

**Necesidades no cubiertas en el colectivo internacional de pacientes con tumor neuroendocrino (NET): una evaluación de las principales deficiencias desde la perspectiva de los pacientes, sus asociaciones de apoyo y defensa y los profesionales sanitarios expertos en NETs**

**CONTRIBUCIONES:**

Bouvier, C.; Caplin, M.; Conroy, S.; Davies, P.; Dureja, S.; Falconi, M.; Ferolla, P.; Fisher, G.; Goldstein, G.; Hicks, R.; Hollander, R.; Kolarova, T.; Lawrence, B.; Leyden, S.; Majima, Y.; Metz, D.; O'Toole, D.; Ruszniewski, P.; Wiedenmann, B.

NET (siglasl en inglés de *NeuroEndocrine Tumors*)

**Resumen**

La Alianza Internacional de Cáncer Neuroendocrino (INCA) es una organización internacional compuesta por 20 asociaciones de apoyo y defensa del paciente y grupos de investigación repartidos por 17 países de Asia, Asia-Pacífico, Europa y Norteamérica. Su labor consiste en prestar asistencia a las organizaciones nacionales que la componen y, a través de estas, en apoyar a los pacientes de cáncer neuroendocrino (y sus familiares) y en reivindicar una mejora del diagnóstico, la atención y la investigación.

La INCA ha llevado a cabo una evaluación mediante la cual ha identificado importantes necesidades no cubiertas en la información que se proporciona a los pacientes en el momento del diagnóstico, en la asistencia sanitaria y atención multidisciplinar y en el acceso a métodos diagnósticos y tratamientos innovadores, así como una falta de participación de los pacientes en las estrategias de investigación y los ensayos clínicos. A pesar de que algunas de estas deficiencias también son habituales en la atención a los pacientes con otros tipos de cáncer, resultan especialmente preocupantes en el caso de los pacientes con un tumor neuroendocrino por diversas razones, entre ellas:

- Un diagnóstico tardío: como se explica más adelante, los pacientes con un NET normalmente reciben diagnósticos erróneos, y con frecuencia son tratados de forma inadecuada durante años. Cuando reciben el diagnóstico correcto, en la gran mayoría de casos el tumor ya ha originado metástasis, haciendo que el manejo sea más complejo y las opciones más limitadas.
- Los tumores neuroendocrinos (NETs) suelen ser bastante heterogéneos. Su localización es diversa, generalmente, son bastante indoloros y, pese a ello, en ocasiones son muy agresivos. Un mismo tipo de tumor, con una presentación similar, puede evolucionar de forma muy diferente en distintos pacientes.
- A pesar de algunos avances recientes, las opciones de tratamiento disponibles siguen siendo muy limitadas y no existe cura. Y si bien la detección precoz y la extracción quirúrgica de un NET "primario" pequeño puede ser "curativa" en algunos casos, son pocos los pacientes que reciben el diagnóstico a tiempo y son convenientemente derivados a un equipo multidisciplinar experto.
- Existen muchos factores que dificultan especialmente la gestión de los NETs. Además del estadio y del grado de agresividad del tumor, que afectan directamente a la supervivencia global, hay que tener en cuenta las complicaciones derivadas de la afectación valvular carcinóide, la isquemia intestinal, síndromes asociados a diferentes tipos de NET, etc.

En estas condiciones, la carencia de una información fiable, el difícil acceso a los expertos en NETs y a una atención de vanguardia y la necesidad de invertir en investigación son relevantes y

preocupantes. Algunos de estos problemas se dan a escala global, mientras que otros pueden variar entre países y sistemas sanitarios.

La falta de calidad asistencial repercute directamente en los resultados en salud de los pacientes, reduciendo sus oportunidades de tratar y gestionar la enfermedad de una manera efectiva, y esto podría evitarse. Las carencias en la investigación también tienen repercusiones negativas en el avance del conocimiento de los NET, en la optimización del diagnóstico y en las opciones terapéuticas futuras.

Las asociaciones de pacientes pueden desempeñar un papel clave, colaborando con la comunidad médica en la resolución de estos problemas. El estudio revela un consenso en relación con muchas necesidades básicas entre ambos grupos, sin embargo, también ha identificado discrepancias entre la percepción de los pacientes y la de los profesionales sanitarios, arrojando luz sobre ámbitos donde se precisa una mayor colaboración.

Esta iniciativa se basa en la premisa de que tanto los pacientes con un NET como los profesionales sanitarios comparten un profundo compromiso de ayuda mutua que permitirá un mayor conocimiento de estas necesidades con el fin de colaborar para mejorar el acceso a la información, la atención al paciente y la investigación que merecen todos los afectados de un NET, con independencia de su lugar de residencia, a nivel mundial.

Es un hecho que el número de personas diagnosticadas de un NET parece estar aumentando considerablemente. Según el último estudio epidemiológico de tumores neuroendocrinos, cada año se diagnostican 7 de cada 100 000 personas. De acuerdo con el mismo estudio, la incidencia de los NETs se multiplicó casi por siete entre 1973 y 2012<sup>i</sup>. Si bien no se conocen exactamente los motivos de este aumento, la mayoría de los expertos en NET creen que puede deberse a una mayor concienciación durante los últimos años. Según la encuesta de la INCA, el 48 % de los pacientes afirman haber acudido cinco o más veces al médico antes de recibir su diagnóstico de NET<sup>ii</sup>. Más de la mitad de los pacientes reciben el diagnóstico cuando la enfermedad ya ha avanzado debido a que cuando existen síntomas, son inespecíficos e imprecisos y suelen dar lugar a diagnósticos incorrectos. El 45 % de los pacientes afirman que el NET no ha sido su primer diagnóstico, siendo el inicial más habitual un trastorno digestivo como por ejemplo, el síndrome del intestino irritable (39 %).

Los objetivos de este estudio realizado por la INCA son:

- Conocer mejor la percepción de las necesidades no cubiertas de los pacientes, los líderes de los grupos de pacientes y los profesionales sanitarios.
- Sentar una base que evidencie dichas necesidades para que la comunidad internacional de NET pueda identificar prioridades de acción que mejoren la calidad asistencial y así poder optimizar los resultados en salud de todos los pacientes con NET.
- Crear una plataforma de debate con la comunidad médica que pueda concretar una labor de colaboración para abordar las necesidades no cubiertas identificadas.
- Ver cuáles son las necesidades comunes a la mayoría de países y las que tienen una perspectiva global.
- Identificar soluciones en las que el trabajo en equipo entre pacientes, grupos de apoyo y defensa de pacientes y expertos en NET pueda marcar una diferencia sustancial en la vida y la perspectiva de los pacientes con un NET de todo el mundo.

#### **RECONOCIMIENTOS:**

Este libro blanco, la encuesta y el proceso de entrevista en los que se basa han sido posibles gracias a la ayuda de la *Neuroendocrine Tumor Research Foundation*, una fundación benéfica sin ánimo de lucro dedicada a la investigación de los NET y a ayudar a sus enfermos.

Desde INCA deseamos expresar nuestro agradecimiento a los directivos de las principales sociedades médicas internacionales: ENETS (*European Neuroendocrine Tumor Society*), NANETS (*North American Neuroendocrine Tumor Society*), APNETS (*Asia-Pacific Neuroendocrine Society*), CommNETs (*Commonwealth Neuroendocrine Tumor Group*) y JNETS (*Japan Neuroendocrine Tumor Society*) por contribuir con su tiempo y sus conocimientos.

## Metodología

Entre el 15 de febrero de 2017 y el 1 de marzo de 2017 se llevaron a cabo tres encuestas online; la primera dirigida a pacientes y familiares, la segunda a profesionales sanitarios y la tercera a los líderes de los grupos de apoyo y defensa de los pacientes (el 69 % de estos líderes de pacientes sufrían NET). Se plantearon 35 preguntas sobre cuatro aspectos clave para el estudio: información que recibe el paciente, calidad asistencial, acceso al mejor diagnóstico y tratamiento e investigación. Los datos procedentes de la primera Encuesta Global de Pacientes NETs de 2014<sup>ii</sup> se utilizaron para respaldar las necesidades no cubiertas identificadas en este último estudio y las preguntas fueron diseñadas de modo que se pudiera realizar un estudio comparativo.

En total se encuestó a más de 400 personas. Este procedimiento puede haber generado un sesgo en la selección hacia pacientes y profesionales sanitarios “bien informados” de los países desarrollados. No obstante, se consideró válido para derivar puntos de vista a partir de la opinión de encuestados comprometidos y con conocimientos. Debido a que dichos participantes ya estaban más informados y conectados a la comunidad de NET, la evaluación resultante de las “necesidades no cubiertas” probablemente se ha subestimado. Las organizaciones que conforman la INCA y los líderes de los grupos de pacientes también difundieron la encuesta entre los profesionales sanitarios. En consecuencia, se puede considerar que los profesionales sanitarios participantes tenían una implicación directa en el manejo de los NETs. Las respuestas proceden de 26 países y se desglosan del modo siguiente:

Encuesta para líderes/grupos de defensa de pacientes: 35 respuestas

Encuesta para pacientes y familiares: 338 respuestas

Encuesta para profesionales sanitarios: 70 respuestas (véase el desglose de especialidades a continuación)

### P2: ¿Cuál es su especialidad médica?

Opciones	Respuestas
Oncología	<b>38.57%</b> 27
Patología	<b>1.43%</b> 1
Radiología	<b>1.43%</b> 1
Medicina nuclear	<b>12.86%</b> 9
Endocrinología	<b>8.57%</b> 6
Cirugía	<b>10.00%</b> 7
Gastroenterología	<b>28.57%</b> 20
Enfermería	<b>10.00%</b> 7
Neumología	<b>0.00%</b> 0
Otras (especificar)	<b>4.29%</b> 3
<b>Total de encuestados</b>	<b>70</b>

Además de las encuestas online, se mantuvieron entrevistas en profundidad, de entre 40 y 90 minutos, con 10 líderes clínicos y 9 defensores del paciente, seleccionados como representación de un amplio espectro de competencias médicas y de pacientes a escala global. Los resultados de estas entrevistas se han utilizado como información para seleccionar la discusión de este documento.

Los pacientes que participaron en la encuesta habían padecido un total de 19 tipos de NET diferentes, siendo los más comunes los tumores de origen pancreático, diagnosticados en más del 25 % de los pacientes.

Dos tercios de los pacientes encuestados tenían más de 50 años y aproximadamente un tercio de estos habían recibido el diagnóstico de NET en torno a esa edad.

**P5: ¿Qué edad tiene?**

Opciones de respuesta	Respuestas
Menos de 18 años	<b>0.90%</b> 3
18-29	<b>3.59%</b> 12
30-39	<b>9.28%</b> 31
40-49	<b>17.07%</b> 57
50-59	<b>30.54%</b> 102
60-69	<b>27.54%</b> 92
70 o más	<b>11.08%</b> 37
<b>Total</b>	<b>334</b>

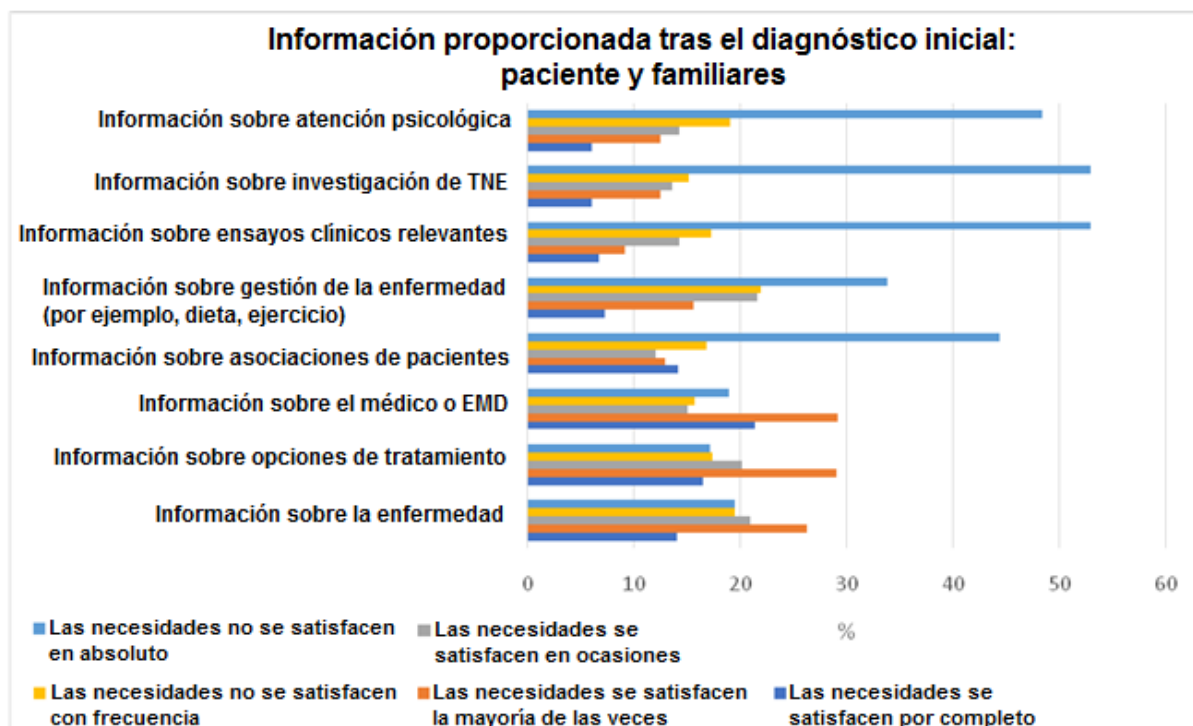
**Q6: ¿Qué edad tenía cuando se le diagnosticó NET por primera vez?**

<b>Opciones</b>	<b>Respuestas</b>	
Menos de 18 años	<b>3.57%</b>	12
18-29	<b>7.14%</b>	24
30-39	<b>10.71%</b>	36
40-49	<b>22.92%</b>	77
50-59	<b>33.04%</b>	111
60-69	<b>19.64%</b>	66
70 o más	<b>2.98%</b>	10
<b>Total</b>		<b>336</b>

## RESULTADOS

### Necesidades no cubiertas en relación con la información

La exhaustividad de la información recibida por los pacientes en el momento del diagnóstico fue altamente variable en lo que respecta a la información básica sobre la enfermedad, las opciones de tratamiento y el médico o equipo multidisciplinar.



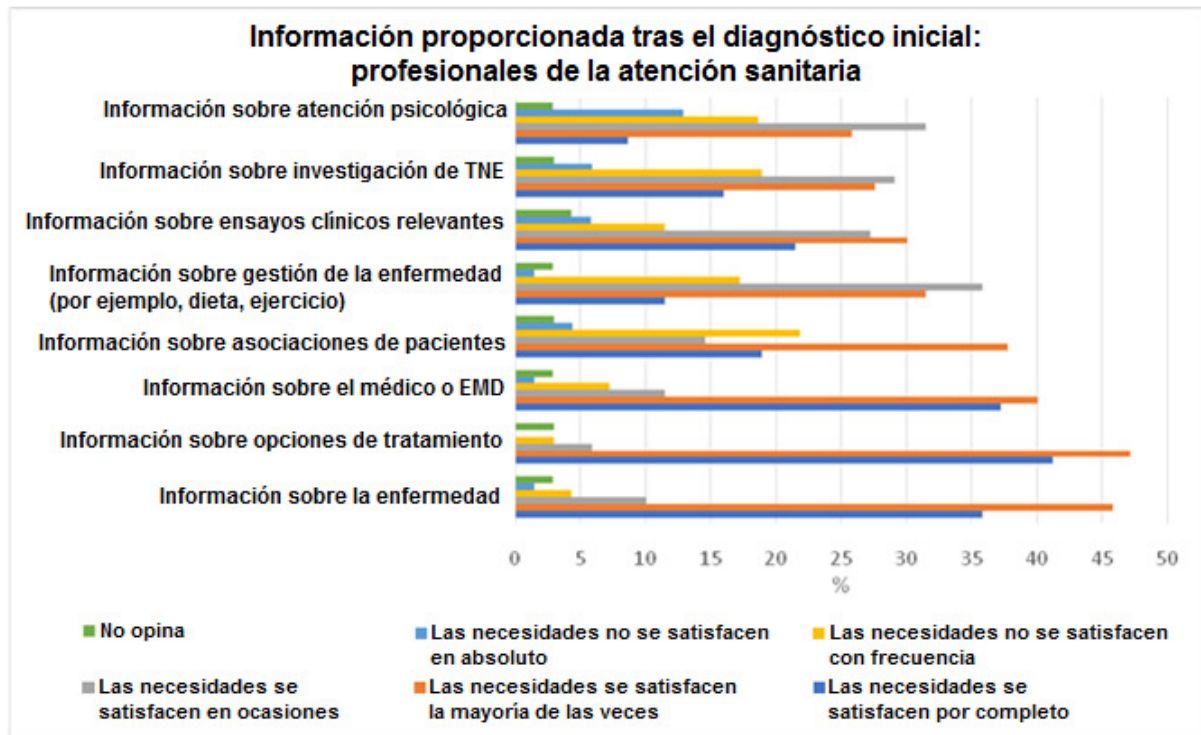
La encuesta puso de relieve varios aspectos en los que las necesidades de información de los pacientes en el momento del diagnóstico no se atienden de forma adecuada:

- Información sobre ensayos clínicos relevantes (53 %)
- Información sobre investigación de los NETs (53 %)
- Información sobre atención psicológica (48 %)
- Derivación a asociaciones de pacientes (44 %)
- Asesoramiento sobre cómo gestionar la enfermedad (por ejemplo, dieta y ejercicio, control de síntomas) (34 %)

Además, tan solo el 16% de los encuestados señalaron que sus necesidades de información sobre las opciones de tratamiento se atendieron completamente en el momento del diagnóstico.

La primera opción de búsqueda de información adicional son las páginas web de las asociaciones de pacientes, utilizadas por un 70 % de los encuestados. El 62 % de los pacientes consideraban que estas plataformas resolvían todas o la mayoría de sus necesidades. Las páginas web de profesionales sanitarios, como los de la *European Neuroendocrine Tumor Society* (ENETS) y la *North American Neuroendocrine Tumor Society* (NANETS), también se utilizan en buena medida, ya que el 49 % de los encuestados señalaron haber recurrido a ellas y más de la mitad consideraban que estas fuentes resolvían todas sus necesidades o la mayor parte.

Existen claras diferencias entre la percepción que tienen los profesionales sanitarios acerca de la información que aportan a los pacientes, y la que tienen los propios pacientes, en todas las categorías. Por ejemplo, casi el 90 % de los profesionales sanitarios encuestados creían que podían cubrir todas o la mayoría de las necesidades de información de los pacientes acerca de las opciones de tratamiento, en comparación con algo más del 36 % por parte de los pacientes. No obstante, esta pregunta hacía referencia al momento del diagnóstico; en general, se puede apreciar una actitud más positiva de los pacientes en relación con la información recibida durante su proceso de tratamiento y seguimiento.



Como respuesta a la afirmación "Recibo toda la información y explicaciones que necesito sobre mi enfermedad y mis opciones de tratamiento":

	Las necesidades se atienden completamente	Las necesidades se atienden en su mayor parte	Las necesidades se atienden en ocasiones	Las necesidades con frecuencia no se atienden	Las necesidades no se atienden en absoluto	No opina
Líder de pacientes	0 %	24 %	38 %	29 %	6 %	3 %
Paciente y familiares	16 %	34 %	26 %	12 %	9 %	3 %

**P11: ¿En qué medida resolvió sus necesidades la información que encontró o que solicitó?**

	Resolvió completamente mis necesidades	Resolvió la mayor parte de mis necesidades	Resolvió algunas de mis necesidades	Apenas resolvió mis necesidades	No resolvió ninguna de mis necesidades	No es aplicable a mi caso	Total	Media ponderada
Sitio web de los profesionales de la atención sanitaria (por ejemplo, ENETS, NANETS, sitio web de un hospital)	11.97% 34	32.04% 91	31.96% 90	5.99% 17	5.63% 16	12.68% 36	284	0.44
Profesional sanitario u hospital de tratamiento: información impresa	10.11% 27	17.98% 48	22.85% 61	13.86% 37	15.36% 41	19.85% 53	267	-0.08
Sitio web de una asociación de pacientes	19.44% 56	42.01% 121	19.79% 57	6.60% 19	2.43% 7	9.72% 28	288	0.77
Asociación de pacientes: información impresa	18.36% 47	30.86% 79	17.19% 44	3.13% 8	4.69% 12	25.78% 66	256	0.74

**Necesidades no cubiertas en atención sanitaria**

Cuando se preguntó a los líderes de pacientes por su opinión sobre la afirmación "El sistema sanitario de mi lugar de residencia proporciona un nivel de atención adecuado a los pacientes", el 41 % de los encuestados se mostraron de acuerdo en que satisfacía todas las necesidades de los pacientes o la mayoría de ellas. No obstante, el 23,5 % respondieron "en ocasiones" y más del 32 % de los líderes de pacientes consideraban que no se alcanzaban unos niveles de atención adecuados para los pacientes con un NET (el 21 % señalaron que con frecuencia no se alcanzaban y el 12 % que no se alcanzaban en absoluto).

A los líderes de pacientes les preocupaba la ayuda prestada por los profesionales de la atención sanitaria en varios ámbitos importantes. Los más destacados son:

- El 65 % consideraban que las necesidades de asistencia para gestionar la enfermedad a través de la dieta, el ejercicio y el control de los síntomas no se atendían con frecuencia (53 %) o no se atendían en absoluto (12 %)
- El 76 % señalaron que las necesidades en atención psicológica no se satisfacían con frecuencia (38 %) o no se satisfacían en absoluto (38 %).
- Las necesidades de tratamiento de las enfermedades mentales diagnosticadas en el proceso del cáncer no se atendían con frecuencia (44 %) o no se atendían en absoluto (27 %).

El 94 % de los líderes de pacientes participantes en la encuesta señalaron que existían equipos multidisciplinares (EMD) disponibles en su región y el 70 % de los profesionales sanitarios afirmaron que los EMD se encargaban de proporcionar atención sanitaria al paciente (otro 20 % señalaron que se encargaban en ocasiones). No obstante, tan solo el 66 % de los pacientes indicaron que su



atención la gestionaba un equipo multidisciplinar. En los casos gestionados por un EMD, la frecuencia de contacto más habitual entre un paciente y el EMD era semestral.

**P14: Aparte de los tratamientos específicos para NET, ¿en qué medida cree que los responsables de la asistencia sanitaria atienden las siguientes necesidades de los pacientes?**

	Las necesidades se atienden completamente	Las necesidades se atienden en su mayor parte	Las necesidades se atienden en ocasiones	Las necesidades con frecuencia no se atienden	Las necesidades no se atienden en absoluto	No sé	Total	Media ponderada
Atención psicológica	2.94% 1	5.88% 2	8.82% 3	38.24% 13	38.24% 13	5.88% 2	34	-1.09
Información sobre cómo gestionar la enfermedad (por ejemplo, dieta, ejercicio, control de los síntomas)	5.88% 2	11.76% 4	11.76% 4	52.94% 18	11.76% 4	5.88% 2	34	-0.56
Diagnóstico de enfermedades mentales	2.94% 1	0.00% 0	11.76% 4	41.18% 14	35.29% 12	8.82% 3	34	-1.16
Tratamiento de enfermedades mentales diagnosticadas	2.94% 1	2.94% 1	8.82% 3	44.12% 15	26.47% 9	14.71% 5	34	-1.03
Apoyo con trabajo y/o formación continua	3.13% 1	12.50% 4	12.50% 4	34.38% 11	25.00% 8	12.50% 4	32	-0.75
Tratamiento del dolor	5.88% 2	41.18% 14	32.35% 11	8.82% 3	0.00% 0	11.76% 4	34	0.50
Cuidado personal/higiene	2.94% 1	5.88% 2	32.35% 11	29.41% 10	0.00% 0	29.41% 10	34	-0.25
Cuidados paliativos	5.88% 2	35.29% 12	17.65% 6	23.53% 8	0.00% 0	17.65% 6	34	0.29

**P19: ¿Con qué frecuencia mantiene contacto con algún miembro o miembros de su equipo multidisciplinar?**

Opciones	Respuestas
Semanalmente	4.08% 10
Mensualmente	25.31% 62
Cada tres meses	22.45% 55
Cada seis meses	31.84% 78
Una vez al año	11.02% 27
Con menor frecuencia	5.31% 13
<b>Total</b>	<b>245</b>

En el caso de los pacientes atendidos por un equipo multidisciplinar, las necesidades de un contacto adecuado y regular entre el paciente y el profesional sanitario se satisfacían completamente o la mayoría de las veces.

Encuestados	Las necesidades se atienden completamente	Las necesidades se atienden en su mayor parte	Las necesidades se atienden en ocasiones	Las necesidades con frecuencia no se atienden	Las necesidades no se atienden en absoluto	No opina
Líder de pacientes	9 %	41 %	26 %	15 %	3 %	6 %
Paciente y familiares	28 %	38 %	16 %	8 %	6 %	4 %
Profesional sanitario	20 %	53 %	9 %	15 %	3 %	0 %

Tan solo el 50 % de los pacientes opinaban que sus necesidades se atendían completamente o en su mayor parte, en lo que respecta a colaborar y deliberar con su equipo médico sobre las decisiones relativas a su atención.

**Necesidades no cubiertas en relación con el acceso a las mejores pruebas diagnósticas y a los mejores tratamientos.**

El acceso de los pacientes a tecnologías de vanguardia es un problema constante. La encuesta confirmó que uno de los principales retos en el diagnóstico es el acceso a la exploración mediante PET/TC con Galio 68-DOTATATE/DOTATOC.

*¿Existe alguna tecnología de diagnóstico adecuada que no esté disponible?*

	Sí	No	No sabe
Defensor/líder de pacientes	54 %	37 %	9 %
Paciente y familiares	24 %	44 %	32 %
Profesional sanitario	59 %	35 %	6 %

*En el caso de los que respondieron “sí”, las 3 principales dificultades de acceso eran:*

	1	2	3
Líder de pacientes	Exploración mediante PET/TC con Galio 68-Dotatate (85 %)	PET FDG (10 %)	MIBG Y TC (10 %)
Paciente y familiares	Exploración mediante PET/TC con Galio 68-Dotatate (73%)	PET FDG (23%)	MIBG (18 %)
Profesional sanitario	Exploración mediante PET/TC con Galio 68-Dotatate (86%)	PET FDG (36%)	MIBG (23 %)

*¿Existe algún tratamiento adecuado que no esté disponible?*

	Sí	No	No sabe
Líder de pacientes	63 %	31 %	6 %
Paciente y familiares	24 %	44 %	32 %
Profesional sanitario	65 %	32 %	3 %

*En el caso de los que respondieron “sí”, las 3 principales dificultades de acceso eran:*

	1	2	3
Líder de pacientes	PRRT (95 %)	Pruebas genéticas/medicina de precisión (33 %)	Trasplante (10 %)
Paciente y familiares	PRRT (42 %)	Pruebas genéticas/medicina de precisión (25 %)	Cirugía (19 %)
Profesional sanitario	PRRT (77 %)	Trasplante (44 %)	Pruebas genéticas/medicina de precisión (29 %)

Casi la mitad de los pacientes (48 %) tuvieron que desplazarse más de 300 km/186 millas para recibir tratamiento o consultar a un experto en NETs. La evidencia demuestra que la distancia tiene repercusiones negativas sobre la supervivencia global de los pacientes con NET<sup>iii</sup>.

### **Necesidades no cubiertas en relación con la investigación**

Los pacientes y los profesionales sanitarios tienen prioridades distintas en lo que respecta a la investigación. “Un diagnóstico más temprano y preciso” era la principal prioridad para los líderes de pacientes, los pacientes y sus familiares, mientras que para los profesionales sanitarios esta prioridad ocupaba el puesto número tres. Los ensayos clínicos para mejorar los tratamientos actuales y probar otros nuevos eran la principal prioridad para los profesionales sanitarios, mientras que para los pacientes y sus familiares tan solo era la quinta en importancia.

Todos los grupos otorgaron un alto grado de importancia a la investigación destinada a mejorar la calidad de vida y a controlar los síntomas.

Se pidió a cada grupo que clasificara estos ámbitos de investigación por orden de prioridad, siendo 1 el más importante y 7 el menos importante para ellos.

Ámbitos de investigación prioritarios	Líder de pacientes	Paciente y familiares	Profesional sanitario
Ciencia básica para entender qué hace que los tumores se formen y crezcan, como vía para descubrir una cura	4	2	5
Investigación básica o traslacional centrada en una supervivencia más prolongada	5	4	4
Investigación centrada en la mejora de la calidad de vida; control/gestión de los síntomas	3	3	2
Seguimiento de la enfermedad por medios precisos y mínimamente invasivos	7	6	6
Diagnóstico más temprano y preciso	1	1	3
Ensayos clínicos para mejorar los tratamientos actuales y probar otros nuevos	2	5	1
Desarrollo de registros de pacientes con NET nacionales e internacionales	6	7	7

Los grupos de apoyo y defensa del paciente comparten la opinión de que los pacientes no participan en una medida suficiente en el diseño de la investigación.

*¿Participan los pacientes en una medida suficiente en el diseño de las investigaciones?*

	Sí	No	No opina
Líder de pacientes	3 %	82 %	15 %
Paciente y familiares	10 %	53 %	37 %
Profesional sanitario	23 %	57 %	20 %

Se preguntó a cada grupo cuáles serían sus ámbitos prioritarios para la implicación de los pacientes en la investigación.

Para los líderes de pacientes:

1. La equiparación de los estudios de cánceres neuroendocrinos con los estudios de otras patologías oncológicas importantes
2. Ensayos clínicos para mejorar los tratamientos actuales y probar otros nuevos
3. Adaptación de la información de los resultados de las iniciativas de investigación, para que los pacientes entiendan las conclusiones publicadas

**P30: ¿En qué medida es importante la implicación de los pacientes en aspectos concretos del estudio?**

	<b>Muy importante</b>	<b>Importante en cierta medida</b>	<b>No muy importante</b>	<b>No es en absoluto importante</b>	<b>No opina</b>	<b>Total</b>	<b>Media ponderada</b>
La dirección y estrategia global de la financiación de la investigación en el campo de los TNE	<b>38.24%</b> 13	<b>52.94%</b> 18	<b>8.82%</b> 3	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.21
El diseño de iniciativas de investigación concretas	<b>35.29%</b> 12	<b>50.00%</b> 17	<b>14.71%</b> 5	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.06
La interpretación de los resultados de las iniciativas de investigación, para que los pacientes entiendan las conclusiones publicadas	<b>67.65%</b> 23	<b>29.41%</b> 10	<b>2.94%</b> 1	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.62
La definición de prioridades de investigación	<b>45.45%</b> 15	<b>39.39%</b> 13	<b>12.12%</b> 4	<b>0.00%</b> 0	<b>3.03%</b> 1	33	1.22
La equiparación de los estudios de cánceres neuroendocrinos poco comunes con los estudios de otras patologías oncológicas importantes	<b>73.53%</b> 25	<b>26.47%</b> 9	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.74
Los ensayos clínicos para mejorar los tratamientos actuales y probar otros nuevos	<b>73.53%</b> 25	<b>26.47%</b> 9	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.74

Para los pacientes y familiares:

1. Ensayos clínicos para mejorar los tratamientos actuales y probar otros nuevos
2. La equiparación de los estudios de cánceres neuroendocrinos con los estudios de otras patologías oncológicas importantes
3. Adaptación de la información de los resultados de las iniciativas de investigación, para que los pacientes entiendan las conclusiones publicadas

**P31: ¿En qué medida es importante la implicación de los pacientes en aspectos concretos del estudio?**

	<b>Muy importante</b>	<b>Importante en cierta medida</b>	<b>No muy importante</b>	<b>No es en absoluto importante</b>	<b>No opina</b>	<b>Total</b>	<b>Media ponderada</b>
La dirección y estrategia global de la financiación de la investigación en el campo de los TNE	<b>52.57%</b> 174	<b>29.91%</b> 99	<b>4.83%</b> 16	<b>2.11%</b> 7	<b>10.57%</b> 35	331	1.41
El diseño de iniciativas de investigación concretas	<b>46.48%</b> 152	<b>34.56%</b> 113	<b>7.34%</b> 24	<b>0.92%</b> 3	<b>10.70%</b> 35	327	1.33
La interpretación de los resultados de las iniciativas de investigación, para que los pacientes entiendan las conclusiones publicadas	<b>64.85%</b> 214	<b>25.45%</b> 84	<b>2.12%</b> 7	<b>0.30%</b> 1	<b>7.27%</b> 24	330	1.64
La definición de prioridades de investigación	<b>50.00%</b> 164	<b>34.76%</b> 114	<b>5.79%</b> 19	<b>0.61%</b> 2	<b>8.84%</b> 29	328	1.40
La equiparación de los estudios de cánceres neuroendocrinos poco comunes con los estudios de otras patologías oncológicas importantes	<b>74.10%</b> 246	<b>18.67%</b> 62	<b>1.81%</b> 6	<b>0.00%</b> 0	<b>5.42%</b> 18	332	1.75
Los ensayos clínicos para mejorar los tratamientos actuales y probar otros nuevos	<b>73.64%</b> 243	<b>20.91%</b> 69	<b>0.61%</b> 2	<b>0.00%</b> 0	<b>4.85%</b> 16	330	1.76

Para los profesionales sanitarios:

1. La equiparación de los estudios de cánceres neuroendocrinos con los estudios de otras patologías oncológicas importantes
2. Ensayos clínicos para mejorar los tratamientos actuales y probar otros nuevos
3. La dirección y estrategia global de la financiación para la investigación de los NETs

**P25: ¿En qué medida es importante la implicación de los pacientes en aspectos concretos del estudio?**

	<b>Muy importante</b>	<b>Importante en cierta medida</b>	<b>No muy importante</b>	<b>No es en absoluto importante</b>	<b>No opina</b>	<b>Total</b>	<b>Media ponderada</b>
La dirección y estrategia global de la financiación de la investigación en el campo de los TNE	<b>34.29%</b> 24	<b>55.71%</b> 39	<b>7.14%</b> 5	<b>0.00%</b> 0	<b>2.86%</b> 2	70	1.21
El diseño de iniciativas de investigación concretas	<b>27.54%</b> 19	<b>52.17%</b> 36	<b>15.94%</b> 11	<b>0.00%</b> 0	<b>4.35%</b> 3	69	0.95
La interpretación de los resultados de las iniciativas de investigación, para que los pacientes entiendan las conclusiones publicadas	<b>26.09%</b> 18	<b>49.28%</b> 34	<b>21.74%</b> 15	<b>0.00%</b> 0	<b>2.90%</b> 2	69	0.82
La definición de prioridades de investigación	<b>27.54%</b> 19	<b>56.52%</b> 39	<b>11.59%</b> 8	<b>0.00%</b> 0	<b>4.35%</b> 0	69	1.05
La equiparación de los estudios de cánceres neuroendocrinos poco comunes con los estudios de otras patologías oncológicas importantes	<b>49.28%</b> 34	<b>44.93%</b> 31	<b>2.90%</b> 2	<b>0.00%</b> 0	<b>2.90%</b> 2	69	1.45
Clinical trials to improve current treatments, test new ones	<b>36.23%</b> 25	<b>53.62%</b> 37	<b>7.25%</b> 5	<b>0.00%</b> 0	<b>2.90%</b> 2	69	1.22

## Discusión

### Necesidades no cubiertas en relación con la información

Una información de calidad que sea objetivamente precisa y fácil de entender, en el idioma adecuado, es especialmente relevante para los pacientes que acaban de recibir un diagnóstico de NET. Los pacientes informados correctamente pueden desempeñar un papel más activo en sus propios cuidados. Además, un mejor entendimiento de la enfermedad, los síntomas y las opciones de tratamiento disponibles y una mayor participación en la toma de decisiones contribuirán a su salud mental y emocional.

Esta encuesta puso de relieve varios aspectos en los que no se atendían las necesidades de información de los pacientes en el momento del diagnóstico, como son los ensayos clínicos relevantes, la investigación sobre NETs, la atención psicológica y el asesoramiento sobre cómo gestionar la enfermedad. A los pacientes les puede resultar difícil acceder a información, en su propio idioma, que sea fiable, rigurosa, y relevante para su atención sanitaria. Para la mayoría de los pacientes, las asociaciones de apoyo y defensa de los afectados está sufriendo la falta de información adecuada por parte de los profesionales sanitarios. Según la encuesta, la mayoría de los pacientes (62 %) opinaban que la información procedente de los grupos de apoyo a pacientes resolvía todas o la mayoría de sus necesidades. Todas las partes deben colaborar en el desarrollo de métodos para proporcionar a los pacientes una información básica sobre su enfermedad y los cuidados necesarios, de manera óptima y en una forma que los pacientes entiendan y recuerden. La INCA cree que los gobiernos deberían financiar esta labor y reconocer la importancia del papel que desempeñan los grupos de apoyo a los pacientes.

Si bien la encuesta de los profesionales sanitarios revelaba un consenso general con los pacientes en relación con los aspectos en los que la información es más deficiente, también señalaba una percepción considerablemente más positiva sobre el modo en el que se atendían las necesidades en el momento del diagnóstico que la de los pacientes. Los profesionales sanitarios tienen que ser más conscientes de esta diferencia en la percepción, para ser más sensibles a las necesidades de información de los pacientes en esos momentos. La encuesta también señalaba que los profesionales sanitarios podían hacer un mayor esfuerzo por remitir a los pacientes a las organizaciones de apoyo, para que puedan prestarles ayuda.

La INCA y las organizaciones de pacientes nacionales, en colaboración con la comunidad médica, pueden desempeñar un valioso papel para dar respuesta a las expectativas que no se están cumpliendo en el momento del diagnóstico. Los profesionales sanitarios y los líderes de pacientes pueden trabajar juntos para subsanar la falta de información.

### Necesidades no cubiertas en atención sanitaria

Esta encuesta detectó importantes necesidades no cubiertas en la atención integral de soporte del tratamiento. Concretamente, se señalan deficiencias en la atención psicológica y el asesoramiento general sobre el estilo de vida en relación con la dieta, el ejercicio y el control de síntomas. Este tipo de deficiencias se pueden corregir a través de un equipo multidisciplinar (EMD) inclusivo.

En los casos en los que los pacientes habían sido atendidos por un EMD se apuntaban varias ventajas en aspectos muy importantes. En una encuesta global a pacientes con NET, se detectaron mejoras en<sup>iv</sup>:

- El control de los síntomas
- El deseo de ser parte activa de la atención sanitaria
- El bienestar general
- El conocimiento de la enfermedad

La encuesta de la INCA reveló que, a pesar de que los EMD ofrecían una amplia disponibilidad, muchos pacientes aún no son atendidos por estos equipos, ni siquiera en los países donde existen. Es fundamental una mayor concienciación entre los profesionales sobre las ventajas de la atención



de los EMD , sobre todo en las especialidades de “primera línea” (gastroenterología, oncología y neumología), para favorecer la derivación del paciente a dichos equipos.

Algunos EMD de NETs han señalado avances en el nivel de atención mediante la inclusión de personal de enfermería especializado en NETs, que puede dedicar más tiempo a hablar con el paciente y cuenta con la capacitación necesaria para explicar conceptos médicos complejos. Las encuestas a los pacientes con NET<sup>v</sup> han destacado la importancia del personal de enfermería especializado para su bienestar emocional y como apoyo durante el proceso de tratamiento. El valor que aporta el personal de enfermería especializado en NETs a los resultados del tratamiento y la atención orientada al paciente, tienen un reconocimiento insuficiente. En los países donde el personal de enfermería puede especializarse, es preciso canalizar enfermeros hacia los NETs a través del sistema de educación médica. Igualmente, debe existir un presupuesto adecuado para contratarlos en los EMD.

Sería una buena oportunidad poder establecer una mayor colaboración entre los EMD y los grupos de apoyo a pacientes con NET. Los EMD deberían estar al corriente de las actividades de las asociaciones, para derivar los pacientes adecuados. De hecho, sería útil considerar a los grupos de apoyo a pacientes como una extensión de los EMD, y facilitar el trabajo conjunto para poder derivar a los pacientes.

Los EMD necesitan a las organizaciones de pacientes nacionales e internacionales y las deben considerar como un modelo esencial para la prestación de atención a los pacientes con NET. Se han realizado avances, sobre todo en Europa, donde ENETS certifica los centros de excelencia en NETs. Para lograr los mejores protocolos de tratamiento, el reconocimiento y respaldo de estos centros especializados debe incluirse en los sistemas de salud pública y privada de todo el mundo. La ruta de los pacientes varía en función del país y del sistema sanitario. Es preciso establecer un protocolo para el NET, dirigido y respaldado por el sistema sanitario nacional, para que todos los pacientes (incluidos los de las zonas más remotas de un país) puedan acceder a una atención de calidad en centros especializados de referencia.

### **Necesidades no cubiertas en relación con el acceso a la innovación**

Como es lógico, los profesionales sanitarios y los pacientes esperan con impaciencia que se encuentren disponibles los tratamientos recientemente indicados para los NET y otros nuevos. La disponibilidad e intercambio de información entre los profesionales sanitarios y los pacientes en distintos países han hecho más visibles las desigualdades y controversias en el acceso a los tratamientos.

La encuesta reveló que uno de los principales retos percibidos en el acceso a las pruebas diagnósticas era la exploración mediante PET/TC de Galio 68-DOTATATE/DOTATOC. La falta de acceso a la terapia radionucleídica de receptores peptídicos (PRRT) era lo más destacado en cuanto a las necesidades de tratamiento no cubiertas. En todos los países que participaron en la encuesta existían necesidades relacionadas con las tecnologías de diagnóstico e imagen, y la igualdad de acceso para todos los pacientes con NET constituía una dificultad importante. En los países donde se ha avanzado hacia una disponibilidad adecuada de la PRRT, como Japón, Australia o Nueva Zelanda, las campañas de las asociaciones de pacientes han desempeñado un papel crucial.

En los países donde existen procesos formales de evaluación de tecnologías sanitarias, desgraciadamente no se consulta de forma protocolaria a los representantes de los pacientes como parte del proceso para determinar el acceso y la financiación, a pesar de que los resultados señalados por los pacientes y los datos socioeconómicos tienen una importancia cada vez mayor en el ámbito sanitario. El sistema de evaluación y aprobación de tecnologías innovadoras normalmente exige comparaciones entre cualquier nuevo tratamiento o prueba diagnóstica y el estándar existente. Se trata de un enfoque compartimentado —y no global— que no tiene en cuenta cómo afectan las decisiones en la atención a la calidad de vida del paciente. Esto es especialmente importante en lo que respecta a los efectos secundarios de los tratamientos.

La INCA cree que la cooperación global entre las organizaciones de pacientes con NET y los colectivos médicos puede lograr una mayor influencia y contribuir a poner en valor los avances tecnológicos en favor de , una atención al paciente mejor y más eficiente. Los líderes médicos y de pacientes deben reivindicar juntos el acceso a un tratamiento adecuado universal.

## **Necesidades no cubiertas en relación con la investigación y los ensayos clínicos**

La encuesta reveló un consenso sobre la necesidad de una mayor implicación de los pacientes en la agenda de investigación de los NETs. Para los pacientes y sus representantes, los ámbitos prioritarios identificados fueron:

- los ensayos clínicos para mejorar los tratamientos actuales y probar otros nuevos;
- la equiparación de los estudios de cánceres neuroendocrinos con los estudios de otras patologías oncológicas importantes; y
- La adaptación de la información de los resultados de las iniciativas de investigación, para garantizar que los pacientes entiendan las conclusiones publicadas.
- Los profesionales sanitarios añadieron a esta lista la dirección y estrategia global para la financiación de la investigación en NETs.

Estos hallazgos sientan claramente una base para la colaboración entre las asociaciones de pacientes y la comunidad médica, con el fin de lograr una mayor implicación de los pacientes tanto a nivel individual como de estrategia y de defensa.

Los responsables de conceder ayudas a la investigación (gobiernos u organismos de investigación) y los investigadores no consultan de manera protocolaria a los pacientes en lo que respecta a la estrategia y el establecimiento de prioridades de investigación. El debate entre los profesionales médicos implicados en la planificación y participación en la investigación es necesariamente complicado y requiere conocimientos médicos especializados sobre tumores neuroendocrinos. No obstante, una consulta personal a los colectivos de pacientes podría favorecer un acercamiento y facilitar la implicación directa del paciente, principalmente en la determinación de las prioridades y la comunicación de los avances de la investigación a las organizaciones de pacientes.

En esta encuesta, cuando se les dio a elegir entre diferentes tipos de investigación, los pacientes dieron prioridad a la necesidad de investigar para conseguir un diagnóstico más preciso y temprano de los NETs, seguida de la necesidad de una investigación básica para caracterizar y controlar este tipo de tumores. Los profesionales sanitarios, por otro lado, consideraron prioritarios los ensayos clínicos, seguidos de la investigación destinada a mejorar la calidad de vida y controlar los síntomas y otorgaron a la investigación básica una prioridad inferior. Una mayor colaboración para explorar los motivos de estas diferencias y cómo se pueden abordar en las estrategias de investigación, contribuiría a dar una mejor respuesta a las necesidades de los pacientes. Las diferencias y los puntos en común pueden constituir una rica fuente de discusión entre estos colectivos y solidificar alianzas para determinar y definir una hoja de ruta en investigación que propicie avances y mejoras en la vida de los pacientes en todo el mundo.

Los pacientes desean obtener información sobre su posibilidad de participación en ensayos clínicos relevantes para ellos, así como conocer los tratamientos nuevos (y mejorados) a los que podrían acceder en el futuro. En la actualidad se encuentra disponible una cantidad de información sobre ensayos clínicos mayor que nunca, como en el caso de EE. UU. ([clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov)) y la Unión Europea (Registro de Ensayos Clínicos UE). Sin embargo, no es una información fácilmente comprensible para los pacientes.

La INCA cree que una mayor implicación de los pacientes aportaría muchas ventajas, por ejemplo:

- Una mejor comprensión de las prioridades de los pacientes y sus expectativas sobre la investigación de los NETs.
- La consideración de lo que siente cada uno de los pacientes cuando participa en un ensayo clínico: esperanzas, miedos y repercusiones en su calidad de vida.
- La mejora de la comunicación y el conocimiento de los programas de investigación, los ensayos clínicos y sus resultados mediante el uso de un lenguaje adaptado al paciente.
- Una reivindicación más eficaz de la necesidad de fondos para la investigación de los NETs ante posibles fuentes de financiación: gobiernos, organizaciones sin ánimo de lucro y donantes particulares.
- Una mayor concienciación sobre los ensayos clínicos importantes entre el colectivo de pacientes, incrementando de este modo su participación y garantizando que los pacientes estén bien informados sobre los tratamientos en vías de desarrollo.

Es esencial la colaboración entre los líderes médicos y de pacientes, para que estos últimos tengan mayor presencia en el proceso de definición de las prioridades de la investigación y en la reivindicación de más financiación para la investigación.

### **Resumen y pasos a seguir**

Aunque esta evaluación se centra en las perspectivas de una muestra de pacientes y especialistas en NETs relativamente bien informados y comprometidos, pone de manifiesto importantes deficiencias en la satisfacción de las necesidades de información de los pacientes, su acceso a los mejores estándares de atención sanitaria y su participación en la investigación. En el caso de los pacientes y facultativos que no participan directamente en grupos de pacientes y centros especializados en NETs, lo más probable es que estas deficiencias sean considerablemente mayores.

Dicho esto, esta evaluación indica claramente que los pacientes, asociaciones de apoyo y defensa de pacientes y líderes médicos deben colaborar para subsanar estas deficiencias y mejorar la calidad de vida y las perspectivas de futuro del creciente número de pacientes diagnosticados de NET. En definitiva, hay una serie de necesidades prioritarias que requieren atención inmediata y acciones coordinadas:

- ✓ La necesidad de que los líderes de los grupos de pacientes y los responsables de la atención en NET trabajen de forma conjunta para "subsana las deficiencias informativas", incluida la derivación de los pacientes entre sí con el fin de garantizar que estos y sus familiares reciban información rigurosa y fiable a tiempo. .
- ✓ La necesidad de colaborar para conseguir un mayor apoyo a la investigación de los NETs, al menos, semejante al que reciben otros tipos de cáncer más habituales, y tener en cuenta la opinión de los pacientes en el diseño de las prioridades de la investigación/ensayos clínicos.
- ✓ La necesidad de reivindicar juntos un estándar de acceso universal a la atención sanitaria, que incluya las tecnologías y herramientas de diagnóstico/tratamiento más avanzadas para los pacientes con NET en todos los países del mundo.
- ✓ La necesidad de una mayor colaboración en todo el mundo para garantizar que los pacientes conozcan y participen en los ensayos clínicos.
- ✓ La necesidad de aumentar la sensibilización y la formación especializada entre los profesionales sanitarios para lograr un diagnóstico más temprano y mejores resultados de los tratamientos.
- ✓ La necesidad de una mayor concienciación de los profesionales sobre las ventajas de la atención de los EMD, y el papel de la enfermería especializada en NETs.
- ✓ La necesidad de obtener recursos/fondos que permitan a las asociaciones de pacientes proporcionar ayuda e información, hasta el punto de convertirse en colaboradores activos durante el proceso de tratamiento.

---

<sup>i</sup> JAMA Oncology, April 2017, "Trends in the Incidence, Prevalence, and Survival Outcomes in Patients With Neuroendocrine Tumors in the United States"

<sup>ii</sup> INCA Novartis Global NET Patient Survey

---

<sup>iii</sup> Journal of Internal Medicine, 2017, "Clinical profile and treatment outcomes of advanced neuroendocrine tumours in rural and regional patients: a retrospective study from a regional cancer centre in North Queensland, Australia"

<sup>iv</sup> INCA Novartis Global NET Patient Survey

<sup>v</sup> INCA Novartis Global NET Patient Survey & NET Patient Foundation Patient Experience Survey