



Conceptos básicos de los ensayos clínicos

Guía para la familia



INTRODUCCIÓN

Los ensayos clínicos ayudan a los investigadores a resolver interrogantes médicos importantes y brindan información que puede servir para el desarrollo de opciones de tratamiento en el futuro. Para muchas personas, participar en un ensayo clínico puede ser una alternativa para tener en cuenta.

Los ensayos clínicos se realizan para determinar si tratamientos en etapa de investigación (como fármacos, procedimientos o dispositivos médicos nuevos) son seguros y eficaces. En este folleto se explica qué es un ensayo clínico y qué puede implicar para ayudarle a tomar una decisión fundamentada con respecto a su participación.



Si después de leer este folleto tiene preguntas o quiere informarse más, hable con su médico.

Los ensayos clínicos en líneas generales

Los ensayos clínicos se realizan para evaluar fármacos en etapa de investigación con el fin de que las autoridades reguladoras puedan decidir si se pueden aprobar para su uso como tratamiento. Los investigadores deben demostrar desde el punto de vista científico que un fármaco en etapa de investigación es seguro y eficaz para que sea aprobado.

Es posible que los investigadores prueben un fármaco en etapa de investigación:

- en diferentes dosis o por diferentes períodos
- en comparación con un tratamiento estándar (aprobado)
- en comparación con un placebo (una sustancia inactiva diseñada para no tener ningún efecto en la salud)
- por sí solo

La participación en un ensayo clínico es voluntaria. Usted puede retirarse en cualquier momento y por cualquier motivo (o sin ningún motivo en absoluto) y su decisión de hacerlo no afectará la atención que pueda estar recibiendo ahora o que pueda recibir en el futuro.

Glosario de términos

En este folleto se emplean muchos términos que usted tal vez no conozca bien. Si le gustaría saber más sobre algunos de ellos, consulte el Glosario de términos al final de este folleto.





DISEÑO DE LOS ENSAYOS CLÍNICOS

El patrocinador del ensayo clínico (normalmente una empresa de dispositivos médicos o una compañía farmacéutica o biotecnológica) y la autoridad reguladora definen en consenso el diseño de un ensayo clínico. La autoridad reguladora debe revisar y aprobar el diseño y verificar que cumpla con las normas y leyes nacionales para la realización de un ensayo clínico.

El diseño de un ensayo clínico implica una planificación detallada y exhaustiva. Puede incluir el aporte de médicos, organizaciones de defensa y pacientes para ayudar a corroborar que las preguntas que se formulan tienen sentido para las personas que viven con la enfermedad. La duración y el tamaño de un ensayo clínico también se evalúan cuidadosamente para garantizar que responda los interrogantes específicos de la investigación.



Tipos de ensayos clínicos

Hay dos tipos principales de ensayos clínicos. Los ensayos intervencionistas se realizan para determinar si un tratamiento en etapa de investigación o una nueva forma de utilizar un tratamiento aprobado son seguros y eficaces. Los ensayos observacionales no implican el uso de un tratamiento en etapa de investigación. En su lugar, los investigadores se concentran en recopilar datos sobre la enfermedad. Es posible que los investigadores utilicen los datos en el futuro para contribuir al desarrollo de posibles tratamientos nuevos.

¿QUÉ ES UN PROTOCOLO?

Todos los ensayos clínicos siguen un plan detallado, llamado “protocolo”. Explica el objetivo del ensayo, así como también muchos detalles sobre cómo se realizará. Incluye información sobre:

El motivo por el cual se realiza el ensayo clínico	Los interrogantes que los investigadores están tratando de resolver	La población que se estudiará	Las pruebas y los procedimientos médicos planificados
El o los fármacos en etapa de investigación, su(s) dosis y frecuencia	El plazo de tiempo y el cronograma	La forma en la que se controlará la salud y la seguridad de los participantes	Información sobre efectos secundarios o riesgos conocidos

¿QUÉ ES UN PLACEBO Y POR QUÉ SE UTILIZA?

Algunos ensayos clínicos incluyen el uso de un placebo para ayudar a los investigadores a evaluar el efecto que el fármaco en etapa de investigación tiene en los síntomas, si es que lo tiene. (Los placebos se utilizan normalmente en los ensayos clínicos en fase II y fase III).

- Un placebo está diseñado para parecerse al fármaco en etapa de investigación, pero no tiene ningún ingrediente activo.

En los ensayos clínicos aleatorizados, los participantes reciben el fármaco en etapa de investigación o un placebo. Los investigadores comparan los resultados del grupo que recibe el fármaco en etapa de investigación con el grupo que recibe el placebo para determinar si el fármaco en etapa de investigación está teniendo el efecto deseado. El uso de un placebo ayuda a acelerar un ensayo clínico, ya que los investigadores pueden observar más rápidamente cualquier diferencia entre los grupos.

ALEATORIZACIÓN: UN PANORAMA MÁS DETALLADO

El proceso que determina si un participante será asignado al grupo que recibe el fármaco en etapa de investigación o al grupo que recibe un placebo se denomina “aleatorización”. Este proceso se lleva a cabo al azar, como cuando se arroja una moneda al aire.

En algunos ensayos clínicos, ni el participante ni el investigador principal saben a qué grupo fue asignado el participante. Esto se denomina “doble ciego” y su objetivo es eliminar cualquier posible parcialidad del investigador principal. En otros ensayos clínicos, llamados “ciegos”, únicamente el participante desconoce a qué grupo fue asignado.



¿De qué manera se protege a los participantes de ensayos clínicos?

Para garantizar que los derechos de los participantes estén protegidos, las autoridades reguladoras exigen que todos los ensayos clínicos estén aprobados y supervisados por comités especiales llamados juntas de revisión institucionales (Institutional Review Boards o IRB) y comités éticos (Ethics Committees o EC). Estos son comités independientes responsables de proteger los derechos, la integridad, la seguridad y el bienestar de los participantes de ensayos clínicos.

Estos comités son responsables de:

- Garantizar que se tomen medidas para proteger los derechos, la seguridad y la integridad de los participantes.
- Revisar el protocolo del ensayo clínico, los formularios de consentimiento informado, los métodos de reclutamiento y toda la información escrita proporcionada a los participantes.
- Supervisar los diversos aspectos de un ensayo clínico y exigir que se informe cualquier cambio relevante en la salud.

Antes de que un hospital o centro de investigación puedan participar en un ensayo clínico, una IRB o un EC deben revisar y aprobar el protocolo, así como cualquier documento que se entregue a los participantes.



¿Cómo se elige la población de un ensayo clínico?

Todos los ensayos clínicos tienen directrices que establecen quién puede participar y quién no. Se denominan criterios de selección (o criterios de inclusión/exclusión) y se determinan en el contexto de un encuentro entre el patrocinador del ensayo clínico y la autoridad reguladora. Los criterios de selección ayudan a los investigadores a realizar un ensayo con seguridad y eficacia, al tiempo que contribuyen a la producción de resultados confiables.

Los criterios de selección ayudan a los investigadores a establecer un grupo de participantes con cualidades similares. Esto permite a los investigadores evaluar el fármaco en etapa de investigación y comparar su efecto, si lo hubiera, entre los participantes con características similares. Los criterios de selección también ayudan a los investigadores a identificar a las personas que pueden participar en un ensayo clínico en condiciones seguras.



LOS CRITERIOS DE SELECCIÓN CLAVES INCLUYEN:



Los investigadores principales y el personal del ensayo clínico evalúan a los posibles participantes a través de un proceso de preselección que puede incluir:

- una revisión de los antecedentes médicos del paciente
- pruebas y evaluaciones médicas
- una conversación con el posible participante (o sus seres queridos) para ayudar al investigador principal a determinar si el estado de salud y los antecedentes médicos del paciente cumplen con los criterios de selección para la participación.

El investigador principal decide en última instancia si una persona reúne las condiciones para participar.

No todas las personas interesadas en un ensayo clínico pueden tener la oportunidad de participar. Esto podría deberse a que su estado de salud actual y antecedentes médicos tal vez no coincidan con los requisitos de selección.



Si usted o su ser querido no pueden participar en un ensayo clínico después de completar el proceso de preselección, es posible que el investigador principal les plantee la posibilidad de participar en otro ensayo ahora o en el futuro.

¿Quiénes trabajan en la realización de un ensayo clínico?

Hay muchas personas abocadas a la planificación, organización y realización de un ensayo clínico, entre ellas:



PATROCINADOR DEL ENSAYO CLÍNICO



AUTORIDAD REGULADORA



JUNTA DE REVISIÓN INSTITUCIONAL



INVESTIGADOR PRINCIPAL

PATROCINADOR DEL ENSAYO CLÍNICO

El patrocinador de un ensayo clínico puede ser una compañía (por ejemplo, de dispositivos médicos, farmacéutica o biotecnológica), una institución sin fines de lucro o una organización del gobierno. El patrocinador inicia, administra y financia un ensayo clínico.

AUTORIDAD REGULADORA

Cada país tiene su propia autoridad reguladora con sus propias reglamentaciones, o leyes, para realizar un ensayo clínico. La autoridad reguladora revisa y aprueba el protocolo y verifica que el ensayo clínico siga las reglamentaciones nacionales.

JUNTA DE REVISIÓN INSTITUCIONAL (IRB)/COMITÉ ÉTICO (EC)

Una IRB o un EC son un comité independiente integrado por miembros de la comunidad médica, científica y no científica, cuya responsabilidad es proteger los derechos, la integridad, la seguridad y el bienestar de los participantes de un ensayo clínico. Una IRB o un EC específico controla cada sede de un ensayo clínico. Es responsable de revisar todos los ensayos clínicos y de realizar revisiones continuas de los ensayos clínicos en curso.

INVESTIGADOR PRINCIPAL

El investigador principal generalmente es un médico que es responsable de dirigir un ensayo clínico en cada hospital o centro de investigación individual. Al investigador principal a veces se le denomina “médico del estudio” y suele contar con la asistencia de otros médicos, enfermeros y coordinadores de investigaciones clínicas que integran el equipo del estudio.



Las cuatro fases de los ensayos clínicos



El desarrollo de un tratamiento médico nuevo es un proceso largo y complejo, que en promedio dura entre 10 y 15 años de principio a fin. Esto obedece a que existen varios pasos diseñados para evaluar si un fármaco en etapa de investigación es seguro y eficaz antes de que una autoridad reguladora lo apruebe.

Una vez que se identifica un fármaco en etapa de investigación, se realizan pruebas en el laboratorio antes de que se pueda probar en seres humanos. Las pruebas iniciales pueden llevar varios años. Aproximadamente, uno de cada 1,000 fármacos en etapa de investigación pasa a la fase de prueba en seres humanos.

Luego de la finalización de cada fase, el patrocinador evaluará los resultados y decidirá si el fármaco en etapa de investigación pasará a la fase siguiente.



LAS CUATRO FASES EN LÍNEAS GENERALES



FASE 1

El fármaco en etapa de investigación se prueba en un pequeño grupo de personas para evaluar su seguridad, determinar una dosis segura e identificar los efectos secundarios. A veces, los ensayos en fase 1 involucran a un grupo de voluntarios sanos a quienes generalmente se les paga por participar.



FASE 2

El fármaco en etapa de investigación se administra a una mayor cantidad de gente con la enfermedad. Los investigadores buscan identificar signos iniciales de que puede ser eficaz y evaluar más a fondo su seguridad.



FASE 3

El fármaco en etapa de investigación se administra a un grupo aún más grande de personas con la enfermedad para confirmar su eficacia, monitorear los efectos secundarios y recopilar información que permitirá que el fármaco en etapa de investigación se utilice en condiciones seguras. Durante esta fase, el fármaco en etapa de investigación se suele comparar con un placebo.



FASE 4

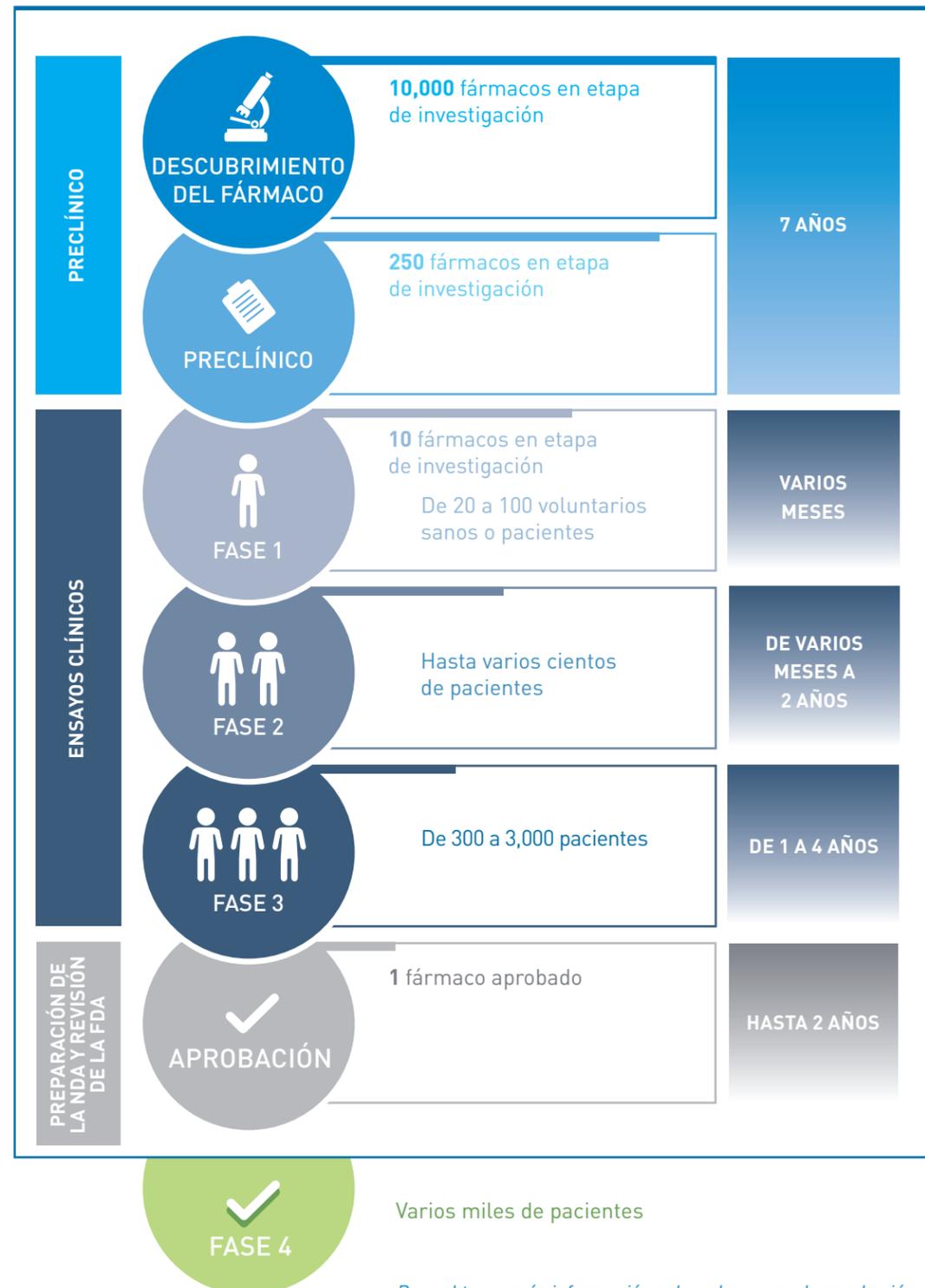
Una vez que un fármaco en etapa de investigación se aprueba y está disponible al público, los investigadores recopilan información sobre sus efectos en diversas poblaciones y sobre cualquier efecto secundario asociado con el uso a largo plazo.



Ensayos de extensión

Algunos ensayos clínicos tienen un ensayo de extensión para el cual los participantes posiblemente reúnan los requisitos de participación, una vez completado el ensayo principal. En la mayoría de los casos, durante un ensayo de extensión, todos los participantes reciben el fármaco en etapa de investigación durante más tiempo para que los investigadores puedan estudiar sus efectos a largo plazo.

EXPLICACIÓN DEL PROCESO DE UN ENSAYO CLÍNICO



Para obtener más información sobre el proceso de aprobación, consulte la sección al final de este folleto.



Para ayudar a que avancen los conocimientos sobre la enfermedad



Para contribuir con las investigaciones médicas y el desarrollo de un posible tratamiento



Para ayudar en el futuro a otras personas que sufren la enfermedad



Para tener potencialmente acceso a un fármaco en etapa de investigación



Para tener citas con el equipo del estudio



Para acceder a atención, control, pruebas médicas y evaluaciones relacionadas con el ensayo



¿Por qué tener en cuenta la posibilidad de participar?

Son diversos los motivos por los cuales las personas pueden elegir participar en un ensayo clínico, entre ellos:

15

¿CÓMO ME ENTERO DE LOS POSIBLES RIESGOS Y BENEFICIOS DE LA PARTICIPACIÓN?

Los ensayos clínicos son de carácter experimental por naturaleza. No existe ninguna garantía de que la participación en un ensayo clínico arroje un beneficio médico y, de hecho, puede haber riesgos – algunos conocidos, otros desconocidos. Si bien se hace todo lo posible por controlar los riesgos potenciales, puede ser que algunos sean inevitables porque pueden ser desconocidos.

Cuando los riesgos potenciales se conocen, el personal del ensayo clínico debe explicarlos en su totalidad a los posibles participantes (o al padre/madre o tutor, según la edad del participante). Pueden incluir efectos secundarios desagradables o incluso graves. Si aparecen riesgos nuevos durante el ensayo, esta información también se debe transmitir.

Los participantes pueden experimentar un beneficio del fármaco en etapa de investigación o no. Sin embargo, tal vez existan otros posibles beneficios de la participación que incluyen:

- contribuir a la investigación médica
- acceder a atención y control relacionados con el ensayo clínico
- tener potencialmente acceso a un fármaco en etapa de investigación

En el contexto del proceso de toma de decisiones, usted tendrá la oportunidad de hablar sobre los posibles riesgos y beneficios de la participación con el investigador principal. Debe tomar una decisión únicamente cuando los entienda por completo.



¿QUÉ ES EL PROCESO DE CONSENTIMIENTO INFORMADO?

Si le interesa participar en un ensayo clínico, tendrá la oportunidad de hacerle preguntas al investigador principal. Se le entregará un Formulario de consentimiento informado que explica los detalles del ensayo, entre ellos, su propósito, duración, procedimientos requeridos, contactos claves y cualquier riesgo y beneficio posibles. Usted puede llevarse el formulario para revisarlo y analizarlo con sus seres queridos o amigos mientras evalúa la participación.

Si decide que quiere participar, deberá proporcionar su consentimiento para lo cual deberá firmar el formulario. Este proceso se llama consentimiento informado, y es un proceso estándar para participar en un ensayo clínico.

Mientras evalúa su decisión, recuerde que:

- La participación en un ensayo clínico siempre es voluntaria y usted puede cambiar de opinión en cualquier momento.
- La decisión de no participar no influirá en la atención que se le pueda brindar ahora o en el futuro.
- Los participantes se pueden retirar en cualquier momento y por cualquier motivo y su decisión de hacerlo no afectará a la atención que normalmente recibirían fuera de un ensayo clínico.
- El investigador principal tiene la obligación de informar a los participantes de ensayos clínicos si surgió algún desarrollo nuevo que pueda incidir o influir en su decisión de participar. La IRB/o el EC se ocupa de supervisar los ensayos clínicos para garantizar que esto ocurra.

Para algunas personas, existe la posibilidad de que su participación termine, sin su consentimiento, si se agrava su estado de salud o surgen otros problemas médicos.



CONSIDERACIONES ESPECIALES PARA NIÑOS Y ADOLESCENTES

Por ley, los niños y adolescentes no tienen permitido dar su consentimiento informado hasta los 18 años. Sin embargo, si su hijo tiene siete años o más, es posible que se le pida que dé su asentimiento. Al dar su asentimiento, acepta participar en el ensayo clínico. La autoridad reguladora determina si su hijo deberá dar su asentimiento o no.

¿CUÁLES SON LAS RESPONSABILIDADES DE LOS PARTICIPANTES?

Los participantes de ensayos clínicos (o su padre/madre o tutor, según la edad del participante) deben cumplir con ciertas responsabilidades, entre ellas, por ejemplo:

- Seguir todas las instrucciones dadas por el equipo del estudio.
- Asistir a todas las visitas programadas.
- Completar cuestionarios sobre el estado del participante entre una visita y otra.
- Informar al investigador principal cualquier problema nuevo relacionado con la salud. (Aunque usted no considere que esté causado por el ensayo clínico o el fármaco en etapa de investigación, es muy importante que notifique cualquier cambio por pequeño que sea).
- Informar al investigador principal el uso de cualquier medicamento nuevo o cambios en las dosis o la frecuencia de la medicación.
- Ser cauteloso a la hora de hablar del ensayo clínico con otros participantes, incluido el hecho de que usted considere o no que usted o su ser querido puedan estar recibiendo un placebo.

ASISTENCIA PARA TRASLADOS

Algunos ensayos clínicos pueden incluir asistencia para traslados y reintegro de gastos de estacionamiento, comidas y otros desembolsos. Esto puede ser de ayuda para las personas que tienen que viajar largas distancias para llegar a la sede del ensayo clínico, tienen citas prolongadas o deben pasar una noche hospitalizadas.



PREPARATIVOS PARA REUNIRSE CON EL INVESTIGADOR PRINCIPAL

Cuando usted se reúne con el investigador principal por primera vez, es probable que tenga muchas preguntas. Estas son algunas sugerencias que pueden servirle para estar preparado para este encuentro.

- Piense las preguntas que tal vez quiera hacer y escribálas a medida que se le ocurren para no olvidarse de hacer ninguna.
- Pídale a un familiar o amigo que lo acompañe y lo secunde para hacer preguntas.
- Anote las respuestas del investigador principal a sus preguntas para poder repasarlas más tarde con sus familiares.

Asegúrese de que al irse de la reunión usted entiende los posibles riesgos y beneficios que implica su participación y los efectos secundarios que podrían ocurrir. Estas son cosas importantes para tener en cuenta durante el proceso de toma de decisiones.



PREGUNTAS SUGERIDAS PARA HACERLE AL INVESTIGADOR PRINCIPAL

Cuando se reúna con el investigador principal para hablar de la participación, tal vez le interese hacer algunas de las siguientes preguntas:

- ¿Qué se está estudiando?
- Si los investigadores están estudiando un fármaco en etapa de investigación, ¿por qué consideran que puede ser eficaz?
- ¿Cuánto va a durar la participación?
- ¿Cuántas veces voy a tener que ir al hospital o la clínica? ¿Voy a tener que pasar la noche en el hospital o la clínica por alguna de estas visitas?
- ¿Existe la posibilidad de que reciba un placebo?
- ¿Qué clases de pruebas y procedimientos médicos se van a realizar?
- ¿Cuáles son los posibles riesgos/beneficios de la participación?
- ¿Los resultados del ensayo clínico estarán a disposición de los participantes?
- ¿Quién pagará los costos asociados con la participación?
- ¿Me van a reintegrar otros gastos?
- ¿Se incluye asistencia para traslados?
- ¿Está planeado hacer un ensayo de extensión?

PROGRAMAS DE ACCESO AMPLIADO

Si usted o su ser querido no reúnen las condiciones para participar en un ensayo clínico, el acceso ampliado (también llamado “uso compasivo”) puede ser una opción para evaluar. Las leyes de ciertos países permiten que las compañías farmacéuticas provean fármacos en etapa de investigación a pacientes fuera de un ensayo clínico. No obstante, los programas de acceso ampliado están muy regulados y los pacientes deben cumplir con varios criterios para ser elegibles.

El propósito del acceso ampliado es brindar tratamiento a un paciente para su enfermedad, en lugar de recopilar datos sobre el fármaco en etapa de investigación.



CÓMO SE AGILIZA EL PROCESO DE APROBACIÓN

Varios países tienen programas para acelerar el desarrollo y la aprobación de fármacos en etapa de investigación diseñados para tratar enfermedades graves y potencialmente mortales, así como enfermedades poco frecuentes. Estos programas ayudan a asegurar que los fármacos en etapa de investigación para estas afecciones sean aprobados y estén a disposición de los pacientes tan pronto se sepa que los beneficios de los fármacos justifican sus riesgos. Estos programas exhortan a centrar la atención en los fármacos que auguran ser eficaces para tratar dichas afecciones.

Es posible que los fármacos en etapa de investigación que apuntan a una necesidad médica no cubierta y que exhiben un mayor beneficio con respecto a los tratamientos disponibles avancen en el proceso de revisión y aprobación del ensayo clínico con más rapidez que otros.





GLOSARIO DE TÉRMINOS

A continuación, se enumeran algunos de los términos y palabras comunes asociados a los ensayos clínicos, junto con sus definiciones.

Acceso ampliado

Cuando los fabricantes de medicamentos dan fármacos en etapa de investigación a pacientes con afecciones o enfermedades graves que no pueden participar en un ensayo clínico, o cuando no hay otros tratamientos disponibles.

Ciego

Diseño de un ensayo clínico en el cual los participantes no saben si fueron asignados para recibir el fármaco en etapa de investigación o un placebo.

El diseño ciego se utiliza para evitar las parcialidades involuntarias que se pueden dar cuando se conocen las asignaciones.

Consentimiento informado

Proceso por el cual una persona da su consentimiento o manifiesta su acuerdo para participar en un ensayo clínico. Esto sucede después de que el paciente revisa el formulario de consentimiento informado y tiene la oportunidad de hacerle al investigador principal cualquier pregunta que pueda tener sobre la participación.

Doble ciego

Diseño de un ensayo clínico en el cual ni el participante ni el investigador principal saben si el participante fue asignado para recibir el fármaco en etapa de investigación o un placebo.

Ensayo controlado aleatorizado

Tipo de ensayo clínico en el cual a los participantes se les asigna aleatoriamente (como cuando se arroja una moneda al aire) para estar en un grupo en particular. Según el ensayo, es posible que a los participantes se les asigne recibir un placebo, el fármaco en etapa de investigación o una dosis particular del fármaco en etapa de investigación.

Ensayo intervencionista

Los ensayos intervencionistas se realizan para determinar si un tratamiento en etapa de investigación o una nueva forma de utilizar un tratamiento aprobado son seguros y eficaces.

Ensayo observacional

Los ensayos observacionales recopilan información sobre la salud. No implican el uso de un tratamiento en etapa de investigación. En su lugar, los investigadores se concentran en recopilar datos sobre la enfermedad. Es posible que los investigadores utilicen los datos en el futuro para contribuir al desarrollo de posibles tratamientos nuevos.

Etiqueta abierta

Ensayo clínico en el cual todos los involucrados (participante, médico y equipo del estudio) conocen el fármaco y los niveles de dosificación. En los ensayos de etiqueta abierta, nadie recibe un placebo.

Junta de revisión institucional (IRB)/Comité ético (EC)

Comité independiente integrado por miembros de la comunidad médica, científica y no científica, cuya responsabilidad es proteger los derechos, la integridad, la seguridad y el bienestar de los participantes de ensayos clínicos.

Placebo

Sustancia inactiva de aspecto similar al fármaco que se está evaluando. Se utiliza como un control para eliminar cualquier efecto psicológico que las pruebas puedan presentar.

Tratamiento estándar (tratamiento de referencia o estándar de atención)

Tratamiento aceptado por los expertos médicos como tratamiento adecuado para un cierto tipo de enfermedad y utilizado ampliamente por los profesionales de atención de la salud.



Publicado por Biogen
Copyright © 2017 Biogen

Biogen reconoce a Cure SMA como fuente primaria de contenidos. (www.cureSMA.org)