

La Declaración de Bruselas sobre la PQRAD

La poliquistosis renal autosómica dominante (PQRAD) es una enfermedad crónica, progresiva y hereditaria en la que se forman quistes en los riñones y en otros órganos.¹ La PQRAD es una de las enfermedades mortales hereditarias más habituales y es una causa destacada de insuficiencia renal. Se trata de una enfermedad compleja e incurable que tiene un impacto físico y psicológico diverso y, a menudo, profundo en los pacientes afectados y en sus familias. Implica elevados gastos sanitarios debido principalmente a la diálisis y los trasplantes. Los profesionales sanitarios y otras partes interesadas suelen infravalorar el impacto de la PQRAD.

La PQRAD presenta una combinación única de desafíos que justifican una respuesta específica por parte de los responsables de elaborar la política en materia sanitaria y de los proveedores sanitarios. La Declaración de Bruselas sobre la PQRAD, publicada por el Foro Europeo sobre la PQRAD (EAF, por sus siglas en inglés) sugiere las siguientes recomendaciones relativas a las políticas, con el fin de ayudar a abordar estas necesidades no cubiertas y fomentar el acceso a una atención de primera calidad para todos los pacientes de PQRAD en Europa.

Recomendación 1: *Los gobiernos deberían respaldar el desarrollo de un enfoque a escala nacional coordinado y escalonado en de la atención sanitaria de la PQRAD en colaboración con expertos, organizaciones de pacientes y otras partes interesadas.*

Los pacientes de PQRAD necesitan un diagnóstico especializado, así como una atención sanitaria terapéutica y preventiva a cargo de diversos profesionales sanitarios a lo largo de su vida. Todos los pacientes deberían tener acceso a un centro nefrológico especializado en PQRAD, en el que se dispense una atención multidisciplinar centrada en el paciente en función de sus necesidades clínicas. La atención especializada coordinada tendrá muchas posibilidades de mejorar la eficacia de la atención sanitaria que se proporcione; además, es importante disponer de un proceso claro de derivación.

Recomendación 2: *Una red europea de centros de referencia para la PQRAD permitiría continuar la investigación y establecer vías de atención armonizadas, integradas y centradas en el paciente.*

A la vez que reconocemos los logros que se han conseguido², respaldamos el diálogo constante entre todas las partes interesadas en pos del desarrollo de una red de centros europeos de referencia para la PQRAD que facilite la investigación coordinada y el desarrollo e implementación de las mejores prácticas.

Recomendación 3: *La Comisión Europea y los gobiernos nacionales deberían respaldar la investigación para el desarrollo de tratamientos modificadores de la enfermedad para la PQRAD con el potencial de mantener la calidad de vida, retrasar el deterioro renal, mejorar las expectativas de vida entre los pacientes y reducir el impacto económico en los sistemas de atención sanitaria.*

Recomendación 4: *Los gobiernos y los profesionales sanitarios deberían respaldar la aplicación de métodos para evaluar regularmente el pronóstico en pacientes con PQRAD que permitan basar la toma de decisiones clínicas, la investigación y la innovación.*

Recomendación 5: *Todas las partes interesadas, inclusive la Comisión Europea, los gobiernos nacionales y los profesionales sanitarios, deberían respaldar los esfuerzos para informar mejor a cada paciente y familia afectada por la PQRAD e intentar implicar a las organizaciones de pacientes a la hora de desarrollar las políticas relativas a la planificación y dotación de atención sanitaria relativa a la PQRAD.*

Recomendación 6: *Las agencias de evaluación tecnológica sanitaria (ETS) deberían procurar que los pacientes y las organizaciones de pacientes participaran en las evaluaciones con el fin de que proporcionaran el conocimiento exclusivo que tienen los pacientes sobre el impacto de vivir con la PQRAD y sus aspiraciones para nuevos tratamientos, conforme a las normas de calidad internacionales de ETS para la implicación del paciente en ETS.*

¿Qué es la PQRAD?

La PQRAD es una enfermedad compleja en la que aparecen bolsas llenas de líquido, o quistes, que proliferan en los riñones y otros órganos, principalmente el hígado.¹ El riñón puede alcanzar un tamaño mucho mayor que el de una persona sana y los pacientes experimentan diversos síntomas, como dolor y hemorragias, además de infecciones dentro de los quistes. Con el tiempo, se produce una insuficiencia renal en la mayoría de los pacientes. Es preciso destacar que los pacientes de PQRAD también son propensos a sufrir hipertensión y enfermedades cardiovasculares.³ La enfermedad se puede diagnosticar tanto en adultos como en niños.

No existe ningún tratamiento aprobado para la PQRAD. Se suelen tomar ciertas medidas para intentar ralentizar el crecimiento de los quistes, pero no se ha demostrado que funcionen. Los pacientes suelen requerir tratamiento para el dolor y para otras manifestaciones y complicaciones de la enfermedad¹, junto con medicinas para ayudar a prevenir la aparición de enfermedad.³ Sin embargo, no existe ninguna guía terapéutica basada en la evidencia a nivel europeo. En última instancia, los pacientes requieren o un trasplante de riñón o someterse a diálisis, por término medio antes de alcanzar los 60 años de edad.^{4,5}

¿De qué forma afecta la PQRAD a los pacientes?

La PQRAD tiene efectos físicos y psicológicos que se prolongan a lo largo de toda la vida y que pueden afectar a su calidad de vida y a su bienestar. Incluso en las primeras fases, la mayoría de los pacientes experimentan síntomas que interfieren con su trabajo y actividades físicas o el ejercicio.⁶ La PQRAD puede tener un impacto emocional profundo, en términos de pérdida, incertidumbre y miedo,⁶ y esto puede ir asociado a ansiedad o depresión. La PQRAD puede afectar negativamente a diversos aspectos de la vida, como el trabajo, la contratación de un seguro de vida o de salud o de una hipoteca y la planificación familiar.

Los profesionales sanitarios y otras partes interesadas suelen infravalorar el impacto de la PQRAD en los pacientes afectados y en sus familias.

¿Cuánto cuesta la PQRAD?

Los pacientes con PQRAD generan costes sanitarios a lo largo de toda su vida como consecuencia de la atención ambulatoria y las hospitalizaciones. Los costes aumentan vertiginosamente cuando los pacientes necesitan

"La PQRAD es una enfermedad que mis jefes parecen no entender. Me ha resultado bastante frustrante intentar explicar la enfermedad y los efectos que ha tenido en mí... el cansancio y, sobre todo, el dolor que he soportado. Puede llegar a ser un poco difícil incluso cuando tratas con los médicos de urgencias... muchos de ellos ni siquiera han oído hablar de la enfermedad renal poliquística desde que estaban en la facultad de medicina."

Justin, Reino Unido

diálisis o un trasplante⁷. La PQRAD es la responsable de que aproximadamente uno de cada 10 pacientes que necesitan estos tratamientos en Europa, lo cual representa unos 50 000 pacientes, con un coste de 1 500 millones de euros al año.⁸

La investigación para la prevención de las complicaciones relacionadas con la PQRAD podría ofrecer un "extraordinario rendimiento de la inversión"². Los trasplantes son muy rentables respecto a la diálisis⁸ y se espera que las inversiones para aumentar las tasas de trasplantes y reducir los tiempos de espera supongan un ahorro de costes.

Necesidades no cubiertas - ¿Por qué necesitamos la Declaración de Bruselas?

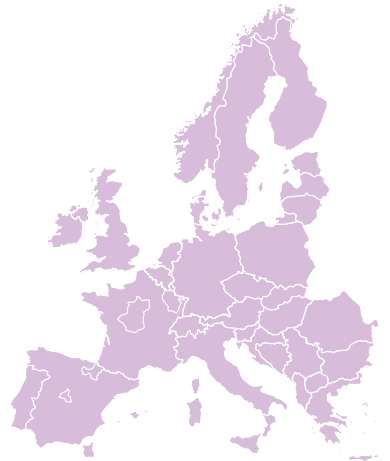
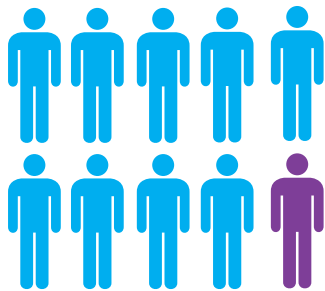
Las necesidades no cubiertas en la atención de la PQRAD, identificadas en el reciente informe "Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO)" (La enfermedad renal: mejora de los resultados mundiales - KDIGO, por sus siglas en inglés) de la Conferencia sobre controversias sobre la ERPA⁹ y del EAF incluyen:

- Todos los pacientes de PQRAD deberían tener acceso a un nefrólogo con conocimientos sobre la enfermedad. Los patrones de la práctica clínica para el tratamiento de la PQRAD pueden variar dentro de un mismo país y de un país europeo a otro, lo cual exige una mayor coordinación de las políticas y los servicios de atención sanitaria.
- La optimización y estandarización de la atención sanitaria de la PQRAD en Europa se ha visto dificultada por la falta de guías de tratamiento basadas en la evidencia a nivel Europeo y de vías de atención sanitaria estandarizadas.
- Aún no se ha alcanzado un consenso sobre la mejor forma de predecir el pronóstico. La investigación continuada pretende establecer los mejores modelos para ayudar a identificar a aquellos pacientes cuya enfermedad puede progresar rápidamente y así posibilitar la individualización de la atención sanitaria.
- Existe la necesidad urgente de nuevas medicinas que retrasen el deterioro de la función renal debido a la PQRAD, manteniendo así la calidad de vida y mejorando las expectativas de vida entre los pacientes y reduciendo el impacto en los sistemas sanitarios europeos.

"Lo que más temo es ver algún día a mi hija yendo a diálisis. De alguna manera para mí, la diálisis representa la muerte porque mi padre murió en diálisis, y está claro que esto es un miedo que tienen todas las personas con PQRAD."

Corinne, Francia

La PQRAD es la responsable de uno de cada diez pacientes en diálisis o candidatos a un trasplante



= 50 000 en Europa ➔ **1 500 millones de euros/año**

- Se precisan más esfuerzos para fomentar el trasplante de riñón en los pacientes con insuficiencia renal que lo necesiten.
- Los pacientes y las familias afectados por la PQRAD precisan información específica, completa y accesible sobre su enfermedad para poder participar plenamente en el proceso de toma de decisiones. Asimismo, los pacientes necesitan un respaldo para desempeñar un papel importante a la hora de lograr mejoras en el diagnóstico y la atención de la PQRAD, en colaboración con los profesionales sanitarios, investigadores, gestores de los sistemas sanitarios y Ministerios de Sanidad.

Referencias

1. Torres V et al. Lancet 2007;369:1287–301
2. Petzold K, et al. Nephrol Dial Transplant 2014;29 (Suppl 4):iv26–32
3. Ecder T. Curr Hypertens Rev 2013;9:2–11
4. Shaw C, et al. Nephrol Dial Transplant 2014;29:1910–8
5. Spithoven EM, et al. Kidney Int 2014;86:1244–52
6. Carr A, et al. 51st ERA-EDTA Congress, Amsterdam, 31 May–3 June 2014: Abstract SP020
7. Knight TG, et al. Am J Kidney Dis 2013;61(4):A55
8. Spithoven EM, et al. Nephrol Dial Transplant 2014;29 (Suppl 4):iv15–iv25
9. Chapman AB, et al. Kidney Int 2015 Mar 18. doi: 10.1038/ki.2015.59 [Epub ahead of print]

Próximos pasos: la Declaración de Bruselas sobre la PQRAD

La Declaración de Bruselas ofrece estrategias para ayudar a superar estas necesidades no cubiertas. Llevar a cabo estos cambios precisará la colaboración nacional e internacional entre todas las partes interesadas en la atención sanitaria de la PQRAD, como:

- Los pacientes y las organizaciones que les representan
- Los nefrólogos y otros especialistas y científicos implicados en la atención sanitaria de la PQRAD
- Los gestores de los sistemas sanitarios
- Los Ministerios de Sanidad de los gobiernos nacionales
- Las entidades encargadas de la reglamentación farmacológica y de la evaluación de la tecnología sanitaria.

El EAF busca facilitar el diálogo y la colaboración entre estos grupos y está deseando trabajar con todas las entidades para mejorar y prolongar las vidas de los pacientes con PQRAD.

“La PQRAD es como vivir en el filo de una navaja, al borde de un precipicio, y estás caminando hacia el y sabes que caerás. Los profesionales de la salud y el público en general no son suficientemente conscientes de la PQRAD y esto debe ser abordado con urgencia.”

Tess, Reino Unido

El EAF es una plataforma internacional multidisciplinaria de expertos dedicada a mejorar la salud y la calidad de vida de las personas con PQRAD.

Para más información, consulte el informe del EAF, "Translating science into policy to improve ADPKD care in Europe" (Cómo traducir la ciencia en una política aplicable para mejorar la atención sanitaria de la PQRAD en Europa), disponible online en www.pkdinternational.org/EAF_ADPKD_Policy_Report_2015.

Si desea obtener copias impresas de la Declaración de Bruselas sobre la PQRAD y del informe del EAF, póngase en contacto con Laure.Sonnier@interelgroup.com.

El EAF ha sido impulsado, y financiado únicamente por, Otsuka Pharmaceutical Europe Ltd. Los facultativos del EAF no reciben honorarios por su participación en esta iniciativa. Los contenidos del Informe EAF y la Declaración de Bruselas sobre PQRAD expresan la opinión del EAF y no representan necesariamente la de Otsuka.

Co-presidentes

Dr. Richard Sandford
y **Tess Harris**

Nefrología

Prof. Olivier Devuyst,
Zúrich, Suiza

Prof. Tevfik Eçder,
Estambul, Turquía

Dr. Ron T. Gansevoort,
Groningen, Países Bajos

Dr. José Luis Górriz,
Valencia, España

Prof. Albert Ong,
Sheffield, Reino Unido

Prof. Yves Pirson,
Bruselas, Bélgica

Prof. Vicente E. Torres,
Rochester, Minnesota,
EE.UU.

Prof. Gerd Walz,
Freiburg, Alemania

Hepatología

Prof. Joost P.H. Drenth,
Nimega, Países Bajos

Genética

Dr Richard Sandford,
Cambridge, Reino Unido

Apoyo a los pacientes

Brenda de Coninck,
Bussum, Países Bajos

Tess Harris,
Londres, Reino Unido

Alastair Kent,
Londres, Reino Unido

La Declaración de Bruselas sobre la PQRAD está respaldada por



El informe del EAF, "Translating science into policy to improve ADPKD care in Europe" (Cómo traducir la ciencia en una política aplicable para mejorar la atención sanitaria de la PQRAD en Europa), está aprobado formalmente por

