconi. En su lugar, me gustaría centrarme en los estudios que están reclutando o reclutarán en un futuro cercano . Y antes de ir allí, en la siguiente diapositiva, me gustaría mencionar los estudios que no tuvieron éxito y señalar el hecho de que los éxitos actuales descansan sobre los hombros de los estudios que han fracasado. Y estos son estos son los ejemplos de estudios terminados. Los estudios que se detuvieron antes de tiempo y no se reanudarán, incluyeron los estudios de Sirolimus y Everolimus , Triptolide Venglustat o Lixivaptan. Y estos estudios fallaron y se terminaron debido a la falta de eficacia o hubo problemas con la seguridad o un alto abandono.

Me gustaría centrarme o mencionar los estudios de alerta y acción que exploraron en la fase tres la seguridad y eficacia de Lixivaptan. Y este estudio se suspendió recientemente debido a problemas de seguridad porque la toxicidad hepática difería poco de la terapia que ya está en el mercado. Entonces, gracias a todos los que participaron en este estudio y todos estos estudios que no nos ayudaron a avanzar directamente y fueron cancelados.

Entonces, ¿cuáles son los estudios de la tubería de tratamiento de PKD que actualmente están reclutando? Intentaré proporcionar una descripción general rápida y luego discutir estos estudios individualmente. Entonces, uno de ellos es el estudio Pravastatin en principios de ADPKD que realiza la Universidad de Colorado. El otro metilo de bardoxolona que se realiza en muchos lados en los Estados Unidos, luego los habituales son el compuesto 8429 que se dirige al micro-ARN y luego los estudios de comportamiento o dieta que se realizan en la Universidad de Colorado, en Australia.

Entonces, permítanme discutirlos específicamente. Por lo tanto, el estudio Pravastatin, Pravastatin es un estudio de reutilización de la eficacia de Pravastatin, que es una pista aprobada por la FDA para la hipercolesterolemia. El estudio implica el uso de un fármaco oral pravastatina frente a un placebo todos los días durante dos años. Los estudios que buscaban 200 participantes con ADPKD con un volumen renal total superior a 500 mililitros de eGFR superior a 60. Presión arterial bien controlada y sin uso reciente de tolvaptán, fibratos, niacina o ciclosporina.

El siguiente compuesto que se está explorando actualmente es RGLS8429, que es uno de estos compuestos que se dirigen a los micro-ARN. Y es un nuevo compuesto que reemplaza al recientemente estudiado RGLS4326. Se inyecta por vía subcutánea y este es un estudio de fase uno de tolerabilidad de seguridad. Y están buscando 32 participantes para este estudio y los participantes deben tener entre 18 y 55 años de edad con diagnóstico de ADPKD, eGFR de más de 90 e IMC de 18 a 35 y sin uso actual de tolvaptán.

El siguiente compuesto investigado es la bardoxolona metilo. Estudiaron en un estudio de Falcon, que es un estudio de fase tres de seguridad y eficacia de metilo de bardoxolona. Utiliza este fármaco oral frente a un placebo. El medicamento se toma todos los días y el estudio durará dos años. El estudio busca 850 participantes. 18 a 70 años con diagnóstico de PQRAD, FGe 30 a 90. Presión arterial bien controlada y sin uso actual de Tolvaptán.

Entre los estudios de modificación de conducta o modificación de dieta, me gustaría destacar el estudio de restricción calórica que hace la Universidad de Colorado en Denver. Es una intervención de pérdida de peso basada en el comportamiento grupal de dos años que se basa en una reducción del 30% en la ingesta calórica y el aumento de la actividad física. Están buscando 126 participantes, de 18 a 65 años con diagnóstico de PQRAD y aumento del índice de masa corporal de 25 a 45. La función renal eGFR superior a 30. Volumen renal total ajustado a la altura superior a 16 y sin uso actual de tolvaptán.

Por lo tanto, me gustaría mencionar también los estudios que aún no están reclutando pero que probablemente comenzarán a reclutar en un futuro próximo. Eso incluye el estudio de Tolvaptan en ARPKD. Y los estudios de Metformina en ADPKD, Hidroclorotiazida en ADPKD. Dado que aún no se sabe mucho acerca de estos estudios, quiero recomendarle un sitio web excelente, un recurso proporcionado por los NIH llamado ClinicalTrials.gov, que le permite explorar más de 400 000 estudios en la mayoría de los países y básicamente puede explorar esta base de datos escribiendo el condición aquí en este caso, por ejemplo, poliquistosis renal y luego observar un subconjunto de estudios y marcar, observar los estudios que están reclutando o que aún no reclutan.

Por lo tanto , no necesitamos mirar los estudios que ya se completaron, sino solo aquellos que buscan participantes para futuros o posibles participantes. Y si hace eso, lo obtendrá en la página siguiente, y esto es solo un ejemplo de los dos primeros, de lo siguiente de lo que puede ver, conoce los estudios que están reclutando y son los estudios que aún no lo están el reclutamiento y los detalles se proporcionan en términos de cuál es el título del estudio, por lo que puede obtener una idea de qué es el estudio y la ubicación de los estudios. Y, a menudo, para los estudios que aún no están reclutando, la información no incluye la ubicación o pueden faltar algunos otros detalles. Entonces, puede hacer clic en los nombres individuales de los estudios y obtener más información sobre estos ensayos.

Ahora, quizás a veces sea un poco confuso navegar por este sitio web y se brinda mucha información una vez que comienza a ver los detalles de los ensayos individuales. Por lo tanto, para que sea más fácil para los pacientes con PKD navegar en qué ensayos clínicos pueden participar. Nuestra fundación PKD ha establecido la herramienta de estudios clínicos. Esa es una excelente herramienta para navegar en este campo de ensayos clínicos en la investigación de ADPKD y Elise Hoover cubrirá esto con mayor detalle en la siguiente charla.

También me gustaría mencionar que, si bien la mayoría de los estudios se han centrado históricamente en la enfermedad renal poliquística autosómica dominante, ahora ha habido un gran progreso en nuestra investigación de la enfermedad renal poliquística autosómica recesiva o ARPKD. Al observar tanto los biomarcadores de la enfermedad renal como hepática, se están estableciendo las bases de datos, pero también el primer ensayo de tratamiento con tolvaptán que aún no está reclutando.

También hay muchos otros estudios en curso que no mencioné que analizan la patobiología de ADPKD o ARPKD y las otras vías moleculares que pueden ser importantes para la patogénesis de la enfermedad. Incluyendo nuestros repositorios y registros y uno de ellos, el registro ADPKD de la Fundación PKD es el tema central de la próxima charla de Elise Hoover.

Elise Hoover: Excelente, gracias Doctor Mrug . Hola a todos, ahora que nos hemos enterado de los ensayos clínicos en curso para la PKD, nos gustaría compartir revisiones y detalles del propio proyecto de investigación de la fundación, así que mostraremos cómo se ve, cómo tratamos de devolver valor a los participantes, y luego algunas herramientas que hemos creado para ayudar a que la investigación sea más accesible. Entonces, ¿por qué la fundación decidió crear un registro? Entonces, esta es una colección de personas con una enfermedad determinada que brindan datos sobre su experiencia y llegaron tarde para hablar sobre cómo se compara con un estudio clínico, que es un diseño de investigación clásico con el que esperamos que esté familiarizado, especialmente después Charla del Dr. Rusconi.

Entonces, en un ensayo clínico, está limitado para inscribirse según los criterios de inclusión, pero el Dr. Mrug lo señaló en muchos de los estudios de ADPKD. Sin embargo, en un registro hay pocos límites de edad o estadio de la enfermedad. De hecho, en el nuestro, cualquier persona con la enfermedad está invitada a participar en un ensayo, hay un número máximo de participantes y, en última instancia, el estudio se cerrará para la inscripción, pero en un registro, si podemos evitarlo, el estudio nunca se cierra, y los participantes continúan inscribiéndose mientras haya interés. Los tipos de estudio, los tipos de datos que puede recopilar en un estudio clínico están preseleccionados según el protocolo, pero en un registro, tenemos más flexibilidad para agregar nuevas preguntas y, año tras año, repetirlas. Pregúnteles de una manera diferente que es realmente emocionante .

Aunque, por supuesto, una similitud importante es esta idea de confidencialidad. El Dr. Rusconi nos explicó cómo se ve eso y tanto los ensayos clínicos como los registros separarán los datos de los factores de identificación como su nombre, y hablaré un poco más sobre por qué esto es un poco diferente en el registro más adelante. Ok, también hay diferentes tipos de registros, por lo que tradicionalmente los registros basados en clínicas extraen datos de su registro médico electrónico y la única oportunidad que tiene para interactuar con los investigadores es cuando firma ese formulario de consentimiento. Los datos en sí también se centran en gran medida en las pruebas y procedimientos de la clínica.

Sin embargo, en un registro impulsado por pacientes como el nuestro que usamos, se denominan PRO o Resultados informados por el paciente y estos datos los proporcionan directamente los pacientes y, debido a que estamos haciendo eso, dependemos mucho del compromiso con el registro. Por lo tanto, les pedimos a las personas que continúen iniciando sesión y regresen y respondan más preguntas. También podemos recopilar datos que son muy exclusivos , como la calidad de vida, el dolor y la fatiga, que son realmente difíciles de obtener del registro de salud electrónico.

Entonces, en la historia de las fundaciones nos hemos comprometido a financiar y apoyar la investigación, y este es el primer proyecto de investigación que hemos gestionado nosotros mismos. Estamos muy emocionados por eso. Fue lanzado hace casi tres años en el Día de Concientización sobre PKD. Está alojado en línea y esperamos que los objetivos del programa ayuden a avanzar en la investigación para encontrar mejores terapias y curas utilizando la factura del paciente.

Muy bien, antes de entrar en algunos de los datos realmente interesantes del registro, solo quiero seguir adelante y repetir esta diapositiva en términos del registro. Sabes que vimos esto de Chris antes. Así protegemos la privacidad y confidencialidad de los participantes en el registro. Entonces, debido a que somos pacientes en línea, acceda al registro utilizando un portal seguro basado en la web. Luego, el portal asigna automáticamente la ID a sus datos, por lo que no es necesario que un ser humano esté involucrado en todo esto. No hay un equipo estable. No hay médico. El sistema hace esto por nosotros. Y luego, por supuesto, esos detalles se almacenan en una ubicación separada que es segura y luego, a medida que completa los módulos y las encuestas, todos esos datos se asignan a nuestra identificación única, similar a un ensayo clínico. Y luego, lo que realmente nos encanta de nuestro programa es que tenemos grupos asesores compuestos por investigadores, médicos y pacientes, partes interesadas, y así nos ayudan a decidir cómo usar esos datos. Y también estamos construyendo un portal de intercambio de datos relacionado con este año para investigadores.

Bien, ahora lo bueno. Estos son los datos de nuestro informe anual 2021. Tenemos la intención de crear uno de estos cada año para mostrarle el impacto de los datos que recopilamos. A partir de esta semana, más de 2600 personas se han registrado para participar con nosotros. Son de todas partes de los Estados Unidos. Tienen muchas etapas diferentes de la enfermedad. Sin embargo, como puede ver, es necesario aumentar la diversidad racial y de género en el programa, y esa es una de las metas fundamentales para el próximo año.

Este es un ejemplo de cómo usamos los datos, por lo que estos son los resultados de nuestro módulo de historia familiar. Entonces, la genética de ADPKD nos dice que un padre afectado tiene un 50% de posibilidades de transmitir ese gen a cada hijo, pero queremos saber cómo son realmente estas familias . Entonces, lo que hicimos fue desglosarlo por número de hermanos. Y si mira aquí, digamos que alguien que tiene dos hermanos, el 45% de los que tenían dos hermanos, eran la única persona en su familia con la enfermedad si otros hermanos con la enfermedad. Y luego el 20% de los tres hermanos tenían la enfermedad. Es realmente interesante ver cómo se desarrolla eso. Esperamos que busque y siga el camino para su propia situación y vea cómo se comparan esos números.

Ok, y también tenemos una herramienta realmente excelente para ayudar a reclutar para estudios en el registro, por lo que nuestro cuestionario central pregunta detalles sobre la enfermedad que servirían como criterios de inclusión para un estudio. Entonces, función renal, edad, síntomas. Luego, el sistema creará automáticamente cohortes para nosotros o grupos de pacientes que podrían calificar para ese estudio. Nuevamente, no conocemos esos nombres, solo sabemos que encontramos a 250 personas que pueden calificar para un estudio, y le pedimos al portal que le envíe un correo electrónico con más información sobre cómo participar. Y lo que es importante para nosotros es que dejamos el poder en esa mano individual para decidir si quiere participar o no en ese estudio o comunicarse con el equipo de estudio. Solo queremos asegurarnos de difundir la conciencia de la investigación que está en curso.

Y aquí hay otro ejemplo de cómo usamos los datos. Entonces, este es un póster que nuestro equipo de investigación presentó en la reunión anual de la Fundación Nacional del Riñón en abril pasado. Entonces, aquí es donde realmente comenzamos a revelar información sobre cómo el dolor afecta a las personas con ADPKD. Utilizamos una escala de dolor validada. Preguntamos sobre el dolor breve, el dolor sordo y la plenitud o la incomodidad, y luego desglosamos esos datos por aquellos que estaban antes o después del trasplante y en diferentes etapas de la enfermedad. Y lo que aprendimos es que si bien vemos algunas diferencias en el impacto del dolor y en la calidad de vida en función de la etapa de la enfermedad en la que alguien pueda estar, el dolor tiene un impacto en muchos, muchos pacientes con poliquistosis renal en todo el espectro. Por lo tanto, creemos que saber más sobre el dolor renal nos ayudará a informar a los médicos sobre los síntomas que afectan la vida diaria de sus pacientes.

Ok, también es importante para nuestro equipo que sigamos buscando formas de mostrar a los participantes cómo estamos usando sus datos y qué estamos aprendiendo. Entonces, este es nuestro panel de control. Entonces, si usted es un participante, iniciaría sesión en su plataforma y vería el tablero y tendría una idea de algunos de los datos que estamos aprendiendo y luego dónde se encuentra allí. También tenemos un boletín trimestral, por lo que destaca algunos gráficos. Habla de por qué esos datos importan. Muestra una vista previa de lo que viene a continuación y luego también compartimos algunas metas para el trimestre con los participantes. Y luego, como mencioné antes, tenemos un informe anual todos los años. Por lo tanto, no solo tratamos de presentar algunos de los datos en este informe, sino que extraemos testimonios o narraciones de los participantes que nos ayudan a relacionar esas tablas y figuras con la vida real de un individuo y el impacto que la enfermedad tiene sobre ellos y sus familias. . Entonces, tratamos de hacer una combinación para ayudarnos realmente a todos a comprender lo que estamos viendo en estos datos.

Bien, para aquellos de ustedes que aún no se hayan registrado, espero que lo consideren. Aquí le mostraré cómo funciona ese proceso, así que esta es nuestra página de inicio pkdcure.org/registry. Y vas aquí, o inicias sesión o te registras. Si va a iniciar sesión, hay un lugar para indicarle que se registre, pero aquí es donde iniciaría sesión si ya es un participante. Por eso, te pedimos tu nombre, tu e-mail y una contraseña. Le preguntamos un poco sobre usted, su género, su fecha de nacimiento. A continuación, le pedimos su teléfono o dirección. Estos son opcionales, pero al menos nos gustaría saber en qué ciudad y estado vive. Y este es el formulario de consentimiento. Entonces, como Chris mencionó, hay mucha información realmente importante en este formulario, y hay mucho por recorrer. Entonces, lo que le recomiendo que haga es hacer clic en la parte superior aquí, o simplemente puede descargar un PDF y tomarse su tiempo y leerlo y hacer preguntas antes de entrar aquí y marcar estas casillas y aceptar participar.

Muy bien, además del registro, otra de nuestras herramientas de reclutamiento son nuestras alertas de acto, por lo que esta es una lista de correo electrónico en la que puede optar. Tenemos uno para la PKD autosímbolo dominante y la PKD autosómica recesiva y cada vez que nos enteramos de nuevos estudios que se están inscribiendo, intentaremos enviarle un correo electrónico para informarle. A veces lo haremos según la ubicación de los sitios de estudio en los EE. UU. A veces simplemente se lo enviamos a todos para que sepan.

Y luego, como mencionó el Dr. Mrug , tenemos nuestra herramienta de estudios clínicos. A pesar de lo fantástico que es ClinicalTrials.gov, puede ser un poco difícil clasificar toda esa información. Por lo tanto, hemos hecho todo lo posible para ayudarlo a filtrar eso y compartir con usted cómo se ve la participación de una manera clara. Entonces, vaya a buscar un estudio que se encuentra en la parte superior de esa página allí. Tiene la opción de completar algunos detalles para ayudarlo a clasificar los estudios. ¿Cuál es tu diagnóstico? ¿Cuál es su última función renal? ¿Cuantos años tienes? Y luego obtendremos una lista de estudios para los que cree que puede calificar. También tenemos una opción para ordenar por ubicación, por lo que hay muchos estudios allí en este momento. Hacemos todo lo posible para mantenerlo actualizado y por favor échale un vistazo y déjanos saber lo que piensas.

Bien, entonces eso es todo. Muchas gracias, no puedo decir lo suficiente lo importante que es que sepa que pacientes como usted se inscriben en investigaciones para participar en el registro de estudios clínicos. No hubiéramos sabido la mitad de las cosas que sabemos ahora sobre la enfermedad sin aquellos que se inscribieron para participar. Entonces, muchas gracias y espero que podamos responder algunas preguntas ahora. Muy bien, comencemos con uno para el Dr. Mrug . Entonces, mire a su alrededor o al médico que ve a los pacientes cuando anima a alguien a inscribirse en un estudio, ¿cuál es una de las cosas más importantes que les dice?

Michal Mrug : Creo que sabes que muchas veces el estudio cuando aprendes sobre él parece emocionante, y creo que lo importante es reconocer eso y todos estos estudios, estos son experimentos, ¿verdad? Por lo tanto, a menudo hay efectos secundarios, y creo que a veces la gente se ciega con la esperanza de saber que tal vez sea así. Y no tomar en consideración adecuadamente, los potenciales eventos adversos que puedan ocurrir. Por lo tanto, creo que sabe que ser consciente de que sabe que esto puede ser agradecido, pero ser consciente de que sabe que estos medicamentos podrían hacerle daño y sopesarlo. Lo sabe temprano y trata de tomar la decisión de participar o no. Creo que es importante. .

La otra cosa que creo que es importante, y Chris mencionó que es el compromiso de tiempo, ya sabes, uno debe darse cuenta de que no es si te suscribes a un estudio, no es solo, sabes que lo harás y sabes un par de semanas después, sabes que tal vez puedas retirarte si puedes hacerlo y siempre puedes hacerlo. Pero es solo una pérdida de tiempo para el equipo de estudio. Es el desperdicio de recursos. Y es una pérdida de tiempo, ya sabes como participante. Por lo tanto, creo que se están tomando en consideración todas las cosas que pueden ser importantes, incluido el compromiso de tiempo, porque a veces las personas no se dan cuenta de cuánto tiempo puede tomar antes de tomar la decisión final de participar o no.

Elise Hoover: Y Chris aquí tiene uno para ti. ¿Por qué es tan importante que se proteja la privacidad y confidencialidad de los participantes? ¿Por qué esos datos deben estar seguros? ¿Por qué todos nos esforzamos tanto en hacerlo?

Chris Rusconi: Espero que la respuesta a esa pregunta sea algo evidente, ¿verdad? Quiero decir, obviamente, creo que hay muchas razones ahí. Creo que la primera es que cuando estás contribuyendo a estos estudios, estos son experimentos. Puede haber aprendizaje de cosas que no se han aprendido antes. Es posible que no conozca la condición y es importante que los datos sean privados para que solo se usen con fines de investigación y se le compartan si son importantes para sus condiciones de salud, pero no están disponibles para su compañía de seguros. No está disponible para alguien que intenta vender algo, es realmente fundamental que la información se mantenga y se mantenga en privacidad y confidencialidad porque su único uso previsto es para fines de investigación. Y creo que todos sabemos, como cualquiera de nosotros, si participamos en estudios clínicos de vez en cuando que violan la confianza del participante, es muy poco probable que las personas participen en los ensayos clínicos, por lo que es realmente fundamental para el esfuerzo completo para mantener esa relación de confianza.

Elise Hoover: Veo algunas preguntas aquí que también puedo responder, por lo que alguien preguntó dónde pueden obtener el informe anual del registro para que esté disponible en nuestro sitio web pkdcure.org/registry. O si va a las exhibiciones de investigación de PKD en nuestra plataforma PKDCON, también está vinculado allí.

Y luego también hay una pregunta aquí sobre los revisores de mérito. Por lo tanto, para cualquier persona que esté familiarizada con esta revisión de méritos, muchas organizaciones utilizarán una parte interesada para ayudarnos a evaluar el impacto potencial de las solicitudes de subvenciones para investigación. Y en la fundación tenemos un grupo que está formado tanto por investigadores como por stakeholders. Se llama panel de revisores de partes interesadas y abrimos solicitudes para ese panel cada octubre, por lo que saldrá pronto y creo que el sitio web es pkdcure.org/revisor del panel de partes interesadas, pero no dude en enviarme un mensaje directamente a la plataforma y puedo También te mando información.

Solo revisando otra pregunta aquí. Ok, Dr. Mrug , tenemos a alguien que es muy astuto y notó que el estudio clínico de metil falcon de bardoxolona solía tener un número menor de participantes que querían inscribir y lo aumentaron a 850. ¿Podría decirnos por qué podría suceder eso?

Michal Mrug : No lo sé, sabes que es una decisión interna de la persona que dirige el estudio.

Elise Hoover: Bueno , haremos todo lo posible para ayudarlos a reclutar. Ok, cualquier otra pregunta, vamos a ver. Tenemos qué porcentaje de los 2500 inscritos en el registro de pacientes con RPKD. Todos ellos al 100%. Le pedimos a cualquier persona que tenga un diagnóstico de ADPKD o sospeche que tiene la enfermedad que se registre con nosotros. El cuestionario central pregunta si tiene un diagnóstico oficial y, si no lo tiene, le hacemos algunas preguntas sobre por qué cree que podría tener ADPKD. ¿Es síntoma? ¿Es historia familiar? Esas son preguntas que realmente nos interesa saber y esperamos que considere registrarse. Ok, creo que esas son todas las preguntas que tenemos. ¿Algún pensamiento final, Chris, antes de registrarnos?

Chris Rusconi: Bueno, haré uno. Creo que se relaciona con el comentario que hizo el Dr. Mrug sobre el tiempo y la participación en el ensayo y creo que esa es una de las tendencias realmente emocionantes que estamos viendo en muchos ensayos clínicos: un mayor compromiso con los pacientes y los participantes que podría estar involucrado o considerar estar involucrado en el ensayo en la fase de diseño para comprender realmente si este diseño de ensayo es algo factible para la población de pacientes en la que se estudiará el tratamiento, por lo que lo animo nuevamente si alguna vez tuvo la oportunidad de evalúe o participe en un panel para obtener comentarios sobre el diseño de un ensayo que considere que, porque nuevamente, ya sabe, como hemos, creo que hemos resaltado que el tiempo es uno de los factores realmente críticos tanto para el participantes en los patrocinadores del estudio y esta tendencia de ir y hablar con las personas que estarían involucradas en este estudio para entender qué diseño podría funcionar para ellos y sus familias, o qué diseños no funcionarán, creo que es un verdadero Es una tendencia importante y espero que todos podamos apoyar eso y que todo lo que creo también hará que al menos se reduzca la barrera para participar en las pruebas y que sea una mejor experiencia. Sólo los últimos dos centavos en eso.

Elise Hoover: Absolutamente . Y la fundación tiene una oportunidad de voluntariado llamada nuestro panel de Reacción Comunitaria y uno de los objetivos de ese grupo es presentarles ideas sobre el diseño de protocolos para estudios y obtener opiniones . Entonces, si está interesado en dar su opinión y hacer que su voz participe en el diseño de estudios clínicos. Por favor, vaya a comprobarlo y considere ofrecerse como voluntario para ese puesto. Muy bien, Dr. Mrug , ¿ alguna reflexión final?

Michal Mrug : Bueno, me gustaría decir que, desde mi punto de vista, la Fundación ADPKD está haciendo un trabajo sobresaliente al tratar de educar a nuestros pacientes, cuidadores, lo cual creo que es muy importante porque la información empodera a los que conoce para tomar las decisiones correctas. Usted sabe que no podemos tener un médico que decida por usted, así que aprender y poder, ya sabe, tener la facultad de tomar las mejores decisiones por sí mismo. Sabes que creo que es muy importante. Y la base aquí es un catalizador que conoce para llevar esa información a manos probadas.

Entonces, me gustaría agradecerles lo que ustedes y Chris, lo que están haciendo y la fundación porque creo que es excepcional. Y luego me gustaría alentar a los pacientes y a nuestras familias de pacientes con PKD a tratar de buscar esa información y luego usarla y usarla para su propio beneficio usando su sentido común. Y gracias a todos los que participaron en los estudios clínicos. Gracias.

Elise Hoover: Sí, y cerraré esto diciendo que hay una sesión más en la que verán a Chris Rusconi hablar hoy. Es la última sesión del día, y él nos hablará sobre nuestro programa de investigación general, y tenemos un nuevo programa que se lanzará en el otoño del que hablará. Entonces, si tiene tiempo y puede quedarse con nosotros, le recomendamos que asista. Bueno, muchas gracias a todos. Si tiene alguna pregunta, continúe y conéctese conmigo en la plataforma. El correo electrónico de nuestro equipo de investigación es [research@pkdcure.org](about:blank) . Feliz de responder cualquier pregunta.

*[Fin de audio] [00:51:04]*