

1. Qué son los ensayos clínicos

Los ensayos clínicos son **estudios de investigación** de nuevos fármacos en los que los pacientes pueden participar. En ellos se prueban **nuevos tratamientos** o comparan **diferentes tipos de aplicación** de tratamientos ya existentes.

Estos estudios clínicos siempre funcionan bajo unas **normas muy estrictas** que se denominan **protocolo**. Cada estudio está diseñado para encontrar las mejores maneras de prevenir, detectar, diagnosticar o tratar el cáncer, mejorar la calidad de vida de los pacientes y responder a algunos interrogantes científicos.

El **objetivo general** de los ensayos clínicos es mejorar la atención del paciente oncológico y, en particular, **mejorar la supervivencia global**.

En la actualidad, en muchos hospitales españoles se llevan a cabo ensayos clínicos una vez que los estudios en laboratorio han constatado la seguridad del tratamiento o procedimiento a evaluar y tienen la creencia de que el mismo puede tener un **potencial superior a los métodos actuales**. La mejor manera y la más segura para que un paciente reciba un fármaco o un tratamiento nuevo es siempre formar parte de un ensayo clínico aprobado.

Hasta que la **efectividad y seguridad** de los nuevos tratamientos haya sido establecida y demostrada, se suelen utilizar sólo en casos de pacientes en los que la enfermedad no haya experimentado ninguna remisión o pacientes con recaídas tras varios tratamientos convencionales.

Es importante entender que **no todos los pacientes son candidatos** para recibir un nuevo tratamiento en fase de desarrollo, pero si el paciente está interesado en seguir uno de éstos tratamientos tendrá que **hablarlo con su especialista**.

Todos los pacientes que forman parte del estudio son **controlados rigurosamente** y la información que se recopila a lo largo de todas las fases del estudio se combina y analiza después por investigadores expertos. Los resultados ayudan a determinar cuáles son los **mejores tratamientos** y de ésta manera se consiguen tratamientos **más efectivos y menos tóxicos** para futuros pacientes.

Desafortunadamente no todos los nuevos tratamientos resultan mejores que los tratamientos ya existentes y probados, por lo que es fundamental llevar a cabo siempre intensos estudios clínicos para analizar absolutamente todos los datos de cada nuevo tratamiento.

Al mismo tiempo, el hecho de que a un paciente se le proponga participar en un nuevo estudio clínico no supone necesariamente que se le esté proponiendo participar en un nuevo tratamiento. El estudio puede estar probando simplemente nuevas maneras de usar tratamientos ya establecidos. En algunos hospitales, la inclusión de enfermos de cáncer en estudios clínicos es una parte de la práctica habitual.

Según se vayan descubriendo nuevos datos sobre estos tratamientos experimentales, su papel al lado de los tratamientos establecidos será más claro. Con el tiempo, si demuestran ser más efectivos o más seguros, podrán llegar a reemplazar a algunos de los tratamientos existentes.

2. Fases de un ensayo clínico

Fase I

La fase I de un ensayo clínico está diseñada para determinar la **dosis máxima tolerada (DMT)** de un nuevo fármaco o combinación de medicamentos que nunca han sido usadas previamente en humanos. Normalmente estos fármacos se utilizan por primera vez en humanos en el momento del estudio, a pesar de que cada uno por separado pueda haber sido usada anteriormente en otros pacientes. Generalmente, los pacientes en ensayos en fase I tienen un **cáncer en estadio avanzado** que se ha mostrado **resistente a los tratamientos existentes**.

En un ensayo en fase I, un **grupo reducido** de unos tres a seis pacientes accede al nuevo tratamiento. Este grupo es denominado **“cohorte”**. Todos los pacientes de la cohorte reciben la misma dosis. La primera cohorte generalmente implica una dosis muy baja de tratamiento que va aumentando sucesivamente en las diferentes cohortes hasta que alguno de los pacientes experimenta toxicidad al límite de la dosis (TLD). El nivel de dosis anterior a esta dosis límite será el usado como la **dosis máxima tolerada** de dicho fármaco. El estudio pasa entonces a la fase II.

Fase II

Un estudio en fase II está diseñado para determinar la tasa de respuesta de un nuevo agente simple o de una combinación de medicamentos que ya ha superado previamente la fase I del ensayo. Por lo general, en esta fase, un grupo que oscila entre 14 y 50 pacientes con un tipo de cáncer son tratados para observar cuántos de ellos obtienen una respuesta.

En esta fase del ensayo se suelen buscar pacientes con un cáncer en estadio avanzado y que no responden al tratamiento estándar. Además, la enfermedad debe tener una serie de indicadores de medida. Si los resultados de un ensayo en fase II son lo suficientemente prometedores, el tratamiento podría llegar a ser testado en fase III. Si los estudios muestran una mejora clara y evidente frente al tratamiento estándar, puede no llegar a ser necesaria la realización de la fase III, y el tratamiento puede llegar a convertirse en un nuevo estándar.

Fase III

El principal objetivo de un ensayo en fase III es, generalmente, la **supervivencia o el período libre de enfermedad (PLE)**. Los estudios en fase III tienden a ser aleatorios, en el sentido de que el paciente no puede elegir qué tratamiento decide recibir. Un estudio en fase III involucra desde 50 a miles de pacientes. Los ensayos en esta fase se diseñan de tal manera que los pacientes son separados en divisiones denominadas **“ramas”** para comparar una o más terapias con el tratamiento estándar.

Los pacientes que reciben el tratamiento experimental pertenecen a la **“rama experimental”**; los pacientes que reciben el tratamiento estándar pertenecen a la **“rama de control”**. En muchas ocasiones, ni los pacientes ni el equipo médico saben en qué rama se encuentra cada paciente que ha sido incluido de manera aleatoria, lo cual se conoce con el término **“doble ciego”**. Los estudios aleatorios están diseñados para poder **obtener resultados objetivos que no estén sujetos a expectativas**.

En ocasiones, cuando los pacientes de la rama experimental obtienen resultados mucho mejores que los pacientes en la rama de control, se elimina el doble ciego y todos los pacientes pasan a recibir el nuevo tratamiento. Es posible acceder a los medicamentos que se encuentran en un ensayo en fase III mediante la autorización de uso compasivo del medicamento en cuestión, a través de una solicitud formal por parte del médico a la Agencia Española del Medicamento.

3. El consentimiento informado

El consentimiento informado es una **parte vital del proceso de investigación**, y es de **obligado cumplimiento por ley para cada participante en un ensayo clínico**. El consentimiento informado requiere que el investigador clínico informe convenientemente al paciente para que este sea consciente de que se implica de manera voluntaria y no coaccionada en un proceso de estudio y, del mismo modo, que adquiera toda la información necesaria y el entendimiento de las implicaciones que conlleva la inclusión en un ensayo clínico.

Un consentimiento informado es un proceso que explica cada una de las partes del ensayo clínico en cuestión, pero también debe ser una discusión previa entre el paciente, su doctor y los miembros implicados en el ensayo de manera previa a la firma para aclarar todas las dudas y consultas al respecto.

El consentimiento informado está escrito en un lenguaje no técnico y accesible para el paciente y explica de manera detallada en qué consiste el ensayo. Requiere que el profesional sanitario eduque al paciente acerca del ensayo, las alternativas existentes y los riesgos potenciales asociados a los fármacos usados en el estudio. Por parte del paciente este asume la responsabilidad de preguntar todas las dudas que puedan surgirle y participa en el ensayo sin basarse en criterios de intimidación o miedo, sino simplemente en hechos e información contrastada.

4. Cómo se accede a un ensayo clínico. “Criterios de acceso”

El **médico** es la persona más indicada para proponer al paciente la participación en aquellos ensayos clínicos que puedan resultarle beneficiosos, si este cumple las características necesarias para entrar a formar parte del ensayo clínico y de todos los pasos a seguir.

En caso de que el paciente conociese de la existencia de algún ensayo clínico que se estuviera llevando a cabo y que podría ser beneficioso para tratar su enfermedad, **en todo momento la persona de referencia será su médico**, al que debe solicitar información y, con su historia médica, le dirá si cumple los criterios y puede entrar a formar parte del ensayo.

Existen **ciertas condiciones y requisitos** que los pacientes deben cumplir para poder acceder a un ensayo clínico. Cuando los pacientes en el estudio tienen los mismos criterios de acceso, los investigadores pueden extraer conclusiones basadas en datos consistentes.

Los requisitos de acceso se basan en el tipo de estudio o ensayo clínico. Ejemplos de criterios de acceso pueden ser: edad, comorbilidad, etapa de la enfermedad, resultados del laboratorio, otras enfermedades previas o tratamientos recibidos con anterioridad.

Los criterios de acceso para cada ensayo clínico tienen dos secciones: **criterios de inclusión y criterios de exclusión**.

- Los criterios de inclusión determinan qué características deben tener los pacientes que vayan a participar en el estudio.

- Los criterios de exclusión son condiciones que determinan cuándo un paciente no es apto para ser incluido en un estudio.

Tanto los criterios de inclusión como los de exclusión constituyen una parte vital del plan de investigación para **obtener resultados reales y consistentes**.

Se puede obtener más información sobre los criterios de exclusión accediendo al enlace ubicado dentro de cada ensayo clínico, o bien **consultar a su médico o contactar con su tutor**.

5. La importancia de la investigación en la lucha contra el cáncer

Gracias a la realización de ensayos clínicos, los investigadores recopilan toda la información recogida y extraen las **conclusiones sobre la utilidad del tratamiento investigado**. Cuando los resultados beneficiosos, se suelen utilizar para que las **Autoridades Sanitarias** autoricen la comercialización o recomienden el uso del tratamiento.

En algunas ocasiones, los resultados de un ensayo clínico pueden también utilizarse para retirar un medicamento que demuestre poca utilidad en la actualidad o que pudiera suponer un riesgo para la salud.

****Texto extraído eCancerCampus
Grupo Español de Pacientes con Cáncer (GEPAC).***