

# Introducción a los ensayos clínicos



## ¿Qué es un ensayo clínico?

Un ensayo clínico es un estudio de investigación médica en el que se buscan modos de prevenir, diagnosticar o tratar enfermedades en seres humanos de forma más eficaz. En los ensayos clínicos, se miden la seguridad y la eficacia de tratamientos nuevos como, por ejemplo, una nueva medicación o un uso nuevo de una medicación existente; dispositivos médicos (tales como marcapasos) o pruebas y procedimientos para el diagnóstico de enfermedades. Para considerar su participación en un ensayo clínico, se asigna de forma prospectiva a los participantes el tratamiento experimental (y en algunos casos un placebo) para medir el efecto del tratamiento experimental en algún aspecto de la salud humana.

Antes de que un tratamiento, dispositivo o procedimiento experimental se pueda analizar en un ensayo clínico, debe haber demostrado beneficios en análisis de laboratorio, estudios de investigación en animales o alguna investigación en un grupo reducido de seres humanos. Los ensayos clínicos deben seguir las mismas pautas éticas y legales (y, a veces, pautas más estrictas) como parte de la práctica médica estándar para proteger la seguridad de los participantes. Dichas leyes se redactan para asegurar que los estudios no causen daños a las personas.

Los ensayos clínicos se realizan en fases. Cada fase del ensayo clínico tiene un propósito diferente.

### ■ FASE 1

El tratamiento experimental se administra a un grupo reducido (20 a 80 personas) por primera vez para evaluar su seguridad, el intervalo de dosis y los efectos secundarios.

### ■ FASE 2

El tratamiento experimental se administra a un grupo más grande (100 a 300 personas) para evaluar la seguridad y la eficacia.

### ■ FASE 3

El tratamiento experimental se administra a grupos más grandes (1,000 a 3,000 personas) para confirmar la eficacia, monitorear los efectos secundarios y compararlo con los tratamientos de atención estándar actuales o un placebo.



Si el tratamiento experimental funciona bien en un ensayo de Fase 3, los investigadores pueden presentar una solicitud de permiso a la Administración de Alimentos y Medicamentos de los EE. UU. (Food and Drug Administration, FDA) para poner el tratamiento a disposición del público. El proceso de aprobación de la FDA, en general, tarda un año aproximadamente. El proceso de revisión de la FDA se realiza en diferentes etapas para revisar la investigación y los datos del ensayo clínico y para decidir si este puede ser un tratamiento útil.

En algunos casos, la investigación continúa incluso después de que la FDA haya aprobado un tratamiento. La FDA puede solicitar a los investigadores que realicen un ensayo de Fase 4.

#### ■ FASE 4

Los investigadores recopilan toda la información que tienen sobre la seguridad y la eficacia del tratamiento experimental a largo plazo después de que se aprueba el fármaco.

## ¿Debería considerar su participación en un ensayo clínico?

La decisión de participar en un ensayo clínico debe incluir la conversación con su médico, sus familiares y cuidadores, el equipo del ensayo clínico y, a veces, su compañía aseguradora para confirmar que esto sea una opción para usted.

*“Mi médico me pidió que considere participar en un ensayo clínico... me explicaron el ensayo con detalle y me describieron el proceso. Antes de que me aceptaran en el programa, tuve que realizarme análisis por unos meses, que continuaron a intervalos regulares una vez que me comenzaron a dar el medicamento del ensayo. Entre las visitas al médico, los análisis de laboratorio y la disponibilidad del coordinador clínico para hacerle preguntas, siempre me sentí segura. Quizás un día este sea el tratamiento preferido, y esto sea posible gracias a todos los que participamos en este ensayo clínico”.*

*Connie*

Estos son algunos posibles beneficios de los ensayos clínicos:

- Acceso a nuevos tratamientos en investigación
- Acceso a la atención de especialistas o expertos
- Colaboración en una investigación médica que puede ayudar a otras personas

Estos son algunos posibles riesgos asociados con los ensayos clínicos:

- Efectos secundarios graves
- Resultado del tratamiento no satisfactorio
- Incapacidad para participar en otros ensayos

## **¿Qué debo saber sobre la cobertura del seguro y los ensayos clínicos?**

Muchos estados poseen leyes o contratos que requieren que los planes de seguro médico cubran al menos el costo de la atención de rutina cuando se participa en ensayos clínicos. Aun así, la cobertura del seguro médico de los ensayos clínicos puede ser diferente según la compañía, el plan y la ubicación del ensayo clínico. Las compañías o los planes de seguro médico pueden cubrir todos los costos de los pacientes relacionados con los ensayos clínicos, mientras que otras pueden cubrir algunos costos o ninguno.

Debe consultar con su compañía aseguradora antes de registrarse para un ensayo clínico de modo que sepa con anticipación qué estará cubierto o no. Llame al número del área de Beneficios para miembros de la compañía, que puede encontrarse en el reverso de su tarjeta de seguro. Proporcione la información del ensayo clínico y podrán decirle si los costos estarán cubiertos en su totalidad o en parte, o si no estarán cubiertos.

Otra persona importante con quien debe hablar es el coordinador del ensayo clínico, cuya función incluye proporcionar información importante a las personas que participan en estos estudios. El coordinador del ensayo clínico le puede informar sobre todos los costos para el paciente relacionados con el ensayo clínico. La información de contacto del coordinador del ensayo clínico debe estar incluida en cada ensayo.

## **¿Quién puede participar en un ensayo clínico?**

Cada ensayo clínico tiene pautas y requisitos sobre qué personas pueden participar, según los objetivos de cada ensayo.

En diversos ensayos, se realizan estudios en personas de todos los orígenes. En algunos ensayos clínicos, se puede observar el modo en que las distintas pruebas funcionan en las personas que tienen ciertas enfermedades. En algunos, se puede buscar solamente a personas de cierta edad, sexo, raza o etnia, o personas que tengan una enfermedad, se encuentren en una etapa de enfermedad o tengan antecedentes de tratamiento en particular. En otros, se puede buscar a personas sin problemas de salud graves.

## **¿Qué información recibirá antes de unirse a un ensayo clínico?**

Si usted reúne los requisitos para un ensayo clínico, deberá hablar con el equipo del ensayo clínico antes de comenzar a participar. El equipo del ensayo clínico está conformado por médicos, enfermeros, trabajadores sociales y otros profesionales de la

salud. Ellos revisarán el protocolo del ensayo clínico con usted. En el protocolo del ensayo clínico, se describirán los objetivos del estudio y el modo en que el estudio se diseñará y realizará. El protocolo del ensayo clínico incluye, entre otros aspectos, lo siguiente:

- Procesos del ensayo clínico, como las pruebas que se pueden realizar
- Riesgos y beneficios conocidos del tratamiento experimental
- Duración del ensayo clínico
- Información de contacto del ensayo clínico
- Información de contacto del equipo que está realizando la investigación

El proceso del **consentimiento informado** incluye proporcionar los detalles que figuran arriba, así como explicarle sus derechos como participante de una investigación. Si después de recibir toda esta información usted comprende el estudio en su totalidad y desea participar voluntariamente en el ensayo clínico, se le pedirá que firme un formulario de **consentimiento informado**.

Usted puede decidir dejar de participar en un ensayo clínico en cualquier momento, incluso si ha firmado el formulario de consentimiento informado. Deberá conservar una copia de su formulario de consentimiento informado, ya sea que decida permanecer en el ensayo o decida irse.

## ¿Qué debería esperar que suceda durante el ensayo clínico?

En general, al comienzo del ensayo clínico, se revisa el estado de salud de cada participante, y el equipo proporciona instrucciones a los participantes. Luego, el equipo realizará un monitoreo minucioso en usted y los demás participantes durante el ensayo clínico, y realizará el seguimiento de cada persona después de que se haya completado el ensayo clínico.

*“Supe sobre el ensayo clínico a través de la página web de Wilson Disease. Me pareció genial que este ensayo pudiera ayudar a los pacientes de Wilson en el presente y el futuro. Como estuve de acuerdo con el propósito y me contestaron con claridad todas las preguntas e inquietudes, me registré. Los ensayos clínicos son importantes, y todas las personas que reúnan los requisitos deberían considerar participar porque son de gran valor a nivel personal y para la comunidad”.*

*Eleni*

Debe quedar claro para usted qué aspectos le están midiendo, pero no es necesario que le informen por qué lo están solicitando. Las pruebas mensurables pueden incluir la revisión de la presión arterial, la frecuencia cardíaca o los resultados de análisis de sangre, radiografías y, a veces, muestras de tejido (por ejemplo, biopsias del hígado). Estas pruebas se pueden repetir con frecuencia para garantizar que los resultados sean exactos.

## **¿Dónde puede buscar información sobre los ensayos clínicos actuales?**

Puede obtener información sobre los ensayos clínicos en su área o en toda la nación de la siguiente manera:

- A través de su proveedor médico o los hospitales locales
- Buscador de ensayos clínicos Antidote ([www.antidote.me/](http://www.antidote.me/))
- Ensayos clínicos de los Institutos Nacionales de la Salud ([www.nih.gov/health-information/nih-clinical-research-trials-you](http://www.nih.gov/health-information/nih-clinical-research-trials-you))
- Medline Plus ([www.medlineplus.gov/clinicaltrials.html](http://www.medlineplus.gov/clinicaltrials.html))

***“La oportunidad de participar en un ensayo de investigación me hizo sentir que no era solamente una paciente que luchaba con una enfermedad, sino que también estaba ayudando a encontrar un tratamiento o una cura. Es una sensación empoderante saber que, al estar en un ensayo, estoy ayudando a los pacientes del futuro. El ensayo en el que participé estaba muy bien organizado, y yo tenía personas de contacto específicas que respondieron con mucha rapidez mis preguntas e inquietudes. Fue muy agradable tener a alguien que conociera mi historia clínica completa y estuviera familiarizado con mi enfermedad”.***

**Jess**

## **¿Cuáles son las siguientes etapas si usted tiene interés en un ensayo clínico?**

Hable con su médico para que le dé su opinión. Cuando esté listo para obtener más información sobre el ensayo clínico, consulte con el coordinador del ensayo clínico para comprobar si usted reúne los requisitos. La información es pública y debe incluirse en cualquier anuncio relacionado con el ensayo.

Si usted reúne los requisitos iniciales, se programará una prueba de selección previa al ensayo, durante la cual se realizarán estudios que permitirán a los investigadores decidir si usted puede ser candidato para el ensayo. La selección previa al ensayo también será una oportunidad para que usted conozca más sobre el ensayo clínico, lo que incluye los riesgos y beneficios. La selección puede incluir una combinación de entrevistas telefónicas, cuestionarios en línea y análisis presenciales.



## ¿Se publicarán los resultados del ensayo clínico?

Una vez que se haya terminado la obtención de datos, estos se publicarán y vincularán con la página del ensayo clínico. Se podrán encontrar en la pestaña con el texto “Results Posted” (se han publicado resultados). Si los resultados aún no se encuentran disponibles, la pestaña tendrá el texto “No Results Posted” (no se han publicado resultados).

## Preguntas para hacerle al proveedor de atención médica

- ¿Los ensayos clínicos son una opción para mí? Si es así, ¿de qué tipo?
- ¿Conoce algún ensayo clínico que pueda ser una buena opción para mí?
- ¿Cuáles son los riesgos y beneficios de participar en un ensayo clínico?
- Si me asignan a un grupo de placebo, ¿el tratamiento estará disponible para mí después del ensayo?
- ¿Cómo sabré si tengo efectos secundarios positivos o negativos del tratamiento experimental?
- ¿Cómo afectará mis otros problemas de salud la participación en un ensayo clínico?
- ¿Puedo continuar tomando mis medicamentos habituales si participo en el ensayo clínico?
- ¿Tendré que realizar un seguimiento con usted o con el equipo del ensayo clínico durante el ensayo?

## Preguntas para hacerle al equipo del ensayo clínico

- ¿Cuál es el propósito de este ensayo clínico?
- ¿Por qué se considera que este tratamiento experimental es eficaz?
- ¿Cuáles son los riesgos y beneficios relacionados con este ensayo clínico?
- ¿Cuál es la similitud entre los posibles riesgos y beneficios de este ensayo y mi tratamiento actual?

- ¿Qué efectos a corto y largo plazo tendrá este ensayo en mis actividades de la vida diaria?
- ¿Qué se espera de mí si participo en este ensayo clínico?
- ¿Qué tipos de pruebas se realizan?
- ¿Cuánto durará el ensayo clínico?
- ¿Es posible que yo reciba un placebo?
- ¿Tendré que pagar para acceder a alguna de las partes de este ensayo clínico?
- ¿Cómo sabré si el tratamiento experimental está funcionando?
- ¿Qué sucede si mi afección empeora durante el ensayo clínico?
- ¿Con quién me comunico si necesito abandonar el ensayo clínico y cuál es el mejor medio para comunicarme con esa persona?
- ¿Quién será responsable de mi atención?
- ¿Debo seguir consultando con mi propio médico durante el ensayo clínico?
- ¿Qué tipo de atención de seguimiento a largo plazo forma parte de este estudio?
- ¿Qué sucede al final del ensayo clínico?
- ¿Me dirán los resultados del ensayo clínico?  
¿Cuándo?

## Glosario

**Ensayo clínico:** un ensayo clínico es un estudio de investigación que se realiza para determinar si una prueba o un tratamiento que se administre a las personas es seguro y eficaz antes de ponerlo a disposición del público.

**Grupo de control:** un grupo de control está conformado por personas que reciben el tratamiento que se utiliza en la actualidad o un placebo. El grupo de control sirve como grupo de comparación para medir la eficacia del tratamiento experimental que otros participantes están recibiendo.

**Estudio con doble enmascaramiento:** un estudio con doble enmascaramiento es un ensayo clínico en el que ni el participante ni el investigador conocen el tratamiento que el participante está recibiendo hasta que haya finalizado el ensayo clínico.

**Administración de Alimentos y Medicamentos de los EE. UU. (Food and Drug Administration, FDA):** la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) es una agencia del gobierno responsable de

procurar que todos los medicamentos, las vacunas los y equipos médicos sean seguros y eficaces.

**Consentimiento informado:** el consentimiento informado es el proceso de conocer todos los detalles acerca del ensayo clínico antes de decidir participar.

**Junta de revisión institucional (institutional Review Board, IRB):** una junta de revisión institucional (IRB) es un comité de profesionales de la salud y miembros de la comunidad que revisan, aprueban y monitorean los ensayos clínicos para garantizar que los posibles riesgos sean lo más bajos posibles y que el ensayo clínico cumpla los códigos de ética y legales de la práctica médica.

**Placebo:** un placebo es una píldora, un líquido o un polvo inactivo que tiene el aspecto del tratamiento experimental, pero que no produce efectos en el organismo. En algunos ensayos clínicos, los tratamientos experimentales se comparan con placebos para evaluar la eficacia del tratamiento experimental.

**Protocolo:** un protocolo es el plan del ensayo clínico en el que se explica el propósito y el proceso de dicho ensayo. El protocolo incluirá información como, por ejemplo, las personas que pueden participar; la cantidad de personas que participará; lo que implica el plan de tratamiento; el tipo y la frecuencia de las pruebas; la forma en que se medirán los resultados; los motivos por los que se puede detener el ensayo clínico; los motivos por los que los investigadores pueden dejar de administrar el tratamiento experimental a un participante; los efectos secundarios conocidos y probables del tratamiento experimental; y los posibles beneficios del tratamiento experimental.




**Aleatorización:** el proceso de selección por el que todos los participantes del estudio poseen una posibilidad equitativa de ser seleccionados para el grupo de tratamiento o el grupo de control.

**Estudio con enmascaramiento simple:** un estudio con enmascaramiento simple es un tipo de ensayo clínico en el que solo el investigador conoce qué tratamiento (tratamientos experimentales en comparación con el tratamiento estándar actual o placebo) está recibiendo el participante hasta que termina el ensayo.

**Grupo de tratamiento:** el grupo de tratamiento recibe la vacuna o el medicamento que los investigadores están analizando antes de que lo apruebe la FDA.



American Liver Foundation  
LiverFoundation.org  
**1-800-GO-LIVER**  
(1-800-465-4837)

 /Liverinfo  
 /LiverUSA  
 /AmericanLiver

La elaboración de este folleto fue posible, en parte, gracias a la financiación generosa de Bristol Myers Squibb. American Liver Foundation es la única responsable de su contenido.



©2020 American Liver Foundation. Todos los derechos reservados.