

Resumen del Informe *Lupus: Patient Voices*

El lupus es una enfermedad autoinmunitaria crónica, sistémica y, con frecuencia, discapacitante con un curso impredecible y opciones de tratamiento inadecuado. Frustrados con el estado presente de las terapias para el lupus, los miembros de la comunidad con lupus compartieron sus perspectivas sobre cómo es vivir con la enfermedad, sus experiencias con los enfoques actuales para el tratamiento, y lo que desean para los tratamientos nuevos, en la reunión *Lupus: Patient Voices* con representantes de la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) de los EE. UU. Aproximadamente 300 miembros de la comunidad con lupus participaron en la reunión que se llevó a cabo el 25 de septiembre de 2017 en Hyattsville, Maryland. Un adicional de 300 personas con lupus y sus representantes participaron en la reunión a través del webcast. La comunidad con lupus instó a los reguladores y a las personas que desarrollan fármacos a aumentar los esfuerzos para promover tratamientos más eficaces y seguros.

Tres organizaciones asociadas, Lupus and Allied Diseases Association, Lupus Foundation of America y Lupus Research Alliance, organizaron la reunión como parte de la iniciativa del Desarrollo de Fármacos Enfocados en el Paciente (Patient-Focused Drug Development, PFDD) de la FDA, que se realiza de forma externa. El programa PFDD fue creado por la FDA para permitir a los reguladores comprender en forma más efectiva y de manera sistemática, la perspectiva exclusiva de personas con enfermedades como el lupus para evaluar mejor los riesgos y beneficios de los fármacos que se encuentran en revisión. La Reunión Lupus PFDD fue diseñada principalmente para proporcionar a las personas con lupus y a sus representantes una oportunidad para compartir sus experiencias exclusivas para ayudar a la FDA y a la industria biofarmacéutica a:

- Comprender la trayectoria del paciente con lupus y reconocer las preferencias y la tolerancia a los riesgos del paciente, de modo tal que se puedan traducir en diseños de ensayos clínicos mejorados y en la selección o el desarrollo de resultados medibles relevantes en el desarrollo de fármacos contra el lupus. Además, esta información se podría incorporar en el marco de beneficio-riesgo que se usa al tomar decisiones reguladoras.
- Demostrar la complejidad y la heterogeneidad del lupus, con el objetivo final de programas de desarrollo y diseños de ensayos que reflejen estos aspectos de la enfermedad.
- Crear un marco de trabajo práctico, científicamente riguroso, que incorpore las preferencias del paciente y los resultados informados por el paciente en investigación y ensayos clínicos sobre el lupus, para garantizar que los ensayos estén no solo midiendo el éxito estadístico sino también demostrando el beneficio significativo para la persona con lupus.
- Asegurar que las personas con lupus comprendan el valor de su participación en el proceso de desarrollo de fármacos y ensayos clínicos al reconocer cómo sus contribuciones tienen un impacto en la toma de decisiones y en los resultados en todos los niveles para mejorar su calidad de vida relacionada con la salud y la calidad de vida para la próxima generación de personas con lupus.

Antes de la Reunión Lupus PFDD, más de 2,100 personas completaron una encuesta detallada sobre sus experiencias con el lupus. Los datos de estas encuestas se usaron para configurar la reunión; se plantearon preguntas similares y se recopilaron datos adicionales en forma de preguntas de sondeo durante la reunión mediante una herramienta de recopilación de datos basada en la web.

Cuatro presentaciones introductorias fijaron el tono de la reunión. La primera, de una representante de la comunidad con lupus, proporcionó un informe personal sobre las dificultades que enfrentan las

personas con lupus. Sus observaciones fueron seguidas por presentaciones de dos representantes de la FDA, y luego una presentación de un experto clínico en lupus.

Para implementar los datos recopilados en la encuesta, se obtuvo información adicional sobre la experiencia de vivir con lupus en dos sesiones en vivo que se enfocaron en: 1) los síntomas del lupus, la gravedad y la progresión de la enfermedad, y el impacto en la vida diaria de las personas; y 2) las perspectivas en tratamientos disponibles y futuros. Para cada uno de estos temas, un panel de personas con lupus o sus representantes presentaron resúmenes breves de sus experiencias y preferencias. Las personas con lupus y sus representantes que asistieron a la reunión en persona o participaron a través del webcast respondieron una serie de preguntas de sondeo similares a las que se hicieron en la encuesta. Al sondeo le siguió un debate facilitado en el que se invitó a los miembros de la audiencia a compartir más sus experiencias y preferencias.

Al segundo debate facilitado de la audiencia le siguió un período de comentarios abierto al público que incluyó distintos comentarios de asistentes que se habían registrado previamente para hablar. Luego, un representante de la División de Productos para Neumonología, Alergia y Reumatología de la FDA proporcionó comentarios a modo de resumen que recogieron los temas predominantes. El moderador cerró la reunión con citas conmovedoras de varios participantes.

La reunión se transmitió al público desde un sitio web especializado creado para la iniciativa. La grabación completa se puede ver en este enlace: <https://lupuspfdd.org/meeting/live-webcast/>.

Los datos de la encuesta previa a la reunión, las observaciones de los panelistas y los participantes de la audiencia en la reunión, los datos de las preguntas de sondeo de la reunión, y los comentarios del público arrojaron información importante sobre los impactos diarios del lupus y los tratamientos actuales. Los temas clave de esta información están resumidos a continuación y se desarrollan con mayor detalle en este informe.

El lupus tiene un impacto devastador en las vidas de muchas personas que viven con la enfermedad.

- El impacto físico y emocional del lupus es inmenso debido a la naturaleza de la enfermedad y a los efectos secundarios de los tratamientos disponibles.
- El lupus tiene un impacto importante en la vida familiar, social y laboral de las personas; y muchas personas con lupus expresan una inquietud considerable sobre el futuro.
- Muchas personas con lupus experimentan pérdida de identidad y de autoestima, y empeoramiento de la calidad de vida, lo que puede estar agravado por el estigma de la enfermedad y el hecho de que los amigos, los familiares y los compañeros de trabajo no comprendan el impacto de una enfermedad que puede ser en gran medida invisible.

El lupus afecta a las mujeres y las minorías en forma desproporcionada.

- La mayoría de las personas con lupus son mujeres, y a la mayoría de las mujeres se les diagnostica en sus años fértiles o en la plenitud de la vida, aunque también se ven afectados los hombres, las personas mayores y los niños.
- Las mujeres afroamericanas, hispanas y latinas, asiáticas e indoamericanas/nativas de Alaska se ven afectadas de forma desproporcionada, y experimentan la aparición del lupus a una edad más temprana.
- Las personas afroamericanas, hispanas y latinas, e indoamericanas/nativas de Alaska con lupus también experimentan lupus más grave que las de raza blanca con lupus, con más daño interno y en los riñones, y mayor mortalidad.

El lupus es sumamente variable y heterogéneo, lo que resulta en desafíos para el diagnóstico, el tratamiento y el diseño de ensayos clínicos.

- Más de la mitad de los encuestados consideró el cansancio y el dolor en las articulaciones y los músculos como los síntomas que tienen mayor impacto en el bienestar.
- Los problemas cognitivos como la falta de memoria y de concentración, a menudo llamada “niebla del lupus” o “niebla cerebral”, también ocupan un lugar importante entre los síntomas de mayor impacto.
- Otros problemas que figuran entre los síntomas de mayor impacto incluyen problemas estomacales e intestinales, sensibilidad al sol, disminución de la fuerza física, aumento de la susceptibilidad a las infecciones, depresión o cambios en el estado de ánimo, inflamación de órganos, y enfermedad o insuficiencia renal.
- La mayor parte de los encuestados dijeron que en sus mejores días, los síntomas tienen un impacto moderado en sus vidas cotidianas, mientras que en sus peores días, los síntomas tienen un impacto de moderadamente alto a alto.
- La mayoría de los encuestados dijeron que sus síntomas están bajo control moderado, y la mayoría informan varias “exacerbaciones”.
- La mayor parte de los encuestados dijeron que sus síntomas han empeorado con el tiempo.

Los tratamientos tienen una efectividad limitada y, en general, están relacionados con efectos adversos considerables.

- Con frecuencia, se usan muchas opciones de farmacoterapia para tratar personas con lupus. Solo cuatro fármacos se han aprobado para el lupus; y solo uno, el belimumab, se creó específicamente para tratar el lupus.
- Las personas con lupus toman varios medicamentos de venta con receta y de venta libre, y también usan métodos no farmacológicos adicionales que incluyen ejercicio, dieta, y técnicas psicósomáticas para manejar sus síntomas.
- Los efectos secundarios de los tratamientos para el lupus, como pérdida de cabello, aumento de peso, enfermedad cardíaca, infertilidad y aumento del riesgo de infección, pueden ser graves y sumamente peligrosos para el cuerpo, aumentando la carga de la enfermedad.
- En general, las personas con lupus toman varios fármacos concomitantes, que se agregan a la carga del manejo de sus síntomas y constituyen un desafío para determinar si los síntomas están relacionados con la enfermedad o son efectos secundarios de los medicamentos. La administración de varios fármacos también aumenta la probabilidad de las personas de experimentar interacciones farmacológicas.
- Normalmente, los regímenes de tratamiento se deben ajustar con frecuencia, ya que la efectividad de los medicamentos parece disminuir con el tiempo en muchas personas con lupus.

Las personas con lupus desean tratamientos más eficaces y menos perjudiciales, y están dispuestas a participar en el proceso de desarrollo de fármacos.

- Las prioridades de las personas con lupus con respecto a terapias nuevas incluyen tratamientos que: causen menos efectos secundarios y problemas de salud a largo plazo, mejoren la calidad de vida, posibiliten una mayor independencia, disminuyan la cantidad de comprimidos tomados, y aborden diferencias individuales.
- Las personas con lupus prefirieron opciones de tratamiento que específicamente apuntan a la enfermedad activa más que a la supresión de la función inmunitaria en términos generales.
- Si bien la mayoría de las personas con lupus no ha participado en ensayos clínicos, expresan una gran disposición para considerar la participación.

La iniciativa Lupus PFDD representó un paso importante para la comunidad con lupus al incorporar la voz del paciente al proceso de desarrollo de fármacos. Los datos recopilados en la encuesta previa a la reunión y los comentarios proporcionados en la reunión y a través de comentarios posteriores a la reunión reflejan las perspectivas exclusivas de las personas con lupus y tienen como fin ayudar a la FDA a evaluar mejor los fármacos que se encuentran en revisión. Las personas con lupus que participaron en esta iniciativa expresaron un gran deseo de participar en investigaciones e instaron a la FDA y a las compañías farmacéuticas a buscar tratamientos mejorados con un mayor sentido de urgencia. Se puede encontrar información adicional sobre la Reunión Lupus PFDD y la recopilación y el análisis de datos relacionados en el informe completo de *Lupus: Patient Voices*.