

Fecha de Publicación Noviembre 2005
Revisado Enero 2008
Revisado Marzo 2012
Revisado Julio 17, 2017

Folletos de educación del paciente de ensayos clínicos

Autores

Roslyn Mannon, MD
David Rothstein, MD
Maria Luisa Alegre, MD, PhD
Giorgio Raimondi, PhD

Sociedad Americana De
Trasplantes

1120 Route 73, Suite 200
Mount Laurel, NJ 08054

Teléfono: 856-439-9986
E-mail: info@myAST.org
Sitio Web: myAST.org

La información presentada y las opiniones expresadas en este documento pertenecen a los autores y no representan necesariamente los puntos de vista de la Sociedad.

¿Qué es un ensayo clínico?

Un ensayo clínico es un estudio que evalúa si un nuevo tratamiento es seguro y eficaz (funciona bien). Un ensayo clínico también puede comparar un tratamiento nuevo con tratamientos más antiguos para ver cuál ayuda más a las personas. Los médicos usan ensayos clínicos para probar nuevos medicamentos, dispositivos médicos y procedimientos. Las personas que participan en los ensayos clínicos prueban un tratamiento y los investigadores recopilan datos para ver qué tan bien funciona.

El éxito actual de los trasplantes de órganos se debe a ensayos clínicos anteriores, que han permitido a los médicos encontrar formas de mejorar el cuidado para los recipientes de trasplantes de órganos. Los nuevos ensayos pueden ayudarnos a encontrar formas aún mejores.

¿Debo participar en un ensayo clínico?

Debe ser voluntario para participar en un ensayo clínico —no puede ser obligado a participar—. Su decisión de participar es importante. Debería saber esto:

- Sus médicos y el equipo de atención médica deben explicarle completamente el propósito del ensayo clínico y responder cualquier pregunta que tenga. No participe a menos que entienda completamente lo que implica.
- Cuando participa en un ensayo clínico, su salud puede o no mejorar.
- Sus médicos y su equipo de atención médica continuarán atendiéndole, ya sea que decida o no participar en un ensayo clínico.
- Puede decidir dejar de participar en un ensayo clínico en cualquier momento.

Puede ser uno de los primeros en probar un nuevo medicamento o tratamiento. Será atendido por un equipo de profesionales de la salud dedicados que están interesados en su salud. Una de las razones más importantes para unirse a un ensayo clínico es ayudarlos a comprender si un nuevo tratamiento tiene beneficios (efectos positivos) y/o riesgos (efectos negativos) en comparación con el tratamiento estándar.

¿Hay diferentes maneras de hacer ensayos clínicos?

Sí. Los equipos de salud utilizan diferentes formas de llevar a cabo ensayos clínicos.

Ensayos observacionales

Todos los pacientes en un ensayo observacional reciben el tratamiento estándar (usual) para su problema de salud, no un tratamiento nuevo. El equipo del estudio observa y registra cuidadosamente cómo se comportan los pacientes a lo largo del tiempo. Luego, el equipo puede comparar estos resultados con los resultados de los pacientes tratados para esa condición en un momento o lugar diferente.

Pruebas controladas

En un ensayo controlado, los pacientes se dividen en diferentes grupos:

- Algunos pacientes (el grupo experimental) reciben un nuevo tratamiento.
- Algunos pacientes (el grupo de control) reciben el tratamiento estándar.

Esto permite al equipo comparar directamente los resultados de los tratamientos nuevos y estándar. Un ensayo puede tener más de un grupo experimental, lo que le permite al equipo comparar varias combinaciones nuevas de tratamientos o diferentes dosis (cantidades) de un medicamento.

Un ensayo controlado permite al equipo de atención médica descubrir si el nuevo medicamento es mejor, peor o igual que el tratamiento estándar (o ningún tratamiento).

Ensayos aleatorios

En un ensayo clínico aleatorizado, se asigna a los pacientes a recibir un tratamiento u otro por casualidad (como lanzar una moneda). Por ejemplo, algunos pacientes pueden ser asignados al azar al grupo experimental (obtener el nuevo tratamiento), mientras que otros se asignan al grupo de control (obtener el tratamiento estándar). Ni el equipo de atención médica ni el paciente pueden elegir qué tratamiento recibirá un paciente.

El cuidado de todos los pacientes es similar, aparte del tratamiento específico que se está probando. El equipo verificará los resultados de los diferentes tratamientos a medida que avanza el ensayo. Al final de la prueba, compararán los resultados de cada grupo asignado.

Si los pacientes en un grupo están mucho mejor que los otros mientras el ensayo continúa, el equipo de atención médica detendrá el ensayo temprano.

Pruebas simple ciego o doble ciego

Los ensayos ciegos ayudan a eliminar los efectos de cualquier expectativa ("sesgo") del paciente o del equipo de atención médica:

- En un ensayo simple ciego, los pacientes no saben qué tratamiento reciben, pero el equipo de atención médica sí lo sabe.
- En un ensayo doble ciego, ni el equipo de atención médica ni los pacientes saben qué tratamiento están recibiendo.

Si surge la necesidad, como cuando un paciente tiene una reacción alérgica a un tratamiento, siempre es posible averiguar qué tratamiento está recibiendo el paciente.

Ensayos controlados con placebo

Un ensayo controlado con placebo es un tipo de ensayo en el que un grupo de pacientes se trata con un placebo. Un placebo se parece a la medicina experimental que se está probando en el ensayo, pero en realidad no contiene la medicina.

En los ensayos controlados con placebo, los pacientes del grupo experimental obtienen la nueva medicina y los pacientes del grupo de control reciben un placebo. Ninguno de los pacientes sabe si está recibiendo el nuevo tratamiento o un placebo. De esta manera, el estudio es simple o doble ciego.

¿Existen diferentes tipos de ensayos clínicos?

Hay 4 tipos, o fases, de ensayos clínicos. Los nuevos tratamientos deben pasar por pruebas en cada fase, comenzando con la fase 1.

- **Fase 1 – Los ensayos de fase 1 determinan si un nuevo tratamiento es seguro en humanos.**

- En la fase 1, un equipo de atención médica prueba un nuevo tratamiento en un pequeño número de voluntarios durante cortos períodos de tiempo para determinar su seguridad. Registran los efectos secundarios, cómo el cuerpo lo absorbe y cuánto tiempo permanece en el cuerpo.
 - Los ensayos de fase 1 generalmente usan voluntarios sanos que no tienen una condición. Por lo general, los participantes del primer ensayo reciben una dosis muy baja y, si los efectos secundarios son menores, el siguiente ensayo puede proporcionar una dosis más alta. Esto ayuda a los médicos a encontrar una dosis que probablemente funcione sin demasiados efectos secundarios.
- **Fase 2 – Los ensayos de fase 2 determinan si el tratamiento realmente funciona.**
 - Si las pruebas de la fase 1 muestran que un tratamiento es seguro, las pruebas de la fase 2 probarán su efectividad (qué tan bien funciona) para mejorar una condición. Los estudios de fase 2 utilizan voluntarios que realmente tienen la condición médica que el tratamiento pretende tratar. Estos ensayos a menudo incluyen un grupo de control que recibe un placebo o el tratamiento estándar.
 - Los ensayos de fase 2 generalmente incluyen más pacientes y toman el tratamiento durante un período de tiempo más prolongado que los ensayos de fase 1. Esto ayuda a los médicos a encontrar efectos secundarios que son menos comunes o que tardan en ocurrir. También pueden probar diferentes dosis para ver si esto mejora la efectividad del tratamiento sin causar demasiados efectos secundarios.
- **Ensayos de fase 3 y 4 – Los ensayos de fase 3 y 4 obtienen más información sobre la seguridad y la eficacia de un tratamiento en comparación con otros tratamientos disponibles.**
 - Los ensayos de fase 3 y 4 recopilan más información sobre la seguridad y la eficacia de un tratamiento. Estudian a más pacientes durante más tiempo y pueden incluir otros tipos de pacientes (como diferentes edades, diferentes niveles de función de los órganos o que tienen otra afección de salud que la que se estudia).
 - Los ensayos de fase 3 y 4 pueden evaluar diferentes dosis, la duración del tratamiento o diferentes combinaciones de tratamientos para obtener más información sobre su efectividad y efectos secundarios.

Un miembro de su equipo de atención médica le dirá qué tipos de ensayos están disponibles en su centro médico y le dará más información sobre los tratamientos que puede recibir.

¿Cuáles son los beneficios y riesgos de participar en un ensayo clínico?

Posibles beneficios

- Estará ayudando a otros al participar en la investigación médica.
- Es posible que tenga acceso a nuevos tratamientos de investigación antes de que se ofrezcan a otros.
- Participar en un ensayo clínico puede mejorar su salud, independientemente del grupo de tratamiento en el que se le asigne. El hecho de participar en un ensayo clínico a menudo implica que reciba atención de seguimiento más detallada de lo habitual en un centro de trasplantes. Los médicos creen que este cuidado y atención adicionales pueden mejorar su salud.

Posibles riesgos

- No hay forma de saber si un nuevo tratamiento que reciba durante un ensayo puede ser más efectivo, menos efectivo o igual para usted, que el tratamiento estándar.
- Puede tener efectos secundarios leves, graves o incluso peligrosos del tratamiento que recibe en un ensayo.
- Participar en un ensayo puede significar que necesitará dedicar más tiempo y atención a su cuidado médico. Por ejemplo, se le puede solicitar que acuda al centro de trasplantes con más frecuencia para realizar un seguimiento. Es posible que deba someterse a más tratamientos y pruebas, o seguir un programa de medicamentos más complejo.

Incentivos financieros – Algunos ensayos pueden ofrecer pequeñas cantidades de dinero para ayudar a invitar a las personas a participar en un ensayo. Sin embargo, esto no debería ser un factor importante en su decisión de participar.

¿Quién está cuidando de mí (el paciente)?

Todos los integrantes de su equipo de atención médica (médicos y enfermeras) desean proteger sus derechos e intereses y asegurarse de tener la mejor atención médica posible. Su equipo de atención médica se ocupará de usted, ya sea que participe o no en un ensayo clínico.

Si está interesado en participar en una prueba, su equipo lo ayudará a averiguar qué pruebas están disponibles y si es un buen candidato para cualquiera de ellas.

Reglas que ayudan a que los ensayos sean seguros para los pacientes

- Cualquier medicamento nuevo se prueba en animales o células humanas antes de ser probado en humanos. Esto les da a los científicos una idea de cómo funciona el medicamento y si existen problemas de seguridad importantes que impidan las pruebas reales en voluntarios humanos.
- Antes de que cualquier medicamento o dispositivo nuevo se use en humanos, la Administración Federal de Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) debe aprobarlo como un Nuevo Medicamento en Investigación (IND, por sus siglas en inglés). La FDA revisa todo lo que se sabe sobre el medicamento y sus pruebas.

En muchos casos, es posible que el medicamento no sea nuevo, pero que ya haya sido aprobado para su uso en una enfermedad diferente.

- Por ley, cada centro que realiza ensayos clínicos con humanos debe tener una Junta de Revisión Institucional (IRB, por sus siglas en inglés). La IRB:
 - Es un grupo independiente de personas asignadas a revisar y monitorear la investigación. Incluye médicos que no participan en el ensayo y miembros de la comunidad.
 - Trabaja para ayudar a proteger los derechos, la seguridad y el bienestar de cualquier persona que esté participando o pensando participar en un ensayo clínico. Para esto, ellos:
 - Examinan el plan de investigación, el proceso de consentimiento y cómo se acepta a los pacientes en un ensayo.
 - Se aseguran de que la investigación se realice de forma ética.
 - Comprueban que el diseño del ensayo y la forma en que se lleva a cabo cumplen con todas las leyes y cumplen con las normas de seguridad y monitoreo adecuadas para los ensayos clínicos.
- La mayoría de los ensayos que prueban un nuevo tratamiento son seguidos por una Junta de Monitoreo de Datos y Seguridad (DSMB, por sus siglas en inglés). Una DSMB:
 - Es un comité de científicos que son expertos en el campo, pero que no están directamente involucrados en el ensayo (para ensayos más pequeños, el "DSMB" puede ser un oficial de seguridad independiente).
 - Revisa los datos a medida que avanza el ensayo y sabe qué tratamientos están recibiendo los pacientes.
 - Sugiere formas de proteger a los pacientes o incluso puede detener un ensayo si los resultados muestran que un tratamiento no funciona o produce demasiados efectos secundarios.

Consentimiento informado

El consentimiento informado es un proceso en el que recibe una explicación del ensayo clínico sobre los posibles riesgos y beneficios, su rol esperado en el ensayo y sus derechos (consulte a continuación) como participante de una investigación antes de que acepte participar.

Si tiene alguna pregunta o inquietud sobre su función antes o en cualquier momento durante el ensayo, consulte a su equipo de atención médica. Después de todo, debe estar informado antes de poder dar su consentimiento (acuerdo).

Si está pensando en participar en un ensayo clínico, tiene derechos.

El equipo de atención médica debe informarle:

- ¿Qué tipo de prueba es y por qué se realiza?
- Sobre el dispositivo experimental o el medicamento que se usará y qué tipo de procedimientos estarán involucrados.
- Acerca de los procedimientos, medicamentos o dispositivos que estarán disponibles para los pacientes que no participan en el ensayo. También deben informarle cómo se comparan los riesgos y beneficios de dichos tratamientos con los esperados de los pacientes que participan en el ensayo.

- Acerca de cómo la prueba podría afectar cualquier otra opción de tratamiento que le puedan ofrecer durante o después de la prueba.
- Cómo se informarán los nuevos hallazgos a los pacientes en el ensayo y cómo estos hallazgos podrían cambiar la disposición de una persona para participar en el ensayo.
- Datos sobre su consentimiento:
 - Su consentimiento para participar es completamente voluntario. No debe ser debido a ningún tipo de fuerza u otras influencias.
 - Su consentimiento puede ser retirado en cualquier momento y por cualquier motivo.
 - Si retira su consentimiento, esto no afectará la atención que recibe en el centro de trasplantes.
- Si se le pagará por alguna de sus visitas y por participar.

El equipo de salud debe darle:

- Una descripción de las molestias y riesgos que se esperan. También deben informarle si habrá algún costo financiero para usted o para su compañía de seguro de salud.
- La oportunidad de hacer preguntas sobre el ensayo y lo que sucederá en el ensayo.
- Una explicación de los beneficios, si los hubiera, que podría esperar.
- Una copia de cualquier formulario de consentimiento utilizado en cualquier etapa del ensayo.
- El tiempo y la oportunidad de pensar detenidamente si unirse al ensayo.

Lista de verificación para considerar participar en un ensayo clínico

Antes de aceptar participar en un ensayo clínico, es importante que tenga toda la información que necesita para confiar en su decisión. Asegúrese de tener respuestas a todas sus preguntas. Discuta toda la información con su familia antes de tomar una decisión.

Sus preguntas pueden incluir estas:

- ¿Cuál es el propósito de esta prueba?
- ¿Qué se espera que haga si participo?
- ¿Cuánto tiempo debo dedicar? ¿Se me pagará por mi tiempo y se pagarán los gastos de viaje?
- ¿Necesitaré más pruebas o estudios en comparación con la atención habitual que obtendría?
- ¿Cómo me beneficiará esta prueba?
- ¿Cómo beneficiará esta prueba a otros?
- ¿Hay riesgos involucrados en este ensayo? ¿Cuáles son los riesgos y qué tan probables son los riesgos?
- ¿Cuántas otras personas se han inscrito en este ensayo?

- ¿Quién es el investigador que dirige este estudio? ¿Será uno de los médicos a los que acudiré con regularidad o algún otro miembro del equipo de atención médica?
- ¿He hablado sobre unirme al estudio con quienes se preocupan por mí, como familiares y amigos?

¿Por qué es importante que los niños participen en los ensayos clínicos?

Las personas solían pensar que los niños no deberían participar en ensayos clínicos. Debido a esto, se comprobó que muy pocos medicamentos, procedimientos o dispositivos son útiles y seguros para los niños. Los médicos tuvieron que usar estudios realizados en adultos para decidir sobre los tratamientos para niños, y en ocasiones los tratamientos no fueron correctos.

Los niños deben participar en los ensayos clínicos que prueban:

- Medicamentos para niños, para que los médicos puedan darles las cantidades e intensidades correctas.
- Enfermedades que solo ocurren en niños, para aprender sobre nuevos tratamientos, procedimientos y dispositivos.

Los niños deben dar su consentimiento o acuerdo informado

El consentimiento informado es aún más importante en los ensayos con niños. El niño debe aceptar el ensayo y los padres deben dar su permiso. El gobierno federal ahora exige que los niños sean parte de los ensayos clínicos de tratamientos que se utilizarán para niños. Si su hijo va a tener un nuevo órgano, sus médicos y enfermeras deben tomarse el tiempo para explicar completamente cómo funcionan los ensayos clínicos para niños.

Para aprender más

- Pregunte a su equipo de atención médica del ensayo cualquier duda, o para obtener más información.
- Hable con su médico habitual sobre ensayos clínicos.
- Visite el sitio web de "Ensayos Clínicos" de la FDA (www.clinicaltrials.gov). En ese sitio web puede buscar pruebas para la condición específica que tiene. Incluso puede buscar ensayos en los que desee considerar participar.