



278th ENMC Taller Internacional

Ubicación: Hoofddorp, Países Bajos

Título: Estándares europeos para la armonización de los registros y soluciones digitales emergentes en Miastenia Gravis

Fecha: 20-21 Septiembre 2024

Organizadores: Prof. Sabrina Sacconi (Francia), Prof. Andreas Meisel (Alemania), Prof. Renato Mantegazza (Italy), Elena Cortés-Vicente (España)

Traducción de este informe por:

Nils Erik Gilhus: noruego

Fiammetta Vanoli: italiano

Sabrina Sacconi: francés

Elena Cortes Vicente: español

Jan Verschuuren: Holandés

Stanislav Vohanka: Checo

Susanna Breuner: sueco

Marjan Cosyns (belga)

Frauke Stascheit: alemán

Participantes:

Anja Hoffmeister (representantes de pacientes Alemania), Lidgarde Allard (representante de pacientes Bélgica), Peter-Bram Hoen (Países Bajos), Nils Erik Gilhus (Noruega), Lorenzo Maggi (Italia), Adela Della Marina (Alemania), Emmanuelle Salort Campana (Francia), Stanislav Vohanka (República Checa), Fiammetta Vanoli (Italia), Renato Mantegazza (Italia), Sabrina Sacconi (Francia), Andreas Meisel (Alemania), Elena Cortes Vicente (España), Jan Verschuren (Países Bajos), Ernestina Santos (Portugal), Terenshina Evangelista (Francia), Suanna Brauner (Suecia), Pascal Laforet (Francia), Matthieu Lusignan (Francia), Mohammad Ashragi (Reino Unido), Frauke Stascheit (Alemania)

Online: Raquel Pardo (representante de pacientes España), Marjan Cosyns (Bélgica)

Resumen

Antecedentes

La miastenia gravis (MG) es un trastorno autoinmune neurológico poco frecuente que ha ganado cada vez más atención recientemente debido al descubrimiento de nuevos enfoques terapéuticos. Con el objetivo de evaluar mejor el valor de los nuevos tratamientos en el contexto de los tratamientos estándar, así como la mejorar la comprensión fisiopatológica de la enfermedad, se necesitan grandes conjuntos de datos multinacionales obtenidos en el mundo real. Un prerrequisito esencial para esto

es la armonización de la recopilación de datos con el fin de crear una base sólida para el intercambio de datos y la investigación.

En este taller participaron pacientes, médicos y otras partes interesadas para debatir el interés de la armonización de datos entre los diferentes registros europeos de MG para facilitar el intercambio de datos, la colaboración y, en última instancia, mejorar el estándar de atención a los pacientes.

Como actividad preparatoria antes de la reunión, los organizadores implementaron un cuestionario Delphi para llegar a un consenso sobre los datos obligatorios y opcionales que deberían incluirse en todos los registros nacionales de MG. Los resultados de cada ronda se discutieron luego entre todos los participantes. Además, los organizadores recopilaron una encuesta sobre los registros nacionales europeos de MG existentes para identificar posibles problemas técnicos, éticos y económicos que podrían interferir con la recopilación y el intercambio de datos. Además, los pacientes también participaron en la creación de un documento informativo que proporciona conocimiento sobre la participación en el registro y sus implicaciones.

Objetivos del taller

El objetivo principal del taller 278.^a del ENMC fue promover la colaboración entre pacientes, médicos y otras partes interesadas para identificar qué herramientas son necesarias para crear un registro funcional de MG. El objetivo final de un registro de MG es mejorar la calidad de la atención a los pacientes, lo que se puede lograr mediante la recopilación de datos significativos a gran escala y de alta calidad sobre la población europea con MG. Además, establecer datos comunes entre los diferentes registros es fundamental para la armonización de los datos, que es esencial para la colaboración y las iniciativas de investigación, incluidos los estudios epidemiológicos y clínicos, los ensayos clínicos, la farmacovigilancia, así como para proporcionar datos del mundo real sobre terapias novedosas.

Resultados del taller:

A través del proceso Delphi, los participantes llegaron a un consenso sobre una lista de datos obligatorios y opcionales que deben incluirse en un registro de MG para facilitar el intercambio de datos y la colaboración. También se tuvo en cuenta la importancia de un formulario de consentimiento informado bien estructurado y completo, que debe ser fácil de entender y abordar cuestiones importantes como la propiedad de los datos, el anonimato de los datos y el propósito de su uso.

La encuesta mostró que en Europa ya hay 8 registros nacionales de MG activos y 2 están en proceso de activación, con datos de más de 7.000 pacientes de MG actualmente disponibles y potencialmente compartibles.

Sin embargo, para optimizar las colaboraciones futuras a nivel europeo, es necesario abordar y mejorar varios aspectos:

- **El primer aspecto clave** es integrar **la perspectiva del paciente y mejorar la comunicación con ellos**. Los pacientes aportan una experiencia única en su enfermedad, que debe tenerse en cuenta al crear un registro. El representante de los pacientes subrayó que las herramientas actuales no logran captar algunos aspectos críticos de la MG, por lo que su participación como partes interesadas en el desarrollo de un registro nacional de MG podría mejorar la recopilación de datos, asegurando que se aborden sus necesidades y problemas reales. Además, los pacientes con MG solicitaron tener acceso a sus propios datos, con fines de autocontrol, así como participar en la entrada de datos (por ejemplo, para los resultados informados por los pacientes). Este modelo de participación activa en múltiples niveles

probablemente fomentará la participación continua de los pacientes en la recopilación de datos.

- **El segundo aspecto** clave es que los registros nacionales necesitan una **estructura de gobernanza clara**. Idealmente, esto debería incluir un Comité Directivo o de Datos, responsable de la gestión del registro, un Consejo Asesor Médico, que supervise la actividad del Comité Directivo/Uso de Datos, y un Consejo Asesor de Pacientes. La estructura de gobernanza es responsable de definir los métodos de intercambio de datos, así como quién es responsable de gestionar cualquier iniciativa de intercambio de datos, al tiempo que garantiza que los intereses de las personas involucradas en la creación del registro estén bien representados.
- **El tercer aspecto** requiere que el registro se base en una **infraestructura sólida y un conjunto de datos básicos armonizados**. La base de datos debe construirse lo más cerca posible de los principios FAIR (facilidad de búsqueda, accesibilidad, interoperabilidad y reutilización), ya que garantiza la coherencia y reproducibilidad de la recopilación de datos, que son esenciales para establecer datos comunes y sentar las bases para futuras colaboraciones. Para alcanzar este objetivo y establecer la armonización de los datos, el registro debe incluir los resultados del proceso Delphi en términos de datos obligatorios y opcionales, así como considerar los principios de la Iniciativa de Registro de Pacientes de la EMA. Las soluciones digitales, como las aplicaciones para teléfonos inteligentes, pueden ser herramientas adicionales opcionales útiles para una recopilación de datos más detallada y frecuente (por ejemplo, medidas de resultados notificadas por los pacientes).
- **El cuarto aspecto** se refiere a la **sostenibilidad financiera**. Idealmente, un registro debería estar financiado por organismos públicos u organizaciones de pacientes, que garanticen el compromiso continuo y la viabilidad a largo plazo del registro. Cuando la financiación proviene de entidades privadas, es importante garantizar la transparencia sobre las fuentes de financiación, la propiedad de los datos y el significado del uso comercial. También es preferible un enfoque de financiación de múltiples fuentes.
- **El quinto aspecto** es el **compromiso a largo plazo**. El éxito de un registro también se basa en la recopilación de datos de calidad a largo plazo. Esto depende en gran medida del compromiso de las personas que participan en el registro, incluidos los pacientes y los proveedores de atención sanitaria, que se puede fomentar proporcionando comentarios periódicos sobre las iniciativas del registro.

Próximos pasos

Gracias a la participación de médicos, administradores de registros, pacientes y otras partes interesadas, este taller ha permitido establecer los principios para un registro funcional de MG. Se ha llegado a un consenso sobre cuáles son los datos básicos que deben incluirse en el registro de MG a través de un proceso Delphi. Además, se hizo hincapié en cómo crear datos FAIR que puedan permitir compartir datos fácilmente entre diferentes registros nacionales y colaborar para futuras iniciativas de investigación. En una perspectiva futura, esto podría conducir en última instancia a la creación de un registro europeo, que permitiría trabajar con números a gran escala, lo que es esencial para nuevas iniciativas de investigación, con el objetivo final de mejorar la calidad de la atención a los pacientes.

Está prevista una nueva reunión para realizar un seguimiento de los objetivos alcanzados.