

El impacto de la fibrodisplasia osificante progresiva en los pacientes y sus familiares: resumen en lenguaje sencillo de los resultados de una encuesta internacional sobre la carga de la enfermedad

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

¹Departamentos de Cirugía Ortopédica y Medicina, The Center for Research in FOP and Related Disorders, Escuela de Medicina Perelman, Universidad de Pennsylvania, Philadelphia, PA, EE.UU.; ²International FOP Association, Kansas City, MO, EE.UU.; ³Fundación The Radiant Hope, Mountain Lakes, NJ, EE.UU.; ⁴The Ian Cali FOP Research Fund, PENN Medicine, The Center for Research in FOP and Related Disorders, Philadelphia, PA, EE.UU.; ⁵Tin Soldiers: Global Patient Identification Program, Johannesburg, África del Sur; ⁶Autor del cuidador; ⁷FOP Friends, Manchester, Reino Unido; ⁸Fundación FOP, Buenos Aires, Argentina; ⁹Representante de Argentina en el Consejo Internacional de Presidentes de la Asociación Internacional FOP, Buenos Aires, Argentina; ¹⁰Ipsen, Slough, Reino Unido; ¹¹Ipsen, París, Francia; ¹²Ipsen, Cambridge, MA, EE.UU.

Fecha de presentación del primer borrador: 1 de agosto de 2022; Aceptado para publicación: 9 de septiembre de 2022; Publicado en línea: 31 de octubre de 2022

Resumen

Cómo decir...

¿De qué se trata este resumen?

La fibrodisplasia osificante progresiva (también conocida como FOP) es una enfermedad genética muy rara. En la FOP, el hueso se forma en lugares donde no lo haría normalmente, como los músculos, los tendones y los ligamentos. Esto conduce a **pérdida de movimiento** con el tiempo en las personas con FOP. Actualmente, hay muy poca información sobre la relación entre el impacto **físico**, el impacto sobre la **calidad de vida** y el impacto **económico** de la enfermedad en las personas con FOP y sus familias.

- **Fibrodisplasia osificante progresiva:**
Fi-broh-dis-PLA-zi-ah OH-sih-fih-kanteh proh-GRES-iv-ah

¿Qué se ha hecho?

Para abordar este vacío, la primera encuesta internacional sobre la carga de la enfermedad del FOP se realizó entre el 18 de enero y el 30 de abril de 2021. Personas con FOP, denominada la población de "pacientes", y sus familiares participaron en la encuesta en línea. Estuvo disponible en 15 países y en 11 idiomas. Los investigadores utilizaron múltiples **evaluaciones** para medir el movimiento de los pacientes y su capacidad para realizar **actividades cotidianas**, la **calidad de vida** de los pacientes y sus familiares, el uso de herramientas de adaptación (también denominadas comúnmente **adaptaciones de la vida**) por parte de los pacientes, y el impacto de la FOP en el empleo de los pacientes y sus familiares.

¿Cuáles fueron los resultados?

La encuesta recibió 463 respuestas en total (219 pacientes y 244 familiares). Los resultados muestran que los pacientes de mayor edad tienen una mayor **pérdida de movimiento** que los más jóvenes, y esto puede tener un impacto negativo en su **calidad de vida**. Además, a medida que el movimiento y la capacidad de realizar **actividades cotidianas** se vuelven más difíciles, los pacientes tienden a depender de más **adaptaciones de vida**. También hay un impacto negativo de la FOP en las decisiones de empleo. Como resultado, la FOP puede tener un gran impacto financiero que es mayor para los pacientes mayores y sus familias. También puede haber un gran impacto financiero en los sistemas de salud.

¿Qué significan los resultados?

Los resultados de esta encuesta proporcionan información valiosa que puede utilizarse para mejorar la atención, los recursos y el apoyo a las personas con FOP y sus familiares.

Para ver un glosario de los términos utilizados en este resumen, vaya a la última página de este artículo

¿Para quién es este resumen?

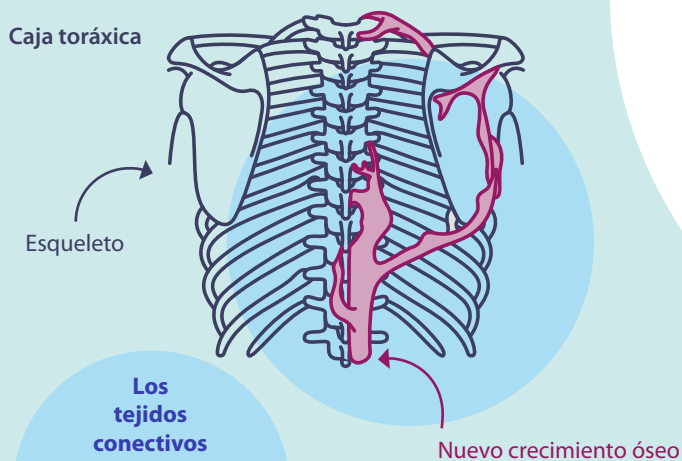
Este artículo tiene la intención de ayudar a las personas con FOP, a sus familiares y cuidadores, y a cualquier persona o grupo que apoye a las personas con FOP, a entender los hallazgos de la encuesta sobre la carga de la enfermedad de FOP. Los profesionales de la salud también pueden encontrar este resumen beneficioso, en particular aquellos que pueden proporcionar atención a las personas con FOP en su práctica clínica. Las organizaciones de pacientes y los responsables de la elaboración de políticas pueden utilizar esta información para dar a conocer el impacto de la FOP y garantizar que haya suficiente apoyo para las personas con FOP y sus familiares.

¿Dónde puedo encontrar el artículo original en el que se basa este resumen?

Puede leer el artículo original publicado en la revista *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research* de forma gratuita en: <https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1080/14737167.2022.2115360>.

¿Qué es la FOP?

La **FOP** es una enfermedad genética muy rara que se calcula que afecta a 1 de cada 1,000,000 personas. En la FOP, el hueso se forma en los **tejidos blandos y conectivos** de todo el cuerpo donde normalmente no lo haría, como los músculos, los tendones y los ligamentos.



Los tejidos conectivos proporcionan soporte al cuerpo y a sus órganos y ayudan a mantener la forma del cuerpo.

La formación de hueso adicional en zonas del cuerpo donde normalmente no existe puede provocar una **pérdida de movimiento** grave. Las personas con FOP pueden tener problemas para mover las articulaciones, incluidas las rodillas, las caderas, las muñecas, los tobillos, el cuello, los hombros, los codos, y/o la mandíbula. Esto puede hacer que realizar **las actividades cotidianas** sea un gran desafío.

Las personas con FOP también corren un mayor riesgo de fracturarse los huesos, sufrir lesiones en la cabeza, tener problemas digestivos, perder la audición, sufrir dolor y sufrir una grave pérdida de peso.

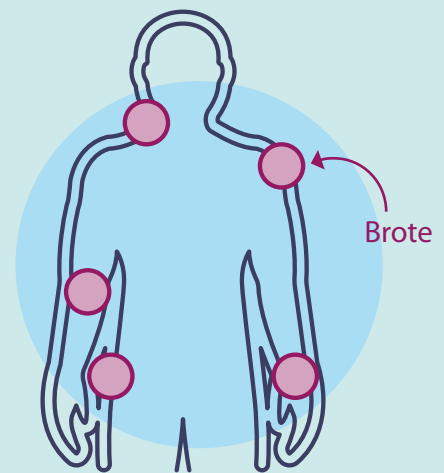


La FOP es una enfermedad genética hereditaria, lo que significa que una persona con FOP tiene la enfermedad desde su nacimiento. En el 97% de los casos, la FOP está causada por el mismo cambio en un **gen** llamado **ACVR1**. Un gen es una sección del ADN que contiene instrucciones para fabricar una sustancia biológica, como una proteína. El gen **ACVR1** controla el crecimiento y el desarrollo de los huesos.



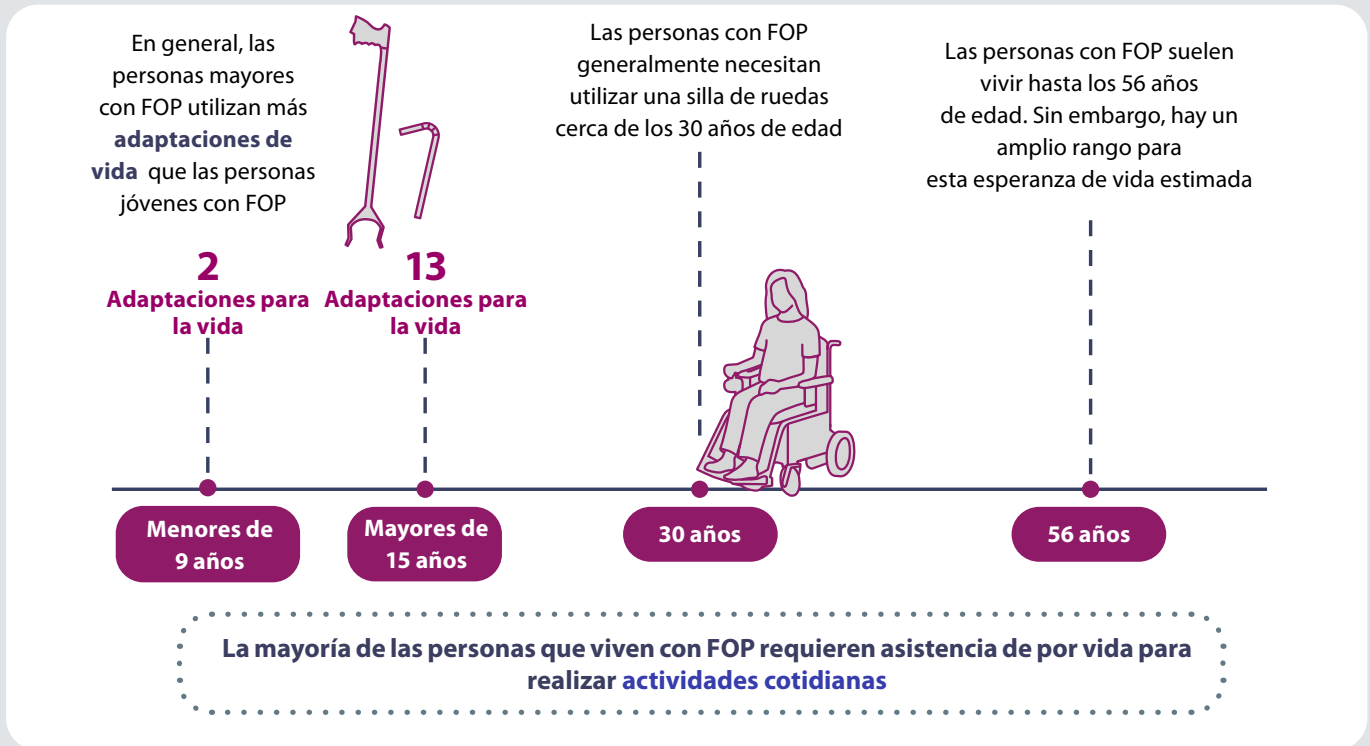
Las personas con FOP a veces experimentan **brotos** que pueden causar hinchazón, dolor, disminución del movimiento, rigidez y/o calor en sus tejidos blandos.

Los brotes pueden surgir de forma inesperada o ser causados por el cansancio de los músculos, pequeñas lesiones, caídas, inyecciones o un virus, como el de la gripe. Algunos brotes pueden dar lugar a un nuevo crecimiento óseo que es permanente. Sin embargo, también puede producirse un nuevo crecimiento óseo sin síntomas de brote.



La información de esta página proviene de recursos que pueden encontrarse en el sitio web de la International FOP Association (IFOPA): www.ifopa.org.

¿Cómo afecta la FOP a las personas de diferentes edades?



¿Qué es una encuesta sobre la carga de la enfermedad?

Las encuestas sobre la carga de la enfermedad son herramientas valiosas para comprender el complejo impacto de una enfermedad. La evaluación de la "carga" de una enfermedad puede proporcionar una imagen de los retos que supone vivir con una condición. Las encuestas sobre la carga de la enfermedad ayudan a los investigadores, a los profesionales de la salud y a los responsables de la elaboración de políticas a comprender el impacto de una enfermedad desde múltiples puntos de vista.

¿Por qué era necesaria esta encuesta?

Para la mayoría de las personas con FOP en todo el mundo, no existen medicamentos aprobados para prevenir o reducir el crecimiento óseo adicional que experimentan con el tiempo. Los cuidados para las personas con FOP se centran en evitar que la afección empeore, protegiendo a la persona con FOP de sufrir un traumatismo en su cuerpo. Esto puede incluir evitar de ciertas actividades, el control de los síntomas y la ayuda en las **actividades cotidianas**. Por lo tanto, comprender los cuidados de apoyo que necesitan las personas con FOP es clave para mejorar la salud y el bienestar proporcionando soluciones que aborden las necesidades específicas no satisfechas.

Los familiares y cuidadores también se ven afectados por la FOP, pero este impacto no se conoce bien. La FOP es una enfermedad que dura toda la vida y cuyos síntomas suelen comenzar en la infancia y cambiar con el aumento de la edad y la discapacidad. Entender el impacto de la FOP en los miembros de la familia y los cuidadores es extremadamente importante para asegurarse de que reciban el apoyo adecuado.

Esta encuesta sobre la carga de la enfermedad de la FOP es el primer estudio internacional que explora los impactos **físicos**, de la **calidad de vida** y **económicos** de la FOP en las personas con la enfermedad y sus familiares.

¿Cómo se creó esta encuesta?

La encuesta sobre la carga de la enfermedad de FOP fue elaborada conjuntamente por asesores de la comunidad de FOP y un equipo de investigadores. La comunidad internacional de FOP fue clave para difundir la encuesta a través de los asesores comunitarios de FOP y las organizaciones de FOP. En concreto, la **International FOP Association (IFOPA)** y las siguientes organizaciones nacionales de FOP ayudaron a encontrar participantes en la encuesta: Fundación FOP (Argentina), FOP Brasil (Brasil), Canadian FOP Network, FOP France, FOP eV (Alemania), FOP Italia Onlus (Italia), J-FOP (Japón), FOP Mexico, FOP Polska (Polonia), FOP Russia, Korean FOP Overcome Family (KFOPOF; South Korea [República de Corea]), Asociación Española de Fibrodiasplasia Osificante Progresiva (AEFOP; España), Svenska FOP-föreningen (Suecia; miembros de Suecia, Noruega, Dinamarca y Finlandia) y FOP Friends (Reino Unido).

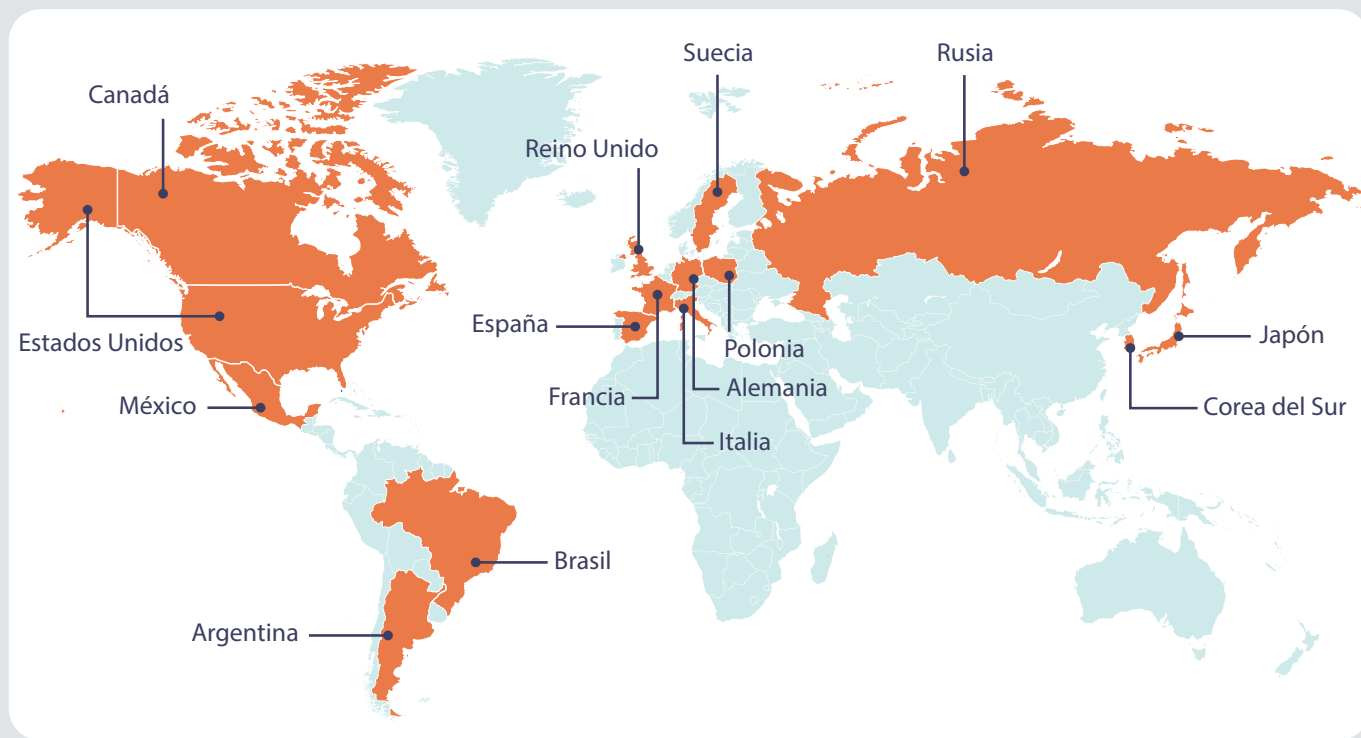
International FOP Association (IFOPA): La IFOPA es una organización internacional que financia la investigación, ofrece programas de educación y apoyo, y sensibiliza sobre la FOP.

¿Quiénes participaron en la encuesta?

La encuesta estaba disponible en una plataforma en línea en **15 países** y en **11 idiomas** (inglés, francés, italiano, alemán, japonés, coreano, polaco, portugués, ruso, español y sueco).



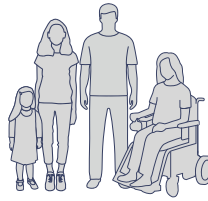
La encuesta estuvo disponible del **18 de enero al 30 de abril de 2021**. Por lo tanto, la finalización de la encuesta coincidió con la pandemia de coronavirus (COVID-19), lo que pudo haber influido en los resultados.



Personas que participaron en la encuesta:

Personas con FOP de cualquier edad (denominadas población de "pacientes")

- En el caso de las personas con FOP menores de 13 años, la encuesta fue completada por un familiar en su nombre



Un **cuidador primario** es un miembro de la familia que declaró ser la principal persona que cuidaba de la persona con FOP.

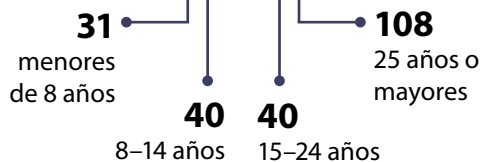
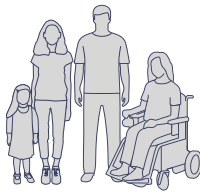
Familiares de personas con FOP (padres/tutores legales, hermanos y **cuidadores primarios**) de 18 años o más

- A estos familiares se les pidió que respondieran a otras preguntas específicas de la encuesta. Es importante destacar que la comunidad de FOP comentó después de la encuesta que, en algunos hogares, los miembros de la familia pueden compartir las responsabilidades del cuidado. Por lo tanto, pedir a un solo miembro de la familia que responda a estas preguntas adicionales sobre el "cuidador primario" pudo haber sido difícil para algunas familias



463 respuestas de encuesta

219 pacientes



La edad promedio de los pacientes fue **24 años**

244 familiares



La edad promedio de los familiares fue **47 años**

En el caso de los cuidadores primarios, la edad promedio era de 49 años y el 85% se identificaba como mujer

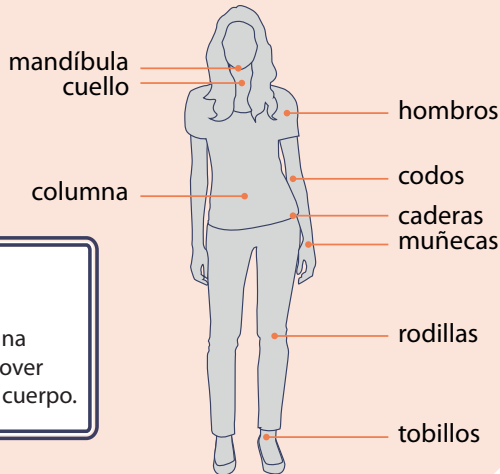
¿Cuáles fueron los resultados generales de la encuesta?



El impacto físico de la FOP en los pacientes

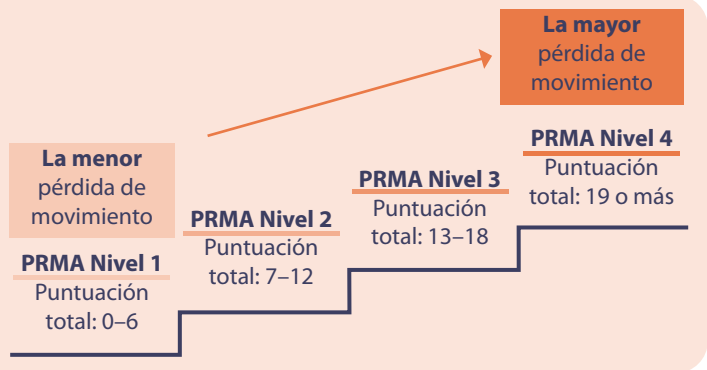
La Evaluación de la Movilidad Informada por el Paciente (PRMA): mide la capacidad de las personas con FOP para mover sus articulaciones

- Realizado por todos los pacientes (219 pacientes)
- Las puntuaciones totales iban de 0 a 30, con **puntuaciones más altas que representan mayor pérdida de movimiento**
- Las puntuaciones totales se agruparon en cuatro niveles, donde el Nivel 1 representa **la menor** pérdida de movimiento y el Nivel 4 representa **la mayor** pérdida de movimiento
- La amplitud de movimiento** se evaluó en las siguientes articulaciones/regiones del cuerpo:

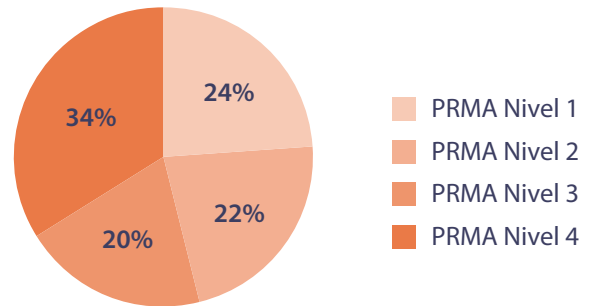


Amplitud de movimiento:

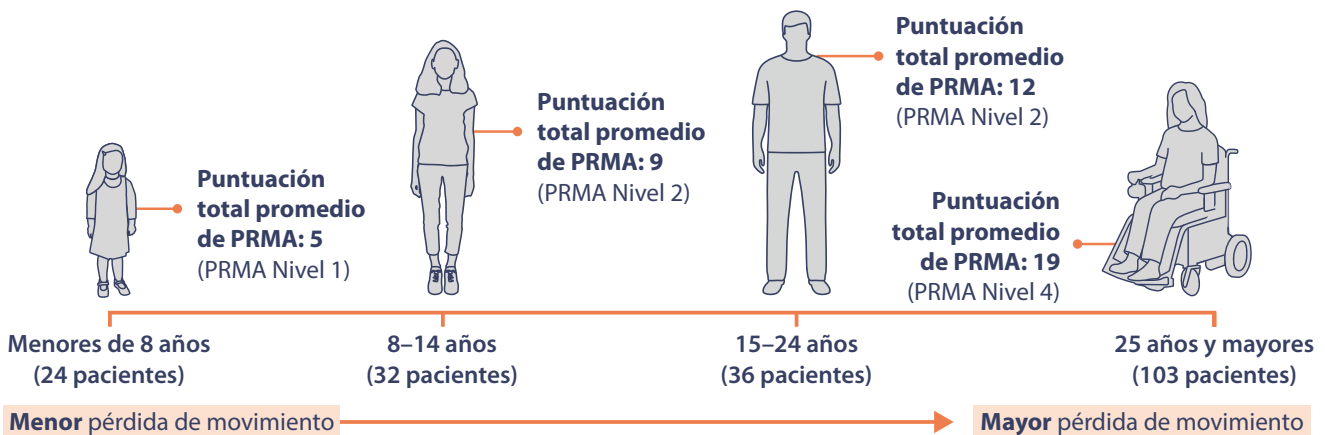
La cantidad que una persona puede mover cierta parte de su cuerpo.



- Alrededor de un tercio (**34%**) de los pacientes tuvieron la **más grave** pérdida de movimiento (PRMA Nivel 4)



- La pérdida de movimiento se empeoró con cada incremento de grupo de edad**
 - En promedio, los pacientes menores de 8 años son los que presentan una pérdida de movimiento menos grave (PRMA Nivel 1)
 - En promedio, los pacientes de 25 años o más presentaron la pérdida de movimiento más grave (PRMA Nivel 4)



- Los investigadores también evaluaron la capacidad de los pacientes para realizar **actividades cotidianas** mediante otro cuestionario llamado FOP Physical Function Questionnaire (FOP-PFQ). A través de este y del PRMA, descubrieron que a medida que la capacidad de movimiento disminuía, la capacidad de llevar a cabo las actividades cotidianas también disminuía



Impacto de la FOP en la calidad de vida de los pacientes y sus familiares

El cuestionario EuroQoL de calidad de vida relacionada con la salud (EQ-5D-5L): mide la **calidad de vida relacionada con la salud**

- Realizado por:
 - Pacientes a partir de 13 años
 - Familiares
- Las respuestas a las preguntas se convirtieron en una única puntuación de índice que va de 0 a 1, donde 1 representa la salud plena



Las preguntas están relacionadas con:



Autocuidado



Ansiedad/
depresión



Movilidad

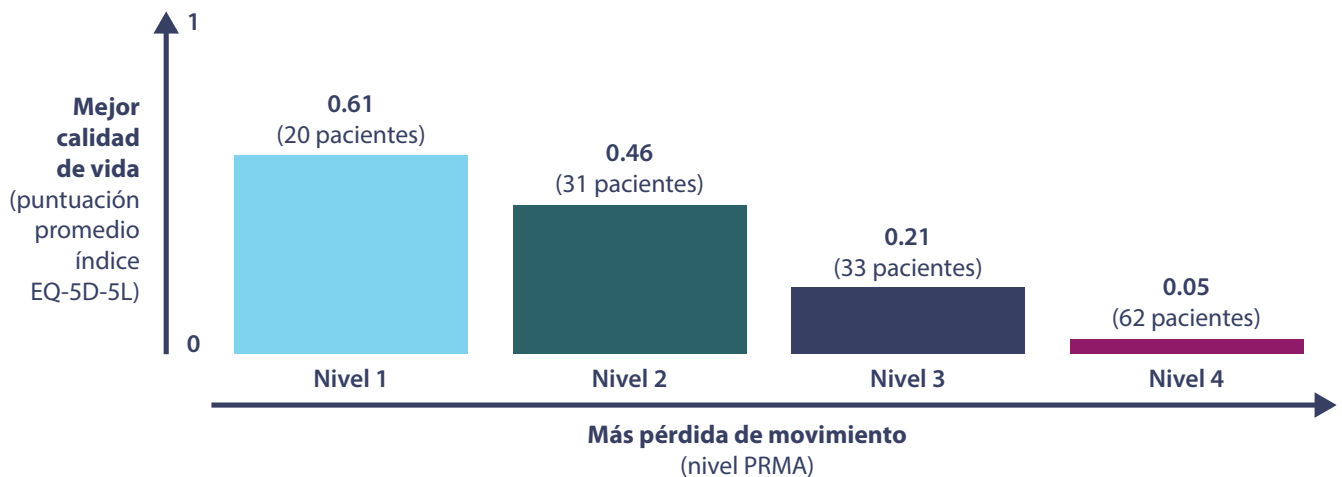


Actividades
habituales



Dolor /
malestar

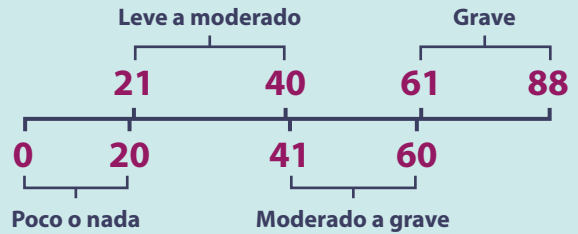
- Los pacientes que tenían **mayor pérdida de movimiento** tendían a reportar una **peor calidad de vida**
 - Los pacientes con la **menor** pérdida de movimiento (PRMA Nivel 1) tenían una puntuación media del índice EQ-5D-5L de **0.61**, que se sitúa en torno a la **mitad del camino** entre la mejor y la peor puntuación posible de **calidad de vida**
 - Los pacientes con la pérdida de movimiento **más grave** (PRMA Nivel 4) tenían una puntuación promedio del índice EQ-5D-5L de **0.05**, que es una puntuación **muy baja de calidad de vida**



- La **pérdida de movimiento** del paciente con FOP no pareció afectar la **calidad de vida** de los **miembros** de la **familia relacionados** o de los **cuidadores primarios**
 - Los miembros de la familia tuvieron una puntuación promedio del índice EQ-5D-5L de **0.85**
 - Los cuidadores primarios tuvieron una puntuación promedio del índice EQ-5D-5L de **0.83**
- Los investigadores también evaluaron la **calidad de vida** mediante otro cuestionario denominado Sistema de Información de Medición de Resultados Comunicados por el Paciente (PROMIS). Esta evaluación encontró vínculos similares entre la pérdida de movimiento y la calidad de vida de los pacientes

Entrevista de carga de Zarit (ZBI): Mide la salud y/o el bienestar mental

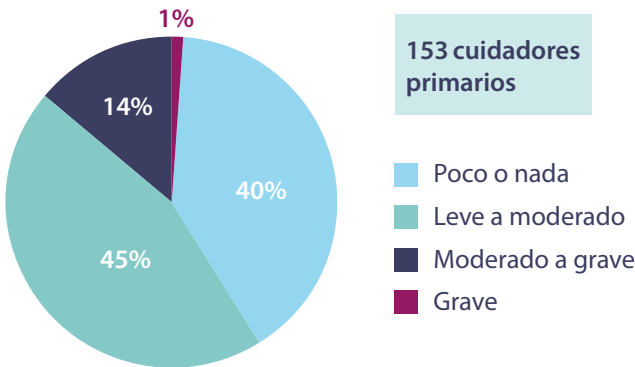
- Realizado por miembros de la familia que actúan como cuidadores primarios de una persona con FOP
- Las puntuaciones totales oscilaron entre 0 y 88 y se agruparon por nivel de impacto: grave, de moderado a grave, de leve a moderado y de poco a nada



- En general, cerca de la mitad (**45%**) de los cuidadores primarios informaron un **impacto leve o moderado** del cuidado de su familiar con FOP en su salud y/o bienestar mental
 - Un menor número de cuidadores primarios (**40%**) declaró tener poco o ningún impacto

- Cuando se analizaron los resultados en función de la edad del paciente atendido:
 - Más de la mitad de los cuidadores primarios (**57%**) que cuidan de un paciente menor de 8 años declararon un impacto de leve a moderado en su salud y/o bienestar mental
 - Más de la mitad (**58%**) de los que cuidan de un paciente de 25 años o más declararon que el impacto era escaso o nulo
 - Este hallazgo puede explicarse por la resiliencia. Se trata de la capacidad de recuperarse y adaptarse a las experiencias difíciles, mediante el aprendizaje y el apoyo de la comunidad FOP a lo largo del tiempo. Es necesario investigar más sobre este tema

Impacto de la FOP en la salud y/o el bienestar mental de los cuidadores primarios



Ejemplos de preguntas

- ¿Se siente estresado entre el cuidado de su familiar y el intento de cumplir con otras responsabilidades familiares o laborales?
- ¿Siente que por el tiempo que pasa con su familiar no tiene suficiente tiempo para usted?

Cuestionario de impacto emocional y social: Evalúa el estrés, las preocupaciones/inquietudes y las actividades y relaciones personales

- Realizado por todos los miembros de la familia (244 miembros de la familia)
- Específicos de la FOP, diseñados para esta encuesta

- El cuestionario mostró que de los miembros de la familia:
 - El **85%** encontraba muy/extremadamente estresante que su familiar (el paciente con FOP) tuviera un brote
 - **68%** estaban a menudo/siempre preocupados de que los pacientes con FOP pudieran hacerse daño ellos mismos

- Desde el punto de vista social, la mayoría de los miembros de la familia (**73%**) pensaban que el cuidado del paciente con FOP tenía poco o ningún impacto negativo en sus interacciones sociales
- En promedio, los familiares pasaban **8 horas al día** brindando cuidados o apoyo. La mayoría de las veces señalaron las siguientes actividades como aquellas en las que "siempre" ayudaban a su familiar con FOP:



Ir de compras (41%)



Vestirse (44%)



Salir de casa (39%)



Preparar/cocinar comidas (49%)



Darse un baño/ ducharse (48%)

Ejemplos de preguntas

- ¿Cuán estresantes son los retos del FOP para usted?
- ¿Qué tan estresante es cuando su familiar con FOP tiene un brote?



El impacto económico de la FOP en los pacientes y sus familiares

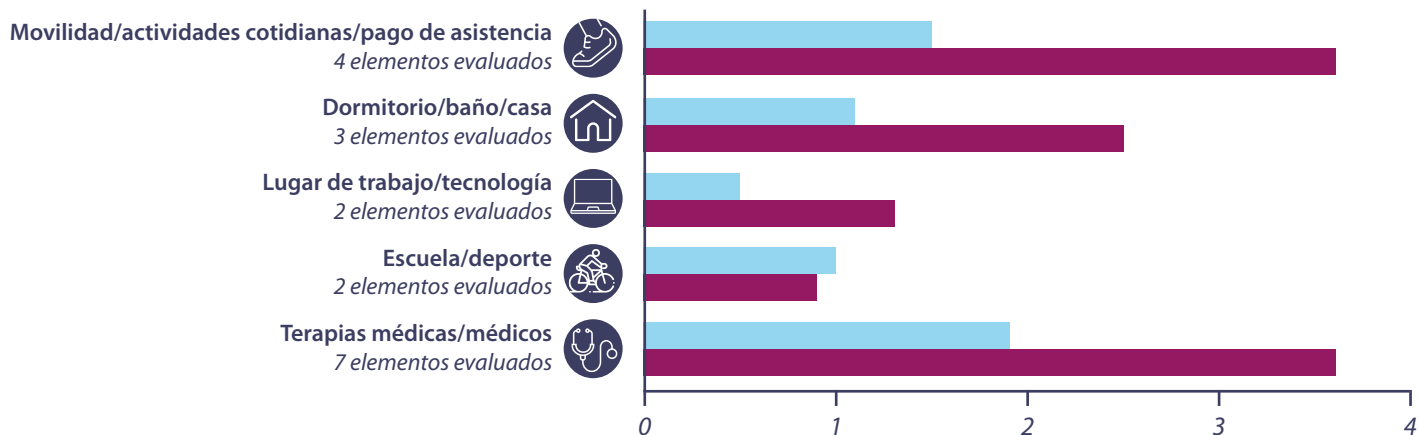
Adaptaciones para la vida

- Se utilizó un cuestionario desarrollado específicamente para esta encuesta con el fin de conocer el uso cotidiano de las **adaptaciones para la vida** por parte de las personas con FOP
 - Algunos ejemplos son los bastones, los audífonos, los bastones de mano y las rampas para sillas de ruedas
- Los pacientes que tenían **mayor pérdida de movimiento** tendían a utilizar **más adaptaciones para la vida**
- 97 %** de los pacientes con la pérdida **más grave de movimiento** informó que necesitaba **adaptaciones de vida** para ayudar con **actividades diarias**



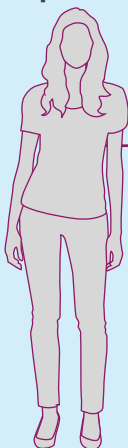
Número promedio de adaptaciones para la vida utilizadas por los pacientes

■ Menor pérdida de movimiento (45 pacientes) ■ Máxima pérdida de movimiento (64 pacientes)



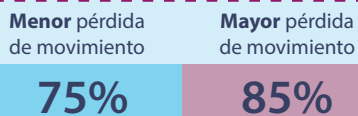
Consulte el artículo original para obtener información detallada sobre los tipos de elementos de cada categoría de adaptación a la vida.

Empleo



De 134 pacientes de 18 años o más, el **83%** consideraba que el FOP había influido en sus decisiones profesionales

Un mayor número de pacientes con una **mayor pérdida de movimiento** informó de un **impacto en las decisiones** profesionales



De los 156 cuidadores primarios, el **51%** consideraba que tenía que cambiar su carrera de alguna manera para cuidar a su familiar con FOP

Es necesario investigar en el futuro cómo las carreras de los cuidadores primarios se ven afectadas por el FOP



¿Qué significan los resultados de esta encuesta?

- Esta encuesta recogió información detallada sobre los impactos **físicos**, en la **calidad de vida** y **económicos** de la FOP en las personas con la enfermedad y sus familiares. Estos hallazgos aumentan en gran medida nuestra comprensión de la FOP y de cómo afecta a la vida diaria de las personas
- Este estudio demostró que la **pérdida de movimiento** causada por la FOP puede tener un impacto extremo y negativo en la **calidad de vida** de los pacientes. Además, el cuidado de una persona con FOP tiene un impacto de leve a moderado en la salud y/o el bienestar mental de los cuidadores primarios en general, sobre todo para los que cuidan de niños pequeños con FOP
 - Es necesario investigar el impacto a largo plazo de la atención a las personas con FOP
- A medida que la capacidad de mover las articulaciones y realizar **actividades cotidianas** disminuye, este estudio mostró que las personas con FOP tienden a necesitar más **adaptaciones de vida**
 - Esto sugiere que los costos financieros de la FOP para los individuos y sus familiares pueden ser mayores para los pacientes de mayor edad
- Por último, esta encuesta mostró que la FOP tiene un gran impacto en las decisiones profesionales de las personas con FOP y sus familiares, lo que también puede tener un costo financiero negativo para los individuos, las familias y la sociedad

¿Cuáles son los puntos fuertes de la encuesta y las posibles áreas de investigación futura?

- La encuesta sobre la carga de la enfermedad de FOP presenta las experiencias de un gran número de personas que viven con FOP y sus familiares, en todo el mundo
- Incluir la voz de los pacientes en la investigación fue clave para este estudio; los asesores de la comunidad FOP desempeñaron un papel activo en el desarrollo de la encuesta y en la interpretación de los resultados
- Esta encuesta proporciona información valiosa que puede utilizarse para mejorar la atención, los recursos y el apoyo a las personas con FOP y sus familiares
- Es importante tener en cuenta que la encuesta no estaba disponible en todos los países. Por lo tanto, es posible que los resultados de la encuesta no reflejen las experiencias de todas las personas con FOP y sus familiares, en particular las que viven en **comunidades desatendidas**
 - La expresión "comunidades desatendidas" se refiere a cualquier comunidad, ya sea en una región desarrollada o en desarrollo, que no tiene el mismo acceso a la información, el diagnóstico, la atención especializada, las adaptaciones de vida y/o el apoyo de las organizaciones de pacientes que otras comunidades
 - Es necesario seguir investigando el impacto de la FOP en las comunidades desatendidas
- La encuesta sólo estaba disponible en línea, por lo que es posible que los miembros de la comunidad FOP con acceso limitado a Internet no puedan acceder a ella
- Esta encuesta pedía a los participantes que reflexionaran sobre sus experiencias en los últimos 12 meses. Dado que las personas con FOP experimentan periodos de tiempo en los que no tienen síntomas activos, las respuestas a la encuesta pueden no representar la experiencia de vida global de la persona. Además, el periodo de 12 meses que captó la encuesta coincidió con la pandemia por COVID-19. Esto puede haber influido en los resultados, ya que las actividades y los comportamientos declarados en la encuesta pueden haber diferido de los patrones anteriores y posteriores a la pandemia

¿Dónde pueden los lectores encontrar más información sobre esta encuesta?

El artículo original que se comenta en este resumen se titula 'The Impact of Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP) on Patients and their Family Members: Results from an International, Burden of Illness Survey' fue publicada en la revista *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*. Puede acceder a la versión completa de forma gratuita en: <https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1080/14737167.2022.2115360>

- Puede encontrar más información sobre la encuesta de carga de la enfermedad de FOP en www.clinicaltrials.gov/show/NCT04665323
- Puede encontrar más información sobre la FOP y las redes de apoyo a la FOP en el sitio web de la IFOPA: www.ifopa.org

Glosario de términos utilizado en este resumen

- La **pérdida de movimiento** es una disminución de la capacidad física para mover el cuerpo con libertad y facilidad
- El impacto **físico** de la FOP es la forma en que la enfermedad afecta a la capacidad de una persona para mover su cuerpo y realizar sus actividades diarias
- El impacto de la FOP sobre la **calidad de vida** es el modo en que la enfermedad afecta a la forma en que una persona piensa de su propia salud física y mental, y en su bienestar general
- El impacto **económico** de la FOP incluye el costo financiero diario de tener FOP y/o de cuidar a alguien con FOP. También incluye el impacto de la enfermedad en el conjunto de la sociedad a través de los costos de salud y la pérdida de oportunidades de empleo
- **Las evaluaciones** son los cuestionarios utilizados en esta encuesta para recoger información sobre los impactos físicos, de calidad de vida y económicos de la FOP. Los investigadores utilizaron una mezcla de cuestionarios específicos de FOP y otros más generales para ayudarles a comparar la FOP con otras enfermedades. La mayoría de los cuestionarios incluidos en la encuesta se habían utilizado en investigaciones anteriores. Otros se desarrollaron específicamente para esta encuesta
- **Las actividades cotidianas** son las acciones que una persona realiza en su vida diaria. Esto puede incluir vestirse, ducharse/bañarse, comer y caminar. En esta encuesta se evaluó la capacidad para realizar estas actividades sin la ayuda de ninguna persona (como un familiar) o ninguna cosa (como una silla de ruedas)
- **Las adaptaciones de vida** son los cambios que ayudan a las personas con FOP a realizar las actividades diarias. Incluyen herramientas, objetos y/o dispositivos (como audífonos y popotes para beber), así como cambios en los espacios vitales (como rampas para sillas de ruedas). En esta encuesta se evaluaron cinco grupos de adaptaciones de la vida. Se trata de herramientas y/o cambios para: la movilidad y la realización de las actividades cotidianas (incluidos los asistentes remunerados o no remunerados que ayudan a ello); el hogar; el lugar de trabajo/la tecnología; la escuela/el deporte y las terapias médicas/los médicos

Ayuda en la redacción

Los autores agradecen a Ellie Zachariades, MSc, y a Marielle Brown, PhD, de Costello Medical, Reino Unido, por el apoyo en la redacción médica, y a Danielle Hart, BA (Hons), de Costello Medical, Reino Unido, por el apoyo en el diseño, que fue patrocinado por Ipsen de acuerdo con las directrices de las Buenas Prácticas de Publicación.

Financiación

Este estudio fue patrocinado por Ipsen.

Reconocimientos

Los autores agradecen a todos los participantes en el estudio y al equipo de estudio de la FOP, que incluye a Michelle Davis, directora ejecutiva de la IFOPA, a Adam Sherman, antiguo director de investigación de la IFOPA, y a los siguientes asesores comunitarios de la FOP, que contribuyeron al diseño de este estudio: Amanda Cali, de EE.UU.; Anna Belyaeva, de Rusia; Christopher Bedford-Gay, de Reino Unido; Julie Collins, de Australia; Suzanne Hollywood, de EE.UU.; Antoine Lagoutte, de Francia; Moira Liljesthröm, de Argentina; Karen Munro, de Canadá; Nancy Sando, de EE.UU. Agradecemos a Marin Wallace, de Canadá, y a Roger zum Felde, de Alemania, sus contribuciones a este proyecto antes de su fallecimiento.

Los autores desean agradecer a las siguientes asociaciones nacionales de FOP por sus valiosas contribuciones: Fundación FOP, Argentina, FOP Brasil (Brasil), Canadian FOP Network, FOP Francia, FOP eV (Alemania), FOP Italia Onlus (Italia), J-FOP (Japón), FOP México, FOP Polska (Polonia), FOP Rusia, Korean FOP Overcome Family (KFOPOF; Corea del sur [República de Corea]), Asociación Española de Fibrodisplasia Osificante Progresiva (AEFOP; España), Svenska FOP-föreningen (Suecia; miembros de Noruega, Dinamarca y Finlandia), and FOP Friends (Reino Unido).

La encuesta fue realizada por Engage Health (Eagan, Minnesota, EE.UU.). La traducción de la encuesta fue gestionada por el proveedor especializado TransPerfect Life Sciences y validada por las filiales locales del patrocinador.

Declaración de intereses financieros y competitivos

MAM: Investigador: Clementia/Ipsen, Regeneron; Consultor no remunerado: BioCryst, Blueprint Medicines, Daiichi Sankyo, Incyte, Keros; Consejo asesor (todos voluntarios): Consejo Asesor Médico del Registro IFOPA, Incyte, Consejo Clínico Internacional sobre FOP; fondo educativo no restringido de Excel y Catalyst patrocinado por Ipsen; KST: Financiación de la investigación por parte de Clementia/Ipsen y Regeneron; MD: Miembro del Comité Directivo de la Alianza de Enfermedades Óseas Raras y del Comité Directivo de la Cumbre de Enfermedades Óseas Raras; AC: Fideicomisario de The Radiant Hope Foundation, fideicomisario del Ian Cali FOP Research Fund/Penn Medicine, cofundador y miembro de la junta consultiva del programa de identificación de pacientes Tin Soldiers, productor ejecutivo del documental Tin Soldiers, ex presidente de la junta de IFOPA, asociado ejecutivo del International Clinical Council on FOP (todo ello voluntario); CBG: IFOPA Miembro de la Junta Directiva, miembro del Comité Ejecutivo de IFOPA, presidente y fideicomisario de FOP, presidente del Consejo Internacional de Presidentes; ML: Cofundador y Presidente de la Fundación FOP, Representante del CIP en Argentina, miembro del Comité de Investigación de IFOPA, antiguo miembro de la Junta Directiva de IFOPA (todo ello voluntario); SH: Miembro del Comité del Programa de Premios LIFE de IFOPA, miembro del Comité de Recaudación de Fondos de IFOPA; KC, EAB: Empleados y accionistas de Ipsen; ASG: Empleado de Atlanstat, contratista de Ipsen; JDW: Empleado de Ipsen en el momento del estudio; FSK: Investigador: Clementia/Ipsen, Regeneron; Consejo Asesor: Consejo Asesor Médico del Registro de la IFOPA; fundador y ex presidente del Consejo Clínico Internacional de FOP.