

# ¿QUÉ ES UN ENSAYO CLÍNICO?

Este recurso se creó para los miembros de la comunidad de personas con neurofibromatosis (NF) que buscan información sobre ensayos clínicos y los factores que se deben considerar antes de tomar decisiones con respecto a la participación en un ensayo clínico.

## ENSAYOS CLÍNICOS: ¿POR QUÉ YO?

Participar en ensayos clínicos es una decisión que solo usted puede tomar con la orientación de su proveedor de atención médica de confianza. Aquí encontrará algunos motivos para participar:

- 1. Beneficios personales.** Los ensayos clínicos están a la vanguardia de los tratamientos y, en algunos casos, pueden dar como resultado la mejora de la salud, el funcionamiento y la calidad de vida personales.
- 2. Beneficios comunitarios.** Los ensayos clínicos pueden proporcionar a la comunidad de personas con NF más información sobre cómo afecta la NF a las personas de forma diferente, así como por qué algunos tratamientos son eficaces y otros no.
- 3. Mejor investigación.** Incluso cuando no conducen a un tratamiento nuevo, los ensayos clínicos orientan la dirección y el enfoque de la investigación futura.

## DEFINICIÓN DE CONCEPTOS BÁSICOS

**Propósito:** la finalidad o el objetivo del estudio de investigación; la razón por la que se realiza el estudio.

**Ensayo clínico/estudio de intervención:** se administra a un paciente un posible tratamiento y se evalúa su respuesta. Ejemplo: a los pacientes con NF1 y un plexiforme se les administra cabozantinib y se miden los cambios en el tamaño del tumor.

**Estudio de observación:** no se realizan tratamientos ni intervenciones; solo se observa a los pacientes. Ejemplos: la evaluación genética de pacientes que tienen NF1 y escoliosis. Los participantes brindan una muestra de su ADN para que la evalúen los investigadores; se encuesta a los pacientes sobre sus experiencias con la NF y los efectos en sus relaciones.

## DEFINICIÓN DE LAS PARTES INVOLUCRADAS

**Investigador principal (IP):** la persona responsable de la dirección científica del estudio de investigación.

**Patrocinador:** la organización o persona responsable de supervisar el estudio y analizar los datos del estudio.

**Coordinador del estudio:** principal punto de contacto del estudio de investigación, trabaja directamente con los participantes del estudio (también llamados a veces "sujetos") y ayuda en la recopilación de datos.

**Participante/sujeto/paciente:** persona que otorga el consentimiento para participar en un estudio de investigación.

**Colaboradores:** una organización distinta del patrocinador que proporciona apoyo, que puede incluir financiación, diseño, implementación, análisis de datos o elaboración de informes.

## DEFINICIÓN DEL PROCESO

**Protocolo:** descripción escrita del plan del estudio. Un protocolo describe a los participantes, el cronograma de pruebas, los procedimientos, los medicamentos y las dosis, y la duración del estudio. Todos los protocolos deben ser aprobados por una Junta de Revisión Institucional, cuyo objetivo es proteger la seguridad de los participantes.

**Criterios de inclusión/exclusión:** factores que se requieren y son necesarios para que alguien participe en un estudio de investigación, o que le impiden participar. Estos pueden incluir edad, género, afección médica y otras variables que se quieran controlar o evaluar en un estudio. No todas las personas que soliciten participar en un ensayo clínico serán aceptadas en función de los criterios de elegibilidad o de la cantidad de participantes necesarios para recopilar la información.



Un ensayo clínico consta de cinco fases. Cada fase busca responder una pregunta diferente.

## DEFINICIÓN DEL CONSENTIMIENTO

**Consentimiento/asentimiento:** el *consentimiento* es la forma en que usted da su permiso a los investigadores para que lo incluyan en un estudio de investigación. Es importante que comprenda los documentos de consentimiento que se le pide que firme. En el caso de los menores de edad, el consentimiento lo firmará su padre/madre o tutor. El *asentimiento* se usa para expresar la voluntad de participar en una investigación en el caso de personas demasiado jóvenes para dar su consentimiento legal, pero con edad suficiente para comprender el estudio de investigación que se propone. Se puede ofrecer además del consentimiento de los padres.

**Riesgos/beneficios:** es importante comprender los riesgos y beneficios que un estudio supone tanto para usted como individuo como para la comunidad. ¡Esta es una parte importante del consentimiento! Antes de firmar un documento de consentimiento, asegúrese de hacer preguntas y de comprender el propósito y el método del ensayo clínico.

## ENCONTRAR UN ENSAYO CLÍNICO

- 1. Hable con su médico especialista en NF.** El acceso a los ensayos clínicos es una de las razones para acudir a una clínica de NF afiliada a CTF. Su proveedor de atención para la NF dispondrá de la información más reciente sobre ensayos clínicos y podrá ayudarle a determinar si usted es elegible.
- 2. Únase al registro de NF.** Si otorga su permiso, recibirá correos electrónicos sobre estudios de investigación que puedan aplicarse a su caso. Independientemente de que se inscriba en el registro, existe una lista actualizada de ensayos clínicos abiertos que se actualiza periódicamente en el sitio web del registro: [nregistry.org](http://nregistry.org).
- 3. Visite el sitio web de ensayos clínicos.** Hay un sitio web de ensayos clínicos en el que puede buscar ensayos clínicos pertinentes para la NF: [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov). Este sitio web incluye información de contacto de los investigadores que realizan ensayos, pero siempre recomendamos revisar la información con su médico especialista en NF antes de considerar cualquier tipo de estudio de investigación.

## CONSIDERACIONES SOCIOEMOCIONALES

Actualmente, no existe una cura para la neurofibromatosis ni la schwannomatosis. Hemos avanzado mucho en la comprensión de estas afecciones, pero aún queda mucho por aprender. Es por esto que los ensayos clínicos son tan importantes. El conocimiento es poder y la investigación alimenta el conocimiento. Enterarse de que usted, su hijo o un ser querido han sido aceptados en un ensayo clínico puede ser emocionante, pero es importante comprender que un ensayo no promete nada. Por ejemplo, es emocionante que haya un fármaco que se está estudiando para evaluar su eficacia para reducir tumores. Sin embargo, los investigadores no pueden garantizar que todos los ensayos clínicos darán como resultado un tratamiento eficaz para cada paciente.

## CONSIDERACIONES FINANCIERAS

Es importante preguntar quién pagará el tratamiento y si su compañía de seguros pagará los costos adicionales de participar en el ensayo. Por lo general, el seguro médico cubre los costos relacionados con las pruebas y los tratamientos que se realizarían para la atención estándar del tratamiento. Los fármacos experimentales suelen brindarse sin cargo, pero también hay que tener en cuenta otros gastos, como los de traslado y alojamiento.

## RECORDATORIOS FINALES

La participación en un ensayo clínico puede estar disponible para usted, pero hay muchos factores que se deben considerar. Siempre es una buena idea llevar a un amigo o familiar de confianza cuando visite al médico para asegurarse de que ha oído y comprendido todo lo que el equipo le está explicando, especialmente cuando se está considerando participar en un ensayo clínico. Averigüe lo que implica el estudio y qué otras opciones hay disponibles. Asegúrese de hacer preguntas, obtener respuestas y comprender todos los riesgos y beneficios. Use un intérprete médico profesional si el inglés no es su lengua materna.