



2ND SUMMIT
RARE
DISEASES
C O P A C

**Contexto del histórico de los registros de
enfermedades huérfanas.
Utilidad de estos en nuestro contexto
(LATAM).**

sanofi



2ND SUMMIT
RARE
DISEASES
COPAC
sanofi



Conferencista:

Fernando Suárez Obando

- Director Instituto de Genética Humana. Facultad de Medicina, Pontificia Universidad Javeriana. Servicio de Genética Médica Hospital Universitario San Ignacio e Instituto Roosevelt.
- Médico Genetista, Instituto de Genética Humana Pontificia Universidad Javeriana - Magister epidemiología, Departamento de Epidemiología Clínica y Bioestadística (DECB), Facultad de Medicina de la Pontificia Universidad Javeriana - Magister en Informática Biomédica, The Department of Biomedical Informatics (DBMI) at the University of Pittsburgh School of Medicine.
- Desarrollo e implementación de registros: Fabry, Pompe, Gaucher, Duchenne y trastornos del desarrollo sexual.

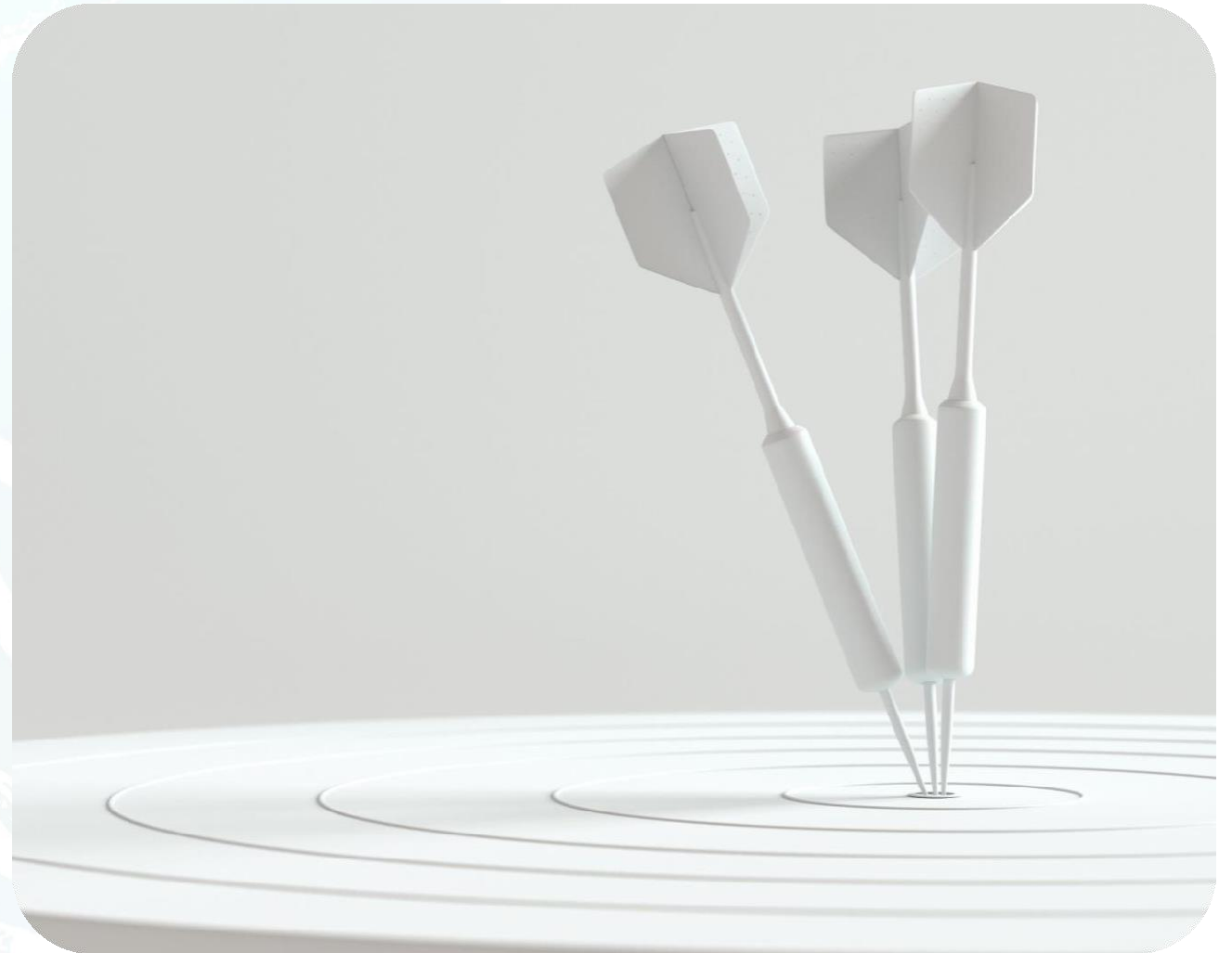
sanofi

Declaración de conflictos de interés

He recibido honorarios por parte de Sanofi por esta conferencia.

He recibido financiación para el desarrollo de proyectos de investigación por parte de Sanofi.

La información contenida en esta presentación está dirigida al profesional de la salud con la intención de brindar información científica de interés y refleja las consideraciones del autor y no las de SANOFI. Cualquier indicación OFF LABEL mencionada será con el único objetivo de intercambio científico y no representa una promoción. SANOFI no recomienda indicaciones que no estén contenidas en la información para prescribir aprobada de sus productos en Colombia.



Definiciones: Dato



Definiciones: información

Comunicación o adquisición de conocimientos que permiten ampliar o precisar los que se poseen sobre una materia determinada.

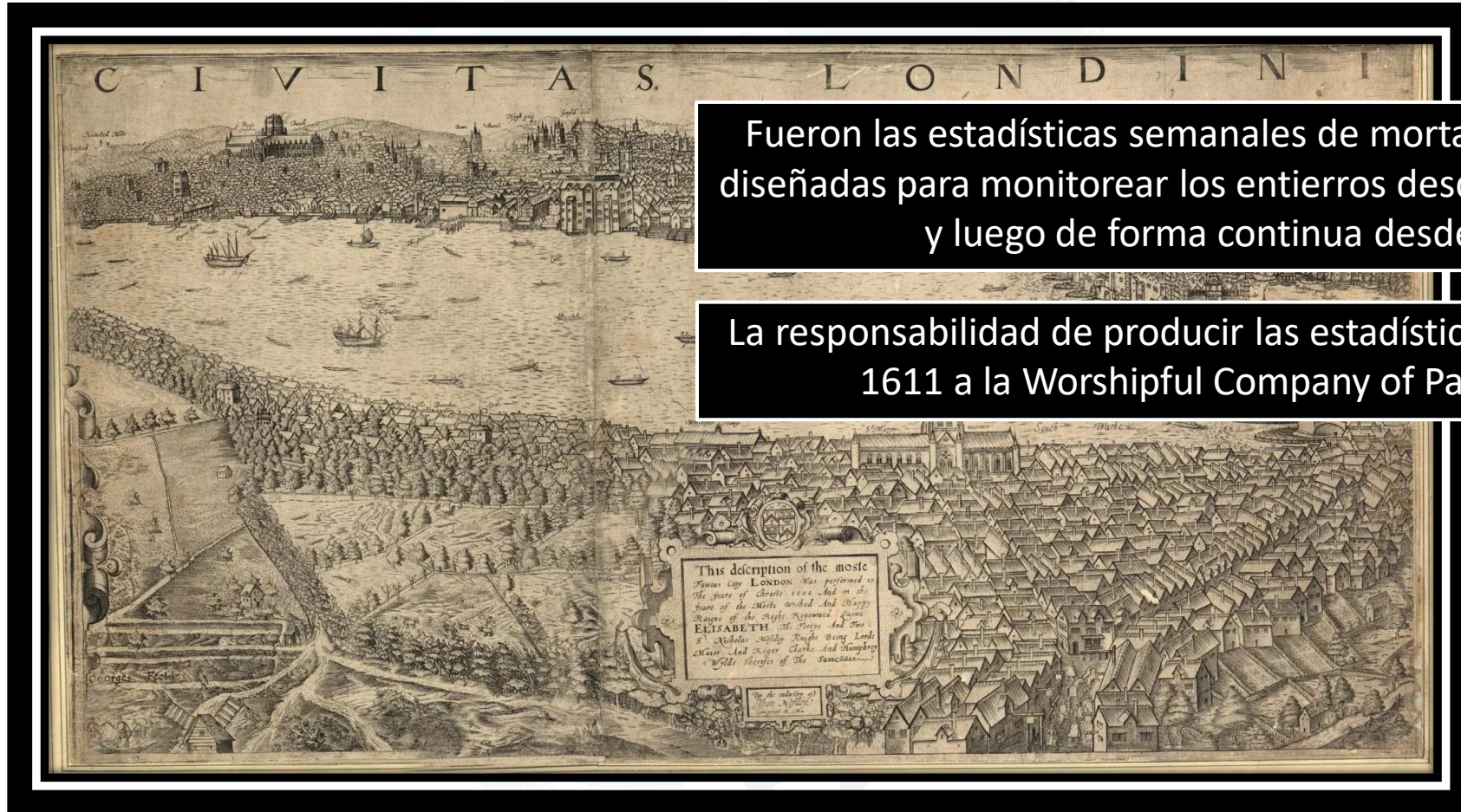




Antecedentes

- *Estadística sanitaria*
 - (~ 1600 ~1880)
- *Epidemiología de las enfermedades infecciosas*
 - (~ 1880 a ~1950)
- *Epidemiología de las enfermedades crónicas*
 - (~ 1950 a ~actualidad)
- *Eco-Epidemiología*
 - (~actualidad)

Bills of mortality



Fueron las estadísticas semanales de mortalidad en Londres, diseñadas para monitorear los entierros desde 1592 hasta 1595 y luego de forma continua desde 1603.

La responsabilidad de producir las estadísticas fue otorgada en 1611 a la Worshipful Company of Parish Clerks.

A general Bill for this present year,
ending the 19 of December 1665, according to
the Report made to the KINGS most Excellent Majesty.
By the Company of Parish Clerks of London, &c.

Parish	Number	Parish	Number	Parish	Number
St Albans Woodstreet	100	St Clements Eastcheap	18	St Margaret Mofes	18
St Allhallows Parkin	114	St Dunmoe Back-church	28	St Margaret Newfish	13
St Allhallows Breadst	17	St Dunstons East	265	St Margaret Pattens	29
St Allhallows Great	115	St Edmunds Lombard	70	St Mary Abchurch	29
St Allhallows Honia	10	St Ethelbough	195	St Mary Aldermanbury	100
St Allhallows Lefe	119	St Faiths	104	St Mary Aldemary	105
St Allhall Lombardills	20	St Fitches	134	St Mary le Bow	04
St Allhallows Staining	185	St Gabriel Foe church	69	St Mary Bowkay	10
St Allhallows the Wall	100	St George Botolphsh	41	St Mary Colechurch	17
St Alphage	271	St Gregories by Pauls	276	St Mary Hill	94
St Andrew Hubbard	71	St Helens	108	St Mary Mounshaw	10
St Andrew Undershaft	274	St James Duke place	161	St Mary Sumnerst	34
St Andrew Woodsh	120	St James Gutterhede	89	St Mary Toppington	27
St Anne Aldersgate	183	St John Baptist	130	St Mary Woolchurch	05
St Anne Black-Friars	653	St John Evangelist	9	St Mary Woolnoth	75
St Antholms Parith	53	St John Zacharie	81	St Martins Ironmongers	11
St Austins Parith	41	St Katherine Coleman	199	St Martins Ludgate	190
St Bartholomew	11	St Katherine Creech	135	St Martins Orgate	110
St Bennet Fynch	47	St Lawrence Jewry	94	St Martins Outwich	60
St Bennet Great-church	57	St Lawrence Pountney	114	St Martins Vintry	417
St Bennet Pauls Wharf	155	St Leonard Eastcheap	43	St Matthew Fridayst	24
St Bennet Shereborn	11	St Leonard Postern	131	St Mauldins Milkstreet	44
St Bonolph Billingsgate	81	St Magnus Parith	192	St Matthias Oldfish	176
St Bonolph Church	653	St Margaret Lothbury	100	St Michael Basilith	153
St Christopher	10			St Thomas Parith	115
				St Trinitie Parith	79

buried in the 97 Parishes within the walls — 15107 *Whereof of the Plague* — 9887

buried in the 16 Parishes without the walls — 41351 *Whereof of the Plague* — 28888

buried in the 6 Parishes in Middlesex and Surrey — 28554 *Whereof of the Plague* — 21410

buried in the 6 Parishes in the City and Liberties of Westminster — 12194 *Whereof of the Plague* — 8403

The Total of all the Christnings — 9967
The Total of all the Burials this year — 97306
Whereof of the Plague — 68596

The Diseases and Casualties this year.

A Bontive and Stillborne	617	Executed	21	Palfie	30
Aged	1545	Flox and Small Pox	655	Plague	68596
Ague and Feaver	5257	Found dead in streets, fields, &c.	20	Planner	6
Appoplex and Suddenly	116	French Pox	86	Plurisie	15
Bedrid	10	Frighted	23	Poyfoned	1
Blasted	5	Gout and Sciatica	27	Quintine	1
Bleeding	16	Grief	46	Rickets	35
Bloody Flux, Scouring & Flux	185	Griping in the Guts	1288	Rising of the Lighes	397
Born and Scalded	8	Hangd & made away themselves	7	Rupture	34
Calenture	3	Headmouldthox & Mouldfallen	14	Scurvy	105
Cancer, Gangrene and Fistula	56	Jaundies	110	Shingles and Swine pox	2
Canker, and Thru	111	Impostume	227	Sores, Ulcers, broken and bruised	4
Childbed	625	Kild by severall accidents	46	Limbs	82
Chrifomes and Infants	1258	Kings Evil	86	Spleen	14
Cold and Cough	68	Leprosie	2	Spotted Feaver and Purples	1929
Collick and Winde	134	Lethargy	10	Stopping of the stomack	32
Consumption and Tiffick	4808	Livergrown	26	Stone and Strangury	98
Convulsion and Mother	2036	Meagrom and Headach	17	Surte	1251
Distracted	1	Measles	7	Teeth and Worins	2614
		Misadventured and Shox	6	Vomiting	1

1ª era: estadísticas sanitarias (hasta finales siglo XIX)

Paradigma: origen causal de las enfermedades, efluvio nocivo (miasma) de suelo, agua y aire

Aproximación analítica: estudio de clusters de mortalidad y morbilidad. Empieza el estudio de las “estadísticas”

Prevención: depuración de aguas residuales, recogida de basuras, baños públicos (higiene), mejoría viviendas

John Graunt (1662) publica “Bills of mortality”

A general Bill for this present year, ending the 19 of December 1665, according to the Report made to the KING'S most Excellent Majesty.

By the Company of Parish Clerks of London, &c.

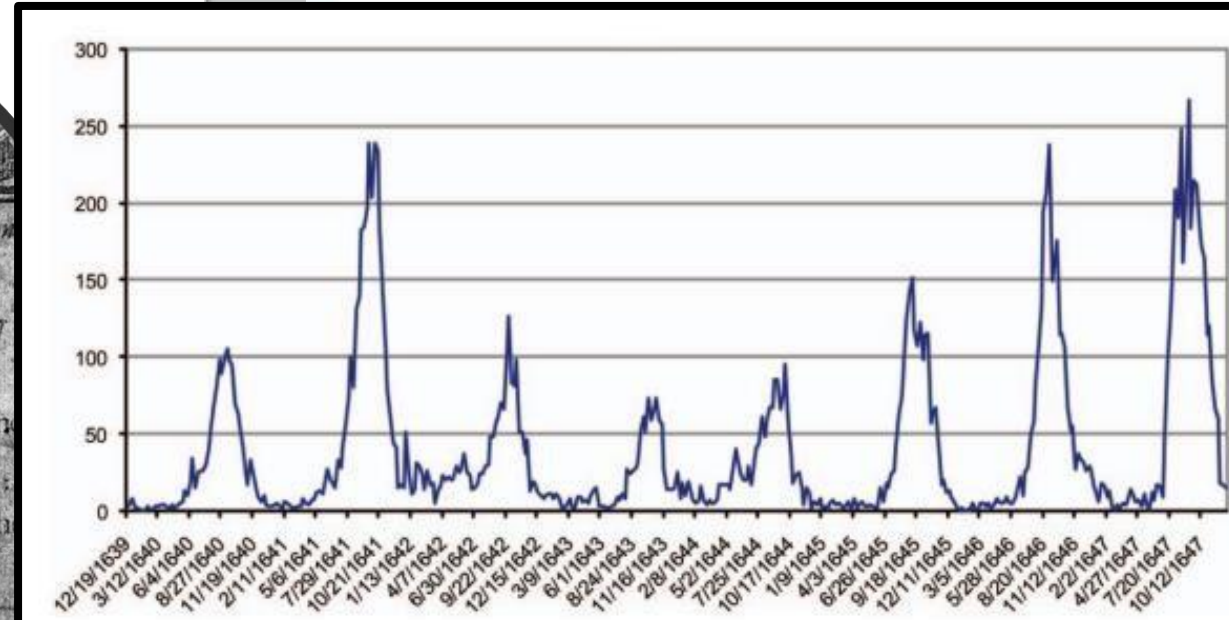
Parish	Parish	Parish	Parish
St Albans Woodstreet 100	St Clements Eastcheap 18	St Margaret Mole 15	St Michael Cornhill 10
St Andrew Holborn 124	St Dunmoe East-church 75	St Margaret Newfish 15	St Michael Goodwood 10
St Andrew Parish 15	St Dunmoe East 165	St Margaret Pattens 49	St Michael Quenchin 10
St Andrew Wardrobe 455	St Edmunds Lombard 70	St Mary Abchurch 39	St Michael Que new 10
St Andrew Wardrobe 119	St Ethelborough 195	St Mary Aldermanbury 15	St Michael Royal 10
St Andrew Wardrobe 119	St Faith 133	St Mary Aldermanbury 15	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Giles 104	St Mary le Bow 64	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Gabriel Fen church 69	St Mary Bootham 55	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St George Botolphshale 41	St Mary Colchester 17	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Gregories by Pauls 176	St Mary Hill 94	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Helens 108	St Mary Monmouth 16	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St James Duke place 163	St Mary Sumnerhit 16	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St James Garlickhithe 159	St Mary Stanninge 34	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St John Baptist 135	St Mary Woolchurch 65	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St John Evangelist 9	St Mary Woodthorpe 75	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St John Zachary 85	St Martin Ironmongers 11	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Katherine Coleman 139	St Martin Longtree 150	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Katherine Creech 155	St Martin Organs 110	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Lawrence Jewry 94	St Martin Outwich 60	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Lawrence Pountney 114	St Martin Vintny 417	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Leonard Eastcheap 13	St Martin Vintry 34	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Leonard Fotheringhay 135	St Martin Vintry 34	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Magnus Parich 101	St Martin Vintry 34	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119	St Margaret Lothbury 100	St Martin Vintry 34	St Michael Wood 10
St Andrew Wardrobe 119		St Martin Vintry 34	St Michael Wood 10

LONDON'S Dreadful Visitation
Or, A COLLECTION of All the Bills of Mortality For this Present Year; Beginning the 27th of Decem^r 1664, and ending the 19th of December following: As also, The GENERAL or whole years BILL: According to the Report made to the KING'S Most Excellent Majesty.

By the Company of Parish Clerks of London, &c.

The Diseases and Casualties this year.

Abortive and Stillborne 617	Executed 21	Palfie 2
Aged 1545	Flox and Small Pox 655	Plague 2
Ague and Feaver 537	Found dead in streets, fields, &c. 20	Planner 2
Appoplex and Suddenly 116	French Pox 86	Plurisie 2
Bedrid 10	Frighted 23	Poysoned 2
Blasted 5	Gout and Sciatica 27	Quintie 2
Bleeding 16	Grief 46	Ricketts 2
Bloody Flux, Scouring & Flux 185	Griping in the Guts 1288	Rising of the Light 2
Born and Scalded 8	Hand & made away themselves 7	Rupture 2
Calentore 3	Headmoulditox & Mouldfallen 14	Scutry 2
Cancer, Gangrene and Fistula 56	Jaundies 110	Shingles and Swine pox 2
Canker, and Thrush 111	Impostume 227	Sores, Ulcers, broken and bruised 2
Childbed 625	Kild by severall accidents 46	Limbs 2
Chilfomes and Infants 1258	Kings Evil 86	Spleen 14
Cold and Cough 68	Leprosie 2	Spotted Feaver and Purples 1929
Collick and Winde 134	Lethargy 14	Stopping of the stomach 332
Consumption and Tiffick 4808	Livergrown 26	Stone and Strangury 98
Convulsion and Mother 2036	Meagrom and Headach 13	Surtic 1242
Distracted 5	Measles 7	Teeth and Worins 2614
	Measles 7	Vomiting 2



PREVALENCIA
MESH/DECS
SEMANA
EPIDEMIOLÓGICA
SISTEMA: TIC

Welford & Bosak Validation of Inverse Seasonal Peak Mortality in Medieval Plagues, Including the Black Death, in Comparison to Modern *Yersinia pestis*-Variant Diseases. PLoS One. 2009; 4(12): e8401.



BEER STREET.



*Beer, happy Produce of our Isle
Can singly Prosperity impart
And weevil with Filago and Teal
Can cheer each manly Heart.*

*Labour and Art upheld by Thee
Successfully advances
We quaff Thy baby Juice with Glee
And Wither leave to France.*

*Genius of Health, thy grateful Taste
Brings the Cup of Glory
And warms each English generous Breast
With Liberty and Love.*

Engraved by W. Hogarth. Published according to Act of Parliament 1751.

GIN LANE.

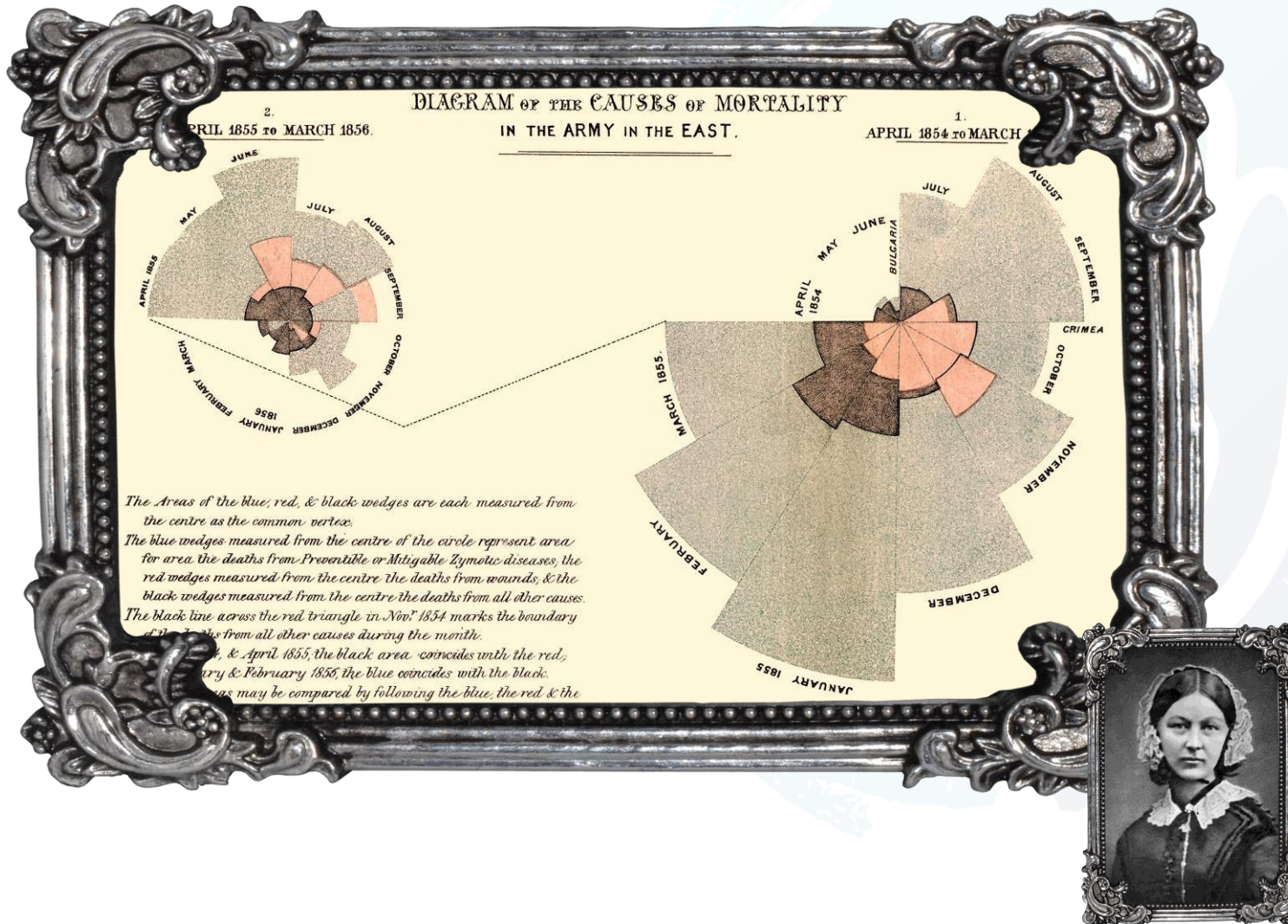


XXIX. GIN LANE. 1751. Engraving. 11 3/4 x 14 in.

1715 William Hogarth

INFOGRAFIA

Estadísticas

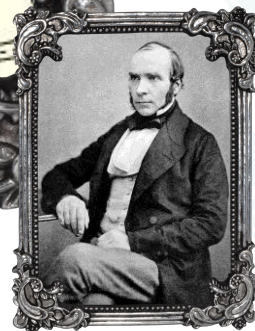


- Florence Nightingale (1.856):
- Atiendo en la Guerra de Crimea.
- Recolecto datos que transformo en información y lo comunicó mediante un diagrama.
- **Persuadir a la reina Victoria para que incrementara el apoyo y recursos a los soldados.**
- Gráfico de radar.

Estadísticas



SISTEMA DE
INFORMACIÓN GEOGRÁFICA



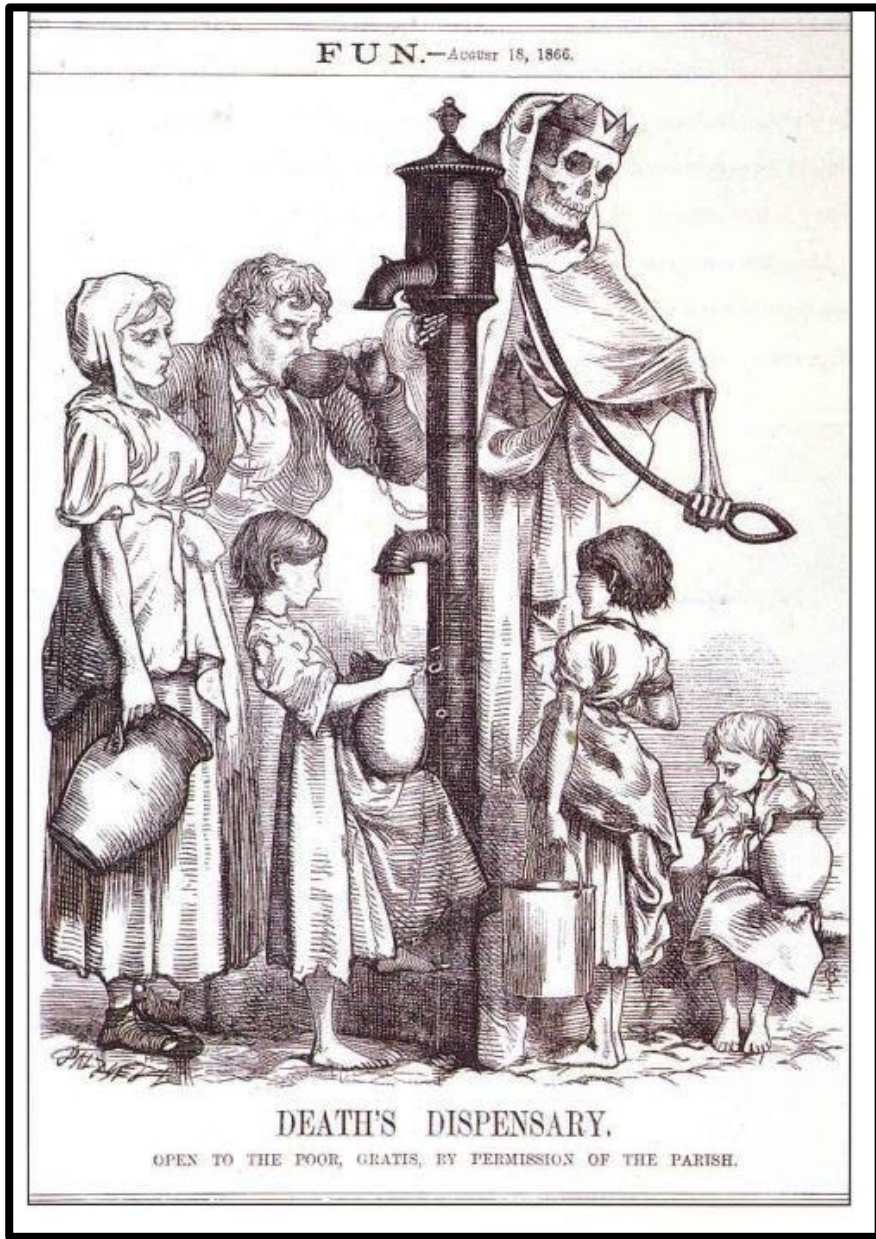
John Snow (1839):

Estudio de cólera en Londres, “experimento natural”
Mortalidad por cólera según suministro de agua por grupos de distritos

TABLE I. *Shewing the results of the Author's personal Inquiry in Twenty-One Sub-Districts.*

Registration Districts.	Registration Sub-Districts.	Number of inhabited houses in 1851.	Population in 1851.	Estimated constant population per house.	"Number of houses, and estimated number of persons, supplied in 1854 with water as under."				Water supply of the houses in which fatal attacks of cholera took place during first seven weeks of epidemic of 1854.				Deaths from cholera in first 7 weeks of epidemic of 1854.		Deaths from cholera in first 7 weeks of epidemic of 1854.	
					By Southwark and Vauxhall Co.		By the Lambeth Company.		Southwark and Vauxhall Co.	Lambeth Co.	Thames canals, or ditches.	From pump-wells.	Supply not ascertained.	Southwark and Vauxhall Co.	Lambeth Co.	Southwark and Vauxhall Co.
St. Saviour, Southw.	1. Christchurch	1,887	16,022	8.5	343	2,915	1,557	13,234	11	13	0	0	1	25	37.7	9.9
St. George, Southw.	1. Kent Road	2,558	18,120	7.1	1,770	12,630	563	3,997	52	5	0	0	0	57	41.1	12.5
	2. Borough Road	2,069	15,802	7.7	1,176	8,937	878	6,672	61	7	0	0	3	71	68.2	10.4
	3. London Road	2,365	17,836	7.5	863	2,872	1,533	11,497	21	8	0	0	0	20	73.1	6.9
Newington	1. Trinity	3,224	20,922	6.5	1,061	10,132	1,372	8,370	52	6	0	0	0	58	51.3	7.1
	2. St. Peter, Walworth	4,925	20,861	6.1	2,340	14,274	1,758	10,724	84	4	0	0	2	90	58.8	3.7
	3. St. Mary	2,309	14,033	6.1	489	2,983	899	5,484	19	1	0	1	0	21	64.5	1.8
Lambeth	1. Waterloo, part 1	1,729	14,088	8.1	438	3,548	1,474	11,939	9	1	0	0	0	10	25.6	0.8
	2. Waterloo, part 2	2,191	18,348	8.4	864	7,171	1,510	12,533	25	8	2	1	0	36	34.8	6.3
	3. Lambeth church, pt. 1	2,451	18,409	7.5	415	3,113	2,117	15,878	6	9	1	0	2	18	19.2	5.6
	4. Lambeth church, pt. 2	3,849	20,784	7.0	1,124	7,868	2,289	10,023	34	13	0	1	5	53	42.9	8.1
	5. Kennington, part 1	3,977	24,261	6.1	2,586	15,775	444	2,708	63	5	0	3	0	71	39.9	18.4
	6. Kennington, part 2	3,288	18,848	5.7	1,206	7,874	986	5,620	34	3	0	1	0	38	43.2	5.7
	7. Brixton	2,362	14,610	6.1	310	1,922	1,509	3,356	5	2	0	0	2	9	26.0	2.1
	8. Norwood	600	3,977	6.6	0	0	100	1,066	0	2	5	1	0	8	..	18.7
Wandsworth	3. Wandsworth	1,522	9,011	6.3	144	907	15	94	1	0	8	2	0	11	11.0	..
	4. Putney	918	5,280	5.7	13	74	0	0	0	0	1	1	0	1
	5. Streatham	1,419	9,023	6.4	0	0	515	3,244	0	1	0	5	0	6	..	3.0
Camden Hill	1. Dulwich	259	1,632	6.3	0	0	4	25	0	0	0	0	0	0
	4. St. George	2,845	15,849	5.6	767	4,295	971	5,437	30	9	0	2	1	43
	5. Sydenham	801	4,501	5.6	0	0	unkno.	unkno.	0	1	0	2	1	4
Totals		47,548	317,883	6.6	10,029	107,990	30,554	142,901	508	80	15	12	1	437

ESQUEMA DE HOJA DE
CÁLCULO (BASE DE DATOS)





Nueva era: (4ª) Eco-epidemiología

- Necesidad de enfocar los **problemas de salud**, no sólo a nivel individual, sino haciendo énfasis en la **sociedad**.
- Epidemiología molecular ayuda a comprender mecanismos causales. Ej.: epidemia VIH - SIDA
 - **Nivel molecular:** biología molecular necesaria para entender transmisión y como interrumpirla.
 - **Nivel individual:** comportamiento social de las personas (para entender transmisión).
 - **Nivel poblacional:** características para comprender dinámica de infección (ej.: prevalencia de infección).
 - **Nivel social:** estigma, discriminación.



Información

- La información está constituida por un grupo de datos ya supervisados y ordenados, que sirven para construir un mensaje basado en un cierto fenómeno o ente.

Payne y cols. Biomedical informatics meets data science: current state and future directions for interaction. JAMIA Open. 2018 Oct; 1(2): 136-141.



Registro de enfermedades

- Conjunto de datos concernientes a los casos de una enfermedad particular.
- Otras condiciones relevantes de salud, en una población definida y que pueden ser relacionados con la población de origen.

Hoque y cols. **Impact of clinical registries on quality of patient care and clinical outcomes: A systematic review.** PLoS One. 2017 Sep 8;12(9):e0183667



Registros

- **Registro poblacional:**
- En los registros de enfermedades de base poblacional los datos proceden de todos los centros, públicos y privados, en los que se diagnostican o tratan los pacientes con una determinada enfermedad.

Hoque y cols. **Impact of clinical registries on quality of patient care and clinical outcomes: A systematic review.** PLoS One. 2017 Sep 8;12(9):e0183667

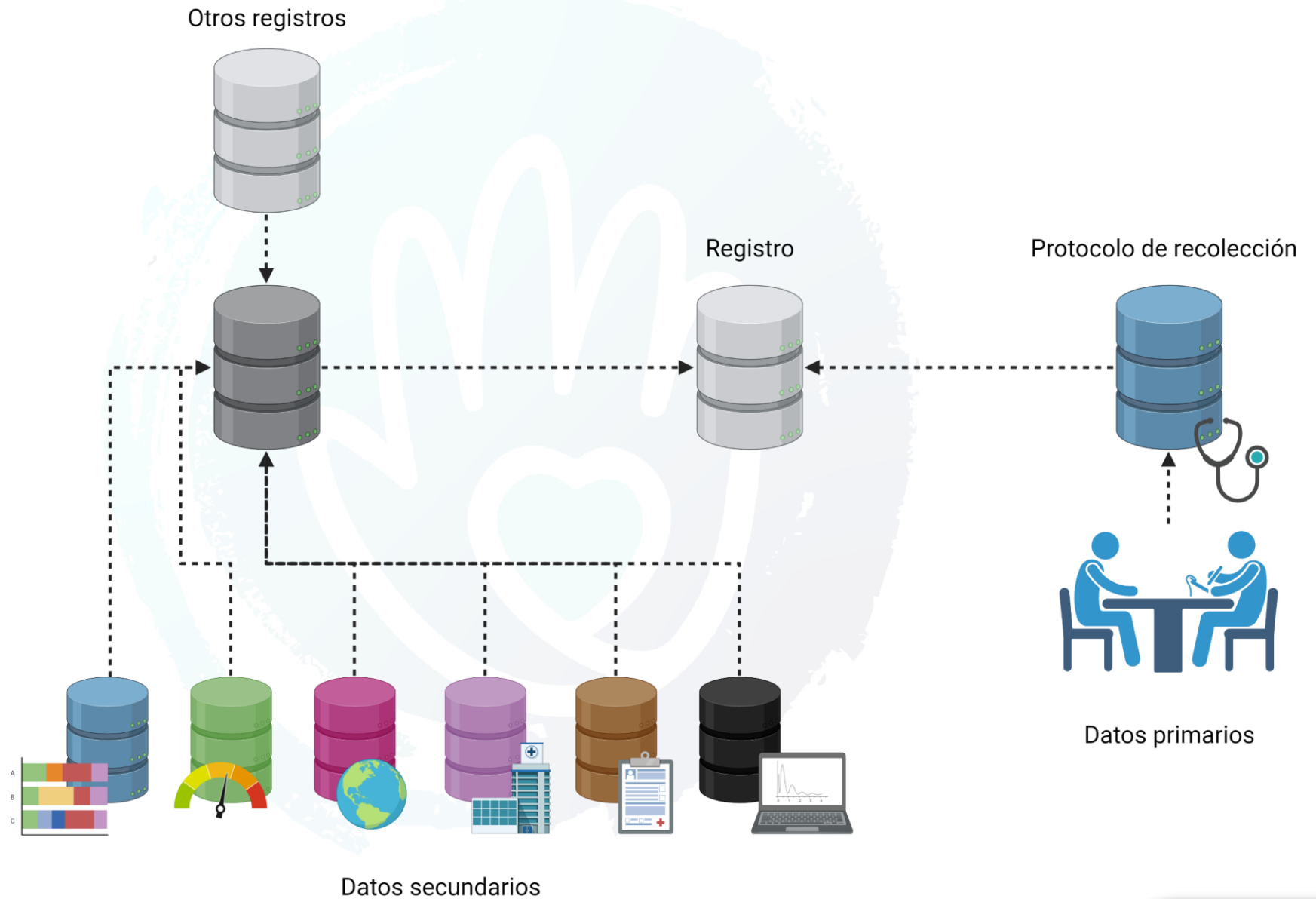


Registros

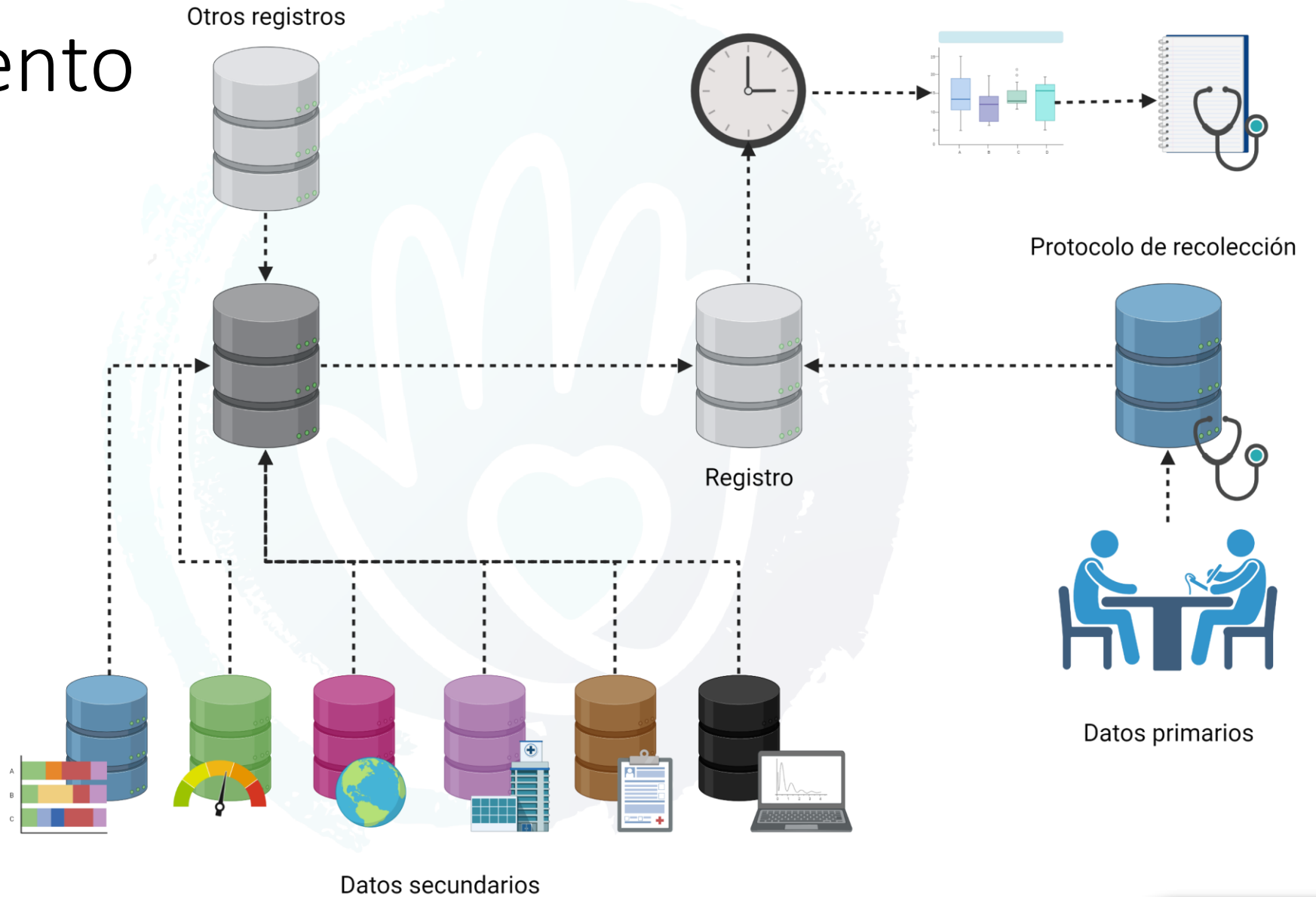
- **Registro institucional:**
- La información está limitada a los casos atendidos en la institución, siendo su utilidad fundamentalmente clínica.

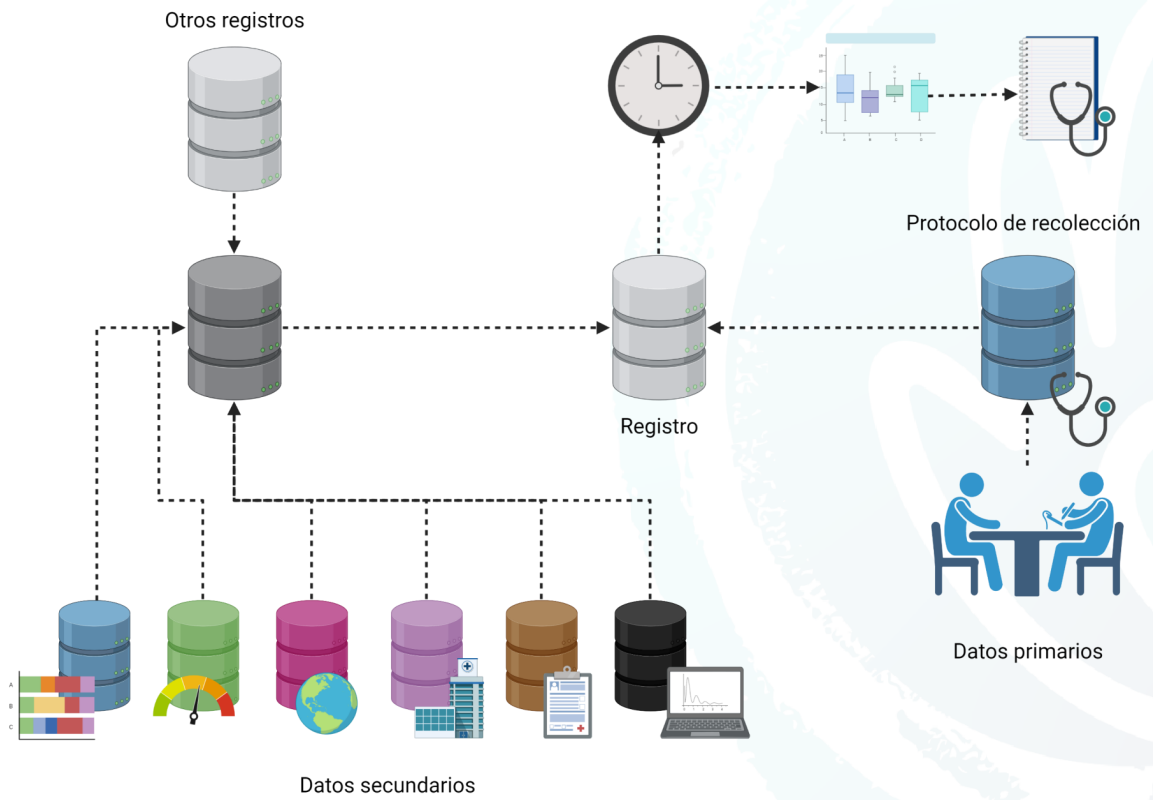
Hoque y cols. **Impact of clinical registries on quality of patient care and clinical outcomes: A systematic review.** PLoS One. 2017 Sep 8;12(9):e0183667

Fuentes

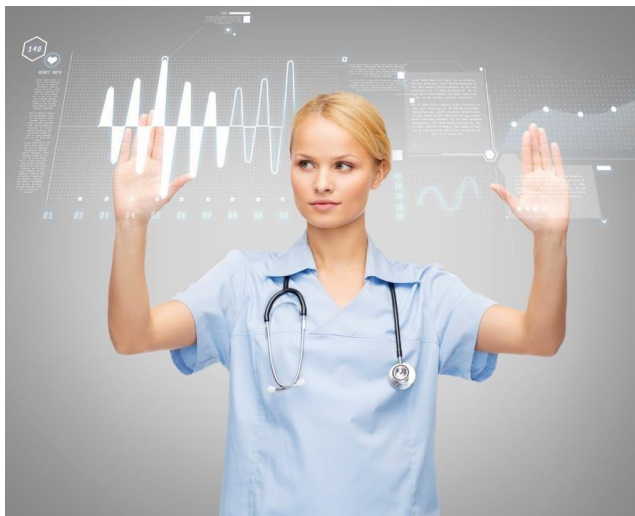
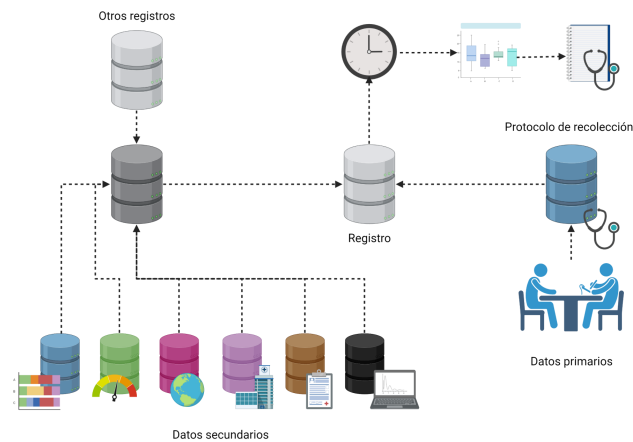


Seguimiento





1. Registros de productos (paciente expuesto a productos para el cuidado de la salud).
2. Registros de servicios de salud (paciente expuesto al servicio de cuidado de la salud).
3. Registros de enfermedades y condiciones (estado de enfermedad o condición - inclusión).



Registro

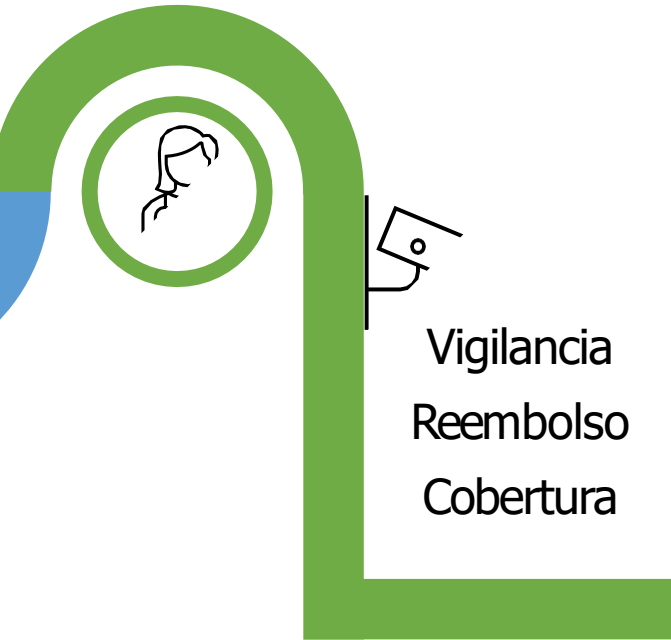
- Conjunto de datos concernientes a los casos de una enfermedad.
- Cohorte (Seguimiento)
 - Continuidad
- Fuentes primarias y secundarias
- Propósito
 - Contexto internacional
 - Contexto LATAM

Propósito



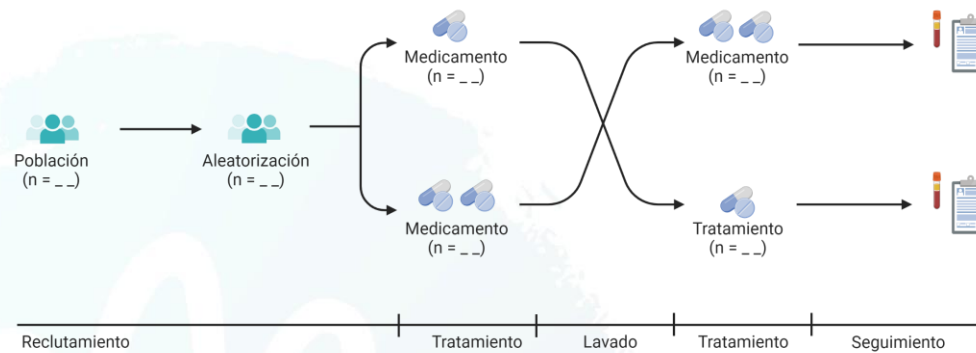
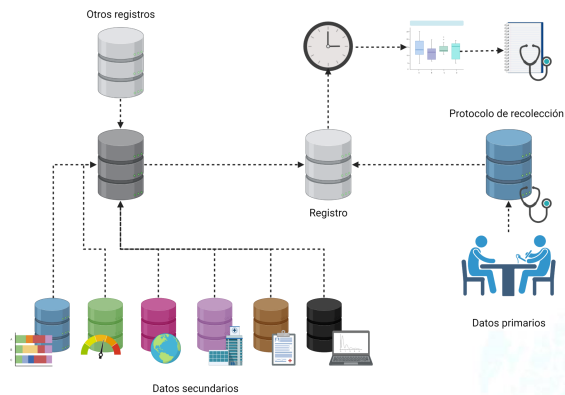
Propósito

Posmercadeo



“Sistema organizado con el objetivo principal de **mejorar la calidad de la atención al paciente** que recopila continuamente datos relevantes, evalúa **resultados significativos** y de manera integral cubre la población definida por la exposición a dispositivo(s) particular(es) a un precio razonable y de escala generalizable (por ejemplo, internacional, sistema nacional, regional de salud)”

Registries for Evaluating Patient Outcomes: A User’s Guide. 4th ed. Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ). 2020



Registro

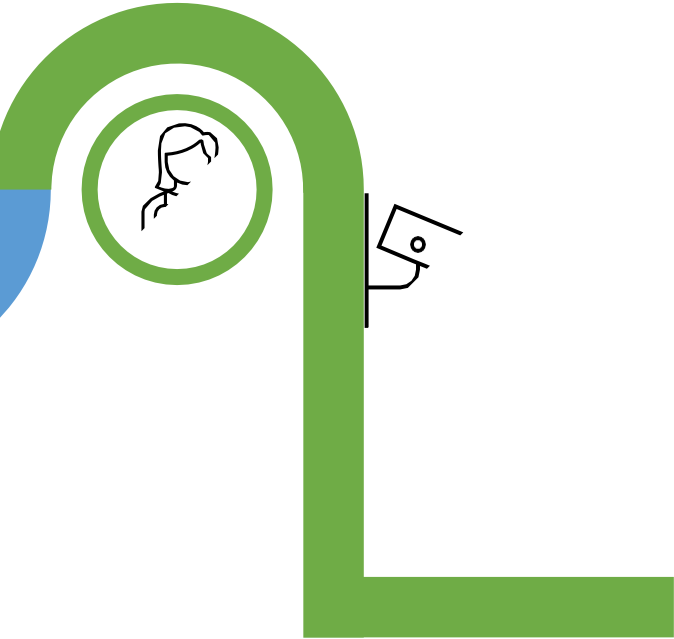
- Observacional.
- Sin intervención.
 - Sin obligatoriedad de tratamiento específicos.
- Criterios de inclusión mínimos.
- Resultados generalizables.
 - Grupo heterogéneo.
 - **Enfermedades huérfanas.**

Investigación clínica

- Experimento.
- Intervención.
 - Visitas, pruebas, test de laboratorio etc.
- Criterios: estrictos.
- Resultados:
 - Grupo homogéneo.
 - Control experimental.

Propósito

Posmercadeo



Estudios de **efectividad, eficiencia e implementación**:
“Como funciona la Intervención en el entorno del mundo real
(práctica clínica).
Validez externa vs. Validez interna.

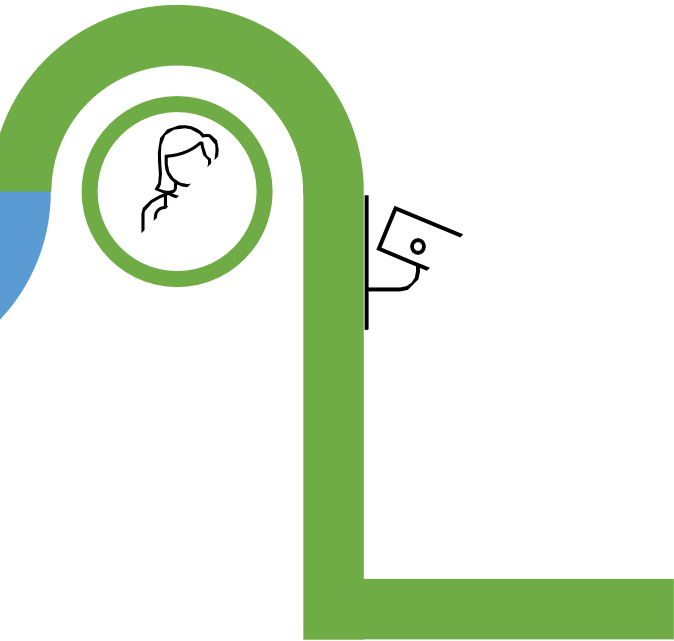


Seguridad: evaluación de riesgos en el entorno del mundo real. Proporcionan un enfoque sistemático de notificación de eventos adversos como opuesto a la notificación espontánea de eventos adversos por parte de los médicos en el mundo real.



Propósito

Posmercadeo



Historia Natural de la Enfermedad:

Grupo control de cohortes de seguimiento
(Ej.; propensity score matching).

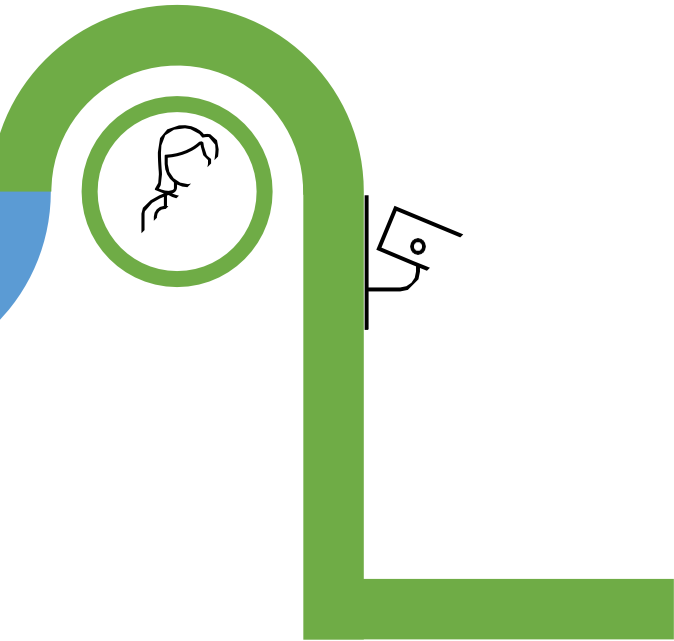


Evaluación y mejora de la calidad de la atención:

Proporcionan una visión profunda.
de los cambios epidemiológicos en la población a lo largo del tiempo, para
evaluar las asociaciones
entre las características clínicas y los resultados de salud.

Propósito

Posmercadeo



Real World Evidence (RWE)

Real World Data (RWD)

FDA: Real-World Evidence program (2018).

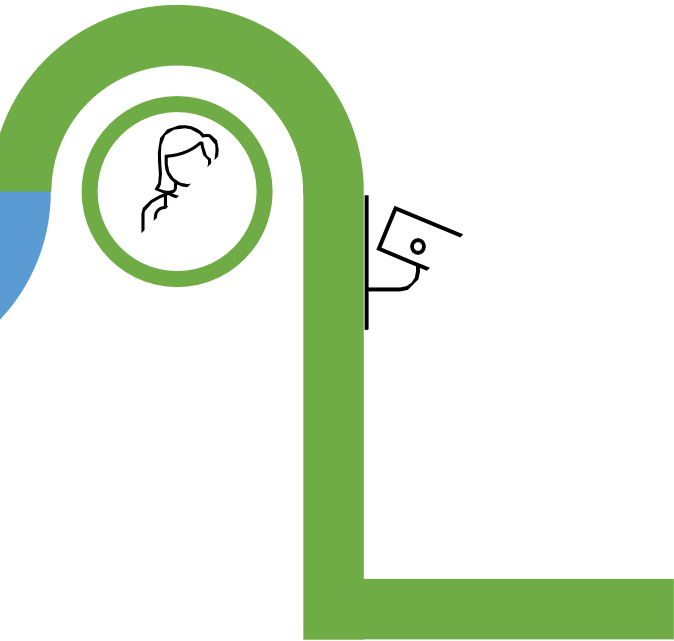
Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI):

Objetivo: mejorar la calidad y relevancia de la evidencia disponible para ayudar a los pacientes, los cuidadores, médicos, empleadores, aseguradoras y legisladores toman decisiones de salud mejor informadas.

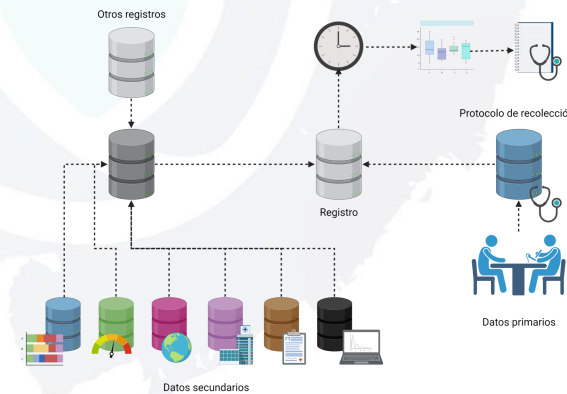


Propósito

Posmercadeo

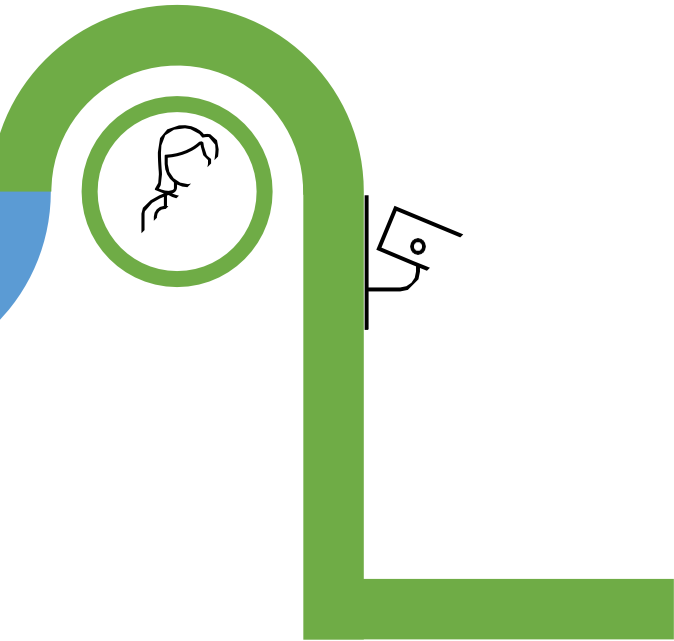


EMA: post-authorization safety studies (**PASS**) (2015).
Post-authorization effectiveness studies (**PAES**).
Apoyar un enfoque sistemático y estandarizado para la contribución del registro a la evaluación de medicamentos especialmente para estudios de **PASS y PAES**.



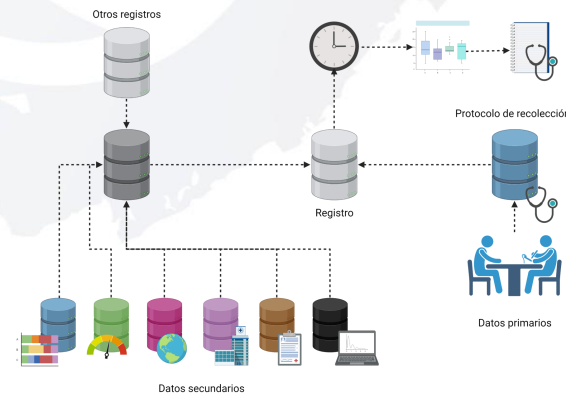
Propósito

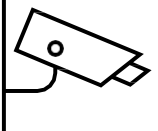
Posmercadeo



- Agregar conocimiento sobre una enfermedad en particular y su manejo.
- Contrastar los hallazgos específicos de la práctica con los de una base de datos más grande y representativa.
- Comprender mejor las perspectivas de los pacientes en relación con los enfoques y resultados terapéuticos.

- Obtener acceso a datos de "mejores prácticas".
- Empezar investigaciones exploratorias utilizando la base de datos del registro y publicar/presentar los hallazgos
- Conectarse con una comunidad de médicos afines (Redes de registros)
- Transición a la investigación clínica





Necesidades

Infraestructura
Informática.



Capacidad de
convocatoria



Calidad de datos
(Data management
Plan)



Financiación -
Sostenibilidad





Teorema Fundamental de la Informática
Biomédica (Modificado de Friedman 2009)

Informática Biomédica

- Ciencia (Disciplina) que estudia los aspectos teóricos y prácticos del manejo de la información y la comunicación, en relación al conocimiento y experiencia derivados de los procesos de atención sanitaria.
- “Un computador y el cerebro humano es mejor que el cerebro humano”.
- Computador: Sistema TIC.
 - Tecnología.
 - (Datos)+(Procesamiento) = Información.
 - Comunicación.



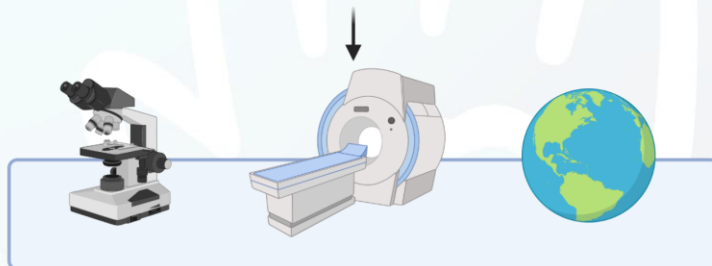
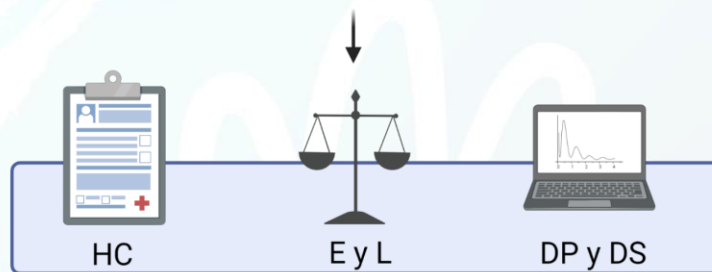
Registro actividades médicas

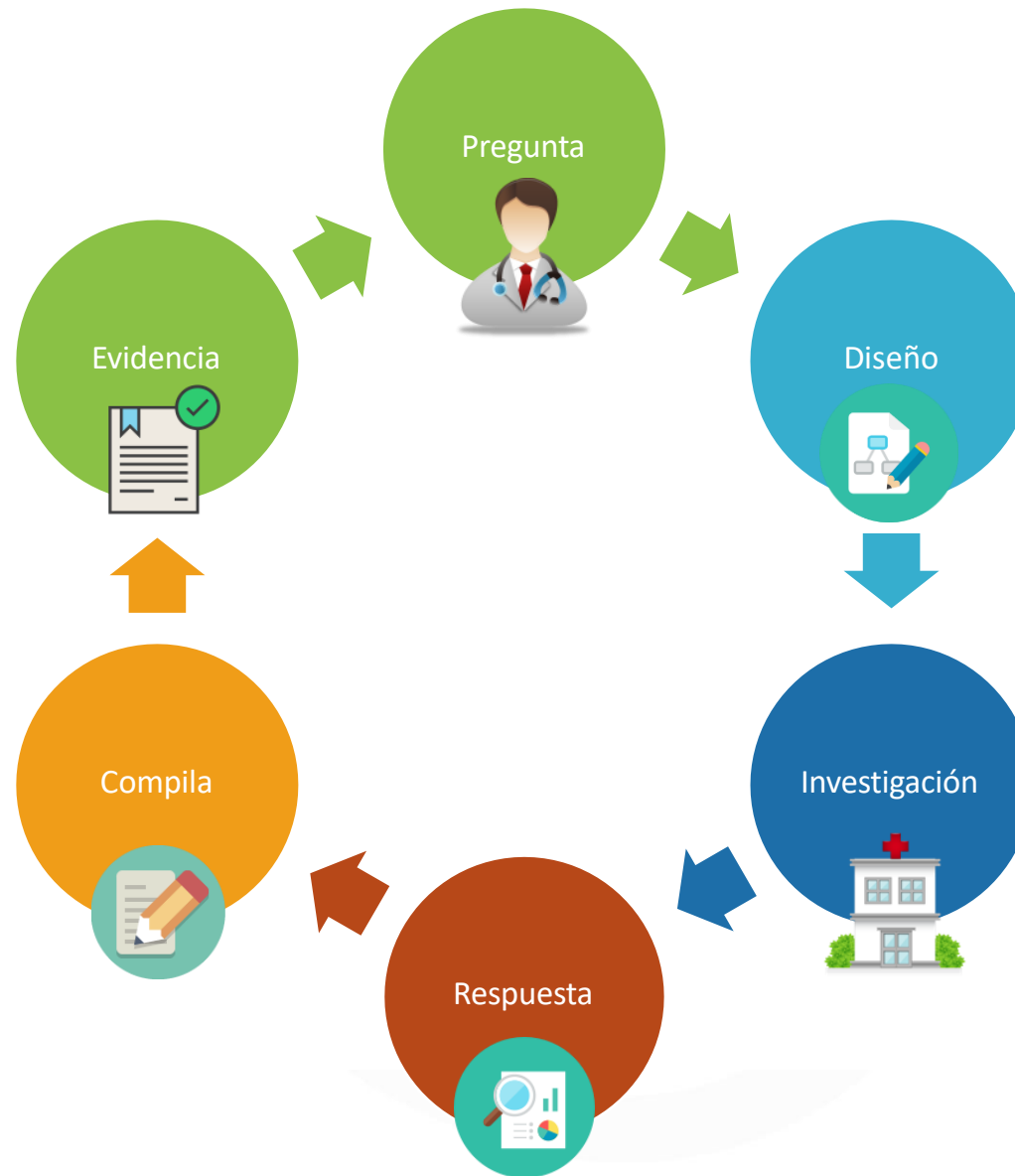


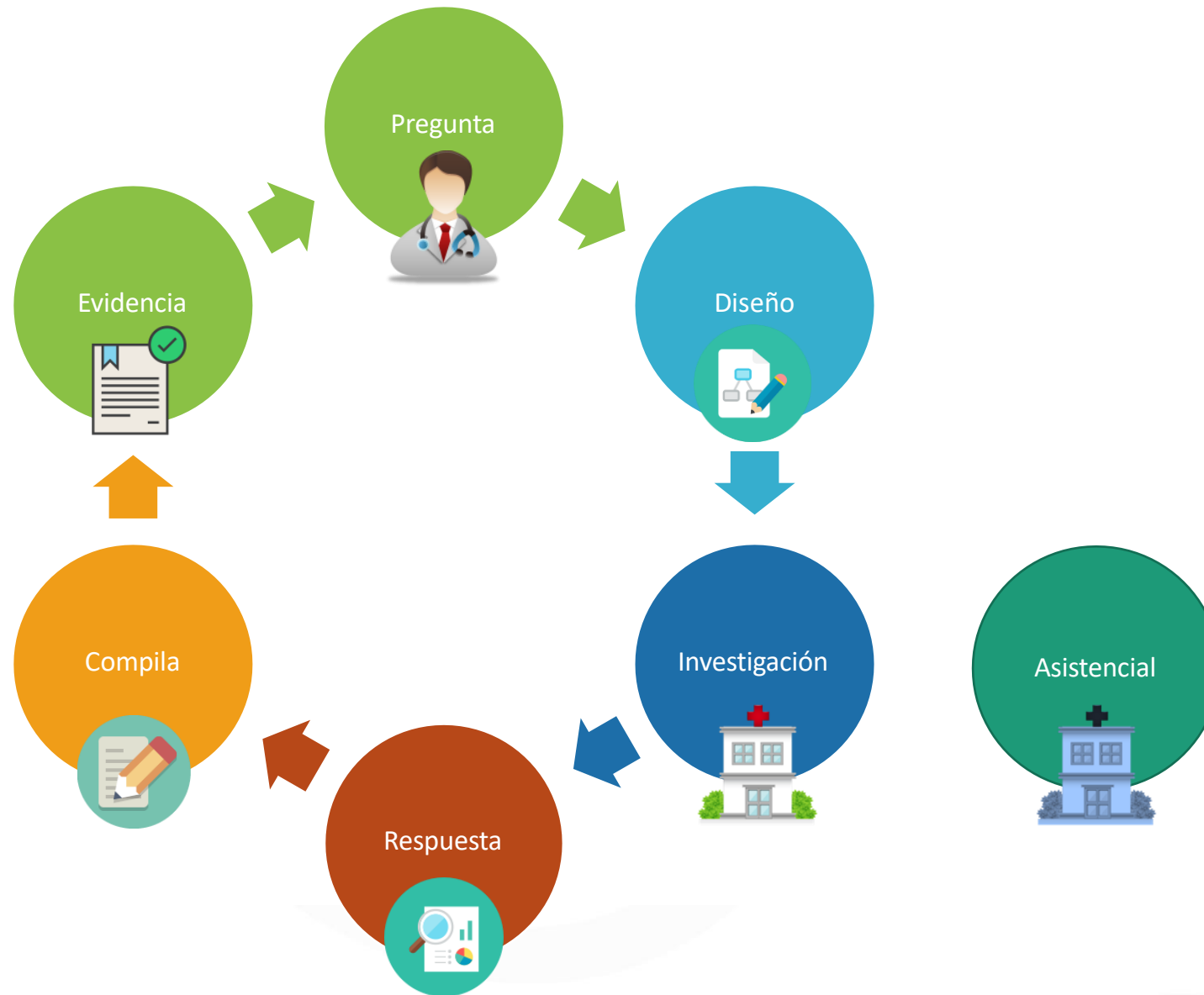
Investigación Médica

Informática Biomédica

- Ciencia (Disciplina) que estudia los aspectos teóricos y prácticos del manejo de la información y la comunicación, en relación al conocimiento y experiencia derivados de los procesos de atención sanitaria.
- “Un computador y el cerebro humano es mejor que el cerebro humano”.
- Computador: Sistema TIC.
 - Tecnología.
 - (Datos)+(Procesamiento) = Información.
 - Comunicación.







“El creciente volumen de información y conocimiento generado por la investigación clínica, debe ser llevado a la práctica clínica de forma efectiva”



“Es un aspecto que la propia investigación clínica no resuelve, dado que su objetivo principal, **es generar conocimiento bajo las circunstancias propias del diseño epidemiológico**, más no necesariamente transferir el conocimiento de los resultados a entornos de practica real”

Mensajes y conclusiones



- Registro sistemático
 - Cohorte (Seguimiento)
- Enfermedades huérfanas
 - Historia natural
 - Desenlaces clínicos de interés
 - Post-authorization safety studies (PASS).
 - Post-authorization effectiveness studies (PAES).
 - Calidad de la atención
 - Redes
 - Infraestructura



2ND SUMMIT
RARE
DISEASES
C O P A C

¡GRACIAS!

sanofi