

**Core  
Outcome  
Set**



# Delphi Survey

**Pacientes con CTD y GAMT, cuidadores,  
profesionales de la salud y asesores de políticas:  
¡QUEREMOS SABER SU OPINIÓN!**



Investigadores de todo el mundo están estudiando tratamientos para mejorar la atención de las personas con deficiencia del transportador de creatina (CTD, por sus siglas en inglés) y deficiencia de GAMT (GAMT). Esos proyectos de investigación deben medir los parámetros apropiados para estos trastornos.

## ¿CUÁLES SON LOS PARÁMETROS?

- Los parámetros pueden incluir cómo se siente alguien, qué puede hacer, síntomas observables o parámetros de pruebas de laboratorio.
- Los parámetros se usan para determinar si un tratamiento es efectivo o no.

## ¿QUÉ ES UN CONJUNTO DE PARÁMETROS BÁSICOS (COS, POR SUS SIGLAS EN INGLÉS) Y POR QUÉ SE USA UN COS?

- Un 'conjunto de parámetros básicos' es un pequeño conjunto de parámetros que se establecen como importantes, y que deben recopilarse, en cada estudio de investigación de la misma enfermedad.
- Un COS establecido evita que los estudios midan muy pocos parámetros o parámetros inapropiados para el trastorno. Se espera que se informen todos los parámetros en el COS.

## ¿POR QUÉ ES IMPORTANTE UN COS?

- Si los investigadores miden diferentes parámetros, es difícil comparar y contrastar la efectividad de las intervenciones o tratamientos.
- Un COS nos ayudará a comparar los estudios de CTD y deficiencia de GAMT para identificar qué tratamientos funcionan mejor.

¡Los investigadores están desarrollando un conjunto de parámetros básicos para la CTD y la deficiencia de GAMT y necesitamos su opinión!  
¡Queremos saber qué parámetros son importantes para usted!



# Delphi Survey FAQs

## ¿CÓMO PUEDO CONTRIBUIR?

En varias series de una encuesta en línea, le mostraremos una lista de parámetros relacionados con la CTD y la deficiencia de GAMT y le pediremos que califique la importancia que tiene cada resultado para usted. La encuesta estará disponible en inglés, francés y español. Como una comunidad de enfermedades raras, necesitamos que participen tantos pacientes, cuidadores y médicos como sea posible.

## ¿QUIÉN ES ELEGIBLE?

- Un adulto (18 años o más) con diagnóstico de CTD o deficiencia de GAMT
- Un padre, madre u otro cuidador adulto de una persona con diagnóstico de CTD o deficiencia de GAMT
- Un profesional de la salud o apoyo adicional (por ejemplo, genetista, dietista, maestro, fisioterapeuta, trabajador social) que atiende a pacientes con CTD o deficiencia de GAMT
- Asesor de políticas de salud (por ejemplo, FDA)
- Científico de laboratorio y/o investigación

## ¿CUÁL ES EL COMPROMISO DE TIEMPO?

- Se le pedirá que complete 2-3 encuestas dentro de los próximos 3-5 meses.
- Cada encuesta tardará aproximadamente 1 hora en completarse.
- Después de que complete cada encuesta, ingresará en un sorteo para ganar:
  - Una de las cinco tarjetas de regalo de Amazon valoradas en \$50 USD para la primera serie de la encuesta
  - Una de las cinco tarjetas de regalo de Amazon valoradas en \$75 USD para la segunda serie de la encuesta
  - Una de las cinco tarjetas de regalo de Amazon valoradas en \$75 USD para la tercera serie de la encuesta, si es necesario

## ¿DÓNDE PUEDO OBTENER MÁS INFORMACIÓN? ¿CUÁNDO PUEDO ACCEDER A LA ENCUESTA?

La primera encuesta de Delphi se publicará en enero de 2023. Obtenga más información en: [creatineinfo.org/cos](http://creatineinfo.org/cos).

## ¿TIENE PREGUNTAS?

Envíe un correo electrónico a Emily a [registry@creatineinfo.org](mailto:registry@creatineinfo.org)

