

Влияние прогрессирующей оссифицирующей фибродисплазии на пациентов и членов их семей: краткое изложение результатов международного исследования бремени болезни доступным языком

Mona Al Mukaddam¹, Katherine S Toder¹, Michelle Davis², Amanda Cali^{3,4,5,6}, Christopher Bedford-Gay^{2,6,7}, Moira Liljeström^{6,8,9}, Suzanne Hollywood^{2,6}, Kim Croskery¹⁰, Anne-Sophie Grandoulier¹¹, Elaine A Böing¹², John D Whalen¹⁰ и Frederick S Kaplan¹

¹Кафедры ортопедической хирургии и медицины, Центр исследований ПОФ и связанных с ним расстройств, Медицинская школа Перельмана, Пенсильванский университет, Филадельфия, Пенсильвания, США; ²Международная ассоциация ПОФ, Канзас-Сити, Миссури, США; ³Фонд «Лучезарная надежда», Маунтин-Лейкс, Нью-Джерси, США; ⁴Исследовательский фонд ПОФ Иана Кали, Медицинская школа Пенсильванского университета, Центр исследований ПОФ и связанных с ним расстройств, Филадельфия, Пенсильвания, США; ⁵Tin Soldiers: Глобальная программа идентификации пациентов, Йоханнесбург, ЮАР; ⁶Автор, осуществляющий уход; ⁷FOP Friends, Манчестер, Великобритания; ⁸Fundación FOP, Буэнос-Айрес, Аргентина; ⁹Представитель Аргентины в Международном президентском совете Международной ассоциации ПОФ, Буэнос-Айрес, Аргентина; ¹⁰Ипсен, Слау, Великобритания; ¹¹Ипсен, Париж, Франция; ¹²Ипсен, Кембридж, Массачусетс, США

Первый проект представлен: 1 августа 2022 г.; Принято к публикации: 9 сентября 2022 г.; Опубликовано в интернете: 31 октября 2022

Резюме

Как сказать?

О чем эта статья?

Прогрессирующая оссифицирующая фибродисплазия (также известная как ПОФ) является очень редким генетическим заболеванием. При ПОФ кости формируются в местах, где их обычно не бывает, например, в мышцах, сухожилиях и связках. Со временем у людей с ПОФ это приводит к **потере подвижности**. В настоящее время имеется очень мало информации о взаимосвязи между **физическими** последствиями, **влиянием на качество жизни** и **экономическими** последствиями заболевания для людей с ПОФ и их семей.

Что было сделано?

Чтобы восполнить этот пробел, в период с 18 января по 30 апреля 2021 г. было проведено первое международное исследование бремени ПОФ. В онлайн-опросе приняли участие люди с ПОФ, называемые «пациентами», и члены их семей. Опрос проводился в 15 странах и на 11 языках. Исследователи использовали многочисленные **оценки** для измерения двигательной активности пациентов и их способности к **повседневной деятельности, качества жизни** пациентов и членов их семей, использования пациентами адаптивных средств (также обычно называемых **приспособлениями для жизни**), а также влияния ПОФ на занятость пациентов и членов их семей.

Каковы результаты?

Всего было получено 463 ответа (219 пациентов и 244 члена семьи). Результаты показывают, что у пожилых пациентов **потеря подвижности** более выраженная, чем у молодых пациентов, и это может отрицательно влиять на **качество их жизни**. Кроме того, по мере того, как движения и способность к **повседневной деятельности** становятся более затруднительными, пациенты склонны полагаться на большее количество **приспособлений для жизни**. FOP также отрицательно сказывается на принятии решений о трудоустройстве. В результате ПОФ может влиять на финансовое состояние пациента, особенно это касается пожилых пациентов и их семей. Это также может иметь серьезные финансовые последствия для систем здравоохранения.

Что означают полученные результаты?

Результаты этого опроса предоставляют ценную информацию, которая может быть использована для совершенствования лечения, улучшения ресурсов и оказания поддержки людям с ПОФ и членам их семей.

Для ознакомления с глоссарием терминов, используемых в этом резюме, перейдите на последнюю страницу этой статьи

Для кого предназначена эта статья?

Эта статья призвана помочь людям с ПОФ, членам их семей и лицам, осуществляющим уход, а также любым лицам или группам, оказывающим поддержку людям с ПОФ, разобраться в результатах исследования бремени данного заболевания. Это резюме может быть полезным также для медицинских работников, особенно тех, кто может оказывать помощь людям с ПОФ в своей клинической практике. Организации пациентов и представители руководящих органов могут использовать эту информацию для распространения информации о последствиях ПОФ и обеспечении достаточной поддержки для людей с ПОФ и членов их семей.

Где я могу найти оригинальную статью, на которой основано это резюме?

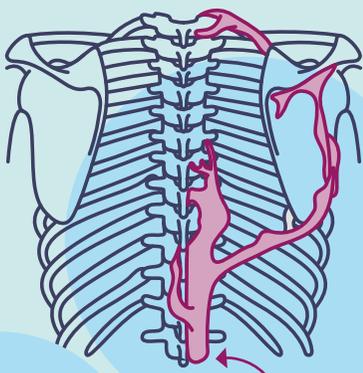
Ознакомиться с оригинальной статьей, опубликованной в журнале *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*, можно бесплатно по ссылке: <https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1080/14737167.2022.2115360>.

Что такое ПОФ?

ПОФ это очень редкое генетическое заболевание, которым, по оценкам, страдает примерно 1 человек на 1 000 000. При ПОФ кость формируется в мягких **соединительных тканях** по всему телу, где это обычно не происходит, например, в мышцах, сухожилиях и связках.

Грудная клетка

Скелет



Рост новой кости

Соединительные ткани служат опорой для тела и его органов и помогают сохранять форму тела.

Образование дополнительных костей в областях тела, где их обычно нет, может привести к серьезной **потере подвижности**. Люди с ПОФ могут испытывать проблемы с движением в суставах, а именно в коленных, бедренных, запястных, голеностопных, шейных, плечевых, локтевых, и/или челюстных суставах. Это может существенно затруднить **повседневную деятельность**.

У людей с ПОФ также повышен риск переломов костей, травм головы, нарушений пищеварения, потери слуха, боли и значительной потери веса.



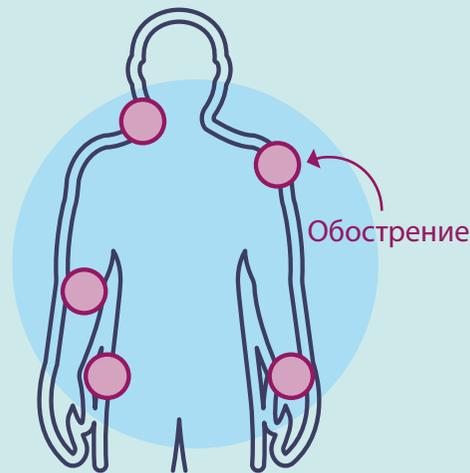
ПОФ является наследственным генетическим заболеванием, а это означает, что человек с ПОФ страдает от рождения. В 97% случаев ПОФ вызывается одним и тем же изменением в **гене** под названием *ACVR1*. Ген это участок ДНК, содержащий инструкции по созданию биологического вещества, например белка. Ген *ACVR1* контролирует рост и развитие костей.



У людей с ПОФ иногда бывают **обострения**, которые могут вызывать отек, боль, снижение подвижности, скованность и/или повышение температуры в мягких тканях.

Обострения

могут развиваться неожиданно или быть вызваны мышечной усталостью, небольшими травмами, падениями, инъекциями или вирусом, например при гриппе. Некоторые обострения могут привести к постоянному росту новых костей. Однако рост новой кости также может происходить без симптомов обострения.



Информация на этой странице взята из ресурсов, которые можно найти на веб-сайте Международная ассоциация ПОФ (IFOPA): www.ifopa.org.

Как ПОФ влияет на людей разного возраста?



Что такое исследование бремени болезни?

Исследования бремени болезни являются ценным средством для понимания сложного воздействия состояния здоровья. Оценка «бремени» болезни может дать представление о жизненных трудностях, с которыми сталкиваются пациенты с этим заболеванием. Исследования бремени болезни позволяют исследователям, медицинским работникам и представителям руководящих органов оценить влияние заболевания в различных аспектах.

Зачем понадобился этот опрос?

Для большинства людей с ПОФ во всем мире нет разрешенных лекарств, направленных на предотвращение или уменьшение дополнительного роста костей, который у них происходит с течением времени. Уход за людьми с ПОФ заключается в предотвращении ухудшения состояния путем защиты человека с ПОФ от травм. Это может включать в себя отказ от определенных действий, контроль за симптомами болезни и помощь в **повседневной деятельности**. Поэтому осознание того, в каком поддерживающем уходе нуждаются люди с ПОФ, имеет ключевое значение для улучшения здоровья и благополучия путем поиска путей решения конкретных неудовлетворенных потребностей.

Члены семьи и лица, обеспечивающие уход, также страдают от ПОФ, но это влияние недостаточно изучено. ПОФ — это пожизненное состояние, симптомы которого обычно появляются в детстве и меняются с возрастом и развитием инвалидности. Осознание последствий влияния ПОФ на членов семьи и лиц, осуществляющих уход, чрезвычайно важно для обеспечения им соответствующей поддержки.

Это исследование бремени ПОФ является первым международным исследованием, в котором изучаются **физические** последствия, влияние **качества жизни** и **экономические** последствия ПОФ на людей с этим заболеванием и на членов их семей.

Как был создан этот опрос?

Исследование бремени ПОФ было создано совместно консультантами сообщества ПОФ и группой исследователей. Международное сообщество ПОФ сыграло ключевую роль в распространении информации об опросе через личные обращения консультантов сообщества ПОФ и организации ПОФ. В частности, найти участников опроса помогли **Международная ассоциация ПОФ (IFOPA)** и следующие национальные организации ПОФ: Fundación FOP (Аргентина), FOP Brasil (Бразилия), Canadian FOP Network, FOP France, FOP eV (Германия), FOP Italia Onlus (Италия), J-FOP (Япония), FOP Mexico, FOP Polska (Польша), ПОФ России, Korean FOP Overcome Family (KFOPOF; Южная Корея [Республика Корея]), Asociación Española de Fibrodisplasia Osificante Progresiva (AEFOP; Испания), Svenska FOP-föreningen (Швеция; члены из Швеции, Норвегии, Дании и Финляндии) и FOP Friends (Соединенное Королевство).

Международная ассоциация ПОФ (IFOPA)

IFOPA — международная организация, которая финансирует исследования, предоставляет программы обучения и поддержки, а также повышает осведомленность о ПОФ.

Кто принимал участие в опросе?

Опрос был доступен на онлайн-платформе в **15 странах** и на **11 языках** (английском, французском, итальянском, немецком, японском, корейском, польском, португальском, русском, испанском и шведском).



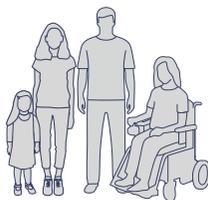
Опрос проводился с **18 января по 30 апреля 2021 г.** Таким образом, завершение опроса совпало с пандемией коронавируса (COVID-19), что могло повлиять на результаты.



Люди, принявшие участие в опросе:

Люди с ПОФ любого возраста (называемые «пациентами»)

- Опрос пациентов с ПОФ в возрасте до 13 лет заполнялся членом семьи от их имени



Ответственное лицо, осуществляющее уход — это член семьи, который заявил о том, что являлся основным лицом, ухаживающим за человеком с ПОФ.

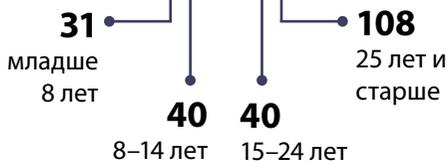
Члены семьи людей с ПОФ (родители/законные опекуны, братья и сестры, а также **ответственные лица, осуществляющие уход**) в возрасте 18 лет и старше

- Этим членам семьи было предложено ответить на дополнительные специальные вопросы анкеты. Важно отметить, что сообщество ПОФ после завершения опроса сообщило, что в некоторых семьях члены семьи могут разделять обязанности по уходу. Поэтому просьба только одному члену семьи ответить на эти дополнительные вопросы, предназначенные для «ответственного лица, осуществляющего уход», могла оказаться затруднительной для некоторых семей



463 ответы на опросы

219 пациентов



Средний возраст больных составил **24 года**

244 членами семьи



Средний возраст членов семьи был **47 лет**

В частности, для основных опекунов средний возраст составлял 49 лет, и 85% идентифицировали себя как женщины

Каковы общие результаты опроса?

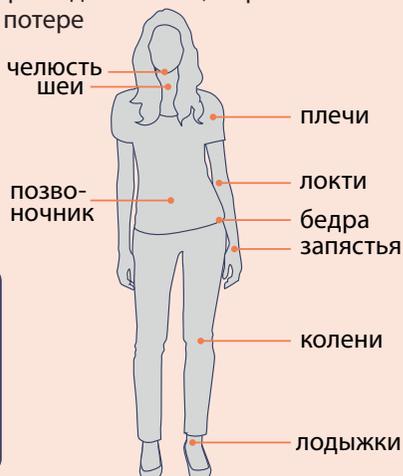


Физические последствия ПОФ для пациентов

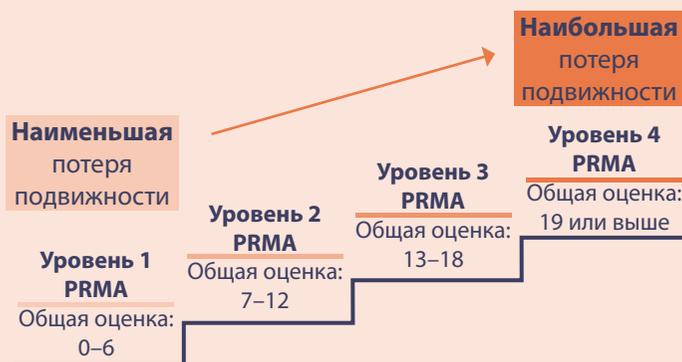
Оценка подвижности, сообщаемая пациентами (PRMA): определяет способность людей с ПОФ выполнять движения в суставах

- Выполнено всеми пациентами (219 пациентов)
- Общие оценки варьировались от 0 до 30, причем **более высокие баллы соответствуют более выраженной потере подвижности**
- Общие оценки были распределены по четырем уровням, где Уровень 1 соответствует **наименьшей** потере подвижности, а Уровень 4 — **наибольшей** потере подвижности

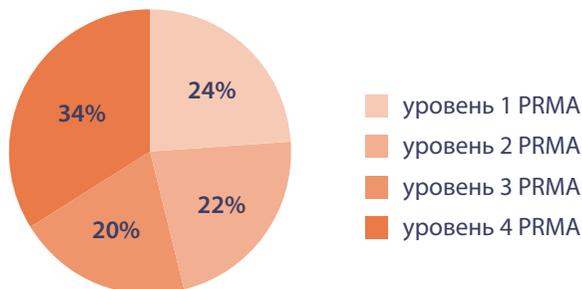
- **Диапазон подвижности** оценивали в следующих суставах/областях тела:



Диапазон подвижности: расстояние, на которую человек может перемещать часть своего тела.

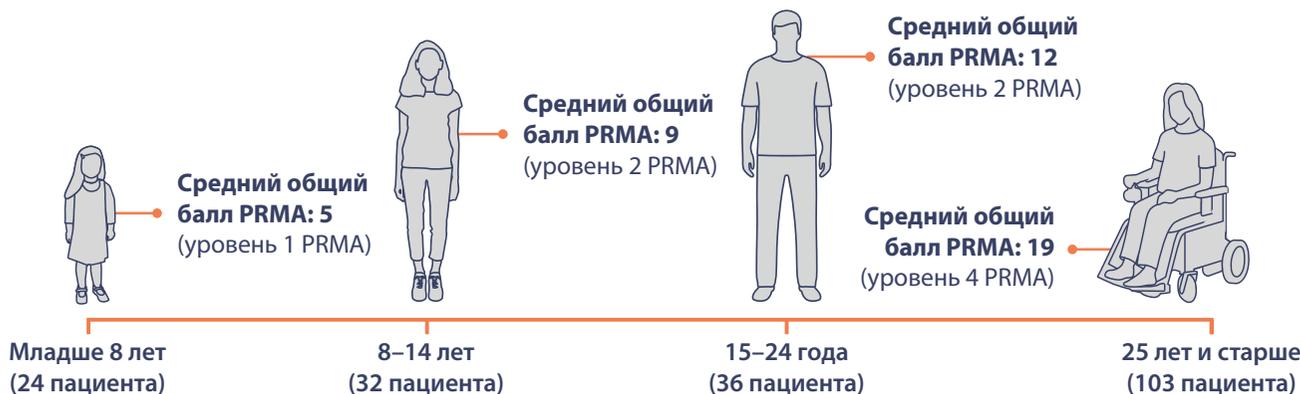


- Около одной трети (**34%**) пациентов имели **наиболее выраженную** потерю подвижности (уровень 4 PRMA)



- **С возрастом потеря движения становилась все более тяжелой**

- В среднем, у пациентов до 8 лет была наименее выраженная потеря подвижности (уровень 1 PRMA)
- В среднем, пациенты в возрасте 25 лет и старше имели наиболее выраженную потерю подвижности (уровень 4 PRMA)



Наименьшая потеря движения

Большая потеря движения

- Исследователи также оценили способность пациентов к **повседневной деятельности** с помощью другого опросника, называемого Опросником физических функций ПОФ (FOP-PFQ). Благодаря этому опросу и PRMA они обнаружили, что по мере снижения способности двигаться снижается и способность к повседневной деятельности



Влияние ПОФ на качество жизни пациентов и членов их семей

Опросник качества жизни, связанного со здоровьем EuroQoL (EQ-5D-5L): измеряет **качество жизни, обусловленное здоровьем**

- Заполняется:
 - Пациентами в возрасте 13 лет и старше
 - Членами семьи
- Ответы на вопросы конвертировались в оценку по единичному показателю в диапазоне от 0 до 1, где 1 означает полное здоровье

0

Ухудшение здоровья

1

Полное здоровье

- Вопросы касаются:

Ухода за собой

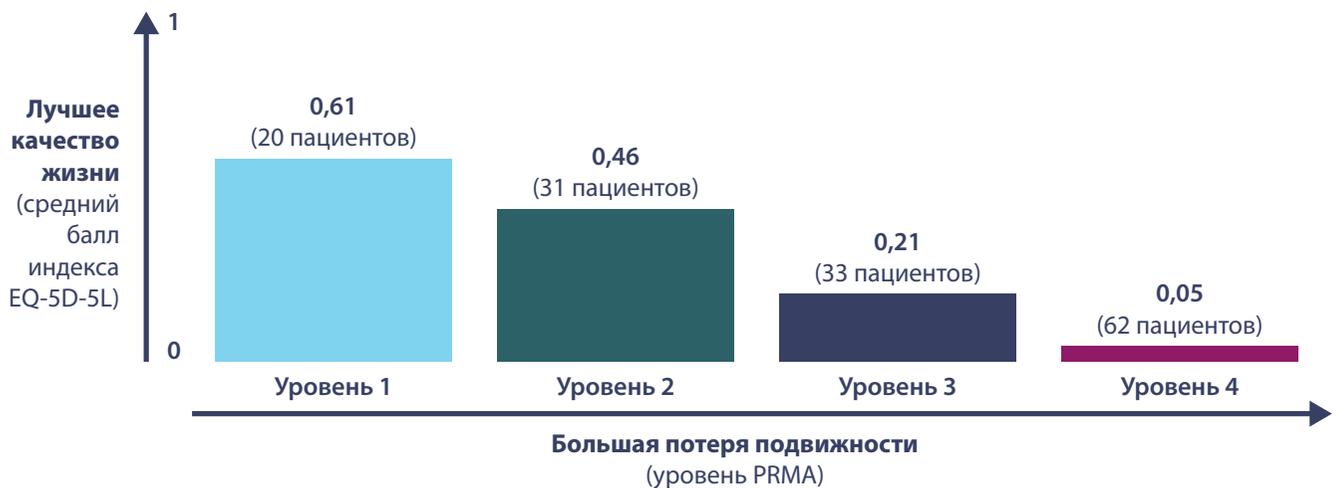
Тревоги/ депрессии

Подвижности

Повседневной деятельности

Боли/ дискомфорта

- Пациенты с **более выраженной потерей подвижности**, как правило, сообщали о **ухудшении качества жизни**
 - У пациентов с **наименее выраженной** потерей подвижности (уровень 1 PRMA) средний показатель индекса EQ-5D-5L составлял **0,61**, что находится примерно **посередине между** лучшими и худшими из возможных **оценок качества жизни**
 - У пациентов с **наиболее** тяжелой потерей подвижности (уровень 4 PRMA) средний показатель индекса EQ-5D-5L составлял **0,05**, что соответствует **крайне низкой оценке качества жизни**



- Потеря подвижности** пациента с ПОФ не влияла на качество жизни **членов семьи или ответственных лиц, осуществляющих уход**
 - У членов семьи средний показатель индекса EQ-5D-5L составлял **0,85**
 - У ответственных лиц, осуществляющих уход, средний показатель индекса EQ-5D-5L составлял **0,83**
- Исследователи также оценили **качество жизни** с помощью другого опросника, который называется «Информационная система оценки исходов, сообщаемых пациентами» (PROMIS). Результаты этой оценки выявили аналогичную связь между потерей подвижности и качеством жизни пациентов

Опросник бремени Зарита (ZBI): измеряет здоровье и/или психическое благополучие

- Заполняется членами семьи, являющимися ответственными лицами, осуществляющими уход за человеком с ПОФ
- Общая оценка варьируется от 0 до 88 и подразделяется по степени влияния: сильное, от умеренного до сильного, от слабого до умеренного и от незначительного до нулевого

- В целом, почти половина (**45%**) ответственных лиц, осуществляющих уход, сообщили о **слабом или умеренном влиянии** ухода за членом семьи с ПОФ на их здоровье и/или психическое благополучие
 - Меньшее число ответственных лиц, осуществляющих уход, (**40%**) сообщили о незначительном влиянии или его отсутствии

- При анализе результатов в зависимости от возраста пациента, за которым осуществлялся уход:
 - более половины ответственных лиц, осуществлявших уход (**57%**) за пациентом младше 8 лет, сообщили о слабом или умеренном влиянии на их здоровье и/или психическое благополучие
 - более половины (**58%**) лиц, осуществлявших уход за пациентом в возрасте 25 лет и старше, сообщили о незначительном влиянии или его отсутствии
 - Это может быть объяснено наличием стрессоустойчивости. Это способность со временем восстанавливаться и адаптироваться к трудным ситуациям благодаря обучению и поддержке со стороны сообщества ПОФ. Необходимы дополнительные исследования по данному вопросу

Влияние ПОФ на здоровье и/или психическое благополучие ответственных лиц, осуществляющих уход



Примеры вопросов

- Испытываете ли Вы стресс, когда ухаживаете за родственником и пытаетесь выполнить другие обязанности в семье или на работе?
- Чувствуете ли Вы, что из-за времени, которое Вы проводите с вашим родственником, у Вас не хватает времени на себя?

Опросник эмоционального и социального влияния: оценивает стресс, заботы/беспокойство, личную деятельность и отношения

- Заполнялся всеми членами семьи (244 члена семьи)
- Специальный формат для ПОФ, разработанный для данного опроса
- Анкетирование показало, что члены семьи:
 - 85%** сочли ситуацию очень/чрезвычайно стрессовой, когда у члена их семьи (пациента с ПОФ) случилось обострение
 - 68%** часто/всегда беспокоились о том, что пациент с ПОФ может причинить себе вред

- В социальном плане большинство членов семьи (**73%**) считали, что уход за пациентом с ПОФ практически не оказывает негативного влияния на их социальную жизнь
- В среднем, члены семьи тратили **8 часов в день** на уход за пациентом или оказание им поддержки. Чаще всего они отмечали следующие действия как те, при выполнении которых они «всегда» помогали члену семьи с ПОФ:

Примеры вопросов

- Насколько стрессовыми для Вас являются проблемы, связанные с ПОФ?
- Насколько сильным является стресс, когда у члена Вашей семьи с ПОФ случается обострение?





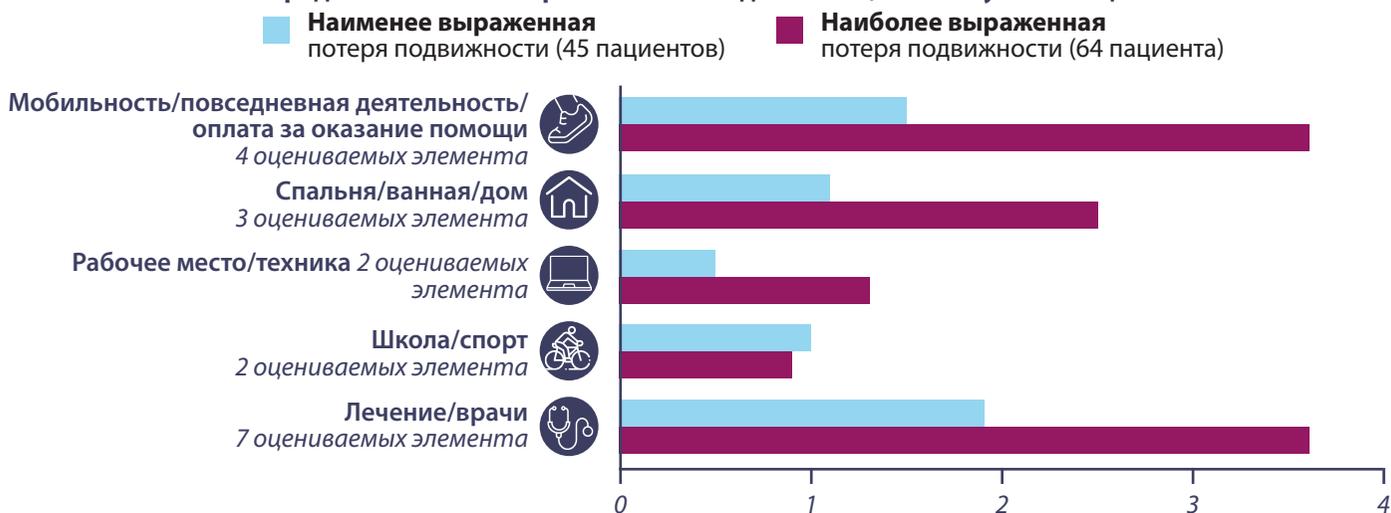
Экономические последствия ПОФ для пациентов и членов их семей

Приспособления для жизни

- Анкета, разработанная специально для этого опроса, использовалась для того, чтобы понять, как люди с ПОФ используют в повседневной жизни **приспособления для жизни**
 - Например, трости, слуховые аппараты, трости для ходьбы и пандусы для инвалидных колясок
- Пациенты с **более** выраженной **потерей подвижности**, как правило, использовали **больше приспособлений для жизни**
- **97%** пациентов с **наиболее тяжелой потерей подвижности** сообщали о том, что нуждаются в **приспособлениях для жизни**, помогающих в **повседневной деятельности**

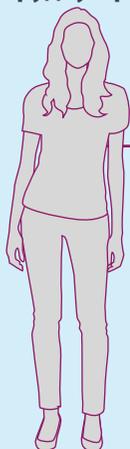


Среднее количество приспособлений для жизни, используемых пациентами



Подробную информацию о видах предметов в каждой категории приспособления для жизни см. в оригинальной статье.

Трудоустройство



Из 134 пациентов в возрасте 18 лет и старше **83%** считают, что ПОФ повлиял на их решения о карьере

Больше пациентов с **большой потерей подвижности** сообщили о **влиянии на решения о карьере**

Наименьшая потеря движения Большая потеря движения

75%

85%

Из 156 человек, осуществляющих основной уход, **51%** считают, что им нужно каким-то образом изменить свою карьеру, чтобы заботиться о члене семьи с ПОФ

дальнейшие исследования того, как ПОФ влияет на карьеру лиц, ответственных за основной уход



Что означают результаты этого опроса?

- В данном исследовании была представлена подробная информация о **физических последствиях, влиянии на качество жизни и экономических последствиях** ПОФ для людей с этим заболеванием и членов их семей. Полученные результаты существенно расширяют наши представления о ПОФ и о том, как это заболевание влияет на повседневную жизнь людей
- Это исследование показало, что **потеря подвижности**, вызванная ПОФ, может иметь крайне негативное влияние на **качество жизни** пациентов. Кроме того, уход за человеком с ПОФ, в целом, оказывает слабое или умеренное влияние на здоровье и/или психическое благополучие ответственного лица, осуществляющего уход, особенно у тех, кто ухаживает за маленькими детьми с ПОФ
 - Необходимы дальнейшие исследования долгосрочного влияния ухода за людьми с ПОФ
- Это исследование показало, что по мере того, как снижается подвижность суставов и способность пациентов к **повседневной деятельности** люди с ПОФ, как правило, нуждаются в большем количестве **приспособлений для жизни**
 - Это позволяет предположить, что финансовые затраты, связанные с ПОФ для отдельных лиц и членов их семей, могут быть более серьезными для пожилых пациентов
- Наконец, это исследование показало, что ПОФ сильно влияет на профессиональную деятельность людей с ПОФ и членов их семей, что также может иметь негативные финансовые издержки для отдельных людей, семей и общества

Что дает это исследование и что еще можно изучить в будущем?

- Исследование бремени заболевания ПОФ отражает опыт большого числа людей, живущих с ПОФ, а также членов их семей со всего мира
- Включение в исследование мнений пациентов было ключевым для данного исследования; консультанты сообщества ПОФ играли активную роль в разработке опроса и в интерпретации результатов
- Этот опрос предоставляет ценную информацию, которую можно использовать для улучшения ухода, ресурсов и поддержки людей с ПОФ и членов их семей
- Важно учитывать, что исследование проводилось не во всех странах. Поэтому результаты опроса могут не отражать опыт всех людей с ПОФ и членов их семей, особенно тех, кто живет в **сообществах с недостаточным уровнем обслуживания**
 - Фраза «сообщество с недостаточным уровнем обслуживания» относится к любому сообществу, будь то в развитом или развивающемся регионе, которое не имеет такого же доступа к информации, диагностике, специализированной помощи, приспособлениям для жизни и/или поддержки со стороны организаций пациентов, как другие сообщества
 - Необходимы дальнейшие исследования влияния ПОФ в сообществах с недостаточным уровнем обслуживания.
- Опрос проводился только в Интернете и, следовательно, мог быть недоступен для людей с ПОФ из сообщества с ограниченным доступом к Интернету
- В этом опросе участникам предлагалось проанализировать свой опыт за последние 12 месяцев. Так как у людей с ПОФ бывают периоды без активных симптомов, то полученные в ходе опроса ответы могут не отражать общий жизненный опыт человека. Кроме того, 12-месячный период, охваченный опросом, совпал с пандемией COVID-19. Это могло повлиять на результаты, поскольку действия и поведение, о которых сообщалось в опросе, могли отличаться от моделей поведения до и после пандемии

Где читатели могут найти дополнительную информацию об этом опросе?

Оригинальная статья, обсуждаемая в этом резюме, озаглавленная «The Impact of Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP) on Patients and their Family Members: Results from an International Burden of Illness Survey», была опубликована в журнале *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*. Вы можете бесплатно ознакомиться с ней в полном объеме на сайте: <https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1080/14737167.2022.2115360>

- Дополнительную информацию об исследовании бремени болезни ПОФ можно найти по адресу www.clinicaltrials.gov/show/NCT04665323
- Дополнительную информацию о ПОФ и сетях оказания поддержки пациентам с ПОФ можно найти на сайте IFOPA: www.ifopa.org

Глоссарий терминов, используемых в этом резюме

- **Потеря движения** — снижение способности свободно и легко физически управлять своим телом
- **Физические** последствия ПОФ — влияние заболевания на способность человека двигаться и выполнять повседневную деятельность
- Влияние ПОФ на **качество жизни** — влияние заболевания на отношение человека к своему физическому и психическому здоровью, а также на его общее благополучие
- **Экономические** последствия ПОФ включают в себя финансовые, повседневные затраты, связанные с наличием ПОФ и/или уходом за человеком с ПОФ. Они также включают в себя влияние заболевания на общество в целом посредством расходов на здравоохранение и потери возможности трудоустройства
- **Оценки** — это анкеты, используемые в этом опросе для сбора информации о физических последствиях, влиянии на качество жизни и экономических последствиях ПОФ. Исследователи использовали смешанные формы специально разработанных для ПОФ и более общих опросников, чтобы сравнить ПОФ с другими состояниями. Большинство анкет, включенных в исследование, использовались в предыдущих исследованиях. Некоторые были разработаны специально для этого исследования
- **Повседневная деятельность** — действия, которые человек совершает в своей повседневной жизни. Они могут включать в себя одевание, душ/купание, прием пищи и ходьбу. В этом опросе оценивалась способность выполнять эти действия без посторонней помощи (например, члена семьи) или без помощи какого-либо приспособления (например, инвалидной коляски)
- **Приспособления для жизни** — изменения, помогающие людям с ПОФ выполнять повседневную деятельность. К ним относятся инструменты, предметы и/или устройства (например, слуховые аппараты и соломинки для питья), а также изменения в жилых помещениях (например, пандусы для инвалидных колясок). В этом исследовании оценивались пять групп приспособлений для жизни. К ним относятся инструменты и/или изменения для: мобильности и выполнения повседневных действий (включая оплачиваемых или бесплатных помощников, которые помогают в этом); дом; рабочее место/техника; школа/спорт; а также лечение/врачи

Помощь в написании

Авторы выражают благодарность Ellie Zachariades, магистру наук, и Marielle Brown, кандидату наук, из Costello Medical, Соединенное Королевство, за помощь в написании медицинских текстов, а также Danielle Hart, бакалавру гуманитарных наук (с отличием), из Costello Medical, Соединенное Королевство, за поддержку в разработке исследования, которая была спонсирована компанией Ipsen в соответствии с рекомендациями по надлежащей практике публикации.

Финансирование

Спонсором исследования является компания Ipsen.

Благодарности

Авторы благодарят всех участников исследования и исследовательскую группу ПОФ, в которую входят Мишель Дэвис (Michelle Davis), исполнительный директор IFOPA, Adam Sherman, бывший директор по научно-исследовательским работам IFOPA, и следующих консультантов сообщества ПОФ, которые внесли вклад в разработку этого исследования: Amanda Cali, США; Анна Беляева, Россия; Christopher Bedford-Gay, Соединенное Королевство; Julie Collins, Австралия; Suzanne Hollywood, США; Antoine Lagoutte, Франция; Moira Liljesthrom, Аргентина; Karen Munro, Канада; Nancy Sando, США. Мы выражаем благодарность Marin Wallace (Канада) и Roger zum Felde (Германия) за их вклад в этот проект до их ухода из жизни.

Авторы хотели бы поблагодарить следующие национальные ассоциации ПОФ за их ценный вклад: Fundación FOP, Аргентина, FOP Brasil (Бразилия), Canadian FOP Network, FOP France, FOP eV (Германия), FOP Italia Onlus (Италия), J-FOP (Япония), FOP México, FOP Polska (Польша), FOP Россия, Korean FOP Overcome Family (KFOPF; Южная Корея [Республика Корея]), Asociación Española de Fibrosis Osificante Progresiva (AEFOP; Испания), Svenska FOP-föreningen (Швеция; члены из Норвегии, Дании и Финляндии) и FOP Friends (Соединенное Королевство).

Опрос проведен компанией Engage Health (Иган, Миннесота, США). Перевод опроса был выполнен специализированной компанией TransPerfect Life Sciences и подтвержден местными филиалами Спонсора.

Информация о финансовых и коммерческих интересах

MAM: Исследователь: Clementia/Ipsen, Regeneron; неоплачиваемый консультант: BioCryst, Blueprint Medicines, Daiichi Sankyo, Incyte, Keros; Консультативный совет (все на добровольных началах): Медицинский консультативный совет реестра IFOPA, Incyte, Международный клинический совет по ПОФ; неограниченный образовательный фонд от Excel и Catalyst, спонсируемый Ipsen; KST: финансирование исследований от Clementia/Ipsen и Regeneron; MD: Член руководящего комитета Альянса по редким заболеваниям костей и руководящего комитета Саммита по редким заболеваниям костей; AC: Попечитель фонда «Лучезарная надежда», попечитель исследовательского фонда Ian Cali FOP Research Fund/Penn Medicine, соучредитель и член Консультативного совета программы идентификации пациентов Tin Soldiers, исполнительный продюсер документального фильма Tin Soldiers, бывший председатель правления IFOPA, исполнительный партнер Международного клинического совета по ПОФ (все на добровольных началах); CBG: Член правления IFOPA, член исполнительного комитета IFOPA, председатель и попечитель FOP Friends, председатель Международного президентского совета; ML: Соучредитель и президент Fundación FOP, представитель аргентинского IPC, член исследовательского комитета IFOPA, бывший член правления IFOPA (все на добровольных началах); SH: Член комитета программы IFOPA LIFE Award, член комитета по сбору средств IFOPA; KC, EAB: Сотрудники и акционеры Ipsen; ASG: Сотрудник Atlanstat, подрядчик Ipsen; JDW: Сотрудник компании Ipsen на момент проведения исследования; FSK: Исследователь: Clementia/Ipsen, Regeneron; консультативный совет: Медицинский консультативный совет реестра IFOPA; Основатель и бывший президент Международного клинического совета по ПОФ.