



Participación en ensayos clínicos

GUÍA PARA PACIENTES CON FIBROSIS PULMONAR



Ayudar a diseñar un futuro mejor para los pacientes con fibrosis pulmonar

Los ensayos clínicos son estudios de investigación que exploran si un fármaco, un tratamiento, un dispositivo o una estrategia médica son seguros y efectivos para los seres humanos. Estos estudios siguen estrictos estándares científicos para proteger a los pacientes y producir resultados de investigación confiables.

Para la comunidad que padece fibrosis pulmonar, los ensayos clínicos ofrecen respuestas a preguntas que podrían cambiar el futuro de cómo se trata esta enfermedad: ¿Qué tan bien funciona o no un fármaco nuevo? ¿Existe una mejor manera de tratar la fibrosis pulmonar? ¿Se benefician distintos pacientes con fibrosis pulmonar de diferentes tipos de fármacos o tratamientos? ¿Cómo afectan los genes y el entorno de las personas (donde viven, de qué trabajan y qué tan activas son) a quienes viven con fibrosis pulmonar?

A los pacientes con fibrosis pulmonar les puede resultar muy ventajoso participar en un ensayo clínico. Los participantes pueden obtener acceso a un posible medicamento nuevo para la fibrosis pulmonar y recibir educación valiosa sobre cómo mejorar su salud. La mayor cantidad de visitas a la clínica y pruebas que generalmente se realizan en un ensayo clínico pueden darle al participante un panorama más claro del estado de su enfermedad y su progreso. Muchos participantes de ensayos clínicos de fibrosis pulmonar dicen que, incluso si participar en un ensayo no los beneficia directamente, lo ven como un paso importante en el proceso de ayudar a futuros pacientes con fibrosis pulmonar.



Patrocinadores de estudios

Los ensayos clínicos pueden contar con el apoyo de diversas organizaciones: centros médicos académicos, compañías farmacéuticas, compañías de biotecnología, fabricantes de dispositivos médicos, organizaciones sin fines de lucro u organismos gubernamentales.

TIPOS DE ENSAYOS CLÍNICOS

Los ensayos clínicos pueden adoptar varias formas diferentes:

- En los **estudios de intervención**, el investigador asigna a los participantes un fármaco, tratamiento u otra intervención, y se miden sus resultados.
- En los **estudios de observación**, se observa a los participantes (sin que se les administre un fármaco, tratamiento u otra intervención), y los investigadores miden sus resultados. El Registro de la PFF es un ejemplo de un estudio de observación en el que los participantes han aceptado que sus datos se usen de esta manera.
- En los **estudios de acceso extendido**, la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) permite que los fabricantes administren fármacos nuevos que aún se están investigando a pacientes con enfermedades o afecciones graves que no pueden participar en un ensayo clínico.

FASES DE LOS ENSAYOS

La FDA es responsable de revisar rigurosamente y aprobar todos los fármacos o tratamientos nuevos antes de que puedan recetarse a los pacientes. Los ensayos clínicos de intervención que se realizan con seres humanos tienen cuatro fases:

Fase I: los investigadores prueban un nuevo fármaco o tratamiento en un pequeño grupo de personas para evaluar su seguridad, determinar un rango de dosis seguro e identificar los efectos secundarios.

Fase II: el fármaco o tratamiento se administra a un grupo más grande de personas para ver si es efectivo y para evaluar aún más su seguridad.

Fase III: el fármaco o tratamiento se administra a grandes grupos de personas para confirmar su efectividad, controlar los efectos secundarios, compararlo con tratamientos usados habitualmente (o con placebos) y recopilar información que permitirá usar el fármaco de forma segura.

Fase IV: después de que se ha aprobado el uso del fármaco o del tratamiento, otros estudios recopilan información sobre su efecto en diversas poblaciones, así como sobre los efectos secundarios asociados al uso a largo plazo.

El poder de los placebos

Algunos estudios incluyen un “placebo”, a veces llamado “comprimido de azúcar”. Un placebo tiene el mismo aspecto que el medicamento, pero no contiene ingredientes activos. Hacer que un grupo de voluntarios reciba el fármaco que se está estudiando y que otro grupo reciba el placebo es una forma importante que tienen los investigadores para medir qué tan bien funcionará el nuevo fármaco. Si forma parte de un ensayo en el que se usan placebos, no sabrá en qué grupo se encuentra, pero se lo monitoreará atentamente, incluso si recibe placebo.



¿Qué es un estudio a ciego?

Los estudios que usan placebos se realizan “a ciego”. En un estudio a ciego, los participantes no saben si están recibiendo un placebo o el fármaco que se está investigando. En un estudio a doble ciego, ni los participantes ni los investigadores que administran los tratamientos saben qué grupo está recibiendo un placebo, y en un estudio a triple ciego, la identidad de los dos grupos se oculta a los participantes, los administradores y las personas que analizan los resultados del estudio. El propósito de la modalidad a ciego es ocultar información que pueda influir en las percepciones o los comportamientos hasta que el estudio se haya completado.

RESGUARDO DE SU SEGURIDAD

Como voluntario de un ensayo clínico, contará con varias herramientas para proteger su seguridad y bienestar. Los investigadores emplean un proceso llamado “consentimiento informado” para brindar a los posibles participantes información sobre potenciales beneficios, riesgos y alternativas a la participación. Antes de participar en el estudio, debe firmar un documento de consentimiento informado para indicar que recibió y comprende esta información. La firma del documento no es un contrato. Usted puede retirarse de un estudio en cualquier momento, incluso si el estudio no ha finalizado.

Cada estudio de un fármaco, producto biológico o dispositivo médico regulado por la FDA debe ser revisado, aprobado y supervisado por una junta de revisión institucional (institutional review board, IRB). Una IRB está conformada por médicos, investigadores y miembros de la comunidad. Su rol es asegurarse de que el estudio sea ético y de que se protejan los derechos y el bienestar de los participantes. Esto incluye revisar el documento de consentimiento informado y asegurarse de que los riesgos de la investigación se reduzcan al mínimo posible en relación con los posibles



Aprobación de los fármacos y designaciones especiales

A veces, los ensayos clínicos y las revisiones de la FDA se aceleran para que los fármacos o tratamientos lleguen más rápidamente a los pacientes que los necesitan. Incluso cuando se aceleran los ensayos y la aprobación, con un complejo proceso de pruebas se asegura que estos fármacos o tratamientos son seguros. Las aprobaciones aceleradas de “designación especial” más relevantes para los pacientes con fibrosis pulmonar son “terapia innovadora” para fármacos que tratan afecciones graves o potencialmente mortales y “designación de fármaco huérfano” para fármacos que tratan enfermedades raras.

EL EQUIPO DE INVESTIGACIÓN Y EL LUGAR QUE USTED OCUPA

Al igual que un equipo deportivo, un equipo de investigación clínica incluye a personas con distintos roles que trabajan en conjunto:

- El **investigador principal (principal investigator, PI)** es como el entrenador principal que organiza y lidera el estudio, registra y analiza los datos, y dirige al personal del estudio. El PI elabora y sigue el protocolo del estudio, un plan detallado, como un libro de jugadas, de cómo se llevará a cabo el estudio.
- El **coordinador de investigación clínica (clinical research coordinator, CRC)**, de forma similar a un entrenador auxiliar, se ocupa de las actividades diarias del estudio, y probablemente será su principal punto de contacto.
- Las organizaciones y las personas responsables de **proteger a los voluntarios**, por ejemplo, la FDA y la junta de revisión institucional, son como los árbitros. Revisan el estudio antes de que comience, se aseguran de que el equipo siga las reglas y procuran que usted esté seguro e informado.
- Los **participantes del ensayo clínico** son los jugadores en el campo y los integrantes más importantes del equipo. Sin pacientes como usted, que participa de forma voluntaria en un estudio clínico, los desarrollos de nuevos fármacos y tratamientos no serían posibles.
- **La familia, los amigos y los equipos de apoyo** son los seguidores en la investigación clínica. Lo ayudan a hacer preguntas y le brindan apoyo durante el estudio.





Recursos y herramientas para ensayos clínicos de la PFF (Fundación de Fibrosis Pulmonar [Pulmonary Fibrosis Foundation - PFF]).

- El sitio web de la PFF, pulmonarfibrosis.org/clinicaltrials, ofrece anuncios sobre estudios que actualmente están reclutando pacientes y un enlace a la Línea de desarrollo de fármacos, un cuadro que muestra las fases de diversos estudios en curso relacionados con la fibrosis pulmonar.
- El buscador de ensayos clínicos de la PFF permite a los usuarios buscar estudios y filtrar los resultados por ubicación, fase, tipo de estudio, etc. Los usuarios pueden completar un cuestionario breve sobre su afección para identificar automáticamente los ensayos en América del Norte con criterios de elegibilidad (inclusión/exclusión) que coincidan de forma preliminar. Visite trials.pulmonaryfibrosis.org.

Otros recursos útiles

- El Centro para la Información y el Estudio de Participación en Investigación Clínica (Center for Information and Study on Clinical Research Participation, CISCRP), ciscr.org.
- El sitio de ensayos clínicos de los Institutos Nacionales de Salud, ClinicalTrials.gov.

La PFF agradece enormemente al Centro para la Información y el Estudio de Participación en Investigación Clínica por aportar parte de la información que se emplea en esta guía.



Preguntas que debe hacer

Al considerar la posibilidad de participar o no en un estudio, deberá contar con diversa información para ayudarlo a tomar la decisión. Las preguntas que tal vez quiera hacerle a su médico y al equipo del ensayo clínico incluyen:

- ¿Cuál es el propósito de este estudio?
- ¿Cuánto tiempo se prevé que dure el ensayo clínico?
- ¿Cuánto tiempo durará mi participación?
- ¿Qué tendré que hacer para participar?
- ¿Cuáles son los riesgos?
- ¿Con qué frecuencia y cuántas veces tendré que visitar la clínica?
- ¿Quién pagará por mi participación? (Algunos ensayos, no todos, pagarán a los voluntarios por su compromiso o el tiempo de los traslados).
- Si se incluye un tratamiento médico como parte del estudio, ¿quién lo pagará?
- ¿Puedo mantener todos mis tratamientos y medicamentos actuales mientras participo?
- ¿Con quién debo comunicarme por distintos asuntos, como síntomas, efectos secundarios y programación de citas de rutina?
- ¿Se me informarán los resultados del estudio?
- Si los resultados del estudio son favorables, ¿tendré la oportunidad de recibir el fármaco o tratamiento más adelante?