

Cómo comprender los estudios clínicos



Cuando se desarrolla un nuevo fármaco, ensayo, aparato, procedimiento u otra potencial innovación médica, es preciso someterlo a pruebas exhaustivas para garantizar que es inocuo y que cumple el fin para el que ha sido diseñado.

Los estudios médicos sobre nuevas intervenciones destinadas a seres humanos se denominan ensayos clínicos. Estos ensayos someten a experimentación tratamientos nuevos o mejorados en participantes voluntarios, determinando en primer lugar si son seguros y en segundo lugar si son eficaces. Aunque los ensayos clínicos se rigen por estrictas regulaciones para garantizar que sean lo más éticos y seguros posibles, los individuos que estén considerando participar en uno de ellos deben sopesar minuciosamente los posibles riesgos frente a los beneficios potenciales.

Fases de los ensayos clínicos

Aunque el propósito final del proceso de desarrollo de un fármaco es conseguir tratamientos que funcionen, los investigadores deben determinar en primer lugar si los compuestos son inocuos. El proceso de ensayo clínico está dividido en cuatro fases.

Los estudios de **Fase I** suelen admitir a voluntarios sanos (normalmente de 10 a 100) que no padecen la enfermedad estudiada. El objetivo es detectar toxicidades obvias (efectos secundarios o reacciones adversas) antes de arriesgar la salud de muchos sujetos.

Los estudios de **Fase II** siguen probando el compuesto para comprobar si es inocuo en un grupo más amplio (normalmente entre 50 y 500) de participantes que sí tienen la enfermedad en estudio. Estos ensayos también ofrecen datos preliminares sobre la eficacia del medicamento (su actividad, cómo funciona).

Los estudios de **Fase III** determinan si el medicamento mantiene su eficacia en un grupo de población aún más amplio, que suele incluir de cientos a miles de personas. Estos ensayos suelen durar un par de años como mínimo.

Los estudios de **Fase IV** se realizan después de que el medicamento se ha puesto a la venta para determinar si su eficacia es duradera y evaluar las toxicidades raras o de aparición tardía.

¿Quiénes son los participantes?

Los criterios de admisión especifican quién puede participar en un ensayo clínico. Las características y condiciones que deben cumplir los candidatos se conocen como criterios de inclusión, mientras que las que descartan a los candidatos se denominan criterios de exclusión. Los criterios de admisión pueden incluir características demográficas (como la edad o el

sexo), factores de comportamiento (como el consumo de drogas inyectables), el estado de la enfermedad (por ej., concentración de linfocitos CD4, carga viral del VIH) y antecedentes médicos o situación médica actual (por ej., disfunción renal, uso de quimioterapia contra el cáncer). Es importante incluir un grupo de participantes equiparable a la población que va a tomar el medicamento en el mundo real.

¿Cuántos participantes?

La cantidad de sujetos de estudio es un factor fundamental a la hora de determinar la eficacia del fármaco,

VENTAJAS Y DESVENTAJAS DE LOS ENSAYOS CLÍNICOS

VENTAJAS	DESVENTAJAS
Acceso temprano a nuevos tratamientos	Incomodidad
Fármacos y pruebas gratuitas	Consultas prolongadas e intensas para el estudio
Cuidados médicos de calidad	Posibles molestias o dolores
Doctores expertos y centros médicos de primera línea	Puede que no se reciba el fármaco experimental
Revisiones de salud frecuentes y exhaustivas	El medicamento puede no ser eficaz
Satisfacción de poder ayudar a los demás	Posibles efectos secundarios adversos
Progreso del conocimiento médico	Pequeño riesgo de toxicidades potencialmente mortales

además de influir en la credibilidad del estudio. Aunque puede bastar con unos pocos sujetos para revelar toxicidades graves, es necesario que haya muchos más participantes para establecer de forma concluyente que un compuesto funciona bien.

¿Cuánto tiempo durará?

Junto al número de participantes, la duración de un ensayo es un factor importante para garantizar su credibilidad. Los estudios más largos, como cabe esperar, proporcionan más datos que los cortos. Con independencia de lo que se estipule en el protocolo, todo participante de un estudio puede abandonarlo en cualquier momento y por cualquier motivo.

¿Es ético?

Todos los ensayos clínicos de los EE.UU. deben incluir mecanismos que garanticen un trato ético a los participantes humanos. Antes de aceptar su participación en un ensayo clínico, los candidatos deben recibir información sobre todos los aspectos del estudio, así como de sus riesgos y beneficios, con palabras que puedan comprender. Todos los sujetos potenciales deben firmar una autorización por escrito que describa en qué consiste el estudio, el tratamiento que se va a evaluar, los riesgos conocidos o potenciales, los derechos del participante y a quién consultar en caso de que surjan problemas. También es importante señalar que la autorización por escrito no anula ningún derecho legal o médico del participante, y que los investigadores siguen siendo responsables legalmente de los daños y perjuicios que se deriven de su negligencia. Por último, la autorización por escrito no es un contrato; los participantes pueden abandonar el estudio en cualquier momento y por cualquier motivo.

En ciertos casos, los ensayos clínicos asignan dinero a los participantes para gastos de transporte o de cuidado de los niños, o bien como compensación por el tiempo y las molestias causadas. Sin embargo, es ilegal y poco ético pagar a nadie para inscribirse en un ensayo clínico, o

utilizar las asignaciones mencionadas como medio de persuasión con sujetos que se muestren reacios a participar.

Sopesando la participación en un ensayo

Los individuos que se estén planteando participar en un ensayo clínico deben sopesar muchos factores. ¿En qué medida compensan las ventajas potenciales a las molestias, los inconvenientes y los posibles riesgos del estudio? Los ensayos centrados en fármacos nuevos—especialmente si pertenecen a una clase de nueva creación—ofrecen pocas garantías. Los investigadores no pueden determinar con antelación el grado de eficacia del tratamiento, ni pueden descartar que se produzcan toxicidades y efectos secundarios imprevistos.

¿Por qué participar?

Hay varias razones por las que los ensayos clínicos resultan atractivos. En primer lugar, permiten un acceso rápido, y a menudo gratuito, a las terapias más novedosas. En ocasiones, los sujetos continúan teniendo acceso a los medicamentos experimentales incluso después de finalizar el estudio. Para quienes se han vuelto resistentes a las tres clases principales de antirretrovirales, los ensayos pueden permitir el acceso inicial a otros medicamentos que actúen mediante mecanismos totalmente distintos.

Además, los ensayos clínicos prestan excelentes cuidados médicos con los mejores especialistas en hospitales y centros médicos de primera línea. Por último, pero no por ello menos importante, los participantes pueden obtener la satisfacción personal de estar ayudando a los demás y contribuyendo al progreso de la ciencia médica.

Riesgos y desventajas

No puede negarse que participar en un estudio clínico puede ser incómodo y exigir mucho tiempo, en especial si no se vive cerca del centro de estudio. Aún más preocupantes son los posibles efectos secundarios que cause la nueva terapia. Los participantes de un ensayo siempre deben recibir información sobre qué deben hacer y a quién deben dirigirse si experimentan reacciones graves o inesperadas.

Con la creciente conciencia sobre la importancia de elegir tratamientos individualizados óptimos, de evitar la aparición de resistencias y secuenciar las terapias de forma sucesiva para prolongar la eficacia terapéutica, los candidatos del estudio pueden estar menos dispuestos a dejar su tratamiento al azar, y mostrarse más inclinados a fiarse de la experiencia de los especialistas y a seguir las últimas pautas terapéuticas.

Este artículo fue preparado para la Fundación contra el SIDA de San Francisco por Liz Highleyman.

Para más información

An Introduction to Clinical Trials

(Introducción sobre los ensayos clínicos)

National Library of Medicine • www.clinicaltrials.gov/ct/info/whatis

What Is an AIDS Clinical Trial?

(¿Qué es un ensayo clínico sobre el SIDA?)

Department of Health and Human Services • www.aidsinfo.nih.gov/other/clinicaltrial.asp

Should I Join a Clinical Trial?

(¿Debería participar en un ensayo clínico?)

AidsMeds.com • www.aidsmeds.com/lessons/ClinicalTrials.htm

The Food and Drug Administration: The Process of Approval

(La Administración de Alimentos y Fármacos: El proceso de aprobación)

ACRIA Update • www.acria.org/treatment/treatment_edu_fallupdate2004_fda.html