

¿Qué significa “simple ciego” o “doble ciego”?

El “cegamiento” es un procedimiento en el que una o más personas en el estudio de investigación desconocen la(s) asignación(es) de tratamiento (grupo control o grupo experimental). Simple ciego generalmente significa, que solo el investigador sabe qué tratamiento o intervención está recibiendo el participante. Un estudio doble ciego significa que tanto el investigador (y el equipo) como el participante desconocen qué tratamiento o intervención está recibiendo el participante. Este tipo de estudio es el más preciso porque tiene el menor riesgo, consciente o inconscientemente, de sesgo. El propósito de un diseño de estudio “ciego”, es eliminar los posibles sesgos que se pueden dar si se conoce la asignación del tratamiento, y esto podría afectar la interpretación de los datos que se recopilan durante la investigación. Existe una junta de monitoreo de seguridad de datos, que es independiente de los investigadores y si la seguridad del participante lo requiere, puede informar rápidamente al investigador a qué grupo de tratamiento el participante fue asignado; sin embargo, esto generalmente implica que el participante sea retirado del ensayo clínico.

¿Cuáles son los beneficios y riesgos generales de participar en un ensayo clínico?

Beneficios: los ensayos clínicos que están bien diseñados y ejecutados brindan el mejor enfoque para que los participantes seleccionados:

- Desempeñen un papel activo en las decisiones de su atención médica.
- Adquieran acceso a tratamientos nuevos en investigación antes de que estén ampliamente disponibles.
- Obtengan atención médica avanzada en los principales centros de atención médica durante el ensayo clínico, que por lo general es más frecuente y completa que la atención médica estándar.
- Ayudan a otros contribuyendo a la investigación médica.

Riesgos: los ensayos clínicos conllevan riesgos, que pueden incluir:

- El tratamiento experimental puede no ser efectivo para el participante.
- El protocolo del estudio puede requerir mayor tiempo de dedicación que en los tratamientos estándar ya disponibles. Esto puede incluir un mayor número de visitas al sitio del estudio, quedarse en el hospital, perder tiempo del trabajo y limitaciones de tiempo con otras dinámicas familiares.
- Puede haber efectos secundarios desagradables, graves o incluso potencialmente mortales con el tratamiento experimental.

¿Qué sucede si mi enfermedad o condición empeora mientras participo en un ensayo clínico?

El participante y cualquier tutor o cuidador estarán frecuentemente en contacto con los profesionales de la salud, cuya prioridad es mantener la salud y la seguridad de cada participante. El participante o el investigador principal (el médico que lo ve durante el estudio) tiene derecho a retirar al participante del ensayo clínico en cualquier momento y por cualquier motivo, incluyendo si se empeora la enfermedad o estado, independientemente de si está relacionado o no al estudio.

¿Es lo mismo un “evento adverso” que un “efecto secundario”?

No, estos dos términos no tienen el mismo significado. Un evento adverso (o experiencia) es un evento o experiencia desfavorable que ocurre después de que un participante comienza el estudio de investigación. El evento o experiencia puede ser comunicado por el participante (como “me sentía mareado todo el día”) u observado por

el investigador (como un resultado anormal en una prueba de laboratorio). La ocurrencia de una experiencia desfavorable o evento adverso no significa necesariamente que esté asociado con (o causado por) el fármaco, dispositivo o tratamiento experimental. Por lo general, un evento (experiencia) adverso solo se considera un “efecto secundario”, cuando al finalizar el estudio el evento se observó con mucha más frecuencia en los participantes que están en el grupo experimental que en el grupo control.

¿Dónde encuentro un ensayo clínico para el complejo de esclerosis tuberosa (CET)?

Para obtener una lista actualizada de los ensayos clínicos, visite trials.tscalliance.org.

¿Dónde puedo obtener información más general sobre los ensayos clínicos?

La Biblioteca Nacional de Medicina de los Estados Unidos sostiene clinicaltrials.gov, que provee una lista de los estudios de investigación, que reclutan voluntarios humanos en los Estados Unidos y en más de 200 países. La página también proporciona enlaces a otros recursos útiles, como:

- Un glosario de términos utilizados en la página de internet clinicaltrials.gov.
- MedlinePlus, la página de internet de los Institutos Nacionales de Salud, proporciona información sobre enfermedades, afecciones y problemas relacionados con la salud.
- La revista *NIH MedlinePlus*, presenta información de salud actualizada de investigaciones respaldadas por los Institutos Nacionales de Salud.

Acerca de la TSC Alliance

La TSC Alliance® es una organización sin fines de lucro reconocida internacionalmente, que hace todo lo necesario para mejorar la vida de las personas con el complejo de esclerosis tuberosa (CET).

Somos una fuente de esperanza y conexión para todos los afectados con CET. Impulsamos la investigación, mejoramos la calidad de la atención, aumentamos el acceso y defendemos a las personas afectadas por la enfermedad. A través de nuestra colaboración y asociaciones, se ha avanzado en los tratamientos aprobados por la FDA, y se han creado sistemas de apoyo en todo el mundo para que nadie con CET tenga que navegar la enfermedad solo.

La comunidad CET es nuestro aliado más fuerte. Podemos crear un futuro, en el que todas las personas con CET puedan desarrollar su potencial al máximo, con el poder de las familias, el apoyo de donantes, voluntarios, investigadores, educadores, socios de la industria y demás - no importa que tan compleja sea la travesía.

Estos materiales están disponibles gracias a nuestro patrocinador nacional, UCB, Inc. Esta información fue revisada y traducida por Nora Urraca, MD, PhD; Vanessa Vázquez; y Zacil-Ha Vilchis Zapata, MD.



Esperanza sin importar lo complejo™

8737 Colesville Road, Ste. 400 • Silver Spring, MD 20910-4487
800-225-6872 • tscalliance.org • [@tscalliance](https://twitter.com/tscalliance)

Una introducción básica a los ensayos clínicos



Este folleto responde preguntas comunes para ayudar a tomar una decisión informada sobre la participación en un ensayo clínico.



¿Qué es un ensayo clínico?

Un ensayo clínico es un estudio de investigación con voluntarios humanos diseñado para determinar la seguridad y eficacia de un fármaco, producto biológico (como una vacuna), dispositivo (como un estimulador del nervio vago), otro tratamiento o intervención conductual. Cuidadosamente realizados, los ensayos clínicos son la forma más rápida y segura de encontrar tratamientos cuyo objetivo sea mejorar los síntomas en las personas o brindarles una mejor calidad de vida. En condiciones rigurosamente controladas, los ensayos de intervención determinan si los tratamientos experimentales o las nuevas formas de usar terapias conocidas son seguros y efectivas. La Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés) requiere que se realicen ensayos clínicos en los tratamientos nuevos antes de que puedan ser considerados para su aprobación. Los ensayos observacionales abordan problemas de salud estudiando a un grupo grande de personas en su entorno natural.

¿Cuáles son las fases de los ensayos clínicos?

Estudios de fase I incluyen la introducción de nuevos medicamentos, que generalmente se prueban en un pequeño número de voluntarios humanos sanos, en diferentes dosis para determinar cómo el cuerpo humano procesa el medicamento, y si algún efecto adverso impediría que se prueben en pacientes que podrían beneficiarse del tratamiento nuevo. A menudo, menos de 20 voluntarios participan en estudios de esta fase.

Estudios de fase II evalúan la efectividad de un fármaco o dispositivo para un síntoma o síntomas específicos en pacientes con la enfermedad o condición en estudio y monitorean cuidadosamente los efectos adversos. En esta fase los estudios generalmente involucran entre 20 a 400 personas.

Estudios de fase III son estudios de mayor duración y con más voluntarios, que se realizan después de los estudios en fase II cuando los resultados de éstos sugieren la eficacia de un fármaco o dispositivo en investigación. Estos estudios, que generalmente involucran de cientos a miles de participantes, recopilan información adicional sobre la eficacia y la seguridad. Los estudios de fase III son particularmente importantes para definir las condiciones bajo las cuales la FDA aprobará el uso del tratamiento nuevo.

Estudios de fase IV son ensayos clínicos que estudian los efectos secundarios a lo largo del tiempo, de un tratamiento nuevo después de que la FDA lo haya aprobado para su comercialización y esté actualmente disponible si un proveedor de salud lo receta. El propósito de estos ensayos es ayudar a obtener más información sobre los riesgos, los beneficios y el uso óptimo de un fármaco o dispositivo.

¿De dónde se originan las ideas para estos ensayos clínicos?

Las ideas para realizar los ensayos clínicos suelen ser de los investigadores que trabajan en la clínica o en los centros académicos. Después de que los investigadores prueban terapias o procedimientos nuevos en el laboratorio y los estudian en animales (investigación preclínica), los tratamientos con los resultados más prometedores se prueban en ensayos clínicos. Durante un ensayo clínico, se obtiene información crítica sobre el tratamiento en estudio, sus riesgos, y qué tan bien puede funcionar o no para tratar una indicación específica (o manifestaciones de una enfermedad). Los resultados de los estudios clínicos a menudo influyen en la forma en que los médicos tratan las enfermedades, y a veces, la FDA los utiliza como evidencia para aprobar tratamientos o dispositivos nuevos que puedan ser utilizados por los profesionales de la salud.

¿Por qué participar en un ensayo clínico?

Los ensayos clínicos se requieren antes de que la FDA apruebe cualquier tratamiento nuevo, y los avances importantes en la atención médica no serían posibles sin la participación de voluntarios. Los participantes en ensayos clínicos pueden desempeñar un papel más activo en su propia atención médica, y obtener acceso a los tratamientos nuevos que se están investigando antes de que estén ampliamente disponibles al consumidor, y como resultado, ayudar a otras personas al contribuir en la investigación médica.

¿Quién puede participar en un ensayo clínico?

Todos los ensayos clínicos tienen sus criterios y requisitos de quién puede participar en ellos. Los factores que permiten que alguien participe en un ensayo clínico varían de un estudio a otro. Los requisitos y criterios se determinan en función de los objetivos del estudio e incluyen características como la edad, el tipo y la etapa de una enfermedad, el historial de tratamiento previo y otras afecciones médicas.

Algunos estudios de investigación buscan participantes con enfermedades o condiciones específicas para ser estudiados en el ensayo clínico, mientras que otros necesitan participantes sin condiciones de salud subyacentes. Los criterios, se utilizan para identificar a los participantes más apropiados, que se necesitan para responder a las preguntas científicas que se formulan para ese estudio y mantenerlos a salvo.

¿Qué sucede durante un ensayo clínico?

El equipo que realiza el ensayo clínico, incluye médicos, enfermeras(ros) y otros profesionales de la salud, los cuales verifican al comienzo del estudio la salud del participante, brindan las instrucciones específicas para participar en el ensayo, supervisan cuidadosamente al participante durante el estudio y se mantienen en contacto después de que el estudio concluye. Algunos ensayos clínicos implican mayor número de pruebas y visitas al médico que las que normalmente tendría el participante por una enfermedad. La participación en un ensayo clínico tiene más éxito cuando el protocolo del estudio se sigue cuidadosamente, incluyendo el contacto frecuente con el equipo del ensayo clínico.

¿Qué deben considerar las personas antes de participar en un ensayo clínico?

Las personas deben informarse lo mejor posible sobre el ensayo clínico y sentirse cómodas preguntando a los miembros del equipo de atención médica sobre todos los aspectos del consentimiento informado, el tipo de atención médica que se espera mientras se está participando y cómo se pretende que el ensayo clínico ayude a mejorar el cuidado de la salud. También se puede conversar sobre la logística como los requisitos para participar en el estudio, incluyendo la duración, el tipo y la frecuencia de las citas, la ubicación, el transporte, los costos que no son cubiertos por los organizadores del ensayo y otros detalles. Es importante hablar de estos temas, porque el cumplimiento del protocolo clínico es fundamental para la recopilación de datos del estudio, y así poder avanzar en los tratamientos.

¿Qué es el consentimiento informado?

Es un proceso que ayuda a una persona o familia, a tomar una decisión informada sobre si participar en el ensayo clínico. Los médicos y enfermeras(ros) involucrados en el ensayo clínico compartirán los detalles sobre la investigación, incluyendo los objetivos del estudio, todos los procedimientos requeridos, y cualquier riesgo y beneficio para el posible participante. Si se decide participar en el estudio, el posible participante o uno de sus padres/tutor firmará el consentimiento informado, que documenta que han sido completamente informados sobre el estudio y que el participante da su consentimiento para ser incluido en el estudio. El consentimiento informado no es un contrato, y el participante puede retirarse del ensayo clínico en cualquier momento y por cualquier motivo.



¿Qué es un protocolo clínico?

Un protocolo es el plan o instrucciones en el que se basa cada ensayo clínico. Este plan está cuidadosamente diseñado para salvaguardar la salud de los participantes, así como para responder las preguntas específicas de la investigación. El protocolo describe los criterios para poder participar en el ensayo clínico, el calendario de las pruebas, los procedimientos, los medicamentos, las dosis, y la duración del estudio.

¿Qué es un control o un grupo control?

Un grupo control es el estándar con el que se evalúan las observaciones en los estudios. En muchos ensayos clínicos, a un grupo de participantes se le administrará el fármaco o tratamiento en investigación (también llamado "en estudio"), mientras que al grupo control se le administrará el tratamiento estándar para la enfermedad o un placebo.

¿Qué es un placebo?

Un placebo es una pastilla, un líquido o un polvo inactivo que no tiene una acción curativa. En los ensayos clínicos, los tratamientos que se están evaluando a menudo se comparan con placebos para evaluar la eficacia del tratamiento en estudio. En algunos ensayos clínicos, los participantes del grupo control recibirán un placebo y no el fármaco activo o un tratamiento experimental.

¿Puedo elegir en qué grupo (experimental o control) participar?

No, cada persona que acepta participar en un ensayo clínico, el cual compara a un fármaco o dispositivo en estudio con el tratamiento estándar o placebo se le asignará aleatoriamente (es decir, al azar) a uno de los grupos. Por lo general, tanto el participante como el equipo del ensayo clínico no conocen la asignación del grupo hasta que el estudio finaliza. Este enfoque permite recopilar sin sesgo los datos y notificaciones de los participantes y de los líderes del estudio clínico.

¿Qué diferencia hay si yo sé (o el equipo del ensayo clínico sabe) que estoy en el grupo experimental o en el control/placebo?

El conocer esta información puede influir como el participante o el equipo del estudio notifican sobre cómo van las cosas en el estudio. Por ejemplo, si el participante y/o el equipo del estudio saben que el participante está en el grupo experimental, y hay un evento adverso, como una erupción cutánea, podría informarse como "probablemente relacionado con el fármaco en estudio, en lugar de "posiblemente relacionado". O el participante podría informar eventos adversos más frecuentemente que si no supiera a que grupo fue asignado. Sin embargo, si el participante y/o el equipo del estudio saben que el participante está en el grupo control/placebo, la erupción cutánea se informará como "no relacionada" y, lo que es más importante, involuntariamente el participante de este grupo podría informar que su enfermedad o condición ha empeorado, cuando no ha existido ningún cambio.