

Lista de control de políticas relativas al sarcoma

Febrero de 2017



Paolo Casali, Istituto Nazionale dei Tumori, Italia
Nora Drove, Eli Lilly & company
Sarah Dumont, Institut Gustave Roussy, Francia
Mikael Eriksson, Universidad de Lund, Suecia
Alessandro Gronchi, Istituto Nazionale dei Tumori, Italia y EORTC Soft Tissue and Bone Sarcoma
Bernd Kasper, Universidad de Heidelberg, Alemania

Estelle Lecoite, Info Sarcomes, Francia y SPAEN
Claudia Valverde, Hospital Universitario Vall' Hebron, España
Markus Wartenberg, SPAEN & das Lebenshaus e.V., das Wissenhaus GmbH, Alemania
Roger Wilson, SPAEN
Shannon Boldon, The Health Policy Partnership
Suzanne Wait, The Health Policy Partnership



Un grupo de destacados representantes de organizaciones de pacientes, expertos clínicos e industria farmacéutica ha desarrollado una Lista de requisitos de políticas que favorezcan el manejo de sarcoma en Europa. Este proyecto fue iniciado y financiado por Lilly.

Este documento ha sido elaborado por el Grupo de Expertos de la Lista de control de políticas relativas al sarcoma. La redacción y edición de este documento, así como el día a día de la ejecución del proyecto, fueron coordinadas por Health Policy Partnership Ltd. Eli Lilly & Company (Lilly) proporcionó apoyo financiero para los gastos de las reuniones y los materiales producidos por el grupo. Lilly no abonó ningún honorario a ninguno de los miembros del grupo por su participación en este proyecto. Lilly ha aportado algunas observaciones al documento, si bien el contenido final del mismo refleja el consenso de los miembros del grupo, que tienen pleno control editorial.

Referencias para el Resumen Ejecutivo

1. Sarcoma UK. The National Sarcoma Survey, Transforming Patient Experience, 2015:35.
2. Fletcher C, Bridge JA, Hogendoorn P, *et al.* WHO Classification of Tumours of Soft Tissue and Bone. Fourth Edition. WHO Classification of Tumours, 2013:468.
3. Sharma S, Takyar S, Manson SC, *et al.* Efficacy and safety of pharmacological interventions in second- or later-line treatment of patients with advanced soft tissue sarcoma: a systematic review. BMC Cancer 2013;13(1):1-21.
4. Lurkin A, Ducimetière F, Vince DR, *et al.* Epidemiological evaluation of concordance between initial diagnosis and central pathology review in a comprehensive and prospective series of sarcoma patients in the Rhone-Alpes region. BMC Cancer 2010;10(1):1-12.
5. Ray-Coquard I, Montesco MC, Coindre JM, *et al.* Sarcoma: concordance between initial diagnosis and centralized expert review in a population-based study within three European regions. Ann Oncol 2012;23(9):2442-9.
6. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual. NICE Guidance on Cancer Services: Developed by the National Collaborating Centre for Cancer, 2006:142.

Resumen Ejecutivo

El sarcoma en Europa: fortalecimiento de la respuesta política

Los **sarcomas** constituyen un grupo heterogéneo de **cánceres raros** que se desarrollan a partir de los tejidos conjuntivos y de sostén del organismo¹

Heterogeneidad significativa

Más de **70** subtipos histológicos diferentes²

Pueden presentarse en cualquier parte del cuerpo²

Consecuencias:

Profesionales sanitarios:

difícil adquirir formación especializada



Pacientes:

diagnóstico tardío o erróneo, acceso limitado a la atención especializada



Investigación:

difícil encontrar tratamientos específicos para cada tipo de sarcoma



Sistema sanitario:

alto coste debido a la variabilidad de la calidad asistencial



Descritos como una de las peores experiencias entre pacientes oncológicos afectados por cualquier tipo de cáncer²

Representan el **1%** de todos los cánceres, el **2%** de todas las muertes por cáncer³



Hasta un **40%** de diagnósticos erróneos^{4,5}



Solo el **22%** de los pacientes participa en estudios clínicos¹

Hasta **1 de cada 4** reciben tratamiento para otra patología⁶








Desigualdades



significativas en toda Europa en el acceso a los tratamientos disponibles

Lista de control de políticas relativas al sarcoma: ¿qué se necesita para mejorar el tratamiento del sarcoma?

- 1**  **Centros de referencia acreditados y designados** para el sarcoma en cada país.
- 2**  Una mayor **formación profesional** para todos los profesionales sanitarios involucrados en el tratamiento del sarcoma.
- 3**  Un **enfoque multidisciplinar** en la atención sanitaria de todos los pacientes con sarcoma.
- 4**  Mayores **incentivos** para la investigación y la innovación.
- 5**  **Acceso más rápido** a tratamientos eficaces.

Índice

Resumen Ejecutivo	3
Introducción	5
Lista de control para las políticas relativas al sarcoma: ¿qué es más necesario para mejorar la atención del sarcoma?	7
1. Centros nacionales designados como referencia para el sarcoma	8
2. Mayor formación profesional	10
3. Un enfoque multidisciplinario para el cuidado de cada paciente	12
4. Incentivos para la investigación y la innovación	14
5. Acceso más rápido a tratamientos eficaces	16
Conclusiones	18

Parte 2:

Perfiles de países	19
Francia	20
Alemania	26
Italia	30
España	34
Suecia	40
Reino Unido	46
Bibliografía	52

Introducción

Los tumores poco frecuentes o raros representan el 22 % de todos los diagnósticos de cáncer y su tasa de supervivencia es peor que la de cánceres más frecuentes, como los de mama, colon y próstata.¹ Durante la última década, varias organizaciones dedicadas, como Rare Cancers Europe, han resaltado la necesidad de activar políticas favorables que mejoren la disponibilidad y el acceso del paciente a la información apropiada, a ensayos clínicos, a tratamientos eficaces y al cuidado de todos los tumores raros.² El reciente lanzamiento de la Acción Conjunta Europea contra Cánceres Raros también puede considerarse un desarrollo positivo, dado que pretende integrar mejor las necesidades de los cánceres raros en el marco de los planes nacionales para el cáncer.³

A pesar de ello, los cánceres raros todavía plantean múltiples desafíos, muchos de los cuales se acrecientan en el caso de los sarcomas.

¿Qué son los sarcomas?

Los sarcomas son un grupo heterogéneo de cánceres raros que se desarrollan en los tejidos conjuntivos. Hay aproximadamente 70 subtipos de sarcomas y pueden afectar a cualquier parte del organismo.⁴

Los dos tipos principales de sarcomas son:

1. **Sarcomas de partes blandas (SPB):** representan el **84 %** de los sarcomas. Se desarrollan en partes blandas o en cualquier tejido de soporte corporal, excepto en el hueso (como, por ejemplo, grasa, músculo, vasos sanguíneos, nervios o articulaciones).⁵ Incluyen **los tumores del estroma digestivo (conocidos como GIST)**, que representan aproximadamente el 20 % de los SPB.
2. **Sarcomas óseos:** representan el **14 %** de los sarcomas.⁶

Las estimaciones sobre las cifras reales de sarcomas son inciertas, debido a que los registros no son obligatorios en la mayoría de países y las normas o los registros son desiguales.



La heterogeneidad de los sarcomas constituye un reto para el conocimiento médico, la investigación clínica y el desarrollo de políticas de control.

El número de pacientes con cada cuadro clínico es extremadamente bajo, y los subtipos tienen pronósticos, funciones, características y demandas ante el sistema sanitario muy diferentes.⁶

Los sarcomas: hechos y cifras clave

Los sarcomas representan **1 %** de todos los cánceres, y aun así suponen el **2 %** de la mortalidad total relacionada con esa enfermedad.⁷

Hay aproximadamente **6** casos por 100.000 habitantes al año, lo que representa **27.908** casos nuevos por año (EU27).⁶

La supervivencia relativa a cinco años es del 56 % en los sarcomas de partes blandas, del 70 % en los GIST y del 61 % en los sarcomas óseos.⁸

La supervivencia depende del momento en que se diagnostique el sarcoma: en los sarcomas de partes blandas, la supervivencia global a 5 años oscila entre el **15 %** (para los pacientes con recidiva metastásica) hasta el **90 %** (para la enfermedad localizada), tanto en los EE. UU. como en la UE.^{8 9 10}



¿Cuáles son algunos de los desafíos que plantean los sarcomas?

- **Los pacientes con sarcoma refieren algunas de las peores experiencias de todos los tipos de cáncer.**¹¹
- **A menudo, los pacientes carecen de información adecuada** acerca de su enfermedad, de los centros médicos de excelencia disponibles, de tratamientos indicados y ensayos clínicos en curso. En consecuencia, no pueden tomar decisiones informadas sobre su atención médica.¹¹
- **La mayoría de los médicos tiene poca o ninguna experiencia en el diagnóstico o tratamiento de los sarcomas, debido a su rareza.** Es posible que no deriven a los pacientes a un especialista,⁸ lo que a menudo provoca retrasos en el diagnóstico o diagnósticos incorrectos.
- **Un diagnóstico impreciso conduce a un tratamiento erróneo en el 70 % de los casos,**⁸ llegando incluso en algunos casos a recibir tratamiento para patologías distintas del sarcoma.^{11 12}
- **El desenlace de un diagnóstico tardío o erróneo y de una atención de calidad variable** tiene un impacto considerable en la calidad de vida de los pacientes y sus familias.
- **Algunos tratamientos o servicios no obtienen reembolso** y los pacientes tienen que recorrer grandes distancias para recibir los cuidados apropiados o pagar los tratamientos de su bolsillo.¹³
- **En algunos tipos de sarcomas, como el sarcoma de partes blandas avanzado, no se han producido avances significativos en el tratamiento** de primera línea desde hace más de 30-40 años. El GIST es una excepción importante.

Acerca de este documento

Este documento ha sido elaborado por el Grupo de Expertos de la Lista de control de las políticas relativas al sarcoma, un grupo multidisciplinar de expertos en medicina, asociaciones de pacientes y representantes de la industria farmacéutica destinado a ayudar a las autoridades a cerrar la brecha en el acceso a la información y la atención sanitaria de alta calidad de los pacientes con sarcoma en toda Europa.

El documento consta de dos partes:

1. La **Lista de control de las políticas relativas al sarcoma** describe cinco áreas clave en las cuales los responsables de formular políticas pueden concentrar sus iniciativas para conseguir el mayor impacto en el cuidado de los pacientes con sarcoma.
2. A continuación, se presentan **seis perfiles de países (Francia, Alemania, Italia, España, Suecia y Reino Unido)** para ilustrar en qué medida se están aplicando estas recomendaciones en los distintos países.

Lista de control de políticas relativas al sarcoma: ¿qué es lo más necesario para mejorar la atención del sarcoma?

1



Centros de referencia acreditados y designados para el sarcoma en cada país.

2



Una mayor **formación profesional** para todos los profesionales sanitarios involucrados en el tratamiento del sarcoma.

3



Un **enfoque multidisciplinario** en la atención sanitaria de todos los pacientes con sarcoma.

4



Mayores **incentivos** para la investigación y la innovación.

5



Acceso más rápido a tratamientos eficaces.

1

Centros nacionales de referencia designados para el manejo del sarcoma



Lista de control de políticas: ¿qué se necesita?



Como mínimo, un centro nacional de referencia en cada país, o un vínculo claro con un centro de referencia en otro país



Un proceso de acreditación nacional en vigor para designar centros de referencia a partir de estándares de calidad claros



La evaluación periódica de los centros de referencia de estos estándares para garantizar la continuidad de la calidad asistencial



¿Por qué esto es importante?

- **Porque los sarcomas son tan raros y se presentan de tantas formas** que es difícil para la mayoría de los profesionales sanitarios reunir suficiente experiencia en esta enfermedad.
- **Por lo tanto, se recomienda que los cuidados del sarcoma se proporcionen en centros especializados acreditados, o centros de referencia.**
- **Se ha demostrado que centralizar la atención en centros de gran volumen mejora la calidad general de la atención sanitaria a los pacientes afectados de sarcomas,**^{14 15} al permitir un diagnóstico temprano, preciso y de calidad,^{16 17} la derivación oportuna de casos para segunda opinión¹⁶ y el acceso a la información adecuada.¹⁵



¿Cómo lo estamos haciendo en Europa?

- **Existen centros de referencia para muchas formas de sarcoma en los seis países analizados en este documento. Sin embargo, no siempre se acreditan formalmente aplicando estándares explícitos de calidad** ni se supervisa la calidad asistencial a lo largo del tiempo.^{13 18}
- **Esto dificulta que los pacientes y los médicos que los derivan sepan dónde encontrar atención especializada.** Este es un problema particular en el caso de la experiencia quirúrgica en sarcomas.
- Recientemente, se han puesto en marcha **iniciativas para establecer estándares de calidad para el sarcoma a nivel europeo** lideradas por la Asociación EuroNet para pacientes con sarcoma (SPAEN)¹⁹ y por la Organización Europea de Cáncer (ECCO).²⁰ En el **Reino Unido** se han establecido estándares nacionales claros para el sarcoma, y en **Suecia** se aplica un programa particularmente sofisticado de seguimiento de la calidad en los cuidados del sarcoma a través de su registro de casos de sarcomas de extremidades y pared del tronco.
- **El acceso a centros de referencia por parte de pacientes que viven fuera de las áreas urbanas a menudo constituye un problema.** Por ejemplo, en **España**, los pacientes pueden tener dificultad a la hora de recibir el permiso de su Comunidad Autónoma para trasladarse a otra para recibir el tratamiento y es posible que no se reembolsen los gastos de viaje o de alojamiento.
- **Varios centros de referencia nacionales para el sarcoma pasarán a formar parte de la nueva Red Europea de Centros de Referencia (ERN, por sus siglas en inglés) para tumores sólidos raros en adultos, incluidos los sarcomas (EURACAN).** Sin embargo, la ERN está en sus primeras etapas de creación y aún deben establecerse procesos claros para facilitar la colaboración, la derivación transfronteriza de casos y el reembolso apropiado entre los centros participantes.^{13 16 18 21}

Redes europeas de referencia:

¿qué ventajas pueden aportar a la investigación y atención del sarcoma?

- ✓ Mayores oportunidades para que los pacientes participen en ensayos clínicos y reciban un tratamiento y una atención óptimos a través de la colaboración transfronteriza^{14 16}
- ✓ La creación de registros y la recogida consolidada de datos de casos reales^{13 16 18 21} que respondan a estándares comunes acordados
- ✓ El desarrollo de los mecanismos que aseguran la calidad para las pruebas de laboratorio²¹
- ✓ Herramientas de educación y formación para los profesionales sanitarios²¹
- ✓ Acelerar el intercambio^{13 18 22} de información, muestras biológicas, imágenes radiológicas, otras pruebas diagnósticas y herramientas electrónicas de telemedicina entre los centros participantes.^{15 16}

2 Mayor formación profesional



Lista de control de políticas: ¿qué se necesita?



Un protocolo nacional para la derivación de pacientes con sospecha de sarcoma que informe a los profesionales no especialistas de los síntomas de alerta y de cuándo deben derivar a los pacientes a centros de referencia



Inclusión de la formación sobre cánceres raros en el currículo de medicina general



Formación constante sobre cánceres raros disponible para todos los oncólogos



Programas de formación especializada sobre sarcomas disponibles para todos los profesionales sanitarios que participen en el equipo de atención multidisciplinar de sarcomas



¿Por qué esto es importante?

- **Dado que los sarcomas pueden aparecer en cualquier parte del cuerpo, los pacientes con síntomas pueden presentarse ante una amplia gama de médicos:** médicos generales (MG), ginecólogos, dermatólogos, cirujanos y otros.
- **La mayoría de estos médicos nunca han visto un caso de sarcoma y pueden no saber a qué especialista deben derivar a los pacientes.** Esto puede dar lugar a un retraso en el diagnóstico, al tratamiento inadecuado y al compromiso último de los resultados para el paciente.^{8 11 12}
- **Muchos oncólogos no han recibido formación sobre cómo diagnosticar o tratar los sarcomas.**



¿Cómo lo estamos haciendo en Europa?

- **En los seis países estudiados, los médicos no reciben ninguna capacitación formal sobre cánceres raros (incluidos los sarcomas) como parte de su formación universitaria general.** Sin embargo, tanto en **España** como en el **Reino Unido** se han hecho esfuerzos por mejorar el diagnóstico precoz y la derivación de los casos de sarcoma.
- **La formación sobre cánceres raros tampoco forma parte de la formación académica especializada de los oncólogos en la mayoría de los países,** aunque se están llevando a cabo iniciativas para cambiar esta situación en algunos de ellos.
- **Hay varios programas de formación de especialistas en sarcoma de ámbito paneuropeo.** Por ejemplo, la Sociedad Europea de Oncología Quirúrgica (European Society of Surgical Oncology, ESSO) ha organizado un organismo de formación quirúrgica en sarcomas llamado **Escuela Europea de cirugía del sarcoma de partes blandas.**¹⁵ Además, existen cursos especializados sobre el manejo de los sarcomas disponibles en muchos países, a menudo como programas de formación en línea.
- Además de la capacitación formal, se ha demostrado que **disponer de directrices sencillas sobre derivación,** como en el caso de **Suecia,** da lugar a un diagnóstico y a un tratamiento más rápidos y precisos de los sarcomas.

3

Un enfoque multidisciplinario para el cuidado de cada paciente



La Lista de control de políticas: ¿qué se necesita?



Directrices nacionales para el tratamiento de los sarcomas en adultos y niños



Tratamiento de todos los pacientes con sarcoma por un equipo multidisciplinario (EMD) específico conforme a un itinerario de atención claro



Una definición clara de la composición mínima de los EMD



Asignación a cada paciente de un especialista médico de referencia específico y un plan de cuidados personalizado para ayudarle a manejar su enfermedad



¿Por qué esto es importante?

- **El apoyo a los pacientes con sarcoma por parte de una amplia gama de profesionales** (anatomopatólogos, radiólogos, cirujanos, oncólogos médicos, oncólogos radioterápicos, enfermeros, psicooncólogos, expertos en cuidados paliativos y especialistas en rehabilitación) es fundamental para asegurar que todas sus necesidades se satisfacen a lo largo del tiempo.⁸



¿Cómo lo estamos haciendo en Europa?

- La mayoría de las directrices nacionales reconocen que la **organización de los cuidados del sarcoma en EMD** es clave para proporcionar una atención de alta calidad a los pacientes afectados por esta enfermedad.
- **La atención por parte de un EMD** es también un criterio para que los centros formen parte de la recientemente iniciada ERN para los sarcomas.
- **A pesar de ello, la aplicación de los EMD varía considerablemente entre los centros de todos los países.** Muchos centros no cuentan con recursos suficientes para aplicar un enfoque sistemático de EMD para la atención del sarcoma.
- **Un reto particular es el relativo a incluir a médicos de atención primaria de área en los EMD** para garantizar una alta calidad en el diagnóstico y el tratamiento durante todo el itinerario asistencial del paciente.
- **Es más, la composición de un EMD especializado en sarcomas no siempre está claramente definida** y es posible que no haya personal debidamente capacitado disponible en todos los centros.

4 Incentivos para la investigación y la innovación.



Lista de control de políticas: ¿qué se necesita?



Un registro nacional de sarcomas



Bases de datos normalizadas que permitan la recogida y el cotejo de datos reales comparables a través de los centros de referencia



Grupos cooperativos con proyectos de investigación a nivel nacional para el sarcoma



Incentivos para las asociaciones públicas-privadas centradas en cánceres raros, incluyendo los sarcomas



¿Por qué esto es importante?

- **Tradicionalmente, no ha existido financiación adecuada para la investigación básica en sarcomas.** Como resultado, se desconoce aún la etiología y naturaleza de muchos subtipos histológicos⁶ y los datos epidemiológicos sobre incidencia y supervivencia en cada país no son consistentes.⁸
- **Los hallazgos de la investigación básica son esenciales** para promover los esfuerzos de investigación hacia tratamientos que puedan mejorar los resultados clínicos del paciente.
- **La participación de un número suficiente de pacientes en ensayos clínicos de sarcoma constituye un desafío constante,** debido al pequeño número de pacientes con cada tipo específico de sarcoma.^{11 13 16}
- Como resultado, la **creación y el mantenimiento de un registro nacional es fundamental** para disponer de suficientes datos reales de pacientes que ayuden a impulsar las iniciativas de investigación, así como para mejorar la atención al paciente.



¿Cómo lo estamos haciendo en Europa?

- **Hay una serie de iniciativas importantes de investigación sobre sarcomas en diferentes países.** Por ejemplo, Francia cuenta con una buena disponibilidad de datos tanto en sus redes de anatomía patológica como de registros clínicos de pacientes, lo que le ha permitido liderar muchos proyectos de investigación nacionales e internacionales sobre sarcomas. **Suecia** tiene un Registro Nacional de Calidad de Sarcomas (INCA) que recoge datos de pacientes con sarcoma de todas las regiones y permite el análisis de datos reales. En el **Reino Unido**, una encuesta exhaustiva de pacientes con sarcoma ha proporcionado información importante sobre la experiencia de los pacientes con sarcoma. **Italia** ha liderado iniciativas importantes en el ámbito de los sarcomas pediátricos. **España** ha puesto en marcha un proyecto de análisis de subtipos ultra-raros para determinar la carga que representan y mejorar las vías de tratamiento de los pacientes.
- **Sin embargo, a pesar de estas iniciativas, sigue siendo necesario desarrollar más investigación básica sobre sarcomas,** además de financiación para llevarla a cabo.
- **Es probable que el desarrollo de la ERN desempeñe un papel importante para fomentar la recogida de datos reales comparables en distintos centros,** ya que la recogida prospectiva de datos hospitalarios será obligatoria para la acreditación de la ERN.

5 Acceso más rápido a tratamientos eficaces.



Lista de control de políticas: ¿qué se necesita?

- Participación de los pacientes con sarcoma o sus representantes en la evaluación de las tecnologías sanitarias (ETS) y demás vías de acceso

- Recorridos normativos y vías de acceso a tratamientos especiales para cánceres raros

- Concordancia entre las autoridades sanitarias y las agencias de reembolso en cuanto a los requisitos probatorios para el sarcoma y otros cánceres raros

- Un portal nacional de ensayos clínicos que incluya información sobre todos los ensayos clínicos de sarcoma y que esté disponible para el público



¿Por qué esto es importante?

- **Los requisitos para la obtención de registros de tumores y reembolso de terapias oncológicas deberían favorecer a los cánceres raros frente a otras neoplasias más frecuentes**, dada la dificultad que supone obtener datos de ensayos clínicos sobre cánceres raros.
- **La participación de pacientes con sarcoma en las ETS y en otros procesos de toma de decisiones sobre el acceso** a prestaciones sanitario constituye un elemento clave para asegurar que **la evaluación de nuevos tratamientos para un tipo raro de cáncer como el sarcoma se base en lo que más importa a los pacientes** y que se dé prioridad a los tratamientos que pueden marcar la mayor diferencia en el cuidado al paciente. Idealmente, los pacientes también deben poder participar en la etapa de diseño de los ensayos clínicos.
- **Los pacientes con sarcoma a menudo desconocen la posibilidad de participar en ensayos clínicos.** Por ejemplo, una encuesta nacional sobre sarcomas en el Reino Unido reveló que el médico no preguntaba a la mayoría de los pacientes (67 %) si querían participar en un estudio clínico y, en caso de aceptación, la tasa de participación efectiva era baja (22 %).¹¹



¿Cómo lo estamos haciendo en Europa?

- **La Agencia Europea del Medicamento (EMA, en inglés) reconoce la necesidad de una mayor flexibilidad en las vías reguladoras de evaluación de medicamentos** a fin de mejorar el acceso rápido a tratamientos innovadores de los pacientes para los cuales existen pocas alternativas terapéuticas. Esto incluye permitir ensayos clínicos más pequeños y de diseño adaptado para los cánceres raros,²³ agilizar la revisión, la autorización condicional de comercialización y la concesión de licencias adaptables según proceda.^{13 18 24}
- **Lamentablemente, esta flexibilidad no concuerda necesariamente con el reembolso y con las agencias de evaluación de tecnologías sanitarias en la mayoría de los países.** Esto provoca a menudo grandes retrasos, o incluso la negación del acceso a los pacientes en muchos países.^{8 13 14 18}
- En muchos países, los **grupos de pacientes** están liderando iniciativas para intentar reducir las disparidades existentes en el acceso a tratamientos para cánceres raros. Sin embargo, los pacientes no están involucrados en las ETS ni en las decisiones de acceso, salvo en el Reino Unido.
- **Aunque en muchos países existen alternativas de acceso temprano o programas de uso compasivo para determinados medicamentos, estos no se han aplicado necesariamente al sarcoma.**
- **La información de los ensayos clínicos sobre sarcomas está a disposición del público en todos los países,** sin embargo, el acceso a los ensayos clínicos a menudo es limitado para los pacientes que reciben tratamiento en centros de referencia para el sarcoma.

Conclusiones

A pesar de los avances en investigación, gestión y tratamiento de pacientes en los últimos años, los pacientes con sarcoma todavía refieren algunas de las peores experiencias de cuidados entre los pacientes de cáncer.¹¹

Este informe propone cinco áreas clave que requieren el desarrollo de políticas para corregir esta situación. Todos los pacientes con sarcoma deberían tener acceso a una atención especializada en centros de referencia designados. Asimismo, es necesario reforzar los vínculos entre los centros de referencia y los proveedores de atención primaria de la comunidad, de manera que el diagnóstico y la asistencia de alta calidad a los pacientes estén disponibles a lo largo de todo el itinerario de atención sanitaria. Los requisitos normativos y de acceso deberían adaptarse para reflejar la especificidad de los sarcomas, por ejemplo, la dificultad de conducir y analizar resultados a partir de grandes ensayos clínicos. Y por último, los pacientes deberían disponer de acceso a tratamientos innovadores eficaces de la manera más rápida y equitativa posible en todos los países europeos.

Estas recomendaciones son, en gran medida, también aplicables a otros cánceres raros y, por lo tanto, pueden ampliarse para mejorar la situación de otros tumores poco frecuentes. Los cánceres raros representan el 22 % de todos los casos de cáncer en Europa,¹ de manera que la urgencia de mejorar la atención y los resultados de esos pacientes debería ser una prioridad clave en todos los sistemas de salud europeos.



Parte 2:

Perfiles de países



Esta sección contiene 6 perfiles de países correspondientes a Francia, Alemania, Italia, España, Suecia y Reino Unido.

En estos documentos se analiza la manera en que evoluciona cada país en lo que respecta a las cinco recomendaciones que figuran en la Lista de control de políticas relativas al sarcoma.

Los sarcomas en Francia



Cada año, 3526 personas reciben un diagnóstico de sarcoma de partes blandas y viscerales, mientras que 521 personas son diagnosticadas de un sarcoma óseo (datos de 2013).²⁵

Debería haber al menos un centro de referencia designado para los sarcomas en cada país.



Hay **28 centros de referencia** para el sarcoma.²⁶ Tres son centros de coordinación nacional, nueve están designados como centros expertos y dieciséis son centros de referencia.²⁷ Las especialidades de Anatomía Patológica y Oncología disponen de centros de referencia independientes organizados en sus redes respectivas. Los centros de referencia de oncología están organizados en la **Red de referencia clínica francesa para los sarcomas de partes blandas y viscerales (NetSarc)** y en la **Red de referencia francesa para los sarcoma óseos y tumores óseos raros (ResOs)**.^{25 28}

El modelo **NetSarc** ha resultado tener éxito, ya que los resultados de los pacientes tratados por cirujanos y oncólogos expertos de la red NetSarc han sido mejores que los obtenidos fuera de esta red.²⁹ Las organizaciones de pacientes forman parte del comité NetSarc y proporcionan información sobre las áreas de mejora.

Los centros de referencia de anatomía patológica están organizados en la **Red de referencia francesa para anatomía patológica del sarcoma (RRePS)**.²⁸ La RRePS garantiza una revisión de la anatomía patológica por un segundo experto para confirmar el diagnóstico de todos los sarcomas de partes blandas. La red RedOs es tanto una red clínica como anatomopatológica para tumores óseos.^{26 28} Más del 90 % de los pacientes se han beneficiado de una segunda lectura de su informe de anatomía patológica por las redes RRePS y ResOs,²⁶ ya que del 40 % de los primeros diagnósticos histológicos se modificaron después de la segunda lectura, lo cual se tradujo en un tratamiento alternativo.^{17 30}

La acreditación de los centros de referencia se obtiene mediante la autoevaluación y la evaluación externa independiente.^{25 27} No se ha implantado ningún sistema de vigilancia y los centros pueden mantener su acreditación si, por ejemplo, uno de sus principales expertos en sarcoma decide abandonar el centro. Asimismo, la acreditación de un centro se basa principalmente en la experiencia en oncología, no en cirugía, y la calidad de la cirugía del sarcoma varía considerablemente entre los centros de referencia.

Hay pocos cirujanos de sarcoma en Francia, y muchos pacientes con sarcoma son tratados por cirujanos generales que carecen de experiencia en esta enfermedad. Por esta razón, se están manteniendo negociaciones para desarrollar una red nacional de cirugía para el sarcoma para construir una comunidad quirúrgica y asegurarse de que los pacientes con sarcoma solo son operados por cirujanos especializados en sarcomas en centros de referencia.³¹



Todos los especialistas pertinentes deberían recibir formación sobre los sarcomas y la formación sobre cánceres raros debería formar parte del currículo de medicina general.

En Francia existen **directrices para el tratamiento del sarcoma**, si bien su conocimiento profesional no está muy extendido, sobre todo en las zonas rurales. Las directrices de anatomía patológica y radiología exigen que todos los pacientes con sospecha de sarcoma sean remitidos a un comité de tumores y tratados en un centro de referencia.³¹ No existen directrices oficiales para la cirugía del sarcoma.

El **currículo de la facultad de medicina general** no incluye formación sobre cánceres raros pero hay negociaciones en curso en este sentido. Los grupos de pacientes colaboran estrechamente con los centros médicos para mejorar las oportunidades de formación en materia de sarcomas.

El Instituto Gustave Roussy creó el **programa de e-learning** para formar a radiólogos, médicos generales, cirujanos generales y cirujanos sin experiencia en sarcomas. Este programa incluye módulos sobre todos los tipos de sarcoma, con conferencias en línea en vídeo sobre teoría y técnicas y sesiones de preguntas y respuestas con expertos. Además, la escuela de formación de oncología (EFEC) ofrece un curso de desarrollo profesional sobre el sarcoma para todos los profesionales sanitarios.³²

Asimismo, también hay un **curso de formación quirúrgica** sobre sarcomas llamado **e-surge** que proporciona cirugía en directo y formación presencial sobre sarcomas y GIST, y está organizado por diferentes instituciones. Su objetivo es formar a los cirujanos expertos a través de la Netsarc.³³



3

El tratamiento del sarcoma debería estar en manos de un equipo multidisciplinar (EMD) conforme a un protocolo de atención gestionada.



En las guías de la Sociedad Europea de Oncología Médica (European Society for Medical Oncology, ESMO) se sientan las bases del abordaje del sarcoma en Francia.²⁵ La NetSarc también produce y difunde directrices multidisciplinares.^{25 34}

No hay ninguna norma nacional en cuanto a la composición mínima de un EMD, y depende del centro de tratamiento que los pacientes dispongan formalmente de un profesional sanitario de referencia designado. Sin embargo, los pacientes reciben un plan de cuidados personalizado y los casos difíciles se comentan en las reuniones del comité multidisciplinario interregional de expertos.³⁴

4

Es necesario mejorar los incentivos y la inversión en investigación sobre sarcomas.



La **base de datos nacional de sarcomas** recopila los datos clínicos de los pacientes que se comentan en los **comités multidisciplinares sobre sarcomas (RCP)** en los **centros NetSarc**.^{25 28} El **Grupo francés de sarcomas – Grupo de estudio de sarcomas óseos (GSF-GETO)** utiliza esta base de datos para sus investigaciones sobre sarcomas. Además, las redes de anatomía patológica **RRePS y ResOs** tienen un banco de tejidos propio que permite la investigación traslacional.²⁶

En estas bases de datos sobre sarcoma se recogen **datos normalizados** sobre las características de los pacientes y los tumores, la atención y el seguimiento. Los datos de supervivencia generalmente no se registran, aparte de la fecha del fallecimiento. Se ha creado un programa de garantía de la calidad y está prevista la realización de una auditoría externa.²⁵

Debido a la cantidad de datos disponibles a través de estas redes, Francia lidera actualmente la investigación sobre sarcomas en proyectos internacionales sobre el genoma del cáncer.³⁵ Por ejemplo, hay 142 estudios traslacionales que han comenzado o que están en curso en Francia para cánceres raros, y el 49 % de estos estudios están dentro de la NetSarc (datos de 2013).²⁵

InfoSarcomes también ofrece una beca de investigación anual de 15.000 euros para contribuir a la investigación sobre sarcomas.³¹

5

Deberían hacerse esfuerzos para mejorar el acceso a la atención de pacientes con sarcoma en el plano nacional y reducir las desigualdades en el acceso a los nuevos tratamientos.



Se han establecido normas especiales y vías de acceso para los cánceres raros. Hay programas de acceso temprano, como la Autorización Temporal de Utilización (Autorisation Temporaire d'utilisation, ATU), para afecciones potencialmente mortales o para las cuales no existen alternativas terapéuticas. También se puede hacer un seguimiento rápido de las solicitudes de medicamentos que a) son una nueva modalidad terapéutica, b) abordan una necesidad importante no satisfecha o c) tienen una eficacia y tolerabilidad demostradas.³⁶ Las autoridades francesas pueden conceder el ATU a petición del médico de manera individualizada para cada paciente (ATU nominativa) o para un grupo definido de pacientes (ATU para una cohorte).

Los datos obtenidos en un ensayo en fase II o de un solo grupo no se reconocen como prueba suficiente para conceder el reembolso por parte de las autoridades nacionales responsables de precios y reembolsos.

Los pacientes no participan en la evaluación de las tecnologías sanitarias ni en las decisiones de las vías de acceso, pero las organizaciones de pacientes (Info Sarcomes) están tratando de participar en estas decisiones.

Existe un registro de ensayos clínicos, organizado por el Instituto Nacional de Cáncer (INCA), denominado red de ensayos clínicos NetSarc.²⁵ La red NetSarc-ResOs permite el acceso a los ensayos clínicos nacionales. Sin embargo, el acceso a los ensayos clínicos de los pacientes que no son tratados en un centro de referencia de sarcomas aún es limitado.

Enlaces clave

Info Sarcomes: <http://www.infosarcomes.org/>

SOS Desmoide: <http://www.sos-desmoide.asso.fr/>



Los sarcomas en Alemania



En 2013 hubo 3940 casos nuevos de sarcomas de partes blandas (SPB), 860 de sarcomas óseos y aproximadamente 1200 casos de GIST. En ese año, las muertes debidas a sarcomas óseos fueron 385 y 1575 las debidas a SPB.³⁷

1

Debería existir al menos un centro de referencia designado para los sarcomas en cada país.



Hay varios centros de gran volumen que tratan a pacientes con sarcoma en Alemania. Dos de ellos, en Mannheim y en Essen, han solicitado formar parte de la **Red Europea de Centros de Referencia (European Reference Network, ERN)** de tumores sólidos raros, como los sarcomas.

Actualmente, se está desarrollando un sistema de acreditación formal para centros de referencia nacionales para SPB. Dicho sistema se establecerá bajo los auspicios de la Sociedad Alemana de Oncología (Deutsche Krebsgesellschaft e.V., DKD) y con un proceso de certificación OnkoZer. Las primeras acreditaciones se esperan en la primavera de 2018. Sin embargo, no existe ningún proceso de acreditación formal para designar centros de referencia nacionales para sarcomas óseos y GIST. Esto significa que cualquier hospital puede establecer un centro para sarcomas y que los expertos en sarcomas no tienen necesariamente que trabajar en uno de esos centros, lo que dificulta el acceso de los pacientes a los cuidados apropiados.

Por este motivo, las organizaciones de pacientes han adoptado un papel activo para ayudar a los afectados a encontrar centros y especialistas nacionales para el tratamiento de su sarcoma. Concretamente, **Das Lebenshaus** recomienda una lista de centros de gran volumen y de expertos con un enfoque multidisciplinario de los cuidados.³⁸

2

Todos los especialistas pertinentes deberían recibir formación sobre los sarcomas y la formación sobre cánceres raros debería formar parte del currículo de medicina general.



No existe ningún protocolo nacional para la derivación de sarcomas que informe a los profesionales sanitarios sobre los síntomas de alerta o que identifique los pasos para confirmar el diagnóstico inicial y la necesidad de nuevas derivaciones.

Los cánceres raros no forman parte del currículo de medicina general y hay poca conciencia profesional acerca de los sarcomas y sobre cómo diagnosticarlos correctamente. En un estudio alemán sobre la exactitud del diagnóstico del sarcoma, la tasa de error en el diagnóstico principal fue de más del 60 % en servicios de anatomía patológica no especializados.³⁹ Lamentablemente, concienciar sobre los sarcomas y otros cánceres raros a través de la formación de los profesionales sanitarios actualmente no es una prioridad nacional.

También faltan oportunidades de formación especializada en sarcomas para los oncólogos y otros especialistas.

La **Conferencia anual sobre sarcomas** (www.sarkomkonferenz.de) se estableció en 2011 en Alemania para fortalecer la comunidad existente de afectados por sarcomas, proporcionando una plataforma para expertos en medicina, representantes del sector y pacientes de la comunidad de afectados por sarcomas de habla alemana (Alemania, Austria y Suiza) con el fin de compartir conocimientos y experiencias con un foco en la educación y con vistas a facilitar el cambio de las prioridades políticas a nivel nacional.⁴⁰

3

El tratamiento del sarcoma debería estar en manos de un equipo multidisciplinar (EMD) conforme a un itinerario de atención gestionada.



Existen **directrices nacionales para el tratamiento** de los sarcomas de partes blandas (SPB) pediátricos⁴¹ y los sarcomas uterinos,⁴² y se están elaborando directrices nacionales para el tratamiento de los SPB en adultos para 2017-2019.

Actualmente, no se ha especificado la composición mínima de un EMD para sarcomas y la organización asistencial en los EMD varía según el centro. Sin embargo, el tratamiento por parte de un EMD especializado en sarcomas pasará a ser un criterio clave para la acreditación de centros nacionales de referencia para sarcomas en el futuro.

4

Es necesario mejorar los incentivos y la inversión en investigación sobre sarcomas.



No hay **ningún registro nacional de sarcomas** que abarque todos los sarcomas. Sin embargo, se están llevando a cabo las primeras iniciativas para cambiar esta situación. Existe un registro nacional que se centra en los tipos más comunes de tumores, pero los pacientes con sarcoma no están bien documentados en él.

Hay varios grupos nacionales de estudio e investigación sobre el sarcoma. El **Grupo de trabajo interdisciplinar sobre el sarcoma de partes blandas (IAWS)** de la **Sociedad Alemana del Cáncer** participa en la elaboración de directrices clínicas y la realización de la investigación, fomentando la participación en registros, proporcionando formación y colaborando con grupos internacionales de investigación sobre el sarcoma (especialmente con **Cánceres raros Europa, Rare Cancers Europe**).⁴³ El **Grupo interdisciplinar alemán sobre sarcomas (GISG)** también participa en todas estas iniciativas, pero se centra en iniciar ensayos clínicos nacionales y en participar en ensayos clínicos internacionales.⁴⁴ El **Grupo de trabajo de oncología médica (Arbeitsgemeinschaft Internistische Onkologie, AIO) en sarcomas**, formado por oncólogos médicos, también participa en la realización y el desarrollo de ensayos clínicos.

A pesar de estas iniciativas de investigación, en general se necesitan más fondos para la investigación básica sobre sarcomas en Alemania para entender mejor la historia natural del sarcoma y guiar el desarrollo de tratamientos eficaces.

5

Deberían hacerse esfuerzos para mejorar el acceso a la atención de pacientes con sarcoma en el plano nacional y reducir las desigualdades en el acceso a los nuevos tratamientos.



Las organizaciones de pacientes no están involucradas en los procesos de evaluación de tecnologías sanitarias (ETS). No hay vías de acceso especiales para los medicamentos huérfanos, sin embargo, no se exige un expediente completo de reembolso y los medicamentos huérfanos se conceden por ley con una valoración de beneficio añadido.

El **Grupo interdisciplinario alemán sobre sarcomas (GISG)** publica en línea ensayos en curso y terminados en sarcomas y esta información es accesible para los pacientes.⁴⁵ Asimismo, los grupos de apoyo al paciente **Das Lebenshaus** y **SOS Desmoid** proporcionan información en línea sobre ensayos clínicos.^{46 47} Sin embargo, los pacientes deben recibir tratamiento en un centro de referencia para el sarcoma para poder ser reclutados para los ensayos clínicos, por lo tanto, el acceso puede ser problemático.⁴⁸

Enlaces clave

Das Lebenshaus e.V.: www.daslebenshaus.org

SOS Desmoid e.V.: www.sos-desmoid.de

Grupo interdisciplinario alemán sobre sarcomas (GISG): www.gisg.de

Grupo de trabajo de oncología médica (AIO)/STS:

www.aio-portal.de/index.php/ueber-uns-294.html

Deutsche Krebsgesellschaft – Grupo de trabajo en IAWS:

www.krebsgesellschaft.de/deutsche-krebsgesellschaft-wtrl/deutsche-krebsgesellschaft/ueber-uns/organisation/sektion-b-arbeitsgemeinschaften/iaws.html

Conferencia alemana sobre sarcomas – Sarkomkonferenz: www.sarkomkonferenz.de



Los sarcomas en Italia



Los sarcomas tienen una tasa de incidencia de 6 casos por cada 100.000 personas al año, y se estima que existen más de 5883 casos nuevos por año (2015). De ellos, 4072 son sarcomas de partes blandas, 499 son sarcomas óseos, 386 son tumores del estroma gastrointestinal (GIST) y 927 son sarcomas de Kaposi.⁴⁹

1

Debe existir al menos un centro de referencia designado para los sarcomas en cada país.



Se seleccionaron aproximadamente **10 centros de referencia para el sarcoma** en Italia para formar parte de la **Red Europea de Centros de Referencia (ERN) para tumores sólidos raros en adultos, incluidos los sarcomas**.⁵⁰

La **Red italiana de cánceres raros** es una red clínica profesional que conecta los centros de referencia para el sarcoma. Se basa en la colaboración voluntaria de los centros participantes y atiende a una media de 1000 pacientes cada año.⁵¹ Actualmente, la Red carece de un marco de acreditación formal, sin embargo, se está intentando establecer uno.⁴⁹
⁵¹ **Por ejemplo, la Sociedad Italiana de Oncología Quirúrgica (SICO)** está trabajando con diferentes sociedades de oncología para definir criterios para los centros de referencia en la Red italiana de cánceres raros y crear un conjunto de **indicadores de calidad**. Sin embargo, sigue sin respuesta la cuestión de quién será responsable de la acreditación y la evaluación de los centros de referencia en el futuro.⁵²

En 2016 se creó un **grupo de trabajo** formado por el **Ministerio de Salud italiano** y representantes de 20 regiones para determinar la mejor manera de incorporar formalmente la Red italiana de cánceres raros en el Sistema Nacional de Salud.⁵¹ Las deliberaciones continúan, sin embargo, el objetivo es lograr que la Red italiana de cánceres raros se reconozca formalmente dentro de los objetivos de salud nacionales.⁵⁰

2

Todos los especialistas pertinentes deberían recibir formación sobre los sarcomas y la formación sobre cánceres raros debería formar parte del currículo de medicina general.



En general, **las guías de práctica clínica** para los distintos tipos de sarcomas (sarcoma de Ewing,⁵³ osteosarcoma,⁵⁴ SPB Y GIST⁵⁵) recomiendan derivar a centros especializados para el diagnóstico histológico y el tratamiento apropiados.

No existe una capacitación formal en cánceres raros (incluido el sarcoma) dentro del **currículo de medicina general** o de la **formación oncológica**, sin embargo, se están realizando iniciativas para crear programas de capacitación más formales.^{50 52}

La **Escuela Europea de los sarcomas de partes blandas, en su sede de Italia**, ofrece un **programa de formación quirúrgica especializada** para sarcomas.⁵⁶ Esto es importante, ya que, en Italia, los cirujanos son a menudo la primera puerta de entrada de los pacientes con sarcoma. También existen varios programas de intercambio.^{50 57} También se ofrece un curso sobre patología musculoesquelética en el Instituto Ortopedico Rizzoli de Bolonia.⁵⁸

3

El tratamiento del sarcoma debería estar en manos de un equipo multidisciplinar (EMD) conforme a un itinerario de atención gestionada.



Actualmente, la asistencia multidisciplinar no es obligatoria ni está supervisada en Italia, y no se ha definido con claridad la composición de un EMD para sarcomas. Sin embargo, se están incorporando normas y directrices de atención multidisciplinaria en los criterios de acreditación para la designación de centros de referencia en la **Red italiana de cánceres raros**.⁵² La organización asistencial en los EMD también fue un requisito previo para que los centros se considerasen parte de la **Red Europea de Centros de Referencia (ERN)** para tumores sólidos raros en adultos, incluidos los sarcomas, que estará en funcionamiento en 2017.⁵⁰

Los pacientes pueden recibir un plan de cuidados personalizado y disponer de un profesional sanitario de referencia dedicado dependiendo de los recursos del hospital, pero esta norma no se ha hecho obligatoria a nivel nacional.

4

Es necesario mejorar los incentivos y la inversión en investigación sobre sarcomas.



La **Asociación Nacional Italiana de Registros de Cáncer (AIRTUM)** recoge datos de la población sobre el sarcoma (incidencia, prevalencia y supervivencia) de 40 registros de cáncer poblacionales y 5 registros de cáncer especializados.⁴⁹ Cubre el 50 % de la población italiana en 2013 y prevé la colaboración en estudios sobre la epidemiología del cáncer en Italia.⁴⁹ Sin embargo, la base de datos AIRTUM no siempre proporciona información detallada sobre la anatomía patológica y los resultados de los pacientes. **La Red italiana de cánceres raros** tiene su propia base de datos de todos los casos clínicos para teleconsulta, pero no es representativa de todos los casos de sarcoma.⁵⁰

Por lo tanto, existe la necesidad de disponer de **datos hospitalarios prospectivos** sobre el diagnóstico, el tratamiento y los resultados de los pacientes con sarcoma. Actualmente, solo dos centros (Milán y Bolonia) proporcionan este tipo de datos. La recogida obligatoria de datos prospectivos debe incorporarse a los criterios de acreditación de las ERN.⁵²

El **Grupo italiano de sarcomas** lidera las actividades de investigación y de recogida de datos sobre sarcomas en Italia. También existen importantes iniciativas de investigación en sarcomas pediátricos.^{59 60}

5

Deberían hacerse esfuerzos para mejorar el acceso a la atención de pacientes con sarcoma en el plano nacional y reducir las desigualdades en el acceso a los nuevos tratamientos.



No existen mecanismos de acceso acelerado para medicamentos huérfanos para cánceres raros en Italia. El acceso a tratamientos innovadores para afecciones para las cuales no existe un tratamiento alternativo está estipulado por un decreto (N.º 648/96).^{61 62} En teoría, existe un límite de 100 días para las negociaciones de vía rápida de precio y reembolso que, sin embargo, no siempre se respeta. Este decreto todavía no se ha utilizado para medicamentos contra cánceres raros.

Los pacientes no están implicados en la ETS ni en las decisiones sobre la ruta de acceso en Italia.

Se están intentando introducir mejoras a nivel nacional para mejorar el acceso al tratamiento de los cánceres raros. **La Asociación Italiana de Oncología Médica (AIOM)** ha elaborado recomendaciones para mejorar el acceso a la atención de los pacientes con sarcoma y actualmente está trabajando con la **Agencia Italiana de Medicamentos (AIFA)** para reducir la complejidad y el tiempo necesarios para introducir nuevos medicamentos.⁴⁹

En cuanto al acceso a los ensayos clínicos, el **Grupo italiano de sarcomas** ofrece una lista de todos los ensayos sobre sarcoma en curso en Italia, y puede consultarse una lista completa de todos los ensayos clínicos en el sitio web de la Asociación Italiana de oncólogos médicos (AIOM).^{63 64}

Enlaces clave

Grupo Italiano de Sarcomas: <http://www.italiansarcomagroup.org/>



Los sarcomas en España



Se estima que la incidencia de sarcomas de partes blandas (SPB) en España es de 3,1 casos por 100.000 habitantes (2015).⁶⁵

1

Debe existir al menos un centro de referencia designado para los sarcomas en cada país.



El Ministerio de Sanidad español ha aprobado **cinco centros de referencia para el sarcoma (CSUR)** para formar parte de la Red Europea de Centros de Referencia (ERN) para tumores sólidos raros, incluidos los sarcomas: dos en Cataluña, dos en Madrid y uno en Sevilla.^{66 67 68}

Estos centros se seleccionaron sobre la base de los siguientes criterios: atienden a un **número mínimo de pacientes** cada año (80 casos de sarcoma de partes blandas, 10 de sarcomas retroperitoneales y 10-12 de sarcomas óseos),⁶⁷ tienen **estructuras multidisciplinares** adecuadas activas, que incluyen cirujanos, radiólogos, patólogos y oncólogos médicos, todos los cuales contribuyan a los planes de tratamiento, y tienen un **departamento de anatomía patológica** para el diagnóstico.⁶⁶

No hay **ningún sistema de evaluación** actualmente en vigor. Se han debatido planes para desarrollar un nuevo sistema de acreditación, sin embargo, no está claro quién será el responsable de llevar a cabo las evaluaciones.⁶⁷ Es más, las barreras financieras están frenando su ejecución (véase el caso de estudio).



CASO DE ESTUDIO:

la falta de financiación para centros de referencia en España

A pesar de la formalización de los centros de referencia nacionales para sarcomas en España, la falta de financiación es una preocupación permanente, y no se ha asignado un presupuesto adicional para construir y mantener equipos multidisciplinares y servicios pertinentes en estos centros.⁶⁶

Los pacientes a menudo deben viajar a otra Comunidad Autónoma para recibir un tratamiento adecuado. Por ejemplo, a menudo no se reembolsan los costes asociados a los viajes, obligando a los pacientes a pagarlos de su bolsillo. Los oncólogos pueden solicitar el reembolso para sus pacientes, pero este proceso es a menudo lento, y su aprobación no está garantizada.⁶⁷





Todos los especialistas pertinentes deberían recibir formación sobre los sarcomas y la formación sobre cánceres raros debería formar parte del currículo de medicina general.

Existen directrices nacionales de práctica clínica en España que establecen **cuáles son los síntomas de alerta para derivar** los casos de sarcoma a centros de referencia, y recomiendan establecer vías entre los centros primarios y los centros especializados en sarcoma.⁶⁹ Sin embargo, la derivación no es obligatoria y, por lo tanto, los pacientes a menudo reciben tratamiento fuera de esos centros.

El **currículo de la facultad de medicina general** en España difiere en cada universidad, por lo tanto, no todos los licenciados en medicina reciben la misma formación sobre cánceres raros (incluidos los sarcomas), por no hablar de la oncología en general.⁶⁷ Se ofrecen varios **cursos de formación sobre sarcomas** en España para oncólogos y cirujanos, y los grupos de defensa de pacientes con sarcoma están trabajando para mejorar la toma de conciencia entre los profesionales sanitarios (ver el caso de estudio).^{70 71}



CASO DE ESTUDIO:

Iniciativas de formación para sensibilizar sobre los sarcomas

La **Asociación Española de Afectados por Sarcomas (AEAS)** y la **Fundación Mari Paz Jiménez Casado (FMPJC)** están dirigiendo iniciativas de sensibilización y formación sobre los sarcomas a nivel nacional y han puesto en marcha un programa de diagnóstico precoz de sarcomas dirigido a médicos de atención primaria. **La AEAS y la FMPJC** ayudan a derivar a los pacientes a especialistas con experiencia en sarcomas para una segunda opinión de diagnóstico⁷² y tratamiento. Cada año, la **FMPJC** ofrece becas y subvenciones anuales que promueven la formación de médicos e investigadores sobre el sarcoma.^{73 74}

3

El tratamiento del sarcoma debería estar en manos de un equipo multidisciplinario (EMD) conforme a un itinerario de atención gestionada.



Se han elaborado guías de atención multidisciplinar para todos los tipos de sarcoma. **El Grupo Español de Investigación sobre sarcomas (GEIS)** y el **Grupo Español de Oncología (SEOM)** han publicado en 2016 la última actualización de la guía de prácticas clínicas multidisciplinarias para sarcomas de partes blandas.⁷⁵ Según esta guía, los **EMD** deberían incluir como mínimo anatomopatólogos, radiólogos, cirujanos, radioterapeutas y oncólogos médicos.⁶⁹ Actualmente, se están actualizando las guías para GIST y sarcomas óseos.

La **asignación de un profesional sanitario dedicado** y un **plan de cuidados personalizado** para pacientes con sarcoma no es actualmente una prioridad, debido a la limitación de recursos, por lo que la práctica varía en cada hospital. Los planes asistenciales personalizados tienden a ser informales y dependen del profesional sanitario.⁶⁷

4

Es necesario mejorar los incentivos y la inversión en investigación sobre sarcomas.



No hay ningún registro nacional de sarcomas en España y es poco probable que esto constituya una prioridad para el gobierno debido a las limitaciones financieras. La recogida de datos en los centros de sarcomas no tiene carácter obligatorio.

Sin embargo, existen colaboraciones en proyectos de investigación nacionales e internacionales sobre sarcomas, dirigidas por el **Grupo español de investigación en sarcomas (GEIS)**,^{73 76 77} que facilitan la colaboración nacional entre médicos y personal de investigación en España y el extranjero. Hay 70 centros participantes repartidos por toda España, con más de 20 ensayos clínicos colaborativos en curso. El GEIS también promueve la investigación básica y traslacional sobre sarcomas.^{73 76 77}

Además, se creó el **Proyecto Sarcomas Raros** para determinar la carga de los sarcomas raros en España. Los datos recogidos incluyen epidemiología, tipo de tratamiento, muestras de tejidos, anatomía patológica e informes de biopsias. Estos datos se utilizarán para mejorar las vías de tratamiento para los pacientes.⁶⁷

Deberían hacerse esfuerzos para mejorar el acceso a la atención de pacientes con sarcoma en el plano nacional y reducir las desigualdades en el acceso a los nuevos tratamientos.



No hay criterios de evaluación de tecnologías sanitarias específicas para los medicamentos huérfanos. Sin embargo, existe una **solicitud de uso compasivo** de medicamentos que aún no han sido aprobados, que está disponible en algunos hospitales.⁶⁷ Por lo general, el acceso a los medicamentos huérfanos es limitado: una encuesta sobre 60 medicamentos huérfanos reveló que solo un tercio de ellos están disponibles en España, frente al 90 % en Francia, Países Bajos y Dinamarca.⁷⁸

En España, los pacientes no suelen participar en la evaluación de las tecnologías sanitarias (ETS) y en las vías de acceso a tratamientos. Las asociaciones de pacientes también han creado una plataforma conjunta y han dado pasos para mejorar el acceso a medicamentos para el sarcoma. Por ejemplo, la **Fundación Mari Paz Jiménez Casado** proporciona a los pacientes acceso a un equipo jurídico para dar asesoramiento sobre los problemas de acceso a los que se enfrentan.⁶⁷

Una vez que el precio y reembolso se aprueba a nivel nacional, los nuevos tratamientos deben incluirse en cada uno de los 17 formularios autonómicos, y luego cada hospital puede o no llevar a cabo también su propia evaluación. Este sistema de autorización de fármacos puede dar lugar a retrasos significativos y desigualdades entre comunidades autónomas en el acceso a tratamientos nuevos para los pacientes.

La información de ensayos clínicos está disponible para los pacientes en el **sitio web del GEIS** y en el de la **Asociación Española de Afectados por Sarcomas (AEAS)** para sarcomas y GIST.⁷⁹

Enlaces clave

Asociación Española de Afectados por Sarcomas (AEAS): <http://www.aesarcomas.org/>

Fundación Mari Paz Jiménez Casado (FMPJC): <http://www.fundacionmaripazjimenez.org/>

Grupo Español de Investigación en Sarcomas (GEIS): <http://www.grupogeis.org/>



Los sarcomas en Suecia



Se cree que cada año se diagnostican aproximadamente 300 casos de sarcoma, aunque se estima que esta cifra puede ser mayor (400-500 casos) debido al registro insuficiente de casos de tumores del estroma gastrointestinal (GIST).⁸⁰ Hay 70-100 casos de sarcomas óseos, 50 casos de sarcomas viscerales y retroperitoneales y aproximadamente 180-250 casos de otros sarcomas de partes blandas (SPB) al año. Los GIST estarían entre los casos viscerales pero, dado que se calcula que la incidencia de los GIST por sí solos ronda los 12 casos por millón y año, Suecia tiene alrededor de 120 nuevos casos de esta entidad. Además, los sarcomas representan aproximadamente el 10 % de todos los cánceres que afectan a niños y adultos jóvenes.^{80 81}

1

Debe existir al menos un centro de referencia designado para los sarcomas en cada país.



Suecia ha centralizado la atención del sarcoma en cinco de sus seis regiones sanitarias. Existen centros de referencia para el sarcoma en las regiones de Gotemburgo, Linköping, Lund, Estocolmo y Umea.⁸² Uppsala es la única región sanitaria que no ha tenido éxito en la centralización de la atención del sarcoma en un centro de referencia debido a la falta de un comité multidisciplinar de tumores y de traumatólogos en la región. Por lo tanto, los pacientes de Uppsala son derivados a Estocolmo para cirugía, estando los demás tratamientos descentralizados.

Si bien no hay ningún sistema formalizado de **acreditación y supervisión** de los centros de referencia, existe una larga tradición de derivación de pacientes con sarcoma a estos centros.

El **seguimiento de la calidad asistencial** para sarcomas de la pared del tronco y las extremidades se realiza mediante la presentación de informes de datos en línea. La información sobre el tiempo que transcurre desde la derivación hasta el diagnóstico y desde el momento del diagnóstico hasta el tratamiento se recoge a nivel nacional, al igual que la relativa a las decisiones de tratamiento de los EMD y los márgenes quirúrgicos R0.⁸³ Además, se realiza un seguimiento adicional en cada centro de referencia para sarcomas. Por ejemplo, en Lund, un grupo directivo multidisciplinar se reúne al menos tres veces al año para comentar la calidad asistencial y las posibles soluciones de todos los pacientes con sarcoma (p. ej., número de especialistas, formación, recursos, etc.).





Todos los especialistas pertinentes deberían recibir formación sobre los sarcomas y la formación sobre cánceres raros debería formar parte del currículo de medicina general.

La **formación sobre cánceres raros** no constituye una parte obligatoria del currículo médico para los oncólogos, aunque hay un curso obligatorio de tumores óseos y de partes blandas en el currículo del curso de residentes de traumatología que se centra en los signos de alerta del sarcoma y en el proceso de diagnóstico inicial.

Suecia ha liderado el camino en Escandinavia al **crear sencillas pautas de referencia para SPB**⁸⁴ en las que se asesora a los profesionales sanitarios sobre los síntomas **de alerta** de sarcomas y definen **medidas claras para su derivación** a centros de referencia para el sarcoma. Si se sospecha un sarcoma, se recomienda que los profesionales sanitarios consulten directamente a un centro de referencia antes de obtener una biopsia o realizar la cirugía.

Esta **recomendación práctica** permite a los pacientes un acceso rápido a los especialistas en sarcomas y mejora las tasas de derivación, reduce los costes asociados a la recurrencia local y consigue mejores resultados quirúrgicos y mejor evolución de los pacientes.^{84 85} Dependiendo del tipo de sarcoma, entre el 80 y el 100 % de los casos se derivan a centros de referencia antes de la cirugía.^{86 87}

Lamentablemente, los patrones de derivación han tenido menos éxito en los **sarcomas abdominales**. Sin embargo, se están haciendo mejoras al exigir que todos los pacientes con sarcoma retroperitoneal sean operados en tres hospitales suecos a partir de ahora. Asimismo, los pacientes con GIST suelen recibir cirugía y tratamientos oncológicos fuera de un centro de referencia para el sarcoma.

El objetivo del **Grupo escandinavo de sarcomas (SSG)** es conectar a los profesionales escandinavos especialistas en sarcomas y producir colectivamente protocolos, guías y recomendaciones de manera colaborativa con aportaciones multidisciplinares.^{88 89} Los centros de referencia en Suecia están vinculados a centros de referencia en Noruega (Oslo, Bergen, Trondheim y Tromsø) y, en menor medida, a centros de referencia en Finlandia y Dinamarca.

3

El tratamiento del sarcoma debería estar en manos de un equipo multidisciplinario (EMD) conforme a un itinerario de atención gestionada.



Se estima que el 90 % de los pacientes con sarcoma reciben tratamiento por parte de un equipo multidisciplinar.

En la actualidad, los comités interregionales de los **Centros Regionales de Oncología (RCC)**, en colaboración con las **Comunidades y Condados suecos (SKL)**, están desarrollando **itinerarios estandarizados nacionales para los sarcomas**. Sin embargo, la aplicación no se acompaña del aumento del número de profesionales sanitarios para alcanzar los objetivos.

El **Registro de Cáncer** sueco recoge datos sobre todos los pacientes con sarcoma de Suecia e incluye información sobre la involucración de un **comité multidisciplinario de tumores en el plan de tratamiento**, la asignación de una **enfermera de contacto** y la información al paciente sobre su **plan de tratamiento inicial**.⁸¹ También se recogen datos sobre los patrones de derivación, los plazos y las características de los tumores.

4

Es necesario mejorar los incentivos y la inversión en investigación sobre sarcomas.



Los datos de pacientes de todos los centros de referencia para el sarcoma se recogen a nivel nacional en el **Registro de Calidad del Sarcoma, INCA**, como parte del **Registro de Cáncer sueco**. La plataforma INCA tiene cobertura nacional a partir de todas las regiones. Se están celebrando conversaciones para tratar de vincular los datos de pacientes con sarcoma de Suecia con los datos de otros países nórdicos, ya que todos ellos recogen los mismos datos, por lo tanto, pueden combinarse con facilidad. A partir de 2017 se presentará un informe anual conjunto sobre la atención de sarcomas en Escandinavia.

El SSG lidera las colaboraciones de investigación nacionales e internacionales sobre sarcomas en Escandinavia⁹⁰ y ha desempeñado un papel importante en la mejora de la calidad del diagnóstico, anatomía patológica,⁸¹ el tratamiento y la atención médica de los sarcomas y la creación de una plataforma para coordinar las investigaciones básicas y clínicas en todos los países participantes.⁸⁸

5

Deberían hacerse esfuerzos para mejorar el acceso a la atención de pacientes con sarcoma en el plano nacional y reducir las desigualdades en el acceso a los nuevos tratamientos.



No hay criterios de evaluación de tecnologías sanitarias específicas para los medicamentos huérfanos y los pacientes no participan en este proceso. Sin embargo, se está debatiendo si debe aceptarse un mayor coste/AVAC (años de vida ajustados por calidad de vida), así como mayores grados de incertidumbre en las pruebas clínicas de los medicamentos huérfanos debido a la gravedad de la enfermedad y la alta necesidad no satisfecha.

La mayoría de los medicamentos hospitalarios (p. ej., medicamentos para el cáncer basados en infusiones) no se reembolsan a través de la autoridad nacional, es decir, la Agencia Sueca de Beneficios Farmacéuticos (TLV). En lugar de ello, se evalúan a través de **una nueva vía de entrada administrada** que apunta a reducir las desigualdades en el acceso a través de los 21 consejos de condado independientes.

La Agencia Sueca de Servicios de Análisis de Servicios Sanitarios y Asistenciales (Vårdanalys) está investigando esta nueva vía procesal actualmente. La investigación evaluará la totalidad del proceso desde la perspectiva del paciente (es decir, la transparencia, la previsibilidad y la eficacia del proceso). Las conclusiones del informe de la autoridad se introducirán en la recientemente anunciada investigación gubernamental sobre precios farmacéuticos y financiación, cuyo proyecto de informe se presentará en noviembre de 2017 y se terminará a finales de 2018.

Por lo general, el acceso a los ensayos clínicos es bueno, con algunas excepciones en la región de Uppsala, debido a la falta de centros de referencia. Todos los centros de referencia conocen todos los ensayos clínicos puestos en marcha por el SSG.

Enlaces clave

Grupo Escandinavo de Sarcomas: <http://www.ssg-org.net/>

Grupo Escandinavo de Sarcomas para Enfermeras y Fisioterapeutas:
<http://www.ssg-nurses-physiotherapists.org/>



Los sarcomas en el Reino Unido



Cada año, **3800 pacientes reciben un diagnóstico de sarcoma en el Reino Unido**, lo cual representa el 1 % de todos los diagnósticos de cáncer.¹¹

Debe existir al menos un centro de referencia designado para los sarcomas en cada país.



En el Reino Unido existen centros de referencia para todos los tipos de sarcomas. Hay aproximadamente 15 centros especializados en sarcomas en Inglaterra. Gales del Sur cuenta con un centro especializado para sarcomas de partes blandas, siendo todos los demás pacientes con sarcoma de Gales derivados a Inglaterra para su tratamiento. Irlanda del Norte tiene tres hospitales que tratan a pacientes con sarcomas, mientras que Escocia tiene cinco en total, que trabajan como una red única.^{91 92}

No hay **ningún sistema nacional de acreditación formal** para los centros de referencia para el sarcoma y en la actualidad, la acreditación se basa en una comisión de especialistas. Los estándares se establecen en las principales publicaciones del Instituto Nacional para la Excelencia de Salud y Asistencia (National Institute for Health and Care Excellence, NICE) «**Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual (2006)** y en **Sarcoma Quality Standards» (2014)** (véase el recuadro).^{8 12 93} Cada grupo de comisión clínica (CCG) es responsable de garantizar que los centros de referencia sean accesibles a toda la población del RU y de que actúen en cumplimiento de estos estándares nacionales.⁹⁴

No hay **ningún sistema de evaluación formalizado** en vigor que permita valorar de manera coherente la calidad asistencial en los centros de referencia para el sarcoma. Sin embargo, el **National Cancer Peer Review-National Cancer Action Team** está desarrollando un programa de evaluación de la calidad basado en la publicación **Sarcoma Measures**.⁹³

Los estándares de calidad de sarcomas del NICE establecen las expectativas de calidad asistencial de los centros para el sarcoma.⁹³

Declaración 1. Los grupos consultivos de sarcoma y los equipos multidisciplinares (EMD) de sarcomas tienen vías de derivación y diagnóstico disponibles para casos de sospecha de sarcoma.

Declaración 2. Un EMD para sarcomas confirma el plan de cuidados para adultos, niños y jóvenes con sarcomas óseos y adultos con sarcomas de partes blandas, y los servicios que designe el grupo asesor de sarcomas serán los que administren el tratamiento.

Declaración 3. Los EMD para sarcomas publican información sobre sus itinerarios compartidos, la actividad y los resultados de los pacientes, incluida la información sobre los sarcomas de localizaciones específicas.

Declaración 4. Antes de recibir ningún tratamiento, las personas con un sarcoma retroperitoneal se derivan a un centro de tratamiento de sarcomas con experiencia particular en la gestión de este tipo de tumores.

Declaración 5. Los cirujanos que realizan resecciones programadas de sarcomas son miembros del equipo central o ampliado de un EMD de sarcomas.

Declaración 6. Las personas con sarcomas se apoyan en un profesional de referencia asignado con conocimientos especializados en los sarcomas y su tratamiento.



Todos los especialistas pertinentes deberían recibir formación sobre los sarcomas y la formación sobre cánceres raros debería formar parte del currículo de medicina general.

Se han establecido **criterios de referencia** para todos los sarcomas que informan a los profesionales sanitarios sobre los **síntomas de alerta de sarcomas** que justifican la derivación a un centro de referencia.^{91 95 96} Además, se ha subrayado la importancia de un diagnóstico precoz del cáncer en varias publicaciones nacionales clave del NICE.^{8 12 97}

El **currículo médico general** no incluye módulos sobre sarcomas o cánceres raros, y la formación en estos temas depende en gran medida de cada facultad de medicina. Sin embargo, hay una muy buena disponibilidad de formación especializada en sarcomas en el Reino Unido, con mucho personal extranjero en comisión de servicio.

Una mayor formación podría beneficiar a los pacientes con sarcoma, dado que los diagnósticos tardíos y erróneos persisten en el Reino Unido. Según la Encuesta a Pacientes con sarcomas, solo el 20 % de los pacientes fueron informados por su médico general (MG) o médico de urgencias de que podrían tener un sarcoma, y el 27 % de los pacientes que acudieron a su MG iniciaron un tratamiento para otra afección, o se les informó de que sus síntomas no eran graves.¹¹

Las dos iniciativas que se han establecido para sensibilizar más a los médicos generalistas de los síntomas del sarcoma y alentar la derivación temprana incluyen la campaña «On the ball» (ver caso de estudio) y el programa «Awareness & Suspicion for Sarcoma», que está acreditado por el British Medical Journal y que enseña a los médicos a diagnosticar correctamente los sarcomas.



CASO DE ESTUDIO:

sensibilización de sarcomas con la campaña «On the ball» de Sarcoma UK

Caso de estudio: sensibilización de sarcomas con la campaña «On the ball» de Sarcoma UK

La campaña de sensibilización pública «On the ball» dirigida por Sarcoma UK pretende educar a los MG para que puedan identificar antes los sarcomas.⁹⁸

Los lotes «On the ball» contienen un llavero hecho con una bola de golf con el mensaje «Is it sarcoma?» (¿Es un sarcoma?) para hacer las veces de recordatorio visual para los MG respecto de los signos de alerta del sarcoma, así como un kit de herramientas de diagnóstico con una hoja de información clínica sobre los sarcomas, los signos de alerta del sarcoma y la necesidad de derivar a los pacientes de sarcoma directamente a centros especializados para su diagnóstico y tratamiento.^{92 99}

Hasta la fecha se han entregado más de 1600 lotes «On the ball».⁹⁹



3

El tratamiento del sarcoma debería estar en manos de un equipo multidisciplinar (EMD) conforme a un itinerario de atención gestionada.



Existen directrices en el Reino Unido para el tratamiento de todos los tipos de sarcoma.^{91 95 96} En ellas, se especifica la necesidad de equipos multidisciplinarios, personal sanitario de referencia para los pacientes, tratamientos basados en la evidencia en centros para el sarcoma y planes de cuidados personalizados para los pacientes.^{91 95} En general, se reconoce la importancia de un enfoque de EMD y parece estar aplicándose ampliamente en los pacientes con sarcoma. En 2015, el 90 % de los pacientes con sarcomas recibió tratamiento por parte de un EMD en el Reino Unido.⁸

Sin embargo, queda todavía mucho por hacer para garantizar que todos los pacientes reciben planes de atención personalizada. Según la Encuesta a pacientes con sarcomas, solo el 48 % de ellos recibieron un plan con toda la información sobre su tratamiento y el 40 % afirmó no haber recibido ningún plan de cuidados personalizado.¹¹

4

Es necesario mejorar los incentivos y la inversión en investigación sobre sarcomas.



No hay ningún **registro de sarcomas que abarque todo el Reino Unido**. Sin embargo, el Servicio Nacional de Registro y Análisis de Cáncer (National Cancer Registration and Analysis Service, NCRAS) coordina 8 registros regionales y el registro es obligatorio para todos los hospitales del NHS, aunque no para los tratamientos privados. Hay un conjunto de datos nacionales sobre sarcomas. Se recogen datos sobre tratamientos, tales como el uso de quimioterapia y radioterapia. Todos los datos se contrastan con los datos nacionales sobre muertes para dar una imagen completa de cuándo se diagnosticaron y cómo fueron tratados los pacientes, así como la fecha de su muerte.

No existen incentivos gubernamentales para la investigación en enfermedades raras.⁹⁴ No obstante, Sarcoma UK financia diversos proyectos de investigación y desde 2009 ha concedido más de 1 millón de libras en becas de investigación médica para mejorar el conocimiento de los sarcomas.¹⁰⁰

La inversión voluntaria en investigación de sarcomas es de más de 4 millones de libras al año y sigue creciendo. Hay una serie de **colaboraciones de investigación** entre organizaciones benéficas, universidades, unidades clínicas, ONG (Cancer Research UK, Sarcoma UK, Bone Cancer Research Trust) y el gobierno, con fondos disponibles a través del Instituto Nacional de Investigación en Salud (National Institute for Health Research, NIHR) y el Consejo de Investigación Médica (Medical Research Council, MRC).⁹⁴

5

Deberían hacerse esfuerzos para mejorar el acceso a la atención de pacientes con sarcoma en el plano nacional y reducir las desigualdades en el acceso a los nuevos tratamientos.



Se han establecido normas reguladoras o vías de acceso especiales para los cánceres raros. El proceso de medicamentos ultrahuérfanos del NICE se desarrolló a partir de la valoración de un fármaco para el sarcoma, sin embargo, se han aprobado tratamientos recientes a través del Fondo de medicamentos contra el cáncer.^{94 101 102} Los pacientes con sarcoma pueden participar, y han estado implicados, en el proceso de evaluación y orientación de fármacos del NICE.⁹⁴

Los ensayos clínicos en sarcomas y los ensayos que están abiertos a pacientes con sarcomas están disponibles en línea a través del Portal de Ensayos Clínicos del Reino Unido.¹⁰³ Sin embargo, los pacientes con sarcoma pueden estar **mal informados acerca de las opciones de ensayos clínicos:** el 67 % de los pacientes de la encuesta de pacientes con sarcoma refirió que no les habían preguntado si les gustaría participar en un ensayo clínico, y solo el 22 % de los pacientes participó en uno de ellos.¹¹

Enlaces clave

Sarcoma UK: <https://sarcoma.org.uk/>





Bibliografía:

1. Gatta G, Van der Zwan JM, Casali PG, *et al.* Rare cancers are not so rare: The rare cancer burden in Europe. *European Journal of Cancer* 2011;47(17):2493-511.
2. Rare Cancers Europe (RCE). About rare cancers 2016. Available from: <http://www.rarecancerseurope.org/About-Rare-Cancers>
3. Rare Cancers Europe (RCE). Joint Action on Rare Cancers Kick Off Meeting 2016. Available from: <http://rarecancerseurope.org/Events/Joint-Action-on-Rare-Cancers-Kick-Off-Meeting>
4. Fletcher C, Bridge JA, Hogendoorn P, *et al.* WHO Classification of Tumours of Soft Tissue and Bone. Fourth Edition. WHO Classification of Tumours, 2013:468.
5. Cancer Research UK. About Sarcomas 2016. Available from: <http://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/type/sarcoma/about/about-sarcomas#YxpbR62XBff7D1h4.97>
6. Stiller CA, Trama A, Serraino D, *et al.* Descriptive epidemiology of sarcomas in Europe: report from the RARECARE project. *European Journal of Cancer* 2013;49(3):684-95.
7. Sharma S, Takyar S, Manson SC, *et al.* Efficacy and safety of pharmacological interventions in second- or later-line treatment of patients with advanced soft tissue sarcoma: a systematic review. *BMC Cancer* 2013;13(1):1-21.
8. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual. NICE Guidance on Cancer Services: Developed by the National Collaborating Centre for Cancer, 2006:142.
9. Zagars GK, Ballo MT, Pisters PWT, *et al.* Prognostic factors for patients with localized soft-tissue sarcoma treated with conservation surgery and radiation therapy. *Cancer* 2003;97(10):2530-43.
10. Cancer Research UK. Survival statistics for soft tissue sarcomas 2016. Available from: <http://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/type/sarcoma/treatment/statistics-and-outlook-for-soft-tissue-sarcoma>
11. Sarcoma UK. The National Sarcoma Survey, Transforming Patient Experience, 2015:35.
12. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Sarcoma Quality Standards. 2015:38.
13. European Society for Medical Oncology (ESMO). Improving Rare Cancer Care in Europe: Recommendations on Stakeholder Actions and Public Policies. 2010:10.
14. RARECARENet. Country Report Bulgaria 2016. Available from: http://www.rarecarenet.eu/rarecarenet/images/Resources/National_Conferences/RARECARENet_country_report_-_BULGARIA_-_TRANSLATED.pdf
15. European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD). Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States 2011:13.
16. Rare Cancers Europe (RCE). Rare Cancer Patient Toolkit: Speak up for rare cancer. 2016:19.
17. Ray-Coquard I, Montesco MC, Coindre JM, *et al.* Sarcoma: concordance between initial diagnosis and centralized expert review in a population-based study within three European regions. *Annals of Oncology* 2012;23:2442-49.
18. European Society for Medical Oncology (ESMO). Statement on the council recommendation on rare diseases: ESMO, 2008.
19. Sarcoma Patients EuroNet (SPAEN). Sarcoma Patient Pathway Analysis and Recommendations for Service Development. 2016. Available from: www.sarcoma-patients.eu
20. Andritsch E, Beishonb M, Bielack S, *et al.* ESMO Essential Requirements for Quality Cancer Care: Soft Tissue Sarcoma in Adults and Bone Sarcoma. A critical review. *Critical Reviews in Oncology/Hematology* 2017:94-105.
21. European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD). Recommendations on Rare Disease European Reference Networks (RD ERNS). 2013:18.
22. The Council of the European Union. Council Recommendation of June 8 2009 on an action in the field of rare diseases: Official Journal of the European Union, 2009:7-10.
23. Ashley D, Thomas D, Gore L, *et al.* Accepting risk in the acceleration of drug development for rare cancers. *Lancet Oncology* 2015;16:4.
24. Casali PG, Bruzzi P, Bogaerts J, *et al.* Rare Cancers Europe (RCE) methodological recommendations for clinical studies in rare cancers: a European consensus position paper. *Annals of Oncology* 2015;26(2):300-6.
25. Institut National Du Cancer. French national networks for rare cancers in adults: review and outlook 2014. 2015.
26. Coindre JM, Ducimetiere F, Mathoulin-Péllissier S, *et al.* Management of soft tissue sarcoma in France - a retrospective analysis of the french clinical biological sarcoma database (GSF-GETO) [abstract]. 2015.
27. Dumont S. Epidémiologie des Sarcomes Réseaux de Référence, unpublished data on file. 2016
28. NetSarc-ResOs. Réseaux de référence Cliniques 2016. Available from: <https://netsarc.sarcomabcb.org/>
29. Blay JY, Le Cesne A, Penel N, *et al.* Improved Sarcoma Management in a National Network of Reference Centers: Analysis of the NetSarc Network on 13,454 Patients Treated Between 2010 and 2014. *Journal of Clinical Oncology* 2016;34.
30. Lurkin A, Ducimetière F, Vince DR, *et al.* Epidemiological evaluation of concordance between initial diagnosis and central pathology review in a comprehensive and prospective series of sarcoma patients in the Rhone-Alpes region. *BMC Cancer* 2010;10(1):1-12.

31. Dumont S. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
32. Ecole de Formation En Cancérologie. Liste offre formations cancerologie 2017. Available from: http://www.efec.eu/wp-content/uploads/2016/10/EFEC-2017-LISTE-OFFRE-FORMATIONS-CANCEROLOGIE-DPC_Web.pdf
33. Connective Tissue Oncology Society (CTOS). Programme e-surge 2016. Available from: <https://www.ctos.org/Portals/0/PDF/Programme%20e-surge%20-%202016%20Final.pdf>
34. Ligier K, Maynou C, Leroy X, *et al.* Improvement of the initial management of sarcomas after the dissemination of evidence-based guidelines depends on the primary sarcoma location: a population-based study. *BMC Cancer* 2015;15:218.
35. International cancer genome consortium. Cancer genome projects - France 2016. Available from: <https://icgc.org/icgc/cgp/60/355/1002113>
36. Tordrup D. Autorisations temporaires d'utilisation (ATU). *RARE Journal* 2014;1(3):83-97.
37. Center for Cancer Registry Data - Federal Statistical Office. Report on Cancer in Germany 2016: Number of Cancer Neoplasms and Deaths in Germany 2013.P21.
38. Das Lebenshaus. Interdisziplinäre Sarkom-Zentren: Denn Sarkome gehören in Experten-Hände! Wissenswert, 2010:19-23.
39. Lehnhardt M, Daigeler A, Homann HH, *et al.* Importance of specialized centers in diagnosis and treatment of extremity-soft tissue sarcomas. Review of 603 cases. *Chirurg* 2009;80(4):341-7.
40. Sarkom Konferenz. Sarkomkonferenz 2016. Available from: <http://www.sarkomkonferenz.de/index.php/sarkomkonferenz-2017/zertifizierung>
41. Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie. Weichteilsarkome. Leitlinie der Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie, 2011.
42. Deutsche Gesellschaft für Gynäkologie und Geburtshilfe. Leitlinienprogramm- Uterine Sarkome, 2015.
43. Deutsche Krebsgesellschaft. Interdisziplinäre AG Weichteilsarkome 2016. Available from: <https://www.krebsgesellschaft.de/deutsche-krebsgesellschaft-wtrl/deutsche-krebsgesellschaft/ueber-uns/organisation/sektion-b-arbeitsgemeinschaften/iaws.html>
44. German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG). German Interdisciplinary Sarcoma Group. 2016.
45. German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG). Studien unter GISG. 2016.
46. Das Lebenshaus. Krebserkrankungen erforschen 2015. Available from: <http://www.daslebenshaus.org/studienallgemein>
47. SOS desmoid. 2016. Available from: <http://www.sos-desmoid.de/>
48. Rüsseler A, Brors B, Fischer T, *et al.* Molekularpathologie von Sarkomen- Erste Ergebnisse des Sarkomforschungsverbundes KoSar. *Der Pathologe* 2010;Suppl 2(31):211-14.
49. Busco S, Buzzoni C, Mallone S, *et al.* Italian cancer figures report 2015: The burden of rare cancers in Italy. *Epidemiologia & Prevenzione* 2016;40(1 Suppl 2):1-120.
50. Casali P. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
51. Trama A, Mallone S, Ferretti S, *et al.* The burden of rare cancers in Italy: the surveillance of rare cancers in Italy (RITA) project. *Tumori* 2012;98(5):550-8.
52. Gronchi A. Stakeholder interview with Wait S, 2016.
53. Italian sarcoma group and alleanza contro il cancro. Linea Guida per il Trattamento del Sarcoma di Ewing 2010. Available from: http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida_ewing_.pdf
54. Italian sarcoma group and alleanza contro il cancro. Linea Guida per il Trattamento dell'Osteosarcoma 2009. Available from: http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida_osteosarcoma.pdf
55. Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM). Linee Guida per il trattamento di sarcomi dei tessuti molli e GIST, 2015.
56. European Society of Surgical Oncology (ESSO). European School of Soft Tissue Sarcoma 2016. Available from: <http://www.essoweb.org/european-school-of-sts/>
57. Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori. Struttura Semplice Chirurgia dei Sarcomi, Attività Didattica 2016. Available from: <http://www.istitutotumori.mi.it/modules.php?name=Content&pa=showpage&pid=792>
58. Istituto Ortopedico Rizzoli B, Italy. Course on Musculoskeletal Pathology 2016. Available from: <http://www.italiansarcomagroup.org/wp-content/uploads/2015/12/Preliminary-Program-XXIX-COURSE-2016.pdf>
59. Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica. Gruppi di lavoro - sarcomi delle parti molli 2016. Available from: <http://www.aieop.org/web/index.php?q=node/385>
60. Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica. Gruppi di lavoro, sarcomi ossei 2016. Available from: <http://www.aieop.org/web/index.php?q=node/386>
61. The Italian Medicines Agency (AIFA). Pricing and reimbursement 2016. Available from: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/en/content/pricing-and-reimbursement>
62. The Italian Medicines Agency (AIFA). Legge 648/96 2016. Available from: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/legge-64896>
63. Italian sarcoma group. Studi clinici 2016. Available from: <http://www.italiansarcomagroup.org/studi-clinici/>
64. The Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM). studi clinici 2016. Available from: <http://www.aiom.it/studi-clinici/1,108,1>,
65. Nersesyan K, Robinson D, Pomerantz D. Epidemiology and treatment of soft tissue sarcoma in the EU5. ISPOR 18th Annual European Congress 7-11 November 2015. Milan, 2015.
66. Valverde C. "Surgery remains the key in addressing sarcomas" *Gaceta Medica*; 2016. Available from: <http://www.gacetamedica.com/portada/la-cirurgia-sigue-siendo-la-clave-en-el-abordaje-de-los-sarcomas-HD489889#printAcUrlSection>

67. Valverde C. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
68. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Centres, Services and Units Reference (CSUR), 2016. Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/quienes-somos/centros-de-referencia>
69. Garcia del Muro X, de Alava E, Artigas V, et al. Clinical practice guidelines for the diagnosis and treatment of patients with soft tissue sarcoma by the Spanish group for research in sarcomas (GEIS). *Cancer chemotherapy and pharmacology* 2016;77(1):133-46.
70. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Advanced Course Sarcomas. 2016
71. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Master's Degree in Musculoskeletal Tumors 2016. Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/actividad-cientifica/formacion/master-de-sarcomas>
72. Sarcoma Patients Euronet (SPAEN). 20th of September - Sarcoma National Day in Spain SPAEN; 2014. Available from: <http://www.sarcoma-patients.eu/index.php/28-spaen/home/259-20th-of-september-sarcoma-national-day-in-spain>
73. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Mission, vision and values 2016. Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/quienes-somos/mision-vision-y-valores>
74. Angeles Diaz M. Together we stand, we learn, strengthen us. LillyPad; 2016. Available from: <https://lillypad.es/entry.php?e=162&n=entre-todos-nos-apoyamos-nos-informamos-nos-fortalecemos#>
75. López-Pousa A, Martin Broto J, Martinez Trufero J, et al. SEOM Clinical Guideline of management of soft-tissue sarcoma (2016). *Clinical and translational oncology* 2016;18:1213–20.
76. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). GEIS structure 2016. Available from: http://www.ctu.mrc.ac.uk/euramos/main_site_content_pages/images_and_documents/Bone%20Planning%20Meeting%20ESF/Presentations/Day2_b_GroupStructures/GEIS_Structure_MartinBroto.pdf
77. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Spanish Sarcoma Research Group Portal 2016. Available from: <http://www.geisgroup.org/>
78. Tordrup D, Tzouma V, Kanavos P. Orphan drug considerations in Health Technology Assessment in eight European countries. *International Journal of Public Health* 2014;1(3):15.
79. The Sarcoma Patients Spanish Association (AEAS). Clinical Trials 2016. Available from: <http://www.aesarcomas.org/es/ensayos-clinicos>
80. Styring E. Sarcoma Cancercentrum; 2016. Available from: <http://www.cancercentrum.se/samverkan/cancerdiagnoser/sarkom/>
81. Styring E. Manual. The national quality register for Sarcomas of the extremities and trunk wall.: Regional Cancercentrum I Samverkan, 2015.
82. Bauer HCF, Alvegard TA, Berlin O, et al. The Scandinavian Sarcoma Group Register 1986-2001,. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2009
83. OCSYD. Kvalitetsuppföljning, RCC Syd, senast uppdaterad 2016-12-07 ocsyd; 2016. Available from: <http://www.ocsyd.se/kvalitetsdata/webrapport/>
84. Styring E, Billing V, Hartman L, et al. Simple guidelines for efficient referral of soft-tissue sarcomas: a population-based evaluation of adherence to guidelines and referral patterns. *The Journal of Bone & Joint Surgery* 2012;94(14):1291-6.
85. Trovik CS. Local recurrence of soft tissue sarcoma. A Scandinavian Sarcoma Group Project. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2001;72(300):1-31.
86. Alvegård TA, Bauer H, Blomqvist C, et al. The Scandinavian Sarcoma Group—background, organization and the SSG Register—the first 25 years. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2004;75(sup311):1-7.
87. Rydholm A. Centralization of soft tissue sarcoma. The southern Sweden experience. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 1997;273:4-8.
88. Alvegard T, Sundby Hall K, Bauer H, et al. The Scandinavian Sarcoma Group: 30 years' experience. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2009;80(334):1-104.
89. Scandinavian Sarcoma Group (SSG). Treatment protocols and recommendations - sarcoma 2016. Available from: <http://www.ssg-org.net/treatment-protocols-and-recommendations/ongoing>
90. Scandinavian Sarcoma Group (SSG). BYLAWS 2016. Available from: <http://www.ssg-org.net/om>
91. Grimer R, Athanasou N, Gerrand C, et al. UK Guidelines for the Management of Bone Sarcomas 2010. Available from: https://sarcoma.org.uk/sites/default/files/bsg_bone_guideline_in_sarcoma.pdf
92. Sarcoma UK. Sarcoma Specialist Centres 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/health-professionals/sarcoma-specialist-centres>
93. National Cancer Peer Review-National Cancer Action Team. Sarcoma Measures. In: Health, ed., 2011.
94. Wilson R. Stakeholder interview with Wait S, 2016.
95. Grimer R, Judson I, Peake D, et al. Guidelines for the management of soft tissue sarcomas 2010. Available from: http://www.swscn.org.uk/wp/wp-content/uploads/2014/11/UK_Guidelines_For_The_Management_of_Soft_Tissue_Sarcomas.pdf
96. Reid R, Bulusu R, Carroll N, et al. Guidelines for the Management of Gastrointestinal Stromal Tumours (GIST) 2009. Available from: http://www.augis.org/wp-content/uploads/2014/05/GIST_Management_Guidelines_180809.pdf
97. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Suspected cancer: recognition and referral [Guidelines]. 2015. Available from: <https://www.nice.org.uk/guidance/ng12/resources/suspected-cancer-recognition-and-referral-1837268071621>
98. Sarcoma UK. About 'On The Ball' 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/get-involved/other-ways-get-involved/order-ball-pack/about-ball>
99. Sarcoma UK. Order your 'On the Ball' pack 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/get-involved/other-ways-get-involved/about-ball/order-your-ball-pack>
100. Sarcoma UK. Research 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/research>
101. Tordrup D. NICE highly specialised technologies guidance. *RARE Journal* 2014;1(3):83-97.
102. NHS Commissioning Board. Interim Commissioning Policy: Individual funding requests, 2016.
103. National Institute for Health Research. UK Clinical Trials Gateway 2016. Available from: <https://www.ukctg.nihr.ac.uk>



Un grupo de destacados representantes de organizaciones de pacientes, expertos clínicos e industria farmacéutica ha desarrollado una Lista de requisitos de políticas que favorezcan el manejo de sarcoma en Europa. Este proyecto fue iniciado y financiado por Lilly.

Para obtener una copia del informe, visite: www.sarcoma-patients.eu