

ENTENDIENDO

INVESTIGACIÓN DE ENSAYOS CLÍNICOS

LA FUNCIÓN DE
LOS VOLUNTARIOS

INVESTIGACIÓN DE ENSAYOS CLÍNICOS

DETALLES SOBRE LA
PARTICIPACIÓN EN
UN ESTUDIO CLÍNICO

POR BRUCE GOLDFARB

¿Alguna vez se preguntó cómo puede colaborar en la lucha destinada a mejorar el tratamiento para el lupus? No es necesario que usted sea un profesional de la salud para involucrarse en la investigación sobre el lupus; puede favorecer el avance del tratamiento participando en un ensayo clínico.

“La función de los voluntarios como asociados en la investigación clínica es fundamental en la búsqueda del conocimiento que mejorará la salud de las generaciones futuras. La salud de millones de personas mejoró gracias a la buena disposición de miles de individuos para participar en ensayos clínicos, quienes, a su vez, aportaron avances a la investigación médica,” comenta el doctor Steven I. Katz, director del Instituto Nacional de Artritis y Enfermedades Musculoesqueléticas y de la Piel.

El avance de la medicina depende de millones de personas que participan de manera voluntaria en estudios o ensayos clínicos cada año. Participar en la investigación es fundamental para profundizar el conocimiento sobre el lupus y otras enfermedades y, en última instancia, conduce a lograr tratamientos más eficaces.

ACEPTACIÓN DE LA INVESTIGACIÓN CLÍNICA

Reacción adversa: efecto colateral no deseado de una droga

Valores iniciales o de referencia: mediciones realizadas al inicio de un estudio

Enmascaramiento o cegamiento: esfuerzos para evitar que los participantes sepan si están en el grupo de tratamiento o en el grupo que recibe placebo. En un estudio de diseño simple ciego, el participante no conoce la naturaleza de una determinada droga o intervención, pero es posible que el equipo de investigación sí la conozca. En un estudio de doble ciego, ni el participante ni el equipo de investigación saben quién recibe la droga y quién recibe placebo.

Cohorte: grupo de personas con características en común.

Control: personas con características similares a las del grupo de intervención, pero que reciben placebo o cuidados habituales.

Criterio de valoración: resultado general que intenta medir el estudio.

Consentimiento informado: el proceso de aprender la información clave de un ensayo clínico antes de decidir si va a participar en él.

Comité de revisión institucional (Institutional Review Board, IRB): comité formado por médicos, estadísticos, investigadores, defensores de la comunidad y otras personas que garantiza que un ensayo clínico sea ético y protege los derechos de los participantes. Todos los ensayos clínicos que se realicen en los Estados Unidos deben contar con la aprobación de un IRB.

Intervención: cualquier droga o terapia que produzca un efecto.

Placebo: pastilla, líquido o polvo que no contengan ningún ingrediente activo.

Protocolo: el diseño de un ensayo clínico.

Aleatorización: método por el cual los participantes son asignados a grupos de intervención y de control, que tiene por objeto reducir o eliminar el margen de error

Fuente: clinicaltrials.gov, Institutos Nacionales de Salud (National Institutes of Health)

ROSS ANANIA/GETTY IMAGES

“Esos estudios son extremadamente importantes,” afirma la doctora Ellen M. Ginzler, Máster en Salud Pública, profesora de medicina y jefa de reumatología en el Centro Médico Downstate de la Universidad Estatal de Nueva York, en Brooklyn.

Participar en una investigación clínica puede beneficiar a alguien con lupus, sostiene Kenneth Getz, cofundador y presidente del consejo del Centro para la Información y el Estudio sobre Participación en la Investigación Clínica.

“Con frecuencia, los ensayos clínicos ofrecen al voluntario la sensación de que tiene un mayor poder,” agrega Getz, quien también cofundó *CenterWatch* y escribió *Informed Consent: A Guide to the Risks and Benefits of Volunteering for Clinical Trials*. (Consentimiento informado: una guía sobre los riesgos y los beneficios de participar en ensayos clínicos como voluntario). *CenterWatch* brinda servicios de información y material educativo sobre la investigación clínica a los pacientes y a sus defensores.

“Durante su participación en el ensayo, los pacientes se benefician de la interacción con profesionales y expertos dedicados a la investigación muy reconocidos,” comenta. “Aunque es posible que su participación no les ofrezca una opción de tratamiento eficaz para ellos mismos en forma directa, dicha participación proporcionará conocimientos e información médica valiosa que, en última instancia, beneficiarán a otras personas que deban enfrentar la enfermedad en el futuro.”

Evaluación de drogas nuevas

Según Getz, todos los años se llevan a cabo más de 80.000 ensayos clínicos en los Estados Unidos. Los estudios observacionales están diseñados para reconocer tendencias en determinados aspectos de interés médico. Los estudios de intervención prueban drogas, terapias o dispositivos nuevos.

Uno de los tipos de estudio más comunes –y para algunos, el más importante– es el ensayo clínico para probar drogas nuevas.

Según Joan Merrill, M.D., de la Fundación para la Investigación Médica de Oklahoma y directora médica de la Fundación Estadounidense contra el Lupus (*Lupus Foundation of America*), las drogas disponibles para el tratamiento del lupus eritematoso sistémico son pocas y muy valoradas, y la Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos (*Food and Drug Administration*, FDA) no ha aprobado drogas nuevas para tratar el lupus en décadas.

La buena noticia es que existen al menos 20 compuestos en proyecto con potencial terapéutico para las personas con lupus, agrega Merrill.

“Es necesario que el participante sea una parte activa del equipo de estudio, que haga todo lo posible por cumplir con el protocolo, respete las citas con los médicos e informe cualquier cambio en su estado de salud en forma inmediata.”

La ley federal dispone que todas las drogas aprobadas por la FDA deben demostrar su seguridad y eficacia mediante ensayos clínicos correctamente controlados. Después de que los estudios preclínicos con animales, tejido o cultivos celulares indican que una sustancia posee un efecto terapéutico promisorio, un laboratorio farmacéutico puede presentar una solicitud de investigación sobre una droga nueva ante la FDA y comenzar los ensayos clínicos con voluntarios humanos.

Por lo general, los ensayos de fase I se llevan a cabo con grupos reducidos de personas que pueden estar sanas o sufrir formas leves de la enfermedad para la que se prueba la droga. Esos ensayos evalúan la seguridad de una droga, determinan un rango de dosis seguro e identifican los efectos secundarios.

Las drogas que aprueban la fase I pasan a la fase II, lo cual implica el análisis de una droga en grupos más numerosos de personas con la misma enfermedad para verificar si la droga es eficaz y para continuar con el control de la seguridad. En los ensayos de fase III, se provee la droga a grupos muy numerosos de personas con la enfermedad a fin de determinar su eficacia, evaluar cómo funciona si se la compara con la terapia existente y recopilar información que permitirá su utilización en forma segura. En cada una de esas fases, existen dos grupos de participantes: un grupo que recibe la droga y un grupo que recibe un placebo en lugar de la droga. El placebo, también denominado “pastilla de azúcar,” es una sustancia que no posee el ingrediente activo en estudio.

De acuerdo con el diseño del estudio, puede asignarse a una persona al grupo control o al grupo placebo en forma aleatorizada. Sin embargo, a pesar de que las personas del grupo placebo no reciben los beneficios potenciales de la droga, aún así existen ventajas para ellos por participar en el estudio, afirma Ginzler.

“Obtienen un seguimiento más frecuente, un examen médico riguroso y acceso directo a los profesionales médicos que llevan adelante el estudio,” explica.

En algunos casos, los laboratorios farmacéuticos luego llevan a cabo ensayos de fase IV, también conocidos como vigilancia postcomercialización o estudios de etiqueta abierta. Esos estudios también recopilan información adicional sobre los riesgos y beneficios en el largo plazo y sobre el uso de drogas aprobadas en forma reciente.

Tratamiento y control

No todos pueden participar en un ensayo clínico. El candidato ideal para un ensayo clínico es alguien “que comprenda

PREGUNTAS PARA HACER

La decisión de participar en un estudio clínico no debe tomarse a la ligera. Si usted tiene la intención de participar, debe comprender claramente la naturaleza y los objetivos del estudio y su función en él. Pregúntele al equipo de investigación todo aquello que no comprenda claramente.

Puntos que debe tomar en consideración antes de aceptar participar:

- El objeto del estudio.
- Sus derechos como participante, incluso el derecho a no participar o a dejar de participar en cualquier momento.
- Sus deberes y obligaciones como participante.
- La duración del estudio y el tiempo que se espera que usted destine al estudio.
- Cualquier efecto que pueda tener el estudio, incluso los posibles riesgos y beneficios.
- Si le van a reembolsar los gastos.

Si el estudio incluye una intervención —una droga o terapia que produce un efecto—, también deberían brindarle información sobre los siguientes puntos:

- Sus posibilidades de estar en el grupo de intervención, en comparación con las posibilidades de estar en el grupo de control.
- La forma en que será asignado a un grupo u otro (generalmente eso se define mediante la aleatorización).
- Las probabilidades de sufrir reacciones adversas u otros riesgos como consecuencia de estar en el grupo de intervención.
- Otras alternativas que usted puede considerar en lugar de participar en un estudio clínico.

Fuente: clinicaltrials.gov; “Participación en estudios de investigación médica” (“Participating in medical research studies”). JAMA 2001; 285:686.

TIPOS DE ESTUDIOS CLÍNICOS

Muchos tipos de ensayos clínicos se basan en la participación voluntaria. La mayoría de los estudios clínicos, aunque no todos, son para probar drogas nuevas. Entre los diversos tipos de estudios clínicos se incluyen los siguientes:

Ensayos clínicos de tratamiento: estos ensayos se hacen para probar nuevos dispositivos, terapias, combinaciones de drogas o enfoques de tratamiento.

Ensayos clínicos de prevención: en estos ensayos se pretende encontrar mejores formas de prevenir enfermedades, reducir su gravedad o evitar las complicaciones asociadas con una enfermedad.

Ensayos clínicos de diagnóstico: estos ensayos tienen como objetivo encontrar mejores pruebas o procedimientos para diagnosticar una enfermedad o afección.

Ensayos clínicos de detección: estos ensayos sirven para probar cuáles son las mejores formas de detectar ciertas enfermedades o afecciones a la salud.

Ensayos clínicos de calidad de vida: estos ensayos evalúan la forma de mejorar el confort y la calidad de vida de las personas con enfermedades crónicas

Fuente: clinicaltrials.gov

completamente lo que implica el ensayo y los posibles riesgos y beneficios para ellos,” indica Merrill.

Un candidato para un ensayo clínico “debe tener un nivel de síntomas o de enfermedad que sea adecuado para los tipos de tratamiento y las opciones que brindará el protocolo del ensayo,” agrega. “Es necesario que el participante sea una parte activa del equipo de estudio, que haga todo lo posible por cumplir con el protocolo, respete las citas con los médicos e informe cualquier cambio en su estado de salud en forma inmediata.”

Debido a que el lupus es más común en las personas de color, y que puede ser más grave, es especialmente importante que los estudios sobre el lupus incluyan poblaciones diversas en términos étnicos y culturales.

Actualmente, los investigadores colaboran con una gran cantidad de centros médicos e instituciones de investigación, tanto en su país como en otros países. “Los estudios multicéntricos y multinacionales tienen por objeto proporcionar una mezcla de personas,” dice Ginzler, cuyo equipo es uno de los 30 centros de los Estados Unidos y el exterior que pertenece al grupo SLICC (*Systemic Lupus International Collaborating Clinics*, Clínicas de Colaboración Internacional contra el Lupus Sistémico).

Típicamente, existen criterios específicos para la inclusión en el ensayo clínico. Los investigadores quizá busquen, por ejemplo, a personas con formas de lupus leves y sin complicaciones, o a personas con miembros de la familia que también se encuentren afectados por lupus u otras enfermedades autoinmunes.

A los potenciales participantes del estudio se les explican esos detalles—y cualquier otra información que sea esencial

para un ensayo clínico—con anterioridad a la inscripción, durante el período de consentimiento informado. El consentimiento informado es un proceso durante el cual el equipo de investigación analiza los datos clave del estudio con el posible participante y responde todas y cada una de sus preguntas antes de que esa persona acepte participar. Es importante que consulte sobre todas las dudas que tenga acerca del estudio y la función que usted tendrá en él. El equipo de investigación debe estar preparado para responder de manera satisfactoria todas las preguntas que usted le haga. Si no está seguro de algo, pídale a un miembro del equipo que se lo aclare; ése es el propósito por el que se reúnen con usted. A muchas personas también les resulta útil ir acompañadas con un miembro de la familia o con otra persona que las cuida cuando se reúnen con el equipo de investigación.

Típicamente, los participantes de los estudios clínicos reciben una evaluación médica exhaustiva y, una vez aceptados, pueden acceder a nuevas terapias antes de que éstas se encuentren disponibles para el público en general. Por otra parte, las personas que se inscriben como voluntarias para un ensayo clínico “saben claramente que es posible que no reciban ningún beneficio personal de esa experiencia,” dice Ginzler.

La mejor razón para participar en un estudio clínico es que la investigación así lo requiere. Sólo se lograrán avances en el tratamiento del lupus y en la prevención de sus complicaciones mediante la participación voluntaria. ■

Este artículo está disponible en Inglés en nuestra página de [Internet lupus.org](http://Internet.lupus.org), en la sección de Inglés o nos pueden escribir a lupusnow@lupus.org.

PARA MÁS INFORMACIÓN

Clinicaltrials.gov— Sitio Web proporcionado por los Institutos Nacionales de Salud (*National Institutes of Health, NIH*) con una base de datos que permite realizar búsquedas de todos los ensayos clínicos patrocinados por los NIH. También contiene un listado de preguntas frecuentes y otros recursos para las personas que tengan interés en participar

CISCRP.org—Centro de Información y Estudio sobre la Participación en Investigaciones Clínicas (*Center for Information and Study on Clinical Research Participation*). Una organización sin fines de lucro dedicada a brindar información sobre la participación en investigaciones clínicas.

CenterWatch.com—Sitio Web que conecta a los investigadores con personas interesadas en participar en estudios clínicos. Contiene información, recursos y una base de datos de ensayos clínicos que permite realizar búsquedas.

Formar parte de estudios clínicos: ¿Qué preguntas debería hacer?—Folleto del Centro Nacional de Prevención e Información (*National Prevention Information Network, NPIN*) de los Centros para el Control y la Prevención de Enfermedades (*Disease Control and Prevention, CDC*). Disponible en www.cdcnpin.org/Brochures/ResStudy.pdf o llamando al CDC al (800) 458-5231



Foundation of America, Inc.

Lupus Foundation of America
2000 L Street, NW, Suite 710
Washington, DC 20036

202-349-1155 • 800-558-0121
www.lupus.org