

Guía sobre ensayos clínicos

Para los jóvenes con cáncer y sus padres



SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

niños con cáncer
Federación Española de Padres

www.cancerinfantil.org www.sehop.org



¿Qué es un ensayo clínico?

Un ensayo clínico es un estudio de investigación médica que implica a los pacientes. Es la última etapa de un largo proceso que comienza con la investigación en el laboratorio. La mayoría de los tratamientos estándar que utilizamos hoy en día se basan en los resultados de ensayos clínicos anteriores.

Los ensayos clínicos son clave para el desarrollo de nuevos métodos para prevenir, detectar y tratar el cáncer. Hay diferentes tipos de ensayos clínicos. Por ejemplo, un ensayo puede comparar un tratamiento con otro o basarse en cuestionarios para responder preguntas sobre la calidad de vida.

En los ensayos clínicos suelen participar los pacientes, pero a veces participan voluntarios sanos (normalmente adultos).

¿Por qué son importantes los ensayos clínicos?

Como todavía se desconoce cuál es la mejor manera de tratar todos los tipos de cáncer, los ensayos clínicos nos ayudan a encontrar tratamientos más efectivos para los diferentes tipos de cáncer. Con los ensayos clínicos se analizan nuevos tratamientos y formas de controlar los síntomas, o se investigan nuevas formas de prevenir o diagnosticar el cáncer. Los progresos en el tratamiento del cáncer infantil en los últimos decenios se deben, en gran medida, a los ensayos clínicos.



Muchos niños y jóvenes con cáncer son tratados en ensayos clínicos. Esperamos que este folleto, diseñado para jóvenes con cáncer y sus padres, les ayude a comprender mejor los ensayos clínicos y a responder a algunas de las muchas preguntas que se puedan plantear. Deben comentar siempre con su médico u otros miembros del equipo cualquier duda o pregunta específica relacionada con el tratamiento o con la participación en un ensayo clínico.

¿Existen diferentes tipos de ensayos?

Si. Hay tres tipos diferentes de ensayos (conocidos como fases). Cada fase tiene como objetivo investigar algo diferente sobre un nuevo tratamiento o procedimiento.

Los ensayos de fase I administran posibles tratamientos nuevos a las personas por primera vez. Ayudan a encontrar las dosis más adecuadas de medicamentos nuevos y sus posibles efectos secundarios. Estos ensayos se ofrecen a un pequeño número de personas cuyo tipo de cáncer no tiene un tratamiento eficaz. Habitualmente, cada nuevo fármaco ya ha sido probado en adultos antes de que se pruebe en niños.

Los ensayos de fase II comprueban si un tratamiento es eficaz con la dosis elegida durante la fase I. Su objetivo es demostrar cómo funciona el nuevo tratamiento para determinados tipos de cáncer y medir los posibles efectos secundarios no deseados. Se realizan también con un número relativamente pequeño de pacientes.

Los ensayos de fase III tienen como objetivo confirmar el beneficio de un tratamiento nuevo o un nuevo esquema o combinación de fármacos („optimización del tratamiento”) en comparación con el tratamiento de referencia actual. Estos ensayos incluyen un número mucho mayor de pacientes,

enmarcados dentro del grupo que se trata a diario de forma estándar y, por lo general, tienen una duración mayor que los de fase I y II.

Todos estos tipos de ensayos pueden llevarse a cabo en varios países al mismo tiempo.



¿Puede todo el mundo participar en un ensayo clínico?

Cada ensayo aspira a mejorar el tratamiento de los pacientes con un tipo específico de cáncer. Por lo tanto habrá unas condiciones precisas que establezcan si los pacientes son adecuados para cada ensayo. Los criterios de inclusión y exclusión (reglas para ser incluido o no) se establecen claramente en el protocolo del ensayo (plan de tratamiento).

Es importante que el paciente cumpla exactamente estos requisitos y que el paciente o sus padres estén de acuerdo en participar. Por ejemplo, los criterios de inclusión pueden no permitir que todos los pacientes con un tipo particular de cáncer participen en un ensayo clínico, sino únicamente un pequeño grupo, en función de la edad o del estadio de la enfermedad.

¿Qué información vamos a recibir sobre el ensayo clínico y qué significa participar en él?

El médico y su equipo les explicarán todo lo relacionado con el ensayo clínico y les proporcionarán hojas informativas detalladas específicas para padres y pacientes. Además tendrán la oportunidad de comentar el ensayo clínico con ellos. Las hojas informativas contendrán los detalles sobre el tratamiento y los posibles efectos secundarios, así como la explicación de lo que sucederá con los datos recogidos durante el ensayo.



¿Todas las personas incluidas en un ensayo clínico reciben el mismo tratamiento?

No necesariamente. Algunos ensayos se conocen como ensayos aleatorizados. En un ensayo aleatorizado (o randomizado) los pacientes son asignados de forma aleatoria a diferentes tratamientos (conocidos como grupos de tratamiento o ramas). Al hacer un ensayo aleatorizado, los médicos pueden determinar si un tratamiento nuevo es mejor o más seguro que el tratamiento estándar o habitual. La asignación del tratamiento se realiza generalmente por ordenador y cada rama recibe un tratamiento diferente. De este modo ni los padres/pacientes, ni el médico pueden influir a qué rama se asigna, asegurando que los resultados no están sesgados de ninguna forma. En cada rama se incluye el mismo número de pacientes y al final del ensayo se comparan los resultados. A veces un ensayo puede contener más de una aleatorización. Un ensayo aleatorizado se detendrá antes de tiempo si una rama muestra mejores resultados que el resto. Su médico le explicará con más detalle

cómo funciona la aleatorización y lo que significa específicamente en un ensayo concreto.

¿Qué sucede si nos decidimos a participar?

Después de haber leído las hojas informativas y de haber preguntado todas las dudas, tendrán tiempo para decidir si desean o no seguir adelante. Este tiempo dependerá del ensayo pero, por lo general, será de al menos 24 horas. Para participar en el ensayo clínico, los padres o los propios pacientes (dependiendo de su edad) tendrán que firmar un impreso de consentimiento informado para confirmar que entienden en qué consiste el ensayo y que se comprometen a participar.

¿Podemos saber si el tratamiento es seguro?

La seguridad de los pacientes en los ensayos clínicos es de suma importancia. Todos los protocolos de los ensayos deben ser revisados y aprobados por comités científicos y éticos. Les explicarán todos los posibles riesgos y beneficios de su participación. Una vez que el ensayo ha comenzado, se revisa continuamente durante su desarrollo. Si hay alguna duda sobre la seguridad o sobre cómo está funcionando el tratamiento, el ensayo se suspenderá, continuando el tratamiento según el protocolo estándar.



¿Cuántos pacientes deben participar?

El protocolo del ensayo debe mencionar cuántos pacientes son necesarios para obtener un resultado fiable que dé respuesta a las preguntas planteadas por el ensayo. Su número variará dependiendo del tipo de ensayo. Como el cáncer infantil es una enfermedad rara, los pacientes para los ensayos clínicos serán reclutados en unidades de referencia de varios países dentro o fuera de la Unión Europea. De este modo se reunirá el número necesario lo antes posible.

¿Y si decimos que sí y después cambiamos de opinión?

Los pacientes y los padres pueden cambiar de opinión en cualquier momento. No es necesario que den una razón si no desean participar. Su médico respetará su decisión y el paciente recibirá el tratamiento habitual, más conocido y probado.

¿Cuáles son las ventajas e inconvenientes de participar en un ensayo clínico?

Su médico les explicará las posibles ventajas y desventajas.

En función del diseño del protocolo de cada ensayo en particular la participación puede significar lo siguiente:

- Puede recibir un nuevo tratamiento que sólo está disponible en un ensayo clínico
- Su tratamiento seguirá los mismos estándares que todos los pacientes que están participando en el ensayo clínico
- Expertos nacionales, o a menudo internacionales, en ese tipo de tumor habrán trabajado juntos para desarrollar el protocolo del ensayo
- Existe un especial cuidado en la seguridad de los pacientes por lo que se seguirá de cerca su evolución
- A veces puede no haber beneficio alguno para el propio paciente, pero los resultados del ensayo clínico pueden



den ayudar a los médicos a mejorar los tratamientos oncológicos para futuros pacientes.

- Puede que tenga que hacer más visitas al hospital
- Es posible que tengan que hacerle más pruebas
- El nuevo tratamiento, aunque se espera que sea mejor, puede no ser mejor que el tratamiento estándar
- Es posible que el tratamiento no esté disponible en forma de jarabe, y que tenga que tomar las pastillas/cápsulas igual que el resto de los pacientes en el ensayo.
- Es posible que tenga efectos secundarios que usted o su médico no esperaban, pero en ese caso se le hará un seguimiento específico de éstos.

¿Qué pasa si no queremos participar?

El médico que le trata respetará su elección proporcionándole el tratamiento más adecuado y probado en ese momento. Incluso si está de acuerdo en participar en un ensayo puede cambiar de opinión y salirse en cualquier momento. En ese caso continuará con el tratamiento estándar.

¿Cuánto tiempo duran los ensayos?

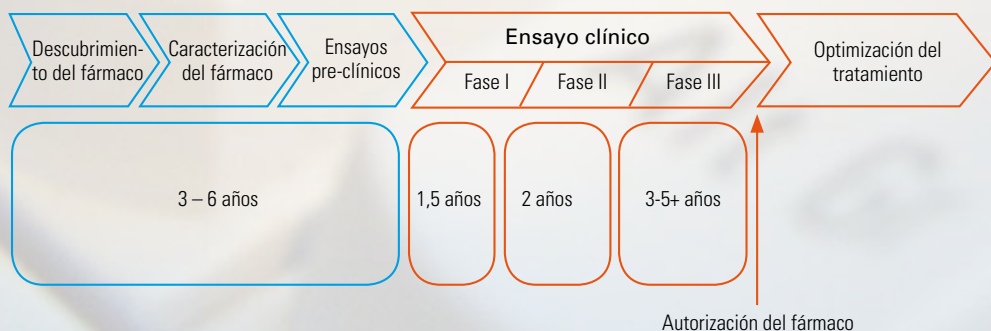
Esto depende del tipo de ensayo y del número de pacientes necesarios para obtener respuestas a la cuestión planteada en el mismo. Los ensayos de fase I y II suelen durar 1-2 años. Los ensayos de fase III pueden durar un total de 5 años, o incluso más tiempo. A menudo suele haber después un largo período de seguimiento. El

tiempo que cada paciente debe estar en tratamiento dentro de un ensayo variará, pero estará explicado claramente en el protocolo del ensayo.

¿Quién es responsable de llevar a cabo los ensayos clínicos?

Los ensayos clínicos en cáncer infantil se llevan a cabo en los hospitales universitarios o con unidades especializadas y experiencia en la realización de ensayos clínicos. Hoy en día, también incluyen la colaboración de otros grupos internacionales. Las fichas de información sobre un ensayo concreto le darán más detalles sobre quién dirige ese ensayo. En ocasiones los ensayos pueden estar gestionados por una empresa farmacéutica.

Desarrollo de un nuevo medicamento para uso clínico



¿Dónde tiene lugar el tratamiento del ensayo?

El tratamiento dentro de un ensayo clínico tiene lugar en los hospitales con especialistas en oncología pediátrica y del adolescente. Para la mayoría de los ensayos clínicos, éste sería el mismo hospital donde los pacientes son tratados con el tratamiento estándar. Sin embargo, en algunos ensayos su médico puede derivarlo a otro hospital en el que se realiza dicho ensayo. Muchos ensayos de cáncer infantil se realizan mediante colaboración internacional y por lo tanto participan en ese mismo ensayo pacientes de varios países.

¿Qué tipo de información se recopila?

La información (o datos) recopilada de los pacientes que participan en un ensayo incluye detalles del diagnóstico, tratamiento recibido, resultados de pruebas específicas (por ejemplo escáneres y análisis de sangre) y también cuestiones relativas a los posibles efectos secundarios. También puede ser información sobre seguimiento a largo plazo y calidad de vida.

¿Qué pasa con la información obtenida?

La información sobre los pacientes que participan en un ensayo clínico se recogerá en el centro de trata-

miento y se enviará a la unidad responsable de coordinar el ensayo. La información se registrará en papel o se enviará por vía electrónica. Se almacenará en una base de datos segura y luego será analizada por los estadísticos para proporcionar información sobre los resultados provisionales del ensayo.

¿Cómo se mantiene la confidencialidad del paciente?

Toda la información sobre los pacientes en los ensayos está protegida por las normas nacionales o europeas sobre protección de datos. Esto significa que todo el personal que tiene acceso a esta información está obligado por ley a mantenerla bajo estrictas condiciones de seguridad. Esto está regulado rigurosamente y hay directrices claras sobre la divulgación de esta información. Por lo general, sólo se utilizarán las iniciales de los pacientes o un número de código del paciente.

¿Cuánto tiempo se guardan los datos del ensayo?

Debido a que puede ser necesario valorar de nuevo la información y mirar la documentación muchos años después del final del ensayo, los datos se pueden mantener de forma indefinida, ya sea en papel o en formato electrónico.

¿Quién controla la forma en que se ejecutan los ensayos clínicos?

Los ensayos clínicos son monitorizados muy de cerca por diferentes personas y organizaciones: el investigador principal, el grupo de gestión del ensayo que lo ha desarrollado y el personal pertinente dentro de la unidad de ensayos clínicos. También puede haberse creado un comité de supervisión de datos independiente para supervisar el desarrollo del ensayo. A nivel nacional, habrá un comité de ética y el órgano regulador independiente nacional. Si hay alguna duda sobre el desarrollo del ensayo o los resultados provisionales, el ensayo puede ser suspendido antes de tiempo.

¿Cuándo están disponibles los resultados de los ensayos?

Algunos ensayos se desarrollan durante un tiempo considerable. No es posible hacer el análisis final de los resultados del ensayo hasta que haya transcurrido un cierto tiempo después de que el último paciente haya terminado el tratamiento y haya sido objeto de seguimiento durante un período determinado. Después de eso se publicarán los resultados. Los resultados del ensayo no pueden, por tanto, publicarse hasta unos años después de que el último paciente haya terminado el tratamiento.

¿Cómo puedo saber los resultados?

Los resultados de los ensayos se publican en revistas médicas y científicas. Están dirigidas a los médicos y con frecuencia utilizan una terminología bastante complicada. Ningún paciente concreto figura en estas publicaciones. No es habitual que los resultados del ensayo se remitan a cada paciente, sin embargo, habrá un resumen disponible, una vez que la publicación final esté impresa.

Glosario de términos:

Datos: Es la información del paciente obtenida a lo largo del ensayo clínico. Los datos se analizan para determinar cómo está funcionando el tratamiento.

Investigador Jefe: investigador responsable de un ensayo clínico realizado en varios lugares o países.

Comité de Ética: Comité que revisa el protocolo de tratamiento para asegurarse de que lo se propone es ético, seguro y en interés del paciente. Este comité también revisa la información que debe proporcionarse al paciente o a los padres para asegurarse de que entienden completamente lo que se les pide que consientan.

Criterios de inclusión y exclusión: Son los requisitos que deben cumplirse antes de que se incluya a un paciente en un ensayo clínico (por ejemplo: la edad del paciente, el tipo y el estadio del cáncer, etc).

Consentimiento informado: Para tomar parte en un ensayo clínico es necesario firmar un impreso de consentimiento para confirmar que se entiende en qué consiste el ensayo y que se compromete a participar. Lo firmarán los padres/tutores o los propios pacientes, dependiendo de su edad.

Investigador principal: Investigador responsable en un centro de tratamiento concreto.

Protocolo: Es un documento para el personal médico que contiene detalles sobre su finalidad, diseño y desarrollo del ensayo clínico y toda la información sobre cómo diagnostican y tratan al paciente los médicos. El protocolo no suele entregarse a los padres o pacientes. Para explicar el ensayo clínico al paciente en un lenguaje comprensible hay hojas informativas específicas.

Aleatorización: Consiste en la asignación aleatoria de los pacientes a las diferentes ramas de tratamiento en un ensayo clínico.

Organismo regulador: Organismo que aprueba el interés científico del ensayo clínico y el uso de los fármacos en éste, y supervisa la seguridad de los medicamentos que se están investigando.

Más información sobre ensayos clínicos

Español:

www.cancerinfantil.org
www.sehop.org/
www.ub.edu/legmh/ereensay.htm

Inglés:

www.childhoodcancerint.org
www.siope.eu
www.cancerresearchuk.org/
www.nhs.uk
www.itcc-consortium.org

Francés:

[www.e-cancer.fr/dmdocuments/
inca-mon-enfant-a-un-cancer.pdf](http://www.e-cancer.fr/dmdocuments/inca-mon-enfant-a-un-cancer.pdf)

Alemán:

www.kinderkrebshilfe.at
www.okids-net.at
www.kinderkrebsinfo.de



Notas de la editorial:

Editores: Federación Española de Padres de NIÑOS CON CÁNCER (FEPNC) y Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP)

Edición y traducción: Luisa Basset (FEPNC)

Gráficos y Diseño: Monika Vali

Revisión: Tomás Acha (SEHOP), Adela Cañete (SEHOP), Jesús M. González (FEPNC).

© 2015 / primera edición

Idea + Concepto: La Federación Española de Padres de NIÑOS CON CÁNCER (FEPNC) ha traducido y adaptado la publicación “A Guide to Clinical Trials – For young people with cancer and their parents”, creada por CCI, SIOP Europe y ENCCA. Esta adaptación ha sido revisada por la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP)

La versión original inglesa es una adaptación autorizada por Children’s Cancer and Leukemia Group (CCLG, www.cclg.org.uk) de su publicación ‘A Guide to Clinical Trials – For young people with cancer and their parents’.

Han trabajado en la adaptación de la versión original inglesa: Frédéric Arnold, Luisa Basset, Gerlind Bode, Karen Doyle, Pam Kearns, Ruth Ladenstein, Ginny MacIntyre, Kathy Pritchard-Jones, Neil Ranasinghe, Martin Schrappe

Esta publicación ha recibido financiación del Séptimo Programa Marco de la Unión Europea de Investigación y Desarrollo Tecnológico dentro del proyecto ENCCA, proyecto número HEALTH -F2-2011-261474.