Ensayos Clínicos en la Fibrosis Quística:

Información para pacientes

¿Cómo pueden ayudar los pacientes en el desarrollo de nuevos fármacos?

European Cystic Fibrosis Society

(Sociedad Europea de Fibrosis Quística)

Clinical Trials Network

(Red de Ensayos Clínicos)

Versión 1 Mayo 2011 (Spanish)

Índice

AVISO LEGAL 2
1. Introducción 3
2. Tipos de fármacos 4
3. ¿Qué es un ensayo clínico y cuál es su finalidad? 5
4. ¿Cómo se desarrolla un nuevo fármaco? 6
5. ¿Por qué participan también los niños en los ensayos clínicos? 8
6. ¿Cómo se garantiza la participación voluntaria? 8
7. ¿Cómo se monitoriza la seguridad? 9
8. ¿Qué me requerirá el hecho de participar en un ensayo? 11
9. ¿Qué se debe tener en cuenta antes de participar en un ensayo? 12
10. ¿Cuál es el rol de la Asociación Europea de Fibrosis Quística – Red de Ensayos Clínicos (ECFS-CTN)? 13
11. ¿Qué debo hacer si quiero participar en un ensayo clínico? ¿Cómo puedo enterarme de los ensayos clínicos actuales y futuros? 14
12. Glosario 16
13. Referencias e información adicional: 18
14. Lista de páginas web de algunas asociaciones de FQ nacionales (organizaciones de pacientes) en Europa: 19

AVISO LEGAL

El objetivo de la información contenida en este folleto informativo "Ensayos Clínicos sobre Fibrosis Quística: Información para pacientes" ECFS-CTN es ofrecer información general. ECFS-CTN no representa ni garantiza en modo alguno, expresa o implícitamente, que el contenido de este folleto sea completo, preciso, fiable, adecuado o esté disponible. Cualquier confianza depositada en esta información será por tanto estrictamente a su propio riesgo.

En ningún caso nos hacemos responsables de pérdidas o daños, incluyendo sin limitación, cualquier pérdida o daño indirecto o que se derivara de la pérdida de datos o beneficios vinculados a, o en relación a, el uso de esta información.

El folleto informativo contiene vínculos a otras páginas web que no están bajo el control de ECFS-CTN. No tenemos control sobre la naturaleza, contenido y disponibilidad de estos sitios. La inclusión de estos vínculos no implica necesariamente una recomendación o una aprobación de las opiniones expresadas en ellos.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

1. Introducción

El objetivo de este folleto es el de explicar cómo se desarrolla un nuevo fármaco y cómo pueden ayudar a los pacientes con Fibrosis Quística (FQ) a hacer que la investigación avance de la manera más rápida y segura posible.

La Fibrosis Quística (FQ) es una enfermedad hereditaria. Los principales síntomas son infecciones constantes de pulmones y malas digestiones. Con la medicina moderna, se puede superar la mediana edad, incluso después de un diagnóstico durante la infancia, siempre que se reúnan ciertas condiciones. De todos modos, sigue siendo una enfermedad que acorta la vida. A medida que la salud del paciente disminuye, la complejidad y el coste del tratamiento aumenta y la calidad de vida disminuye. Esta enfermedad afecta a hombres y mujeres de todo el mundo y es la enfermedad heredada genéticamente que más afecta a la raza blanca. Aún y así, está clasificada como una enfermedad rara (huérfana). La incidencia en 27 países de la UE es de 0.74 por cada 10.000 y cerca de 30.000 pacientes de FQ están registrados en 35 países europeos.

La causa genética de la enfermedad se conoce desde hace 20 años y consiste en una mutación en las dos copias de la codificación genética de la proteína CFTR (del inglés *Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator*, "regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística"). La fibrosis quística es una **enfermedad autosómica recesiva**. Esto significa que afecta a los dos sexos, ya que "autosómica" significa que el gen está en uno de los cromosomas que no determinan el sexo y "recesiva" significa que sólo las personas con alteración en las dos copias del gen CFTR sufren esta enfermedad. Por ello, las personas que padecen fibrosis quística han heredado una copia alterada del gen CFTR de los dos padres. Los padres son sanos, sólo llevan una copia alterada del gen CFTR. Son portadores sanos de la enfermedad. Cuando los dos padres tienen una copia alterada del gen CFTR, la probabilidad de que el feto esté afectado es de 1/4 en cada embarazo.

En la FQ hay una alteración en el código genético que hace que la proteína llamada CFTR no funcione correctamente.

La proteína CFTR permite el transporte de sal a distintos órganos. En las vías respiratorias, cuando la proteína CFTR no funciona correctamente, las bacterias inhaladas y otros organismos causantes de la enfermedad no se eliminan correctamente y provocan infecciones crónicas de las vías respiratorias. En el sistema digestivo, un fallo en el transporte de sal dificulta la secreción de las enzimas digestivas provocando problemas digestivos y pérdida de peso.

El conocimiento de que la alteración del gen lleva a una ausencia o disfunción de la proteína, ha abierto una nueva era de investigación. Se han identificado pequeños componentes químicos como elementos capaces de ayudar a superar defectos básicos

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

de la FQ en los cultivos de células. Estas nuevas estrategias se están evaluando actualmente en pacientes. Además, la investigación sigue siendo muy importante para el tratamiento de la infección de pulmón y los problemas digestivos.

Las empresas farmacéuticas son conscientes que el mercado potencial de los fármacos de una enfermedad rara como la FQ es relativamente pequeño. Afortunadamente, **existen leyes que fomentan la investigación de enfermedades raras y sus posibles tratamientos.**

En 2008, se ha logrado un hito importante en nuestra lucha contra la FQ. Por primera vez, se pudo demostrar que lo llamados "fármacos modificadores de la enfermedad", fármacos para corregir la causa de la enfermedad, no eran tóxicos, eran bien tolerados y eran eficaces en estudios de tamaño pequeño y moderado. Estos fármacos, así como otros más nuevos, que ralentizan la progresión de la enfermedad, deben probarse ahora en un gran número de pacientes.

2. Tipos de fármacos

- **Moduladores del gen CFTR:** Tienen como objetivo corregir la disfunción de la proteína CFTR defectuosa. Hay distintos posibles modos de acción relacionados con subgrupos específicos de mutaciones genéticas del gen CFTR. Estos fármacos son prometedores ya que actúan sobre el defecto básico (son los llamados "fármacos modificadores de la enfermedad"). Esto significa que están centrados en corregir la causa básica de la FQ y no solamente sus consecuencias, como las infecciones de pulmón. Algunos ejemplos que están siendo estudiados actualmente son el VX-770 y el VX-809 (Vertex) y Ataluren® (PTC Therapeutics).

- **Restauradores del líquido de superficie de las vías respiratorias:** Estos medicamentos se centran en otras proteínas distintas a la CFTR que tienen funciones similares (movimientos de sales fuera y hacia las células). Esto ayuda a hidratar y a aclarar las mucosidades de las vías respiratorias.

- **Fluidificadores de la mucosidad:** Bien conocido por todos vosotros es el rhDNase o el Pulmozyme®. El rhDNase destruye ciertas partes de la mucosidad dejándola menos pegajosa. Este fármaco está disponible tras varios años de ensayos en grandes grupos de pacientes de FQ. El suero salino hipertónico también está disponible como fármaco y muchos otros productos están en fase de ensayo clínico.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

- **Anti-inflamatorios:** Estos fármacos disminuyen el proceso inflamatorio de los pulmones usando distintos métodos. Un ejemplo de este tipo de productos es el Ibuprofeno. Otras moléculas se están probando en varios ensayos clínicos.

- **Anti-infecciosos:** Estos fármacos son antibióticos que atacan los micro-organismos causantes de infecciones de pulmón agudas y crónicas. La tobramicina (TOBI®) y la Azitromicina son ejemplos de este tipo de productos. Otros productos se están probando en ensayos clínicos, la mayoría de ellos antibióticos conocidos por actuar contra la Pseudomonas aeruginosa y los aerosoles. Debido a que los organismos como la Pseudomonas aeruginosa pueden resultar resistentes es importante disponer de distintos tipos de antibióticos.

- **Nutritivos:** Incluyen suplementos como las vitaminas, pero también enzimas como el Kreon®, que ayuda a digerir la comida.

- **Otros tratamientos:** Las terapias genéticas están todavía en una fase temprana de su desarrollo. El reto es encontrar un modo de introducir copias normales del gen defectuoso de la FQ en las vías respiratorias y obtener la expresión génica (conversión de la información codificada en el gen en la proteína CFTR correcta).

3. ¿Qué es un ensayo clínico y cuál es su finalidad?

Un ensayo clínico es un estudio en voluntarios humanos para probar si nuevos tratamientos potenciales son seguros y efectivos.

"Efectivo" significa que el fármaco funciona mejor que el tratamiento usado en la actualidad y ayuda al paciente a sentirse mejor.

Ningún fármaco está totalmente exento de efectos secundarios, sin embargo, un medicamento se considera seguro cuando los beneficios de tomarlo son mayores que los posibles efectos secundarios negativos. Existen distintas agencias regulatorias en cada país que garantizan que cualquier ensayo clínico esté justificado. Su misión es la de revisar los resultados relativos a la seguridad y eficacia de los estudios preclínicos y la de comprobar que el objetivo y los procedimientos del ensayo clínico estén justificados y sean aceptables. Para que un ensayo clínico pueda empezarse es obligatoria su aprobación. Un ejemplo es el Comité Ético de cada país que se dedica a revisar los derechos y el bienestar de los pacientes que forman parte de un ensayo clínico (ver más abajo).

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

4. ¿Cómo se desarrolla un nuevo fármaco?

Cuando se desarrolla un nuevo fármaco, los primeros estudios se llevan a cabo en la que se denomina fase preclínica. Lo que significa que el fármaco se prueba exhaustivamente en el laboratorio, en células y en animales. Si estos estudios demuestran que tiene un posible beneficio sin ser tóxico, el fármaco pasará a las fases clínicas posteriores en el que será probado en ensayos clínicos en humanos.

Después de la fase preclínica, hay tres fases consecutivas de los ensayos necesarias antes de que un fármaco pueda ser aprobado por las autoridades y posteriormente ser registrado.

1. En un **Ensayo de Fase 1**, los investigadores prueban por primera vez un fármaco experimental en un pequeño grupo de personas (alrededor de 20, normalmente voluntarios sanos) para evaluar su seguridad, determinar la dosis más segura e identificar posibles efectos secundarios. El periodo de tratamiento por paciente varía de dos días a dos semanas.

2. En un **Ensayo de Fase 2**, el fármaco del estudio experimental o tratamiento se administra a un grupo más numeroso de pacientes que padecen la enfermedad, con la FQ entre 20 y 400 pacientes, para observar si funciona bien y evaluar su seguridad.
El periodo de tratamiento por paciente está alrededor de 1 y 3 meses.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

En un **Ensayo de Fase 3**, participan más pacientes (entre 100 y 1000) para demostrar su eficacia, monitorizar sus efectos secundarios y compararlo con los tratamientos más comunes (si obtiene mejores resultados, pasará a ser el nuevo tratamiento estándar), y reunir información que permitirá usar con mayor seguridad el nuevo fármaco experimental o tratamiento.
El periodo del tratamiento por paciente puede variar entre 1 mes y más de un año.

Sólo después de que la Fase 3 del Ensayo haya tenido éxito, las autoridades podrán aprobar el fármaco y ser registrado posteriormente para su comercialización.

El fármaco está en la fase 4 en la que se recoge la información sobre los riesgos a largo plazo y los beneficios de todos los pacientes a los que se les ha prescrito el fármaco.

Pueden pasar entre 10 y 15 años desde que se descubre un fármaco en el laboratorio y se prescribe a los pacientes. Sólo un pequeño porcentaje de fármacos probados en pacientes llegará al final del proceso. Esto hace que el desarrollo de un fármaco sea muy caro para las empresas, especialmente porque la fibrosis quística es una "enfermedad rara" por lo que el mercado para vender estos fármacos (también llamados "fármacos huérfanos") es relativamente pequeño. Afortunadamente, la Comunidad Europea ha creado reglamentos especiales, de modo que todavía existen ventajas para las empresas que trabajan en el desarrollo de fármacos huérfanos. Para más información sobre este tema, puedes visitar la página web de Eurordis http://www.eurordis.org.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

5. ¿Por qué participan también los niños en los ensayos clínicos?

- La FQ es una enfermedad que **afecta a niños desde su nacimiento**. Su seguimiento y tratamiento tienen como objetivo evitar la progresión de la enfermedad desde su temprana edad.
- **"Un niño no es un adulto en pequeño"**: Existen diferencias metabólicas específicas de la edad que hacen que los niños reaccionen de manera distinta a un mismo fármaco.
  Es por ello que no es seguro ni efectivo adaptar simplemente la dosis a un fármaco que se está recomendado a un adulto. Asimismo, a menudo, es necesaria una formulación distinta para niños pequeños (como es el caso del jarabe en lugar de los comprimidos).
- Por ello, según la **normativa europea**, las empresas farmacéuticas tienen que presentar un "plan de investigación pediátrica" (PIP) al probar un nuevo fármaco. Se trata de un plan de desarrollo que tiene como objetivo asegurar que se obtienen los datos necesarios a través de estudios con niños, cuando sea seguro llevarlos a cabo, para apoyar la autorización del medicamento en niños. Existe más información sobre este asunto en la página web de la "Agencia Europea de Medicamentos" o EMA (del inglés *European Medicines Agency*) http://www.ema.europa.eu.

Los ensayos clínicos en FQ (también) se hacen con niños. Evidentemente, esto nunca se hace sin informar a los padres y obtener su aprobación (Consentimiento Informado). Además, puede pedirse a niños mayores y adolescentes si están de acuerdo en participar. Esto es llamado "asentimiento".

6. ¿Cómo se garantiza la participación voluntaria?

Información y Consentimiento Informado

El Consentimiento informado es el proceso de aprendizaje de los aspectos claves de un ensayo clínico antes de decidir si participar en él o no. Para ayudar a alguien a decidir si participar o no, los médicos y enfermeras que forman parte del ensayo explican los detalles del estudio. Posteriormente, el equipo de investigación proporciona un consentimiento informado que incluye los distintos detalles del estudio tales como su objetivo, duración, procedimientos requeridos, principales contactos, así como los riesgos potenciales y beneficios esperados. Posteriormente el participante decide si desea firmar o no el documento.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

El consentimiento informado no es un contrato. El participante puede retirarse del ensayo en cualquier momento. El consentimiento informado permite a los participantes hacer preguntas y recibir respuestas antes, durante y después del ensayo. Se puede hablar del Consentimiento Informado con la familia o amigos y traer a cualquier persona a la reunión.

Un sujeto que rechaza la participación en un estudio no comprometerá su asistencia médica presente o futura, ni tampoco sufrirá ninguna penalización ni pérdida de los beneficios usuales.

Cualquier sujeto humano tiene el derecho de entender la naturaleza, los riesgos y los beneficios de la investigación y de querer participar o no en él .

7. ¿Cómo se monitoriza la seguridad?

El espónsor y los investigadores que participan en un ensayo clínico tienen la responsabilidad final sobre cómo se lleva a cabo el ensayo. Sin embargo, existen distintos reglamentos y comités que ayudan a controlarlo:

a. Reglamentos para Ensayos Clínicos

Existen distintas normas para garantizar que las personas que aceptan participar en estudios sean tratadas de la manera más segura posible. En Europa, ésta es una de las tareas de la Agencia Europea de Medicamentos (en inglés, EMA). En EEUU, esta responsabilidad es de la Agencia de Alimentos y Medicamentos de los EEUU (FDA, *Food and Drug Administration*).

Estas normas de denominan: **"Buenas Prácticas Clínicas"** o "GCP" (de sus siglas en inglés).

Los organismos arriba mencionados pueden llevar a cabo inspecciones en lugares donde se realizan estudios de ensayos clínicos para comprobar que se cumplen las buenas prácticas clínicas y se protegen los derechos de los participantes. Asimismo, se verifican la calidad e integridad de los datos.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

b. El Comité Institucional de Revisión, en inglés "*Institutional Review Board* " (IRB)

El Comité Institucional de Revisión (CIR) es un organismo independiente encargado de **proteger los derechos, seguridad y bienestar** de las personas involucradas en la investigación.

Todas las instituciones involucradas en la investigación (como facultades u

hospitales), deben designar uno de estos comités o junta. Los miembros deberán ser tanto profesionales de sectores médico-científicos como de sectores no médicos ni científicos. Un CIR tiene la autoridad de aprobar, requerir modificaciones o rechazar una investigación.

El CIR es también conocido como:

- Comité Ético Independiente (en inglés, IEC)
- Comité Ético de Revisión (en inglés, ERB)
- Comité Ético (en inglés, EC)

Las principales responsabilidades de los IRB son:

1. Aprobar/permitir la realización de los ensayos clínicos
2. Revisar el progreso del estudio
3. Asegurar el cumplimiento de todas las normas (Conformidad Regulatoria)

c. Comité de supervisión de datos y seguridad

El Comité de supervisión de datos y seguridad (en ingles*, Data Safety Monitoring Board* o *DSMB*) es un comité independiente que revisa datos en el momento en que un ensayo clínico está en progreso para asegurar que los participantes no estén expuestos a riesgos excesivos. Un DSMB puede recomendar que se interrumpa un ensayo clínico si existen problemas de seguridad o si los objetivos del ensayo ya se han logrado.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

A veces se les llama también “Comité de Control de Datos” (en inglés, “*Data Monitoring Committee*” o “*DMC*”). No todos los ensayos clínicos necesitan un DSMB o un DMC.

8. ¿Qué me requerirá el hecho de participar en un ensayo?

El equipo del estudio te explicará **el horario completo de visitas así como los procedimientos asociados**. Éstos serán distintos para cada estudio. La duración del estudio puede variar desde dos semanas a más de un año.

Evidentemente será muy importante tomarse **el tratamiento del estudio** y el resto de la medicación siguiendo las instrucciones proporcionadas. A esto se le llama “cumplimiento”. Para algunos estudios, puede haber restricciones en cuanto al estilo de vida o a la dieta, por ejemplo la toma de anticonceptivos o la abstinencia de alcohol o tabaco.

Se hace el seguimiento en distintas “**visitas de estudio**”. En la medida de lo posible algunas de estas visitas se combinarán con las visitas de chequeo normal en el hospital. A veces, las visitas se hacen en casa o incluso por teléfono. En algunos estudios más complejos, puede requerirse una noche de hospitalización.

Las dos visitas más importantes son la visita de reconocimiento o cribado y la visita aleatorizada:

Visita de reconocimiento: Es la primera visita del ensayo. La visita no puede empezarse sin que el formulario de Consentimiento Informado se haya firmado. El objetivo de la visita es comprobar que el candidato participante reúne todos los criterios de inclusión y exclusión para un protocolo específico (por ejemplo si los resultados de la prueba de función pulmonar están entre ciertos valores).
Pueden tomarse también muestras básicas de sangre, orina o esputo. Si se reúnen todas las condiciones, el candidato puede seguir participando en el estudio. El objetivo de los criterios de inclusión y exclusión es el de identificar a los participantes adecuados y cuidar de ellos.

Visita aleatorizada: aleatorio significa que se ha decidido al azar el tipo de tratamiento que recibirá el paciente (en el caso de que se estén comparando dos tratamientos entre sí); o que se decide aleatoriamente si el paciente recibirá el fármaco con principio activo o placebo (en un ensayo con placebos). También hay otros métodos posibles como empezar con el tratamiento durante o justo después de la visita.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

Un placebo es una pastilla, líquido o polvo inactivos, que no sirven como tratamiento. En los ensayos clínicos, los tratamientos experimentales se comparan a menudo con placebos para evaluar la eficacia del tratamiento. Esta metodología sólo se usa cuando se ha evaluado como éticamente aceptable para ese estudio específico.
Muchos de los estudios son doble-ciego. Esto significa que ni el paciente ni el doctor sabe qué tratamiento está usando, o si el paciente está tomando sólo placebos. Únicamente se puede desvelar en condiciones muy específicas.

Ejemplos de procedimientos:

Comunes:

- Examen físico
- Espirometría / otros pruebas de función pulmonar
- Electrocardiograma
- Muestras de sangre y orina
- Muestras de esputo
- Cuestionario
- …

Menos comunes:

- Pruebas específicas: diferencia de potencial nasal (DPN)
- Audiometría
- Prueba del sudor
- Muestra de deposición
- …

9. ¿Qué se debe tener en cuenta antes de participar en un ensayo?

La gente debería saber toda la información posible sobre el ensayo clínico y sentirse cómoda para preguntar al equipo de personal sanitario cualquier duda al respecto.

Las siguientes preguntas pueden resultar útiles a modo de guía. Algunas de las respuestas a estas preguntas se encuentran en el Consentimiento Informado.

- *¿Cuál es el objetivo del ensayo?*
- *¿Quién participará en el ensayo?*
- *¿Por qué creen los investigadores que el tratamiento experimental que se está investigando puede ser efectivo? ¿Ha sido investigado anteriormente?*
- *¿Qué tipos de pruebas y tratamientos experimentales están involucrados?*
- *¿Cómo se comparan los posibles riesgos, efectos secundarios y beneficios del ensayo con mi tratamiento actual?*
- *¿Cómo puede afectar este ensayo a mi vida diaria?*
- *¿Cuánto tiempo durará el ensayo?*

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

- *¿Será necesaria la hospitalización?*
- *¿Quién pagará el tratamiento experimental?*
- *¿Me serán rembolsados otros gastos?*
- *¿Qué tipo de cuidado de seguimiento a largo plazo forma parte de este estudio?*
- *¿Cómo sabré que el tratamiento experimental está funcionando? ¿Me darán los resultados del ensayo?*
- *¿Quién estará a cargo de mi cuidado?*

Existen distintos factores que pueden motivar o desanimar a los pacientes a participar en ensayos clínicos:

10. ¿Cuál es el rol de la Asociación Europea de Fibrosis Quística – Red de Ensayos Clínicos (ECFS-CTN)?

Para una enfermedad rara como la FQ, es importante que **los países trabajen lo máximo posible conjuntamente**. También es necesaria una estrecha cooperación entre los pacientes, las organizaciones de pacientes, la industria farmacéutica y las instituciones de investigación académica.

A la hora de **estandarizar métodos de trabajo nuevos o ya existentes** (por ejemplo para medir la función pulmonar o para realizar una prueba de sudor), es importante tener un diálogo internacional. Si todos trabajamos del mismo modo, existe menos variación en los resultados, lo que significa que menos pacientes tienen que participar en un ensayo clínico para demostrar el mismo efecto.

Para promover este tipo de cooperación, la Sociedad Europea de Fibrosis Quística (ECFS) que es una experimentada sociedad europea dedicada a la FQ, tomó la

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

iniciativa de establecer una "Red de Ensayos Clínicos" (CTN). Esta red trabaja actualmente con especialistas en FQ de 18 centros en 8 países, y se extenderá a más países y centros en 2012.

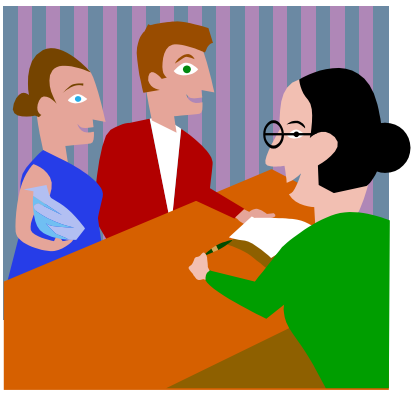
Una de las principales tareas de ECFS-CTN es la **revisión de los nuevos protocolos de estudio** por un equipo de expertos. Su tarea es tratar la calidad científica pero también la facilidad con la que se pueda desarrollar el paciente y la importancia terapéutica del fármaco probado. Los centros que forman parte del REC sólo llevarán a cabo ensayos que hayan sido aprobados por este sistema de revisión.

El objetivo de la CTN es llevar nuevos medicamentos de una forma más rápida a los pacientes promocionando la investigación de alta calidad mediante distintas vías.

Más información sobre las actividades del REC en http://www.ecfs.eu/ctn/.

11. ¿Qué debo hacer si quiero participar en un ensayo clínico? ¿Cómo puedo enterarme de los ensayos clínicos actuales y futuros?

Para ofrecer nuevos medicamentos de una forma más rápida a los pacientes es importantísimo que se realicen ensayos clínicos y que los pacientes participen en estos ensayos. Sin embargo, incluso si quieres participar como voluntario en un estudio, puede que se te excluya según los criterios de inclusión/exclusión de un protocolo, y/o según el número de participantes que necesiten los investigadores. Si quieres participar en ensayos clínicos, en primer lugar deberías hablar con tu médico o con cualquier persona del **equipo médico de FQ.** Ellos te podrán informar al respecto, ya que son ellos los que conocen tu historial y podrían aconsejarte en qué ensayo clínico puedes participar y si reúnes los criterios de elegibilidad de uno o más estudios de los que se están llevando a cabo en tu centro.



Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

- **Organizaciones de pacientes nacionales:** algunas asociaciones nacionales de FQ tienen un apartado de ensayos clínicos en su página web que muestra los ensayos clínicos que se están llevando a cabo en el país.

- **Clinicaltrials.gov** (http://www.clinicaltrials.gov/) es un servicio de los centros de salud de EEUU. Es una base de datos online de ensayos clínicos llevados a cabo en Estados Unidos y en todo el mundo. En ClinicalTrials.gov se puede encontrar información sobre el objetivo de un ensayo, quién puede participar, los centros donde se realiza y los números de teléfono para obtener más información. Esta información debería usarse juntamente con el consejo de los profesionales de la salud. Existe un instrumento de búsqueda donde puedes escribir palabras claves (por ejemplo, "cystic fibrosis and pediatric").

- **Pagina Web de ECFS-CTN (**http://www.ecfs.eu/ctn/clinical-trials**)**
  El apartado sobre ensayos clínicos de la página web de la ECFS-CTN proporciona una visión general de los estudios que se están llevando a cabo en los centros que forman parte de esta red. Cuando están disponibles, se cuelgan también los resultados de aquellos ensayos que ya han finalizado.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

12. Glosario

- **Buenas Prácticas Clínicas (Good Clinical Practice (GCP)):** estándar de calidad internacional proporcionado por la Conferencia Internacional de Armonización (CIA), un organismo internacional que define estándares que los gobiernos pueden transformar en reglamentos sobre ensayos clínicos relacionados con seres humanos.
- **Comité de supervisión de datos y seguridad, (del inglés *Data Safety Monitoring Board* "DSMB"):** es un comité independiente que revisa todos los datos de un ensayo clínico que está en progreso, para asegurar que los participantes no estén expuestos a riesgos excesivos. Un DSMB puede recomendar que se interrumpa un ensayo clínico si existen problemas de seguridad o si los objetivos del ensayo ya se han logrado.
- **Criterios de elegibilidad / inclusión-exclusión:** son los criterios que determinarán si se permitirá a una determinada persona su participación en un ensayo clínico. La decisión se basa en criterios como la edad, el sexo, el tipo y estadio de la enfermedad, la historia de tratamientos previos, y otras condiciones de tipo médico. Es importante resaltar que los criterios de inclusión y exclusión no se usan para rechazar a una persona, sino para identificar a los participantes adecuados y velar por su seguridad.
- **Criterios de valoración final:** Antes de que empiece un ensayo clínico, los investigadores deben determinar qué criterios de eficacia controlarán para medir el efecto del tratamiento del estudio (u otras intervenciones). Por ejemplo, en un estudio de FQ de fase 3, el principal criterio de valoración final es, a menudo, el resultado de la espirometría forzada (FEV_1).
- **Ensayo "doble ciego":** Es el modo de ensayo clínico en el que ni el participante ni el personal médico que le trata saben si éste está recibiendo el tratamiento experimental o un placebo (o bien otro tratamiento). Los estudios doble ciego se diseñan con el fin de que los resultados que se generen sean objetivos, y para que las expectativas de los médicos y del participante, acerca del fármaco experimental, no afecten al resultado.
- **Ensayo de etiqueta abierta:** Ensayo clínico en el que tanto los investigadores como los participantes en el estudio conocen el tratamiento que éstos están tomando.
- **Esponsor:** Persona, empresa, institución u organización responsable de la gestión y financiación de un estudio.
- **Estudio aleatorizado:** Se trata de un estudio en el que los participantes son asignados de forma aleatoria (al azar) a uno o más brazos de tratamiento de un ensayo clínico. De forma ocasional se usan placebos.

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

- **Farmacocinética:** Es el estudio de cómo el cuerpo humano **absorbe, distribuye, metaboliza y elimina un fármaco**. Normalmente se mide tomando una serie de muestras de orina y sangre y midiendo la cantidad de fármaco o sus metabolitos en función del tiempo**.**
- **Grupo de control:** En muchos ensayos clínicos a un grupo de pacientes se le administra un fármaco o tratamiento experimental, mientras que al grupo de control se le da o un tratamiento estándar para la enfermedad o un placebo. De este modo se puede valorar la eficacia del nuevo tratamiento.
- **Investigador (clínico):** Un investigador médico que lleva a cabo un ensayo clínico o cualquier otro tipo de estudio de investigación.
- **Placebo:** Un placebo es una pastilla, líquido o polvo inactivos, que no sirven como tratamiento. En los ensayos clínicos, los tratamientos experimentales se comparan a menudo con placebos para evaluar la eficacia del tratamiento. En algunos estudios, el participante del grupo de control recibe un placebo en lugar de un fármaco o tratamiento.
- **Protocolo:** Los ensayos clínicos se llevan a cabo siguiendo un plan llamado protocolo. El protocolo describe qué tipo de pacientes podrán entrar en el estudio, los horarios de las pruebas y de los procedimientos, los fármacos, las dosis, la duración del estudio, así como los resultados que se van a medir.
- **Reclutamiento:** Número de participantes de un ensayo.
- **Sesgo de selección**: persona que no reúne los criterios de inclusión/exclusión del protocolo después de la visita de reconocimiento.
- **Visita aleatorizada:** aleatorio significa que se ha decidido al azar el tipo de tratamiento que recibirá el paciente (en caso de que se esté comparando dos tratamientos entre sí); o que se decide aleatoriamente si el paciente recibirá el fármaco con principio activo o placebo (en un ensayo con placebos). También hay otros métodos posibles, como empezar con el tratamiento durante o justo después de la visita.
- **Visita de reconocimiento:** Es la primera visita del ensayo, en la que se comprueba que el candidato participante reúne todos los criterios de inclusión y exclusión para un protocolo específico

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

13.Referencias e información adicional:

Clincaltrials.gov "entender los ensayos clínicos":http://clinicaltrials.gov/ct2/info/understand

Instituto Nacional del Cáncer "introducción a los ensayos clínicos":
http://www.cancer.gov/clinicaltrials/learning

Página web de la Fundación de EEUU de la Red de Desarrollo Terapéutico de la Fibrosis Quística (CFF-TDN): http://www.cff.org/research/TDN/

Página web de la ECFS-CTN: http://www.ecfs.eu/ctn/

FDA (Agencia de Alimentos y Medicamentos de EEUU): http://www.fda.gov/

Agencia Europea de los Medicamentos (EMA): http://www.ema.europa.eu/

ECORN, (Consejo Experto en Fibrosis Quística): http://ecorn-cf.eu/

Proyecto de colaboración entre pacientes y Red Europea para pacientes participantes en Ensayos Clínicos (ENPCR): http://www.patientpartner-europe.eu/

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

14. Lista de páginas web de algunas asociaciones de FQ nacionales (organizaciones de pacientes) en Europa:

Mundiales: Fibrosis Quística en el Mundo - http://www.cfww.org/

Europeas: Fibrosis Quística en Europa - http://www.cfeurope.org/

- **Alemania**

  Mukoviszidose e.V. - http://muko.info/

  CF-Selbsthilfe Koeln e.V - http://www.cf-selbsthilfe-koeln.de/
- **Austria**

  Cystischen Fibrose Hilfe Österreich - http://www.cf-austria.at/cms/
- **Bélgica**

  Belgische Vereniging Voor Strijd Tegen Mucoviscidose – Página en Flamenco: http://nl.muco.be/

  Association Belge de Lutte contre la Mucovisidose Página en Francés: http://fr.muco.be/
- **Bulgaria**

  Асоциация Муковисцидоза (Asociación de Mucoviscidosis) - http://www.lifewithcf.org/
- **Dinamarca**

  Asociación para la Fibrosis Quística danesa - http://www.cystiskfibrose.dk/default.html
- **Eslovenia**

  Asociación Eslovena para la Fibrosis Quística - http://www.drustvocf.si/
- **España**

  Federación Española contra la Fibrosis Quística - http://www.fibrosisquistica.org/

  Associació Catalana de Fibrosi Quística – http://www.fibrosiquistica.org
- **Francia**

  Association Vaincre la Mucoviscidose - http://www.vaincrelamuco.org/
- **Grecia**

  Hellenic C.F. Association - http://www.hcfa.gr/
- **Irlanda**

  Asociación de Fibrosis Quística en Irlanda - http://www.cfireland.ie/
- **Israel**

  Fundación para la Fibrosis Quística en Israel - http://www.cff.org.il/
- **Italia**

  Fundación para la investigación de la fibrosis Quística en Italia - http://www.fibrosicisticaricerca.it/

  Lega Italiana Fibrosi Cistica - http://www.fibrosicistica.it/
- **Noruega**

  Norsk Forening For Cystisk Fibrose - http://www.cfnorge.no/
- **Países Bajos**

  Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting - http://www.ncfs.nl/
-

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

- **Polonia**

  Asociación polaca contra la FQ - http://www.ptwm.org.pl/
- **Portugal**

  Associação Portuguesa de Fibrose Quística - http://www.apfq.pt/
- **Reino Unido**

  Cystic Fibrosis Trust - http://www.cftrust.org.uk/
- **República Checa**

  Klub nemocných Cystickou Fibrózou - http://www.cfklub.cz/
- **Rusia**

  Fibrosis Quística en Rusia - http://www.mucoviscidos.ru/
- **Suecia**

  Riksförborbundet Cystisk Fibros - http://www.rfcf.se/
- **Suiza**

  Schweizerische Gesellschaft für Cystische Fibrose (CFCH) - http://www.cfch.ch/

Email: ECFS-CTN@uzleuven.be
Web: http://www.ecfs.eu/ctn

La traducción de este documento al castellano ha sido posible gracias a la colaboración de la Unidad de Fibrosis Quística del Hospital Vall de Hebron de Barcelona con el apoyo de la Associació Catalana de Fibrosi Quística