

La oportunidad de los ensayos clínicos para pacientes

1. Introducción: la investigación con fármacos

2. ¿Qué es un ensayo clínico?

1. Definición
2. Objetivos
3. Fases de investigación
4. Fase de post-comercialización
5. ¿Quiénes intervienen?
 - I. Promotor
 - II. Centro Hospitalario o institución médica
 - III. El investigador principal
 - IV. El monitor
 - V. El paciente
 - VI. El Comité Ético de Investigación Clínica
 - VII. La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios

3. Proceso de un ensayo clínico

1. Diseño de un ensayo clínico
2. Tipos de ensayos
3. Fase previa
4. Fase de ejecución y desarrollo
5. Los resultados

4. Derechos y protección del paciente

1. Regulación de los ensayos clínicos
 - I. Aspectos legales
 - II. Aspectos éticos
2. Protección de datos
3. Responsabilidad civil
4. Registro e información sobre los ensayos clínicos
 - I. Registro español de estudios clínicos (REec)

5. Soy un paciente: qué debo saber para participar

1. ¿Quién puede participar?
2. ¿Qué debo hacer antes de considerar mi participación?
3. ¿Es voluntaria la participación?
4. ¿Me puedo retirar?
5. ¿Se recibe alguna compensación económica?
6. ¿Cuáles son los riesgos? ¿Y los beneficios?
7. ¿Son seguros? ¿cuál es mi protección?

1. Introducción: la investigación con fármacos

Un fármaco es cualquier sustancia que, administrada interior o exteriormente al cuerpo humano, sirve para prevenir, curar o aliviar una enfermedad y corregir o reparar las secuelas de ésta. Y con tal fin terapéutico el hombre lleva desde el principio de su existencia buscando dichas sustancias. Aunque los medicamentos, tal y como los entendemos hoy en día, son fruto de los avances científicos del siglo XIX y especialmente del siglo XX. Tanto por la utilización de métodos científicos de investigación como por la necesidad de demostrar su calidad, eficacia y seguridad mediante ensayos que deben ser revisados y aprobados por las autoridades sanitarias.

En la actualidad, el desarrollo de un fármaco implica que debe pasar siempre por unas fases prefijadas. A saber, fase de investigación básica, fase de ensayos preclínicos y fase de ensayos clínicos. Todo este proceso, desde que se comienza a investigar sobre una molécula y sus posibles cualidades frente a una enfermedad y el momento en que ya está disponible para los ciudadanos en forma de medicamento, puede durar entre 10 y 15 años, estimándose que, de cada 10.000 moléculas investigadas, solo una llega a la fase final de aprobación.

En la fase de investigación básica o de descubrimiento se decide primero la enfermedad frente a la cual se quiere desarrollar un fármaco, y para ello se empezará por evaluar cuál es el origen de esa enfermedad, cómo funciona y qué consecuencias tiene en el cuerpo, así como la manera en se puede influir en ella. Ello llevará a identificar la diana terapéutica sobre la que el futuro fármaco podría hacer efecto con el fin de combatir la enfermedad. Una vez definida la diana terapéutica, los investigadores empezarán a buscar moléculas con potencial sobre ella.

Entonces, empezará la fase de ensayos preclínicos, que se realizarán exclusivamente en laboratorio, utilizando animales o cultivos de células. En esta fase el objetivo principal es averiguar el perfil de seguridad del fármaco. Superada esta etapa, vendrá la fase de ensayos clínicos, que se realiza ya en humanos, para comprobar la eficacia terapéutica del medicamento en investigación.

Si los resultados obtenidos en los ensayos realizados en las diferentes fases de la investigación y desarrollo del fármaco son positivos y demuestran eficacia y un perfil de seguridad favorable de uso en humanos, se presenta una solicitud ante las autoridades sanitarias pertinentes para que sea aprobado y pueda comercializarse. Es el momento clave del largo y costoso proceso que supone desarrollar un nuevo medicamento.

Para la autorización de comercialización se revisan tres criterios: calidad, perfil de seguridad y eficacia del medicamento, los cuales son requisitos imprescindibles para su aprobación.

Y una vez concedida, la supervisión de las autoridades sanitarias sobre el medicamento no termina, ya que se vigilará la aparición de posibles nuevos efectos adversos o riesgos al expandirse la administración del fármaco a miles de pacientes. Incluso una vez comercializado el fármaco, se puede investigar si serviría frente a otra enfermedad, por lo que podrían darse nuevos ensayos.

2. ¿Qué es un ensayo clínico?

1. Definición

Un ensayo clínico es toda investigación efectuada en seres humanos que se realiza antes de aprobar un nuevo fármaco para su empleo en la población general. Estos ensayos son necesarios para la autorización del medicamento y la participación es voluntaria y está sometida a control y monitorización constante tanto por los encargados de desarrollo de fármaco como de las autoridades sanitarias pertinentes.

2. Objetivos

El objetivo de un ensayo clínico es evaluar el perfil de seguridad y eficacia de un fármaco en las personas antes de ser aprobado. Estos ensayos permitirán conocer los efectos que puede tener el fármaco en investigación en los humanos, así como las posibles reacciones adversas. Además, sirve para conocer cómo se produce su absorción, distribución, metabolismo y eliminación en el cuerpo humano.

3. Fases de la investigación

Las fases de investigación de un fármaco antes de su aprobación son tres: investigación básica o fase de descubrimiento, ensayos preclínicos y ensayos clínicos, aunque solo en la última fase, es en la de los ensayos clínicos, es en la que se realiza la investigación en humanos.

1. Fase de descubrimiento

El primer paso que inicia todo el proceso es decidir, en función de intereses científicos o estratégicos, la enfermedad sobre la que se quiere investigar con el fin de encontrar un medicamento que ayude a su prevención, tratamiento o mejora sobre los efectos que produce en el cuerpo. Una vez fijado el objetivo, se pasa a buscar moléculas que puedan influir beneficiosamente en la enfermedad escogida. Y esta búsqueda puede darse de dos maneras:

- a) Conociendo cómo funciona la enfermedad y los mecanismos biológicos implicados, se buscan moléculas que alteren la función del organismo involucrada en el desarrollo de la patología y sobre la cual se desea actuar, lo que se conoce como abordaje biológico.
- b) Partiendo de una serie de compuestos químicos previamente disponibles hasta observar cuáles de ellos tienen un efecto sobre el desarrollo de la misma: abordaje químico.

Esta fase es un proceso largo y lento. De forma aproximada, se estima que, por cada 10.000 moléculas en la etapa de investigación básica, sólo 250 entrarán en la siguiente etapa de investigación preclínica.

2. Fase pre-clínica

Las moléculas “líderes” de la primera fase pasaran ahora un nuevo test compuesto de dos partes. La primera y la más importante de todas es demostrar en el laboratorio –bien en animales, bien en cultivos de células- el perfil de seguridad de la molécula, comprobando cuáles son los potenciales efectos tóxicos y adversos que podrían causar en los seres humanos. Por ello, se estudia cómo funciona a distintas dosis, en distintos órganos y sistemas y cómo es eliminado por el cuerpo.

El fin último es que, desde esta fase del desarrollo de un fármaco, se preserve la seguridad de los pacientes, evitando posibles riesgos futuros.

La segunda parte del test es comprobar la eficacia que podría tener a futuro antes de comenzar los ensayos en humanos, evaluando el mecanismo de acción de la molécula.

Con los resultados que se obtienen de esta fase se elabora un informe que se presenta a las autoridades sanitarias pertinentes para que den el visto bueno a continuar con la investigación y pasar a realizar ensayos clínicos, donde ya se realizan pruebas en personas.

Esta fase puede llegar a durar tres años o más y hay miles de compuestos que nunca pasan a la siguiente fase. Se estima que, por cada 250 compuestos en preclínica, sólo cinco entrarán en la siguiente etapa de investigación clínica.

3. Fase clínica

Llegado a este punto, la molécula en investigación pasa a ser probada en humanos, con el fin de demostrar los beneficios que reporta, además de lograr un nivel de efectos secundarios aceptable.

La entidad que desarrolla el fármaco deberá presentar el informe con los resultados de la fase preclínica, además del plan detallado de cómo van a ser los estudios clínicos: número de participantes, descripción detallada, centros implicados, criterio de elección de pacientes, medidas de seguridad, etc. Es lo que se conoce como protocolo. Además, los ensayos serán supervisados por Comités Éticos de Investigación Clínica para garantizar los derechos de los pacientes.

Estos ensayos se dividen también en tres fases:

Fase I: Dura entre seis meses y un año y en ella se realizan los primeros estudios en personas –entre 20 y 100 sujetos voluntarios sanos y/o pacientes- para ratificar la seguridad de su aplicación en humanos y la pauta de administración adecuada.

Fase II: Dura entre dos y tres años y en ella participan alrededor de 200 pacientes, a los que se les divide en dos grupos: unos reciben el fármaco y otro (grupo de control) recibe o un placebo o el mejor medicamento del mercado contra la patología. El objetivo es ratificar la eficacia del fármaco.

Fase III: Dura entre tres y seis años y sirve para concretar la eficacia y el perfil de seguridad del fármaco en condiciones de uso que serían las normales si se aprobara. Por ello, en los ensayos participan cientos o miles de pacientes con características heterogéneas. A esta fase final de las 10.000 moléculas, suele llegar de media una sola, que es la que pasaría a la siguiente etapa, la última, la de aprobación.

4. Fase post-comercialización

Una vez aprobado el fármaco, se siguen realizando estudios para detectar efectos secundarios a largo plazo, consecuencias sobre la enfermedad en sí o sobre la salud de los pacientes.

También se puede estudiar si el medicamento puede administrarse en dosis diferentes a las aprobadas o de distinta forma (por ejemplo, pasar de ser oral a ser inyectable).

Incluso, se investiga si puede servir para otra enfermedad. En este caso, se seguirá el proceso de las fases I, II Y III mencionadas.

5. ¿Quiénes intervienen?

En la realización del ensayo clínico intervienen diferentes entidades y personas a lo largo de todo el proceso, cada una con una función específica.

Los principales participantes son:

I. El promotor

Como su propio nombre indica, es la entidad que impulsa la realización del ensayo y, por tanto, es la responsable de su organización, desarrollo y financiación, así como de llevar a cabo todas las solicitudes de autorización necesarias ante el Comité Ético de Investigación Clínica y la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

II. Centro hospitalario o institución médica

Para realizar un ensayo clínico es necesario contar con la participación de uno o varios centros sanitarios. El promotor, o el monitor, será el encargado de seleccionar los centros más adecuados para llevar a cabo los experimentos, en función de las necesidades del estudio, así como del nivel de los investigadores de los que disponga el centro y que puedan ponerse al servicio del ensayo clínico.

III. El investigador principal

La realización práctica del ensayo la lleva a cabo un grupo de investigadores que están encabezados por el investigador principal. Este cargo lo ocupa un investigador altamente calificado para evaluar los resultados de los estudios con el fármaco en experimentación, que tenga experiencia tanto como investigador como en la enfermedad objeto de estudio. Y, por supuesto, con un expediente que acredite su integridad profesional y ética. Es corresponsable junto con el promotor de los ensayos.

IV. El monitor

Entre el promotor y el investigador principal existe una figura que sirve de enlace entre ambos: el monitor. Esta persona, igualmente un profesional calificado en ensayos clínicos, se encarga del seguimiento directo de la realización del ensayo. Entre sus funciones están las de verificar los datos aportados por el investigador en relación a los pacientes, vigilar que el almacenamiento, distribución, devolución y documentación de los medicamentos en investigación es seguro y adecuado. Además, mantendrá una relación directa con los investigadores para comprobar a lo largo del ensayo que se cumplen los protocolos.

V. El paciente

Los ensayos clínicos se realizan con personas. Aunque en un principio se piense que siempre son personas enfermas las que participan, también pueden formar parte personas sanas, quienes por lo general participan en la llamada fase I de la fase clínica, cuando se investiga el perfil seguridad de la aplicación en humanos del fármaco.

En estos ensayos clínicos donde no hay un beneficio directo para la salud de los voluntarios sanos, la compensación es por el beneficio que puede obtener la sociedad y suelen recibir una compensación por las molestias ocasionadas, pero nunca una cantidad que incentive participar por dinero.

En ambos casos, personas sanas o enfermas, la participación es voluntaria, habiendo dado libremente su Consentimiento Informado.

VI. El Comité Ético de Investigación Clínica

Independientemente de los promotores y de los investigadores, habrá un Comité Ético de Investigación Clínica compuesto por profesionales de diferentes perfiles. Entre ellos, habrá médicos, farmacólogos clínicos, farmacéuticos de hospital, personal de enfermería y profesionales no sanitarios como juristas. Estos miembros, que son independientes y sin relación con el promotor, tienen que ser ratificados por parte de las autoridades sanitarias competentes. En España, en concreto por la Comunidad Autónoma implicada, quien se lo comunicará al Ministerio de Sanidad. La existencia de este Comité es obligatoria para la realización del estudio y son los que vigilan que se respeten los derechos de los pacientes, así como que se ajuste el ensayo clínico a los requisitos legales y éticos fijados por ley.

VII. La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)

Este organismo perteneciente al Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social es el que coordina las actividades de evaluación, autorización, registro y control de la fabricación y comercialización de medicamentos de uso humano, los medicamentos veterinarios, los productos sanitarios, los cosméticos y productos de cuidado personal. Por tanto, los ensayos clínicos tienen que ser autorizados por este organismo antes de empezar.

3. Proceso de un ensayo clínico

1. Diseño de un ensayo clínico

Una vez concluidas la fase de investigación básica y preclínica, en la que se realiza la experimentación con animales (in vivo) o en cultivos de células (in vitro), llega el momento de realizar los ensayos con humanos.

En este punto se tendrá que llevar a cabo el diseño del ensayo clínico, en el que habrá tres parámetros fundamentales a definir:

1. El primer paso será fijar los objetivos de estudio en el ensayo. Estos objetivos son de dos tipos: objetivos primarios y secundarios. El objetivo primario es el que los investigadores determinen para considerar que el nuevo fármaco es beneficioso para las personas. Los objetivos secundarios reportan un beneficio adicional. En la mayoría de los estudios se considera la eficacia como el objetivo principal.

2. Definir la población a estudiar, lo que se hará en función de los objetivos fijados. Debe de guardar coherencia con la población a la que luego, una vez aprobado el fármaco, se quiere destinar. Por ello, se establecerán criterios de inclusión y exclusión de participantes. Además, se deberá hacer una selección de una muestra representativa, ya que es necesario saber el número mínimo de sujetos que se deben incluir para que el ensayo sea válido. Ello dependerá también de las variables a estudiar.

3. Definir la dosis que van a recibir los pacientes. La dosis tiene que ser ni excesivamente alta, para que ponga en riesgo la seguridad de los pacientes, ni excesivamente baja como para que no se pueda evaluar su eficacia.

Todos estos parámetros se reflejarán en el protocolo del ensayo clínico.

2. Tipos de ensayos clínicos

No todos los ensayos que se llevan a cabo son iguales. Elegir un tipo u otro depende del objetivo buscado. Por ello, existen diferentes clasificaciones:

- a) la relación entre el investigador y el centro hospitalario: unicéntrico o multicéntrico.
- b) su metodología: no controlados, controlados
- c) su diseño: paralelos, cruzados, en parejas o secuenciales
- d) el procedimiento seguido para la asignación del tratamiento: randomizados, no randomizados.

No obstante, de acuerdo con los estándares actuales de investigación científica se considera que los ensayos clínicos más completos y exhaustivos deberían de cumplir una serie de características.

Algunas de estas características principales o condiciones son:

a) Utilizar un grupo de control: son ensayos controlados aquellos en los que se realiza una comparación entre los resultados de dos grupos: uno, que recibe la molécula en experimentación, y el otro que recibe placebo o un fármaco ya conocido. Este último grupo es el que se conoce como grupo de control.

b) Ser randomizado: significa que los participantes forman parte de un grupo u otro del ensayo mediante asignación aleatoria, teniendo igual probabilidad estadística de pertenecer a un grupo o al otro.

c) Ser doble ciego: se denomina así porque ni el participante ni el investigador conocen a qué grupo pertenece. La finalidad es evitar el efecto placebo, así como cualquier sesgo en el investigador.

3. Fase previa

Creación del protocolo

Las características de un ensayo clínico se recogen en un protocolo. Los ensayos clínicos tienen siempre que seguir dicho protocolo, que es un documento en el que se recoge la justificación y objetivos del ensayo clínico; se refleja el diseño y metodología a seguir en los experimentos; el procedimiento para el análisis previo de los resultados, así como las condiciones bajo las que se realizará y desarrollará el ensayo.

En el protocolo se especificará el tipo de participantes y el número mínimo que debe reclutarse para que pueda conseguirse el objetivo fijado. Además, establecerá los criterios de inclusión y exclusión de las personas participantes en el ensayo. También se incluirá la información relativa a los fármacos que serán utilizados, las dosis, vía de administración, pauta y periodo de tratamiento.

El ensayo deberá realizarse de acuerdo a lo recogido en el protocolo, el cual debe ser autorizado por las autoridades sanitarias. La realización de este documento la lleva a cabo un equipo multidisciplinar, por iniciativa del promotor del ensayo clínico.

Selección de los centros hospitalarios

El promotor será la persona encargada de seleccionar el/los centros hospitalarios donde se llevarán a cabo los ensayos clínicos, contando con la documentación requerida por cada centro, así como su autorización.

Evaluación por parte del Comité Ético de Investigación Clínica

La aprobación del Comité Ético de Investigación Clínica es necesaria para que se lleve a cabo el ensayo. Ellos evaluarán los aspectos legales, metodológicos y éticos que se seguirán durante esta fase de desarrollo del fármaco.

Autorización de la AEMPS

Firmados los documentos de aprobación del protocolo por el investigador principal, el/los directores de los centros hospitalarios y el Comité Ético de Investigación Clínica, el promotor hace llegar la solicitud formal a la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS) para obtener la aprobación. Sin esa aprobación no puede comenzar el ensayo.

4. Fase de ejecución y desarrollo

Tras la notificación y aprobación por las autoridades sanitarias, se pone en marcha la ejecución del ensayo clínico. Los centros hospitalarios participantes recibirán el material necesario para llevarlo a cabo, para que luego ellos puedan proceder a reclutar a los participantes, una tarea que es dirigida por el investigador principal.

Entonces comienza lo que es el ensayo clínico en sí, que es la parte más extensa y compleja. Por ello, el monitor realizará una supervisión constante, para que se sigan correctamente las directrices fijadas en el protocolo. Además, irá recogiendo progresivamente los datos correspondientes a cada participante, hasta que se finalice el ensayo.

5. Los resultados

Tras recabar los datos de todos los participantes en el ensayo clínico, comienza la fase de análisis de dichos datos, en los que se contará con la ayuda de un equipo de profesionales expertos en estadística. Los resultados del análisis estadístico se publicarán en revistas científicas para darlos a conocer, de hecho, un ensayo no debe considerarse finalizado si no es publicado. Posteriormente, los resultados se recogerán en un informe que se adjuntará a la documentación necesaria para la aprobación del fármaco en experimentación.

4. Derechos y protección del paciente

1. Regulación de los ensayos clínicos

Los ensayos que se realizan para desarrollar un fármaco están regulados por ley y bajo una serie de principios éticos a respetar y seguir, especialmente en la fase en la que los ensayos implican la participación de personas.

I. Aspectos legales: el máximo organismo en España que se encarga de la autorización de los ensayos clínicos, revisando que se ajusten a la ley, es la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), perteneciente al Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad. Este organismo es el responsable de las actividades de evaluación, autorización, registro y control de medicamentos de uso humano en nuestro país.

Además, la Ley del Medicamento española protege a los participantes de los ensayos clínicos al establecer que deben realizarse en condiciones de respeto a sus derechos fundamentales como persona y siguiendo unos principios éticos fijados a nivel mundial en la Declaración de Helsinki (1964) y posteriores revisiones.

A nivel europeo, existe el Reglamento (UE) n °536/2014 del Parlamento Europeo y del Consejo sobre las disposiciones legales, reglamentarias y administrativas de los Estados miembros sobre la aplicación de buenas prácticas clínicas en la realización de ensayos clínicos de medicamentos de uso humano. Esta Directiva se ha ido incorporando desde entonces a la legislación de cada país.

II. Aspectos éticos: los principios éticos que deben regir la investigación médica realizada con personas quedaron reflejados por primera vez en la Declaración de Helsinki, establecida en la Asamblea Médica Mundial del año 1964 y posteriores revisiones. Estos principios éticos han sido paulatinamente asumidos por las autoridades sanitarias de los países, incluyéndolos junto a las normativas legales. Algunos de esos principios son que la población sobre la que se va a realizar los ensayos clínicos sean también la beneficiaria de los resultados, la obligación de publicar los resultados si son negativos o la transparencia e información sobre las fuentes de financiación.

Por eso, antes de comenzar la investigación clínica de un nuevo medicamento hay que valorar si el beneficio colectivo potencial de la investigación compensa el riesgo que supone dicha investigación para las personas implicadas en ella.

Esa necesidad de proteger a las personas ha llevado al desarrollo de una serie de recomendaciones a seguir durante el proceso de investigación y desarrollo de un fármaco:

-Respeto por las personas, que se traduce en que participen en la investigación voluntariamente y estén adecuadamente informadas. La aplicación práctica de este principio ético es el "Consentimiento Informado", un procedimiento por el que la persona recibe información veraz del investigador del ensayo, se le permite el tiempo suficiente para la comprensión del mismo antes de tomar cualquier decisión, la cual debe expresarse libre y voluntariamente. La información que reciba el participante deberá incluir tanto los beneficios como los riesgos de participar, los objetivos del ensayo, el tratamiento que puede serle administrado, además de los derechos que le asisten de privacidad de datos, posibilidad de retirada en cualquier momento, compensación económica y tratamiento en caso de daño o lesión. Además, dicha información estará recogida en un documento por escrito.

-Asegurar el bienestar de las personas que participan, es decir, no causando daño, extremando los posibles beneficios de la investigación y minimizando los posibles riesgos.

-Todos los sujetos participantes en la investigación tienen las mismas oportunidades de recibir el tratamiento que se está ensayando. Esto significa que los participantes forman parte de un grupo u otro del ensayo, por ejemplo, en los ensayos randomizados y con grupo de control, mediante asignación aleatoria, teniendo igual probabilidades estadísticas de pertenecer a un grupo como al otro.

Todas estas recomendaciones éticas, son tenidas en cuenta por el Comité Ético de Investigación Clínica. La existencia de este Comité, que es un organismo independiente, es obligatoria para la realización del estudio y son los que vigilan que se respeten los derechos de los pacientes, así como que se ajuste el ensayo clínico a los requisitos legales y éticos fijados por ley.

2. Protección de datos

Durante un ensayo clínico se guarda la más estricta confidencialidad de los datos de los participantes para que no se viole su derecho a la intimidad personal. Por ello, los datos recogidos de cada participante se guardarán sin que se le identifique por el nombre y su identidad no será revelada. Además, estos datos serán utilizados solo con los fines del estudio y el personal participante en los ensayos clínicos tendrán que proteger la confidencialidad de dichos datos.

Los participantes podrán acceder a la información recogida a través de su médico y pedir que se corrija cualquier error en la misma. Si los resultados del estudio se publican, su identidad será también confidencial.

El tratamiento de los datos está protegido por la Ley Orgánica 5/1992, de Regulación del tratamiento automatizado de los datos de carácter personal, en especial en lo que al consentimiento del afectado se refiere y como medida para evitar el acceso de personas no autorizadas. Asimismo, a nivel europeo, está el Reglamento General de Protección de Datos (UE) 2016/679.

3. Responsabilidad civil

La contratación de un seguro de responsabilidad civil es obligatorio por parte del promotor para cubrir los posibles daños que puedan sufrir las personas a raíz de su participación en un ensayo clínico. Este seguro cubrirá al promotor, al investigador y sus colaboradores, así como al titular del centro o centros donde se realice el ensayo ante las posibles responsabilidades que surjan si hay un daño en la salud del paciente durante el ensayo y hasta un año después de la terminación del mismo.

4. Registro e información sobre los ensayos clínicos

La Declaración de Helsinki insta a que “se debe registrar cada ensayo clínico en una base de datos de acceso público antes de reclutar el primer sujeto”.

Además, se considera internacionalmente que la publicación del resultado de las investigaciones en humanos –tanto positivo como negativo– es una obligación científica, ética y moral.

Por ello, cada vez más existen registros públicos de los ensayos clínicos que se llevan a cabo desde entidades públicas, así como privadas. Uno de los registros más conocido es el ClinicalTrials (www.clinicaltrials.gov), un servicio del Instituto Nacional de Salud de los Estados Unidos, que cuenta también con una base de datos con los resultados de estudios clínicos con humanos desarrollados con el apoyo de organizaciones públicas y privadas alrededor del mundo.

En el caso de España, existe el registro español de estudios clínicos (REec), puesto en marcha en el año 2013.

En este esfuerzo de transparencia, las entidades promotoras de los ensayos clínicos –como las compañías farmacéuticas– así como los centros médicos participantes también están proporcionando cada vez más información, especialmente a través de sus páginas web, sobre los estudios que tienen en proceso y los que tienen previsto realizar.

Estos registros y bases de datos sobre ensayos clínicos ayudan a los pacientes y los profesionales sanitarios a conocer y a tener acceso a los ensayos clínicos que se están llevando a cabo con tratamientos experimentales. Además, también sirven para analizar los resultados de ensayos clínicos previos, así como tener conocimiento y poder seguir los resultados de los que se están realizando.

i. Registro Español de estudios clínicos (REec)

Las autoridades sanitarias españolas pusieron en funcionamiento en 2013 el Registro Español de estudios clínicos (REec) que permite saber, tanto a pacientes como a profesionales de la salud, las investigaciones que se están realizando en nuestro país en relación a su enfermedad, o con uno o varios medicamentos determinados.

Por ello, cualquier ciudadano español interesado tiene acceso libre a este Registro, sin restricción ninguna, a través de la plataforma desarrollada por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (<https://reec.aemps.es/reec/public/web.html>).

Con esta medida se quiere cumplir con las garantías de transparencia de los medicamentos, fijadas en la Ley 29/2006, así como seguir las recomendaciones de la Declaración de Helsinki.

Este Registro incluye todos los ensayos clínicos autorizados en nuestro país desde su puesta en funcionamiento, además de estudios observacionales autorizados y otros estudios registrables con carácter voluntario que cuenten con el dictamen favorable de un Comité de Ética de la Investigación.

La finalidad de su desarrollo, según la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, entidad de la que depende el REec, es:

- Garantizar que las decisiones relacionadas con la salud y cuidados médicos se toman con la garantía o aval de datos científicos públicos y, por tanto, reconocidos.
- Garantizar que se ponen a disposición de la sociedad datos y resultados tanto positivos como negativos de investigaciones.
- Proporcionar a los sujetos participantes en dichas investigaciones información previa de calidad.
- Evitar estudios repetitivos o no aceptables, especialmente en niños, ancianos y otras poblaciones vulnerables, potencialmente desfavorecidas o con dificultades para poder tomar una decisión por sí mismos.
- Detectar aspectos científicos poco investigados y facilitar cubrir esas carencias.
- Facilitar la participación en investigaciones recién autorizadas o en marcha para poder así alcanzar resultados fiables.

5. Soy un paciente: qué debo saber para participar

Una parte esencial de los ensayos clínicos son las personas, bien pacientes bien individuos sanos. De hecho, son imprescindibles durante el proceso de investigación, desarrollo y aprobación de un fármaco. Porque si dicho fármaco no ha sido probado antes en humanos para comprobar tanto su beneficio como sus riesgos no pueden ser autorizado para su comercialización.

Para los pacientes, por su parte, puede ser una ocasión para acceder a un tratamiento innovador frente a la enfermedad que sufre, antes incluso de que sea comercializado, para tener un papel más activo en el cuidado de su salud o para participar en la investigación de un tratamiento que puede mejorar la salud de muchas personas.

No obstante, e independientemente de las razones que pueden llevar a un paciente a interesarse por participar en un ensayo clínico y antes de decidirse, es ineludible informarse sobre los beneficios potenciales, pero también de los posibles riesgos, conocer sus derechos y saber todos los detalles de lo que sucederá durante su participación en el ensayo clínico.

Desde aquí, despejamos algunas dudas generales que pueden surgir al plantearse la cuestión de participar.

¿Quién puede participar?

Los ensayos clínicos incluyen a personas afectadas de las enfermedades que son objeto de estudio, aunque también pueden participar voluntarios sanos. Los voluntarios sanos participan por lo general en la llamada fase I dentro de la fase clínica, en la que se realizan los primeros estudios con personas para ratificar la seguridad en la administración de un nuevo fármaco en humanos.

Para poder participar, la persona tiene que cumplir los criterios de inclusión fijados durante la fase de diseño del ensayo. Es necesario cumplir estos criterios, que incluyen la edad, sexo, etapa de la enfermedad, tratamientos seguidos anteriormente, etc... Los investigadores utilizan estos criterios para identificar a los participantes más adecuados. Por tanto, en función del tipo de ensayo y la fase, ofrecerán participar solo a unos pacientes y excluirá a otros.

¿Qué debo hacer antes de considerar mi participación?

La decisión de inscribirse en un ensayo clínico es muy personal y solo puede tomarla el propio interesado. Antes de tomar cualquier decisión, debe de conocer y entender cuáles son los beneficios que podría obtener, pero también los riesgos que podría conllevar.

Por ello, el primer paso es la entrega de una hoja informativa donde se explicará en detalles los posibles beneficios y riesgos de participar en el ensayo clínico. Tras leer la documentación, es frecuente que las dudas que surjan se planteen durante una reunión con el médico que propone la posibilidad de inclusión en el ensayo y con el investigador principal del mismo.

Una vez reciba la información y haya reflexionado sobre ella, si la persona se decide finalmente a participar firmará el “consentimiento informado”, en él se recogerá la información del ensayo, reflejando que la persona ha tomado libre y voluntariamente la decisión de participar después de haber entendido la información facilitada. Además, así se garantiza que nadie se inscribe sin haber recibido la información necesaria.

¿Es voluntaria la participación?

Sí, la participación en un ensayo clínico siempre es voluntaria por ello existe el procedimiento del “consentimiento informado” por el que la persona tendrá que expresar libremente que quiere ser incluido en el ensayo.

¿Me puedo retirar?

Sí, los participantes de un ensayo clínico pueden retirarse en cualquier momento. Para ello, manifestarán su decisión de revocar el consentimiento informado que en su momento otorgaron. Además, de esta decisión no se derivará ninguna responsabilidad ni perjuicio alguno.

¿Se recibe alguna compensación económica?

En general, no hay retribución para los participantes en los ensayos clínicos. Aunque puede haber una compensación por las molestias ocasionadas en los voluntarios sanos, quienes participan sin un interés terapéutico particular. La compensación de todos modos nunca será una cantidad elevada como para que incentive participar por dinero.

¿Cuáles son los riesgos? ¿Y los beneficios?

En la fase previa a tomar la decisión de inscripción en un ensayo clínico, se explicará al participante cuáles son los riesgos y los beneficios.

A grandes rasgos, un primer beneficio es tener acceso a nuevos tratamientos médicos para la enfermedad que se investiga, recibiendo además más atención del equipo de investigación que la que podría recibirse fuera del mismo. Además, se tiene un papel más activo en el cuidado de la propia salud, independientemente de que ayudará a contribuir al progreso médico en beneficio de la sociedad en general.

En cuanto a los riesgos de los ensayos clínicos, destacar que el tratamiento puede que no sea eficaz y que aparezcan efectos secundarios desagradables e incluso graves. También debe ser consciente de que deberá dedicar tiempo a las visitas, estancias en el hospital, exámenes médicos y pruebas.

¿Son seguros? ¿Cuál es mi protección?

La participación de personas en los ensayos clínicos está protegida tanto por la Ley como por códigos éticos internacionales.

En la práctica esta protección se basa en cuatro procedimientos indispensables de cumplimiento en los ensayos:

1. Existencia de un protocolo del ensayo clínico aprobado por el Comité Ético de Investigación Clínica: Este protocolo, donde se incluye los objetivos, características y perfil de las personas que pueden participar es revisado por un Comité independiente del promotor del ensayo, así como de los investigadores que lo llevan a cabo. Este Comité revisa que se cumplan tanto los requisitos legales como los códigos éticos.
2. Consentimiento Informado: así se llama, como se ha comentado antes, el procedimiento que garantiza que la persona ha expresado voluntariamente su intención de participar en el ensayo clínico y que previamente ha sido informado detalladamente tanto por escrito como verbalmente, si lo ha solicitado, sobre el mismo. Todo ello se recoge por escrito en un documento que firmará el participante.
3. Privacidad de sus datos personales y médicos: sus datos permanecerán secretos, no se mencionarán con nombres y apellidos en los ensayos clínicos y no tendrá acceso a ellos personas ajenas a la investigación.
4. Seguro: el promotor del ensayo clínico está obligado a la firma de un seguro para cubrir a los pacientes en caso de efectos adversos y daño en su salud.

El contenido que se proporciona en este documento es información general. En ningún caso debe sustituir ni la consulta, ni el tratamiento, ni las recomendaciones de tu médico.

Copyright © 2105 Merck Sharp and Dohme de España S.A. c/ Josefa Valcárcel, 38 - 28027 Madrid. www.msd.es
NOND-1117228-0049 (Creado: marzo 2016).