

Fecha de publicación November 7, 2005
Revisión January 31, 2008

Autores
Mark Benfield
Robert Gaston
Roslyn Mannon
Lisa Vanderbeek

Comisiones colaboradoras
Grupo de Tareas Sobre Ensayos Clínicos

Información Sobre Ensayos Clínicos Para Los Pacientes



*The American Society of Transplantation
(Sociedad Estadounidense de Transplantes)*

*15000 Commerce Parkway
Suite C
Mount Laurel, NJ 08054
Teléfono: 856-439-9986
Fax: 856-439-9982
E-mail: ast@ahint.com*

INFORMACIÓN SOBRE ENSAYOS CLÍNICOS PARA LOS PACIENTES

INTRODUCCIÓN

En el pasado, la práctica de la medicina avanzaba por ensayo y error. Los médicos con más experiencia simplemente pasaban su conocimiento y su experiencia a los médicos más jóvenes. Aunque en general utilizando este método de aprendizaje ha mejorado el cuidado médico, también ha permitido la introducción de prácticas médicas que han resultado inefectivas o incluso peligrosas. Ensayos clínicos son el mejor modo de asegurarse de que las nuevas pautas de atención médica (especialmente nuevos fármacos, dispositivos o procedimientos) sean verdaderamente seguras y efectivas. Los trasplantes de órganos exitosos no serían disponibles hoy en día para Usted si no fuera por los ensayos clínicos del pasado.

¿DEBO PARTICIPAR EN UN ENSAYO CLÍNICO?

Su participación en un ensayo clínicamente es sobretodo voluntario. Nadie lo puede obligar a hacerlo. La decisión de participar es muy importante. No debe tomarse sin pleno conocimiento de lo que ello implica. Cuando usted decide participar en un ensayo clínico, su salud puede mejorar (o no). Usted puede convertirse en una de las primeras personas en probar un nuevo fármaco o tratamiento prometedor. Será atendido por un equipo de dedicados profesionales médicos a quienes les interesa su salud. Sin embargo, en su centro de trasplante, Usted seguramente recibirá un cuidado excelente sin tener en cuenta su participación en un ensayo clínico. Uno de los motivos más importantes para participar en un ensayo clínico es colaborar con el avance de los conocimientos sobre los nuevos tratamientos.

¿QUÉ ES UN ENSAYO CLÍNICO?

Un ensayo clínico es un estudio que permite evaluar si un nuevo tratamiento o medicamento es seguro y efectivo. También puede tener por objeto comprobar si los tratamientos más tradicionales dan mejores resultados. En los trasplantes de órganos, los estudios anteriores han sido muy importantes para encontrar el mejor modo de proteger al órgano transplantado. Son necesarios más ensayos clínicos para comprobar si los enfoques más modernos podrían conducir incluso a resultados mejores.

Existen diversos modos de organizar y desarrollar ensayos clínicos.

- **Ensayos randomizados.** En este caso, los pacientes que forman parte del estudio son asignados a uno de dos o más posibles tratamientos por azar-como si se volteara una moneda-y no por elección. Ni el equipo que supervisa el tratamiento ni el paciente pueden elegir qué paciente recibirá cada tratamiento. De todos modos, la atención de todos los pacientes es similar, independientemente del tratamiento que reciban. Cuando concluye el ensayo, se comparan los distintos grupos de tratamiento. A menudo, se observan los resultados de los diferentes tratamientos a medida que se desarrolla el ensayo. Si a uno de los grupos le va mucho mejor que al otro, el ensayo se interrumpe anticipadamente.
- **Estudios ciego simple o ciego doble.** En los estudios de ciego simple, los pacientes no saben qué tratamiento reciben, pero el equipo que conduce el tratamiento sí lo sabe. En los estudios de doble ciego, ni el equipo de tratamiento ni los pacientes conocen el tratamiento aplicado. Si surge la necesidad, siempre es posible averiguar qué tratamiento está recibiendo un paciente.
- **En algunos estudios se utiliza un placebo.** El placebo es una sustancia que se parece al medicamento real que se utiliza en el ensayo, pero que no contiene el fármaco. Algunos pacientes reciben el placebo y otros reciben el medicamento propiamente dicho. Los pacientes no saben cuál reciben. El placebo permite al equipo que lleva a cabo el estudio observar si el efecto del fármaco nuevo es mejor o igual que el del tratamiento habitual o de no tratamiento en absoluto.
- **De observación.** Es un estudio en el que los pacientes que participan en el ensayo reciben la misma atención o tratamiento que todos los demás pacientes. Los médicos observan y registran cómo evolucionan los pacientes en el transcurso del tiempo. Luego, pueden comparar estos resultados con los resultados de otros pacientes tratados en otro momento o lugar.

Existen cuatro tipos de ensayos:

- **Fase 1.** En la fase 1, se prueba un nuevo fármaco o tratamiento en un pequeño número de voluntarios por períodos breves. Los investigadores intentan determinar qué dosis del fármaco da mejor resultado y registrar los posibles efectos secundarios asociados con el fármaco. También intentan averiguar cómo el organismo absorbe el fármaco y reacciona ante él, y cuánto tiempo permanece en el organismo. Por lo general, los ensayos de fase 1 no ayudan a los participantes que, a menudo, son personas sanas. Sin embargo, estos ensayos brindan a los investigadores información valiosa sobre cómo seguir.
- **Fase 2.** En los ensayos de fase 2, se prueba un fármaco con efectos conocidos en dosis específicas para averiguar de qué modo éste puede resultar útil. También tienen por objeto averiguar otros efectos secundarios que podrían aparecer. En estos estudios, los pacientes por lo general toman el medicamento durante un plazo más prolongado. También se evalúa cómo el organismo absorbe y reacciona ante el fármaco y cuánto tiempo permanece éste en el organismo. Los ensayos de fase 2 ayudan a los investigadores a conocer más sobre cómo un tratamiento determinado cura una enfermedad.
- **Fase 3 and 4.** En los estudios de fase 3 y 4, se comparan nuevos tratamientos con tratamientos de uso común o con la ausencia de tratamiento. Algunos pacientes que participan en el ensayo reciben el tratamiento nuevo. Otros reciben el tratamiento habitual o un placebo. Estos estudios evalúan si el nuevo tratamiento es efectivo o no, y cómo puede ser aprovechado en la atención de los pacientes. La mayoría de los ensayos clínicos en los que se le ofrecerá participar serán estudios de Fase 3 ó 4.

Uno de los miembros del equipo de ensayos clínicos le indicará en qué tipo de estudio o ensayo puede ser incluido y los tratamientos que podría o no recibir.

¿CUÁLES SON LOS RIESGOS Y BENEFICIOS DE PARTICIPAR EN ENSAYOS CLÍNICOS?

Posibles beneficios

- Si participa en la investigación médica, ayudará a otras personas.
- Usted puede acceder a nuevos tratamientos experimentales antes de que se les ofrezcan a otras personas.
- A menudo, el mero hecho de participar en un ensayo clínico mejorará su salud, independientemente del grupo al que sea asignado. Esto se debe a que con frecuencia, participar en un ensayo clínico implica que usted recibe un seguimiento más cercano que el habitual en los centros de trasplantes. Se considera que estos cuidados y atención adicionales pueden mejorar su salud.

Posibles riesgos

- El nuevo tratamiento que usted reciba durante el estudio puede ser más, menos o igual de efectivo que el tratamiento estándar para usted.
- Usted puede experimentar efectos secundarios graves o peligrosos asociados con el tratamiento que reciba.
- Debido a que existen ciertos riesgos, formar parte de un ensayo puede significar que usted deberá invertir más tiempo y atención en su tratamiento médico. Por ejemplo, es posible que le solicitemos que acuda con mayor frecuencia al centro de trasplantes para los seguimientos. Es posible que usted deba seguir más tratamientos o someterse a más análisis. O podría tener que cumplir un programa de medicamentos más complicado.

¿QUIÉN CUIDA DE MÍ (EL PACIENTE)?

El Gobierno federal ha sancionado una ley que indica que todos los centros que realizan ensayos clínicos con seres humanos deben contar con una Junta de Revisión Institucional (IRB, por su sigla en inglés). La IRB es un grupo de personas designadas para examinar y controlar la investigación. Incluye miembros de la comunidad. La tarea de la IRB es proteger los derechos, la seguridad y el bienestar de las personas que analizan la posibilidad de participar en un ensayo clínico o que efectivamente lo hacen. Supervisan el plan de investigación, el proceso de obtención del consentimiento y cómo se incluye a los pacientes. Se aseguran de que el modo en que se desarrolle la investigación sea correcto desde el punto de vista ético. Comprueban que cumpla todas las leyes y normas aplicables.

En nuestros días, la mayoría de los estudios son controlados por una Junta de Control de Datos y de la Seguridad (DSMB, por su sigla en inglés) (Para los ensayos más pequeños, es un funcionario de seguridad independiente). La DSMB está formada por científicos expertos en el área pero que no participan en el estudio como investigadores. Examina los datos a medida que se desarrolla el estudio. Sabe qué tratamiento recibe cada paciente. Si los resultados indican que un tratamiento no da resultado o que se asocia con demasiados efectos secundarios, la Junta puede sugerir modos de proteger a los pacientes. Incluso puede interrumpir el estudio.

Tenga en cuenta que todo el equipo de atención de su salud (médicos y enfermeros) se ha comprometido a proteger sus derechos y sus intereses. Su intención es asegurarse de que usted obtenga la mejor atención y los mejores resultados.

'CONSENTIMIENTO INFORMADO'

El consentimiento informado fue creado para garantizar que usted comprende de qué se trata el ensayo clínico, su función dentro de él y sus derechos como paciente del estudio. Es un proceso y no simplemente un formulario. Si usted tiene alguna pregunta o inquietud acerca de su función dentro del estudio, ya sea antes del ensayo o en cualquier momento durante su desarrollo, no dude en plantearla. Después de todo, usted debe estar informado antes de poder prestar su consentimiento.

Si se le ofrece formar parte de un estudio de investigación o de un ensayo clínico, usted tiene derecho a:

1. Recibir información sobre el tipo de ensayo y por qué se lo lleva a cabo.
2. Ser informado sobre los procedimientos que se utilizarán, además de recibir una descripción de los fármacos o dispositivos que se utilizarán.
3. Recibir una descripción de las molestias o riesgos que pueden esperarse; usted debe ser informado acerca de si habrá gastos para usted o para su compañía de seguro médico.
4. Recibir una explicación sobre los posibles beneficios del ensayo que el participante puede esperar (si alguno).
5. Ser informado sobre los procedimientos, fármacos o dispositivos que se utilizarán para los pacientes que no participan en el ensayo; también debe ser informado de en qué medida los riesgos y beneficios de esos tratamientos se comparan con los esperados para los pacientes que efectivamente participan en el ensayo.
6. Ser informado sobre las demás opciones terapéuticas, si existen, que podrían ofrecerse a los pacientes durante y después del ensayo.
7. Tener la posibilidad de plantear sus preguntas respecto del ensayo y de qué sucederá en el ensayo.
8. Recibir información sobre cómo se informarán las conclusiones a los participantes del ensayo; ser informado de cómo las conclusiones podrían alterar la voluntad individual de formar parte del ensayo.
9. Recibir una copia de los formularios de consentimiento utilizados en el ensayo.
10. Disponer del tiempo y la oportunidad para reflexionar acerca de su participación o no en el ensayo.
11. Conocer que su consentimiento puede ser retirado en cualquier momento y por cualquier motivo, sin que ello afecte la atención que usted recibe en el centro de transplantes.

LISTA DE VERIFICACIÓN PARA ANALIZAR LA CONVENIENCIA DE PARTICIPAR EN ENSAYOS CLÍNICOS

Antes de que usted preste su consentimiento a participar en un ensayo clínico, es importante que usted cuente con toda la información necesaria para sentirse seguro de su decisión. Asegúrese de que todas sus preguntas hayan sido respondidas. Analícelas con su familia.

Entre estas preguntas pueden incluirse:

- ¿Cuál es el objeto de este ensayo?
- ¿Qué se espera que haga si me inscribo?
- ¿Cuánto tiempo demandará? ¿Se me compensarán los gastos de tiempo o de transporte?
- ¿Deberé someterme a más análisis o estudios que los habituales para mi tratamiento?
- ¿Cómo podría beneficiarme este ensayo?
- ¿Cómo podría beneficiar este ensayo a otras personas?
- ¿Existe algún riesgo asociado con este ensayo? ¿Cuáles? ¿Cuál es la probabilidad de que ocurran?
- ¿Cuántas personas se han inscrito en este ensayo?
- ¿Quién es el investigador a cargo del estudio? ¿Es el médico con el que me atiendo habitualmente?
- ¿He analizado la posibilidad de participar en el ensayo con los que me cuidan, como mi familia y amigos?

CONSIDERACIONES ESPECIALES RESPECTO DE LOS NIÑOS

Durante muchos años, se creyó que los niños no debían participar en ensayos clínicos. Como consecuencia, prácticamente no hubo comprobaciones de que los fármacos, procedimientos o dispositivos fueran útiles y seguros para los niños. Las decisiones sobre el uso de los tratamientos se tomaban sobre la base de los estudios desarrollados en adultos. Los niños no son adultos en miniatura. Paden enfermedades diferentes. Sus organismos están en crecimiento y utilizan la energía de distinto modo. No responden a los tratamientos del mismo modo que los adultos. Como resultado de ello, a menudo los niños recibían tratamientos incorrectos.

Dosificación de los medicamentos en los niños

- Sin ensayos clínicos que sirvieran para decidir la mejor dosis de los medicamentos en niños, a menudo les administramos la cantidad incorrecta.
- El modo en que actúan los fármacos puede ser muy diferente en los niños y en los adultos. A pesar de que puede resultar extraño, muchos fármacos deben ser administrados en dosis mayores o con mayor frecuencia a los niños para que tengan los mismos efectos observados en los adultos.

Las enfermedades de los niños

- Ciertas enfermedades afectan exclusivamente a los niños. Los ensayos clínicos en niños nos brindan conocimientos sobre los tratamientos, procedimientos y dispositivos nuevos para estos problemas.

Consentimiento con conocimiento de causa/ asentimiento del niño

- El consentimiento con conocimiento de causa es incluso más importante en los ensayos que utilizan niños. Ellos deben recibir toda la protección de dicho consentimiento concedida a los adultos. Además, el niño debe estar de acuerdo con el ensayo y los padres deben dar su autorización.

Actualmente el Gobierno federal exige que los niños sean parte de los ensayos clínicos de los tratamientos pediátricos. Si su hijo va a recibir un trasplante, sus médicos y enfermeros deben tomarse el tiempo necesario para explicarle el proceso de ensayos clínicos en niños.