

LYSO JOURNAL

Fabry

La rassegna selezionata
per te

FABry Disease Patient-Reported Outcome-Gastrointestinal (FABPRO-GI): A new Fabry disease-specific gastrointestinal outcomes instrument

Shields AL, Lamoureux RE, Taylor F et al. Disease Patient-Reported Outcome-Gastrointestinal (FABPRO-GI): A new Fabry disease-specific gastrointestinal outcomes instrument. Qual Life Res. 2021 Oct;30(10):2983-2994.

sanofi

ABSTRACT

Obiettivo: Le manifestazioni gastrointestinali sono tra le più precoci nei pazienti affetti da **malattia di Fabry**, ma sono spesso non specifiche, mal diagnosticate e non trattate. Non vi sono strumenti specifici che siano in grado di valutare i segni e sintomi gastroenterici nella malattia di Fabry. Il *FABry disease Patient-Reported Outcome-Gastrointestinal (FABPRO-GI)* è stato sviluppato per rispondere a questo *unmet need* ed è inteso per l'uso negli studi clinici (24-h FABPRO-GI) e nel contesto *real-world* (7-day FABPRO-GI).

Metodi: Dati derivanti da *review* di letteratura, riunioni tra esperti nella gestione della malattia e interviste ai pazienti per l'elicitazione del concetto (CEIs) sono state riassunte in modelli concettuali. Interviste di *de-briefing* cognitivo sono state condotte con ulteriori pazienti per valutare la validità del contenuto, compresa la comprensibilità, la pertinenza e la completezza delle versioni preliminari del FABPRO-GI di 24 ore e 7 giorni.

Risultati: La *review* di letteratura (n = 17 articoli), le riunioni tra gli esperti nella gestione della malattia (n = 5) e le CEI dei pazienti (n = 17) hanno identificato **segni e sintomi gastrointestinali per lo più correlati alla malattia di Fabry, inclusi crampi addominali, gonfiore e diarrea, e ha portato alla elaborazione della 24-h and 7-day FABPRO-GI** preliminare. I CDI (n = 15) hanno fornito le prove della validità del contenuto e revisioni informate della 24-h and 7-day FABPRO-GI.

CONCLUSIONI

Con l'evidenza della validità del contenuto, **i FABPRO-GI rappresentano i primi *Patient reported outcome* specifici per la malattia di Fabry volti a valutare i segni e i sintomi gastrointestinali**, con potenziale utilizzo in studi clinici e in *real world*, rispettivamente.



Per maggiori informazioni chiedi a MedInfo