

ESTUDIOS DE HISTORIA NATURAL



¿QUÉ ES UN ESTUDIO DE HISTORIA NATURAL?

El propósito de un estudio de historia natural incluye:

- Proporcionar información para ayudar a los investigadores y médicos a comprender el curso de la enfermedad a lo largo del tiempo (historial natural), así como validar modelos animales.
- Caracterizar mejor la enfermedad.
- Caracterizar la población de pacientes e identificar subgrupos dentro de la población.
- Comprender los efectos cotidianos de la enfermedad en las vidas de los pacientes y sus familias desde su perspectiva y destacar áreas de necesidad médica no satisfecha.
- Informar de las prioridades de investigación desde el punto de vista clínico y del paciente.
- Establecer criterios diagnósticos.
- Desarrollar guías de atención clínica.
- Identificar biomarcadores.
- Recopilar los resultados informados por el paciente y otros resultados clínicos, que se pueden utilizar para identificar las medidas de resultados que se utilizarán en los ensayos clínicos.
- Aumentar la participación y retención de los pacientes en ensayos clínicos.
- Recopilar datos desde la perspectiva del paciente que la FDA pueda utilizar como parte de su proceso de revisión de comercialización.
- Acumular datos para defender una cobertura de seguro ampliada para terapias y servicios.



¿CUÁL ES EL PROPÓSITO?

¿POR QUÉ PARTICIPAR?



RECURSOS

www.fda.gov/orphan

El programa de subvenciones de historia natural de fármacos para enfermedades raras de la FDA es un programa que financia estudios de historia natural de enfermedades raras para guiar el desarrollo de terapias.

www.rarediseases.org

Organización Nacional de Trastornos Raros (National Organization of Rare Disorders, NORD)

Acceda a recursos que lo ayudarán en este proceso

☎ 1-833-PTC-HOPE (1-833-782-4673)

✉ InsightfulMoments@ptcbio.com

www.PTCInsightfulMoments.com

¿Qué es un estudio de historia natural?

UN ESTUDIO DE OBSERVACIÓN DESTINADO A HACER UN SEGUIMIENTO DEL CURSO DE LA ENFERMEDAD.

Su objetivo es identificar variables demográficas, genéticas, ambientales y de otro tipo que se correlacionen con el desarrollo y los resultados de la enfermedad. La información obtenida de un estudio de historia natural desempeña un papel esencial en cada etapa del desarrollo del producto, como la identificación de la población de pacientes y la identificación o el desarrollo de evaluaciones de resultados clínicos y biomarcadores. Debido al reducido número de personas afectadas por enfermedades raras, existen desafíos únicos para comprender la enfermedad y el desarrollo de fármacos para estas afecciones. Una forma de comprender mejor es a través de un estudio de historia natural.

¿Por qué participar en un estudio de historia natural?

- Los datos de un estudio de historia natural pueden:
 - Ser utilizados en la revisión de la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) de nuevas terapias para enfermedades raras que dan lugar a la aprobación reglamentaria y hacen que la terapia sea accesible para aquellos con la enfermedad rara.
 - Ser utilizados como evidencia con los responsables de formular políticas gubernamentales cuando expresen las necesidades de las personas con enfermedades raras.
- Ayuda al desarrollo de criterios diagnósticos claros o guías de gestión clínica teniendo en cuenta la carga para el paciente/cuidador.
- Respalda el desarrollo de ensayos clínicos ayudando a diseñar mejores criterios del estudio.
- Aumenta la concienciación sobre enfermedades en comunidades médicas, académicas y farmacéuticas.
- Proporciona a su comunidad de pacientes una sensación de impulso y aumenta el interés en participar en la investigación.
- Las recompensas a largo plazo incluyen el desarrollo de tratamientos más eficaces y seguros.
- La recompensa final es una cura para la enfermedad.