



Executive
Agency for
Health and
Consumers



iiier
Instituto de Investigación
de Enfermedades Raras



FEDER
Federación Española de Enfermedades Raras

REDISSEC



**Impacto socio-económico y sobre la
calidad de vida relacionada con la salud
de las enfermedades raras en la Unión
Europea:**

Avance de resultados para España

www.burqol-rd.eu

**Jornadas de
Medicamentos Huérfanos
y Enfermedades Raras**

*Sumando esfuerzos, multiplicando
resultados de salud*

Objetivo principal

Desarrollar y validar un instrumento para estimar el **impacto social y económico y sobre la calidad de vida** relacionada con la salud (CVRS), que las ER provocan en los **pacientes y cuidadores** de **8** países europeos.

- Epidermolisis Bullosa
- Fibrosis Quística
- Síndrome de Prader-Willi
- Hemofilia
- Distrofia Muscular de Duchenne
- Síndrome X Frágil
- Esclerodermia
- Mucopolisacaridosis
- Artritis Idiopática Juvenil
- Histiocitosis



Instituciones clave en BURQOL- RD



Executive
Agency for
Health and
Consumers



- Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos III



- Federación Española de Enfermedades Raras



- Centro de Referencia Estatal de Atención a Personas con Enfermedades Raras y sus Familias de Burgos

Asociaciones de pacientes clave en España

Asociación Andaluza contra la Fibrosis Quística
Associació Catalana de Fibrosi Quística
Asociación Madrileña Contra la Fibrosis Quística
Asociación Extremeña contra la Fibrosis Quística
Federación Española de Fibrosis Quística
Asociación Valenciana Síndrome Prader Willi
Asociación Catalana para el Síndrome de Prader Willi
Asociación Española para el Síndrome de Prader Willi
Asociación del Síndrome de Prader-Willi de Andalucía
Federación Española del Síndrome de X Frágil
Asociación para la integración de personas afectadas por X-Frágil u otro TGD en Andalucía
Asociación del Síndrome X-Frágil de Madrid
Asociación Síndrome X-Frágil de Extremadura
Associació Catalana Síndrome X Frágil
Asociación Andaluza de Hemofilia Canf Cocemfe
Asociación de Hemofilia de la Comunidad de Madrid
Federación Española de Enfermedades Neuromusculares
Asociación de Enfermos Neuromusculares de Bizkaia
Asociación Aragonesa de Enfermedades Neuromusculares
Asociación de Enfermedades Neuromusculares de la Comunidad Valenciana
Asociación de Enfermos Neuromusculares de Castilla La Mancha
Asociación Ourensana de EM, ELA, Parkinson y otras Enf Neurodegenerativas
Asociación Epidermolisis Bullosa de España
Asociación Española de Esclerodermia
Asociación de Esclerodermia de Castellón
Asociación Valenciana de Sanfilippo i altres mucopolisacaridosis
Asoc Española de las Mucopolisacaridosis y Síndromes Relacionados
Asociación Valenciana de Afectados de Artritis
Asociación Española contra la Histiocitosis

Socios científicos de BURQOL-RD en Europa

London School of Economics (Reino Unido)

Leibniz Universitat Hannover (Alemania)

Swedish Institute for Health Economics (Suecia)

Instituto Superiore di Sanità (Italia)

Université Paris XII Val de Marne (Francia)

Corvinus University (Hungría)

Bulgarian Association for Promotion of Education and Science (Bulgaria)

Cuestionario electrónico para el paciente

- Uso de recursos
 - Medicamentos, pruebas médicas, hospitalización, material sanitario, transportes, servicios socio-sanitarios, etc.
- Calidad de vida relacionada con la salud
 - EQ-5D-5L para pacientes adultos
 - EQ-5D-Y para pacientes <18 años
- Discapacidad
 - Índice de Barthel
- Datos demográficos

Cuestionario electrónico al cuidador

- Calidad de vida:
 - EQ-5D-5L
- Sobrecarga del cuidador
 - Zarit Scale
- Utilización de tiempo
- Datos demográficos



Formato on-line



The screenshot shows a web browser window with the URL `intranetburqolrd.proyectran.com/encuestas/index.php?sid=B7521&lang=es`. The browser's address bar also shows several bookmarks: "Intranet: acceso", "Orphanet", "Eurordis", "RD", and "Intranet: acceso".

The main content area features a blue banner with the "BURQOL RD" logo and a wavy background. Below the banner is a dark teal header with the text "BURQOL FQ Menores".

The main section is titled "FIBROSIS QUISTICA" and contains the following text:

Bienvenido a la encuesta del proyecto BURQOL-RD cuyo objetivo es medir la calidad de vida de las personas con Fibrosis Quísticas y de sus cuidadores, y cuantificar la carga que supone la enfermedad para la familia y la sociedad. Estos datos podrán servir para mejorar la situación de los afectados a través del mejor conocimiento de sus necesidades, sus preocupaciones y su calidad de vida.

La primera parte del cuestionario es para el paciente y lo rellena su cuidador.
 La segunda parte es para el cuidador principal no contratado del paciente.
 El código que se le pide al final de la encuesta solamente indica a los investigadores si ha completado o no la encuesta.

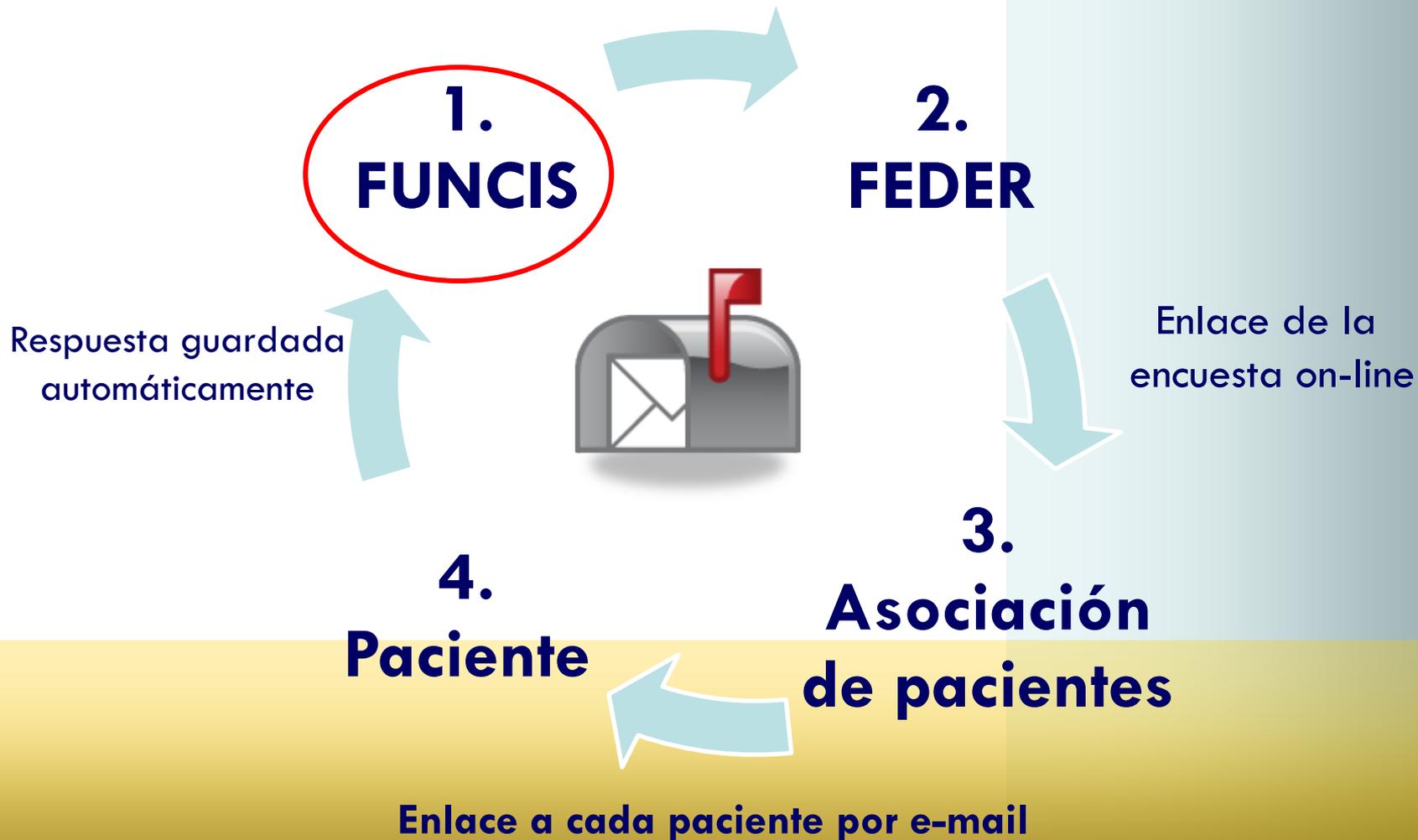
Nota sobre la privacidad
 Esta encuesta es anónima. Los registros con sus respuestas no contienen ninguna identificación suya. El código que se le pide al final de la encuesta solamente indica a los investigadores si ha completado o no la encuesta.
 Los datos recogidos formarán parte de un fichero informático, de acuerdo con las normas sujetas a Ley Orgánica 15/1999, de 13 de diciembre, de Protección de Datos de Carácter Personal (publicada en el BOE nº298, en 14-12-1999, pp. 43088-43099) y serán utilizados única y exclusivamente en el citado proyecto de investigación, de forma absolutamente anónima y confidencial.

Below the text is a section titled "Datos del paciente" which contains a form with the following elements:

- A checkbox with the text: *** Por favor, marque esta casilla, si usted (como paciente o su representante) está de acuerdo en participar en el proyecto BURQOL-RD, cumplimentando el siguiente cuestionario.**
- A date selection field with the text: *** 1. Fecha de nacimiento del paciente.** and three dropdown menus labeled "Día", "Mes", and "Año".
- A field for "2. Género".

Contacto con pacientes

Carta invitación con enlace electrónico al cuestionario



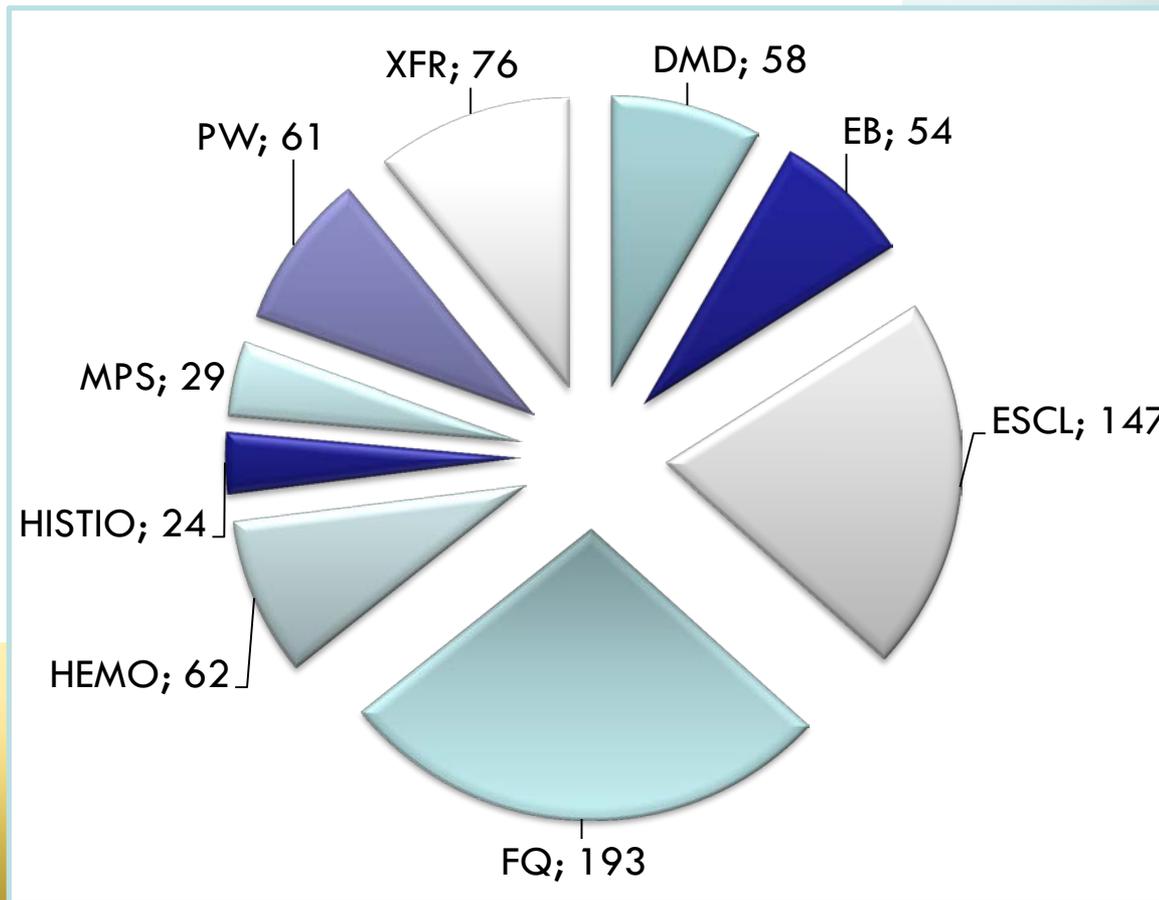
Otras vías de invitación a pacientes

- **Registros de ER** : IIER, FEDER y CREER.
- **Página web de BURQOL**: enlaces a las webs de las asociaciones de pacientes
- **Búsquedas de Investigadores**: Medline, Proyectos CE, Ensayos
- **Redes sociales**



Respuestas obtenidas

704 respuestas de pacientes y 240 cuidadores



Costes directos

1. Directos sanitarios

Medicamentos

Pruebas médicas

Visitas

Hospitalizaciones

Material sanitario

Transporte sanitario

2. Directos no sanitarios formales

Cuidadores profesionales

Transporte no sanitario

Servicios sociales

3. Directos no sanitarios informales

Cuidador principal

Otros cuidadores informales



Costes indirectos

4. Costes indirectos

Pérdida de productividad del paciente (adultos)

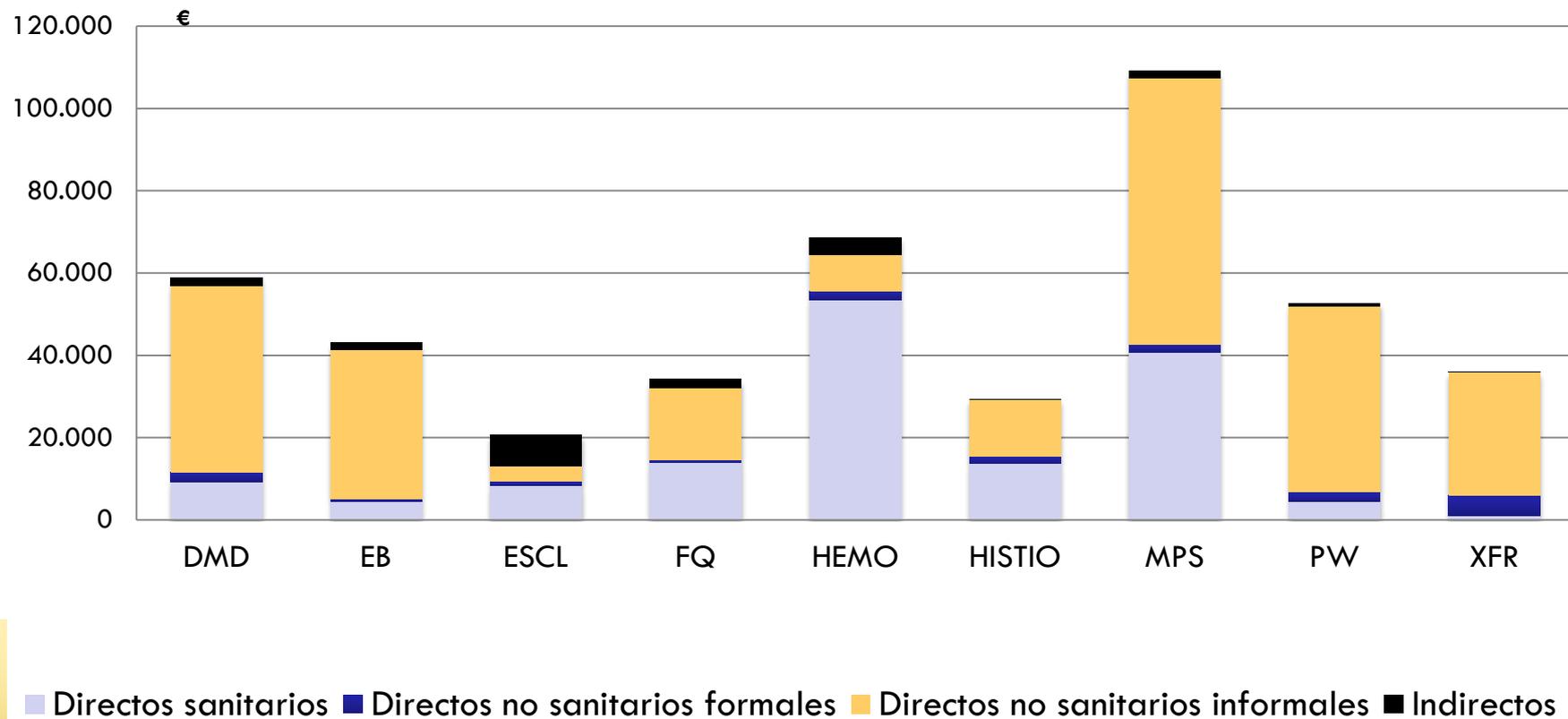
Jubilación prematura del paciente (adultos)

Pérdida de productividad del cuidador

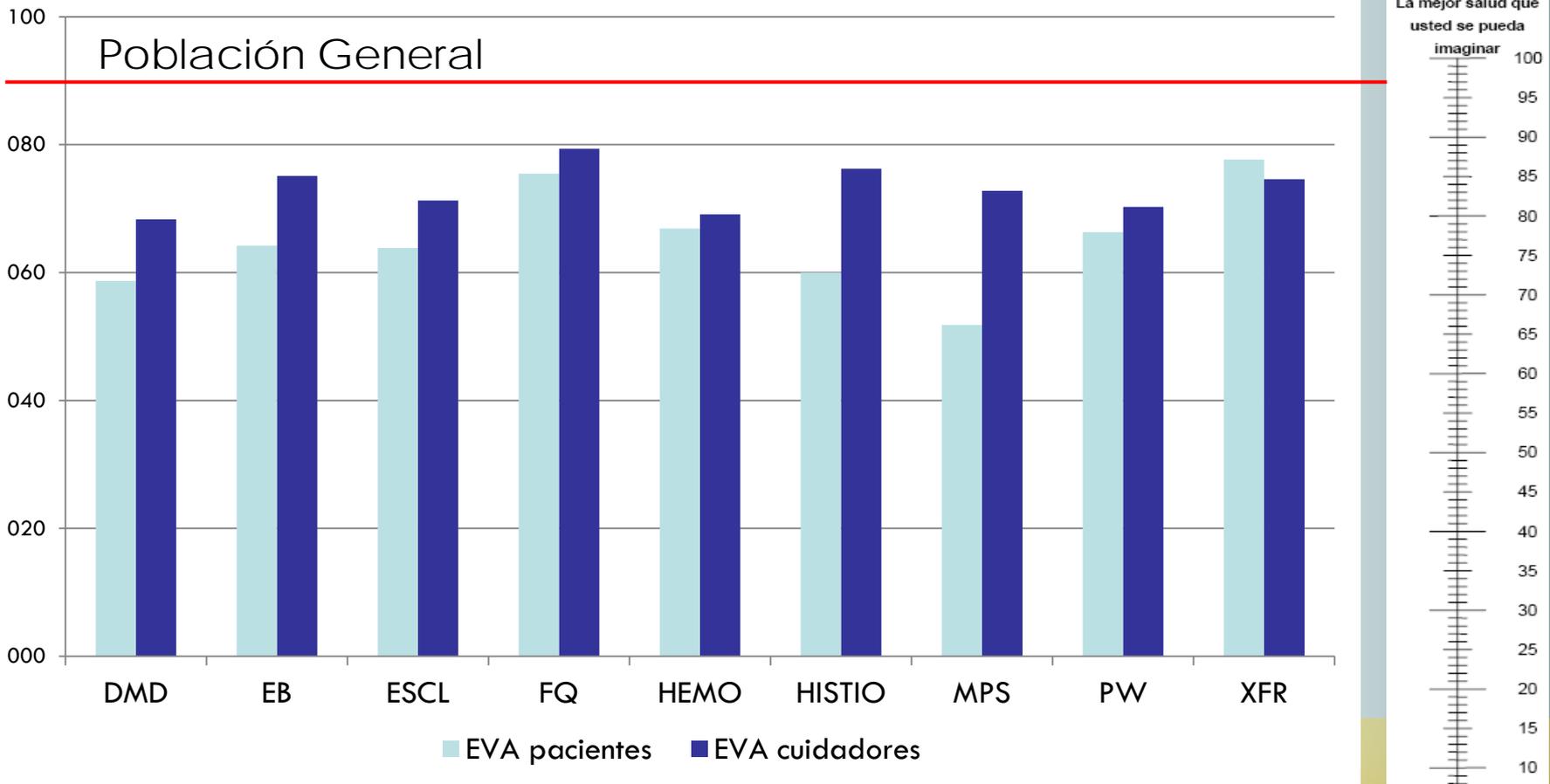
Jubilación prematura del cuidador

Resultados de costes

Costes anuales por paciente



Calidad de vida relacionada con la salud



Utilidad de los resultados para España

BURQOL-RD nos permite conocer:

- El impacto socioeconómico actual de las ER en las familias
- La calidad de vida de los pacientes y los cuidadores
- Los servicios sanitarios y sociales que utilizan
- Las utilidades para la evaluación económica de tratamientos futuros





Utilidad de los resultados de BURQOL-RD para Europa

1.- **Información comparativa y actual** en 8 países, sobre:

- El **impacto socioeconómico**
- La **calidad de vida** de pacientes y cuidadores
- Los **servicios** sanitarios y sociales **disponibles**

2.- **Instrumento de medida** del impacto de las nuevas políticas, programas y tratamientos para las personas con ER



Gracias a tod@s por su atención

Gracias a la



**Executive
Agency for
Health and
Consumers**

**Invitamos a otras asociaciones de pacientes de ER a colaborar
con BURQOL-RD**

pserrano@gobiernodecanarias.org