

ENSAYOS CLÍNICOS: LO QUE DEBE SABER



National
Kidney
Foundation®

www.kidney.org

Iniciativa para la calidad de los resultados de la enfermedad renal de la National Kidney Foundation

¿Sabía que la Iniciativa para la calidad de los resultados de la enfermedad renal (Kidney Disease Outcomes Quality Initiative, KDOQI®) de la National Kidney Foundation ofrece pautas y comentarios que ayudan a su médico y al equipo de atención médica a tomar decisiones importantes sobre su tratamiento médico? La información de este folleto se basa en esas pautas recomendadas.

Estadios de la enfermedad renal

La enfermedad renal tiene 5 estadios. Estos estadios se muestran en la siguiente tabla. El médico establece en qué estadio de la enfermedad renal se encuentra usted, sobre la base de la presencia de daño renal y de la filtración glomerular (GFR, por sus siglas en inglés), que es una medición del nivel de la función renal. El tratamiento elegido se basa en el estadio de la enfermedad renal en que se encuentra. Consulte a su proveedor de atención médica si tiene preguntas sobre el estadio de la enfermedad renal en que se encuentra o sobre el tratamiento.

ESTADIOS DE LA ENFERMEDAD RENAL

Estadio	Descripción	Filtración glomerular (GFR)*
1	Daño renal (por ejemplo, proteína en la orina) con GFR normal	90 o superior
2	Daño renal con disminución leve de GFR	60 a 89
3a	Disminución moderada de GFR	45 a 59
3b	Disminución moderada de GFR	30 a 44
4	Reducción grave de GFR	15 a 29
5	Insuficiencia renal	Menos de 15

*El valor de la GFR le indica al proveedor de atención médica cuánta función renal tiene usted. A medida que la enfermedad renal crónica avanza, el valor de la GFR disminuye.

ÍNDICE

¿Qué es un ensayo clínico?	4
¿Por qué son necesarios los ensayos clínicos? . . .	5
¿Quién puede participar en un ensayo clínico? . . .	5
¿Quién realiza los ensayos clínicos?	7
¿Los ensayos clínicos son seguros?	7
¿Por qué los estudios clínicos se dividen en fases?	8
¿Qué es un protocolo del estudio?	11
¿Debo participar en un ensayo clínico?	12
¿Cómo puedo encontrar un ensayo clínico?	14
Obtenga más información	15



¿Qué es un ensayo clínico?

Un ensayo clínico es un estudio de investigación que evalúa lo bien que funciona un tratamiento nuevo en las personas. Esto se llama “eficacia”. El tratamiento puede ser un medicamento, procedimiento médico, dispositivo médico o incluso un cambio en el estilo de vida. Un ensayo clínico también garantiza que el nuevo tratamiento sea seguro, bien tolerado y que no cause daños ni efectos secundarios graves en la mayoría de las personas.

Por ejemplo, un ensayo clínico puede evaluar si una nueva rutina de ejercicio ayuda a las personas a perder peso o no. O puede evaluar si un fármaco nuevo ayuda o no a bajar la presión arterial en personas que tienen la presión arterial alta.

En pocas palabras, un ensayo clínico ayuda a responder dos preguntas importantes:

- **¿El tratamiento nuevo funciona en las personas?** Si la respuesta es afirmativa, ¿qué tan bien funciona? ¿Es mejor o igual que los tratamientos disponibles en la actualidad? Si es igual, ¿tiene menos efectos secundarios que otros tratamientos? ¿Ayuda a las personas que no han respondido a otros tratamientos?
- **¿El nuevo tratamiento es seguro?** Ningún tratamiento es totalmente seguro para todas las personas; sin embargo, un ensayo clínico ayuda a asegurar que los beneficios superan a los posibles riesgos para la mayoría de las personas.



¿Por qué son necesarios los ensayos clínicos?

Los ensayos clínicos intentan descubrir mejores formas de prevenir, detectar, diagnosticar o tratar enfermedades u otros problemas de salud. Sin ellos, no tendríamos nuevos tratamientos ni otros avances en los campos de la salud y la medicina.

“La nefropatía poliquística (NPP) hereditaria está presente en mi familia. Esta enfermedad renal ha golpeado fuerte a mi familia y me alegraba poder hacer cualquier cosa que pudiera probar para ayudar a los investigadores a entender mejor esta enfermedad y encontrar formas de retrasar la insuficiencia renal”.

—Un paciente enfermo de riñón

¿Quién puede participar en un ensayo clínico?

Las personas que participan en los ensayos clínicos lo hacen libremente y de manera voluntaria. Son voluntarios. En muchos estudios, los voluntarios tendrán una afección común, tal como una enfermedad renal, presión arterial alta o diabetes. Cada estudio tiene sus propias normas sobre quién puede o no puede participar en el estudio. Esto se llama “elegibilidad”. Su elegibilidad se puede basar en su edad, sexo, estado general de salud, tipo y

estadio de una enfermedad, antecedentes de tratamientos y otras afecciones. No se elige a todo el mundo para que participe. Es posible que no pueda participar porque no tenga determinadas características, tal como su sexo o edad. Aquellas cosas que le permiten participar se llaman “criterios de inclusión” y las que hacen que no califique se llaman “criterios de exclusión”.

Antes de que pueda participar en un ensayo clínico, los investigadores deben asegurarse de que usted entienda todos los posibles riesgos, beneficios y alternativas al estudio. Como parte de este proceso, es posible que le den instrucciones verbales, materiales impresos para que lea, cuestionarios y otras formas de información. Si tiene alguna pregunta sin responder sobre el ensayo clínico, hágala.

Al final de este proceso, y si sigue dispuesto a participar, se le pedirá que firme un documento en el que indica que entiende los riesgos, beneficios y alternativas. Esto se llama “consentimiento informado”. Recuerde, el “consentimiento informado” no es un contrato. Está diseñado para protegerlo, no para obligarlo. Puede retirarse del estudio en cualquier momento, por cualquier motivo, incluso aunque el estudio no haya terminado.

“Creo realmente que la participación en el estudio de investigación me ayudó a conseguir una mejor perspectiva de mi enfermedad”.

—Un paciente enfermo de riñón



¿Quién realiza los ensayos clínicos?

Cada ensayo clínico está dirigido por un investigador principal, que normalmente es un médico. Además, a menudo hay un equipo de médicos, personal de enfermería, trabajadores sociales y otros profesionales del cuidado de la salud que trabajarán directamente con usted y le brindarán atención médica. Para cubrir los costos que implica la participación, un estudio también debe tener apoyo económico. Esta financiación procede de una compañía farmacéutica, centro médico universitario, agencia gubernamental u otra organización. El grupo que proporciona la financiación normalmente se conoce como el “promotor”.

¿Los ensayos clínicos son seguros?

En Estados Unidos, los estudios clínicos están regulados por una agencia gubernamental llamada la Administración de Alimentos y Medicamentos o FDA, por sus siglas en inglés. Un panel independiente de médicos, investigadores y miembros de la comunidad calificados, denominado Comité de Revisión Institucional o IRB, por sus siglas en inglés, revisa, aprueba y supervisa cada uno de los estudios. Este

comité de revisión garantiza la protección de sus derechos, seguridad y bienestar, y que el estudio en sí se realice por motivos honestos y éticos. También se asegura que los riesgos para la salud que conlleva el estudio sean razonables en comparación con los posibles beneficios. Recuerde, ningún tratamiento es totalmente seguro para todas las personas; sin embargo, un ensayo clínico ayuda a asegurar que los beneficios son superiores a los posibles riesgos en la mayoría de las personas.

Antes de que un nuevo tratamiento se ponga a prueba en seres humanos, pasa por varios años de investigación en laboratorios, seguido de su estudio en animales, como ratones o ratas. Después de cada fase de investigación, el equipo del ensayo clínico presenta una solicitud de calificación de producto en fase de investigación clínica (IND, por sus siglas en inglés) ante la FDA. Junto con un comité de ética independiente, la FDA revisa los resultados y decide si el estudio puede pasar o no a la siguiente fase. Una vez que se aprueba la experimentación con humanos, se estudia el nuevo tratamiento en un grupo muy pequeño de personas (normalmente 20–100). Estos estudios se llaman estudios en “fase I”. Gradualmente se aumentará el número de personas participantes hasta que la experimentación alcance los estudios de fase III. Después de completar la fase III, el equipo del estudio presenta una “solicitud de registro de una especialidad farmacéutica” (NDA, por sus siglas en inglés) ante la FDA para su aprobación. Si el tratamiento nuevo recibe la aprobación de la FDA, se puede comercializar para uso del consumidor (público). En algunos casos, también se pueden realizar ensayos en fase IV.

¿Por qué los estudios clínicos se dividen en fases?

Puesto que cada fase tiene un objetivo diferente o se intentan responder determinadas preguntas. Saber cuál es la fase de un ensayo clínico puede ser útil, especialmente si están intentando decidir participar o no. En general, los estudios en fase I tienen el mayor potencial de riesgos pero también pueden ser muy útiles, especialmente si necesita acceder a un tratamiento nuevo que no está disponible todavía para uso público.



- **Los estudios en fase I** están diseñados para encontrar la mejor dosis que se pueda administrar sin que haya efectos secundarios graves. Con frecuencia, las primeras personas del estudio recibirán una dosis baja del tratamiento y son vigiladas estrechamente. Si solo presentan efectos secundarios leves, los siguientes participantes recibirán una dosis más alta. Esto continúa hasta que los investigadores encuentren la dosis que mejor funcione y que tenga los menos efectos secundarios posible.
- **Los estudios en fase II** están, en general, diseñados para estudiar el nuevo tratamiento en una cantidad mucho mayor de personas (normalmente 100–300). El objetivo principal es ver si funciona y es bien tolerado en muchas personas.
- **Los estudios en fase III** comparan el nuevo tratamiento con el que hay disponible en la actualidad. ¿El tratamiento funciona mejor o tan bien como los tratamientos que hay actualmente en el mercado? Si no funciona igual de bien, ¿tiene menos efectos secundarios? ¿Mejoran algunas personas con este tratamiento nuevo que no mejoraron con los tratamientos que hay en la actualidad en el mercado? Los estudios en fase III implican grandes cantidades de

pacientes (300–3,000 o más) y tienen el objetivo de ser la evaluación definitiva de lo bien que funciona un tratamiento nuevo en comparación con el tratamiento “estándar” actual.

- **Los estudios en fase IV** se realizan una vez que la FDA ha aprobado un tratamiento para su uso público. Los estudios en fase IV pueden evaluar la seguridad de un tratamiento en poblaciones especiales o a lo largo de un período de tiempo mayor, o tratar determinados aspectos que no se incluyeron en los estudios originales. Por ejemplo, es posible que un estudio en fase IV quiera descubrir si un medicamento para la presión arterial aprobado por la FDA también disminuye la pérdida de función renal en las personas que tienen una enfermedad renal.





¿Qué es un protocolo del estudio?

Cada ensayo clínico aprobado por la FDA debe tener un plan de acción (llamado un “protocolo”). El protocolo describe lo que se hará en el estudio, cómo se realizará y por qué es necesaria cada parte del estudio. Esto ayuda a asegurar que el estudio responderá determinadas preguntas sobre el tratamiento al tiempo que intenta garantizar la seguridad máxima posible de los participantes en el estudio. Entre otras cosas, un protocolo describe:

- El motivo para la realización del estudio
- Quién puede participar (“elegibilidad”)
- Cuántos participantes se necesitan
- ¿Qué pruebas y procedimientos se realizarán durante el estudio y con qué frecuencia?
- Información sobre los fármacos que se utilizarán, incluidos el nombre y la dosis
- La fase del estudio (fase I – fase IV)
- Cuánto durará el estudio

Los protocolos de los estudios actuales pueden ser muy largos (más de 100 páginas) y muy técnicos. No se redactan pensando en los pacientes, por lo que la mayoría de los pacientes pueden tener problemas para entenderlos. Los ensayos clínicos también deben tener pautas acerca de quiénes pueden participar y esta información puede ser útil si está intentando decidir si desea o no participar.



¿Debo participar en un ensayo clínico?

Usted es la persona más indicada y la única que puede responder esta pregunta. La participación conlleva riesgos, pero puede ofrecerle una oportunidad para mejorar su propia salud. Por ejemplo, es posible que acceda a un tratamiento que de otro modo no estaría disponible. O el nuevo tratamiento podría ser más seguro y funcionar mejor que las opciones de tratamiento actuales. Algunas personas que han participado en ensayos clínicos creen que reciben más atención del personal médico y un monitoreo más exhaustivo de su afección y de los posibles efectos secundarios del tratamiento. Es posible que los promotores del estudio paguen todo o parte de su tratamiento médico y otros gastos. Además, usted podría ayudar a futuras generaciones que presenten problemas de riñón.



Pero hay también algunas desventajas posibles que hay que considerar. Es posible que el nuevo tratamiento tenga efectos secundarios o riesgos desconocidos, o es posible que no funcione en su caso incluso aunque funcione en otras personas. Es posible que encuentre algunos de los requisitos inconvenientes, tal como el viajar una larga distancia para acudir a las citas, pruebas y visitas frecuentes al consultorio o compromisos de larga duración.

Una cosa que debe preguntarse es si los posibles beneficios para la salud superarán los posibles riesgos. Debe informarse lo máximo posible sobre el estudio y sentirse cómodo a la hora de hacer preguntas al equipo de investigación. Asegúrese de preguntar quién cubre los costos y otros gastos, como los desplazamientos. Informe a su propio proveedor de atención médica que está considerando participar en un ensayo clínico y dialogue sobre los pros y los contras.



¿Cómo puedo encontrar un ensayo clínico?

Hay muchas oportunidades de participar en ensayos clínicos y cada día se desarrollan nuevas oportunidades. Hable con su proveedor de atención médica e infórmele que estaría dispuesto a ayudar en un estudio de investigación. Es posible que su proveedor de atención médica tenga conocimiento de oportunidades en su zona. También puede intentar ponerse en contacto con las siguientes organizaciones:

- **La National Kidney Foundation.** Encuentre información y enlaces a otros recursos en [kidney.org/patients/resources_ClinicalTrials](https://www.kidney.org/patients/resources_ClinicalTrials).
- **National Institutes of Health (NIH).** Infórmese sobre cómo puede participar en un ensayo clínico y encuentre otra información importante en “NIH Clinical Trials and You” (Los ensayos clínicos de los NIH y usted). Este sitio web también incluye un registro en el que podrá realizar búsquedas que le ayuden a encontrar un ensayo clínico (también disponible en español), [nih.gov/health-information/nih-clinical-research-trials-you](https://www.nih.gov/health-information/nih-clinical-research-trials-you).

- **ResearchMatch.org.** Cree un perfil de voluntario para usted o alguien más como su padre/madre o tutor legal. Este recurso financiado por los NIH es un registro gratuito y seguro que lo mantendrá informado de los estudios de investigación clínica que necesitan voluntarios que encajen con su perfil, [researchmatch.org](https://www.researchmatch.org).
- **Center Watch.** Use este servicio para encontrar un ensayo clínico patrocinado por la industria que esté buscando voluntarios en la actualidad, centerwatch.com/ctrc/nkf/.
- **ClinicalTrials.gov.** Busque en esta base de datos de estudios clínicos en todo el mundo respaldados con financiación pública y privada, clinicaltrials.gov.
- **Medline Plus.** Encuentre información básica, boletines informativos, preguntas frecuentes, glosarios, historias personales, una base de datos en la que realizar búsquedas y mucho más en este sitio web de la Biblioteca de Medicina de EE. UU., medlineplus.gov/clinicaltrials.html.
- **Children and Clinical Studies.** Infórmese sobre los niños en estudios clínicos en childrenandclinicalstudies.org/.

Obtenga más información

La National Kidney Foundation (NKF) ofrece una línea de ayuda gratuita para pacientes para las personas afectadas por una enfermedad renal, donación de órganos o trasplante de riñón. Los pacientes, las familias y los cuidadores pueden hablar con un profesional capacitado que responderá sus preguntas e inquietudes. Llame al 855.NKF.CARES (855.653.2273) o escriba por correo electrónico a nkfcare@kidney.org.

La **National Kidney Foundation** (NKF) es la organización más grande, completa y antigua, centrada en los pacientes, dedicada a la concienciación, prevención y tratamiento de la enfermedad renal en EE. UU.

Ayúdenos a combatir la enfermedad renal. Más información en kidney.org.

Apoyo para la Educación de Ensayos Clínicos de la NKF proporcionado por



National
Kidney
Foundation®

30 East 33rd Street
New York, NY 10016
800.622.9010

