

AMERICAN BRAIN TUMOR ASSOCIATION

Ensayos clínicos



American
Brain Tumor
Association®

Providing and pursuing answers®

ACERCA DE AMERICAN BRAIN TUMOR ASSOCIATION

La American Brain Tumor Association (ABTA), fundada en 1973, fue la primera organización nacional sin fines de lucro dedicada exclusivamente a la investigación de tumores cerebrales. Desde entonces, la ABTA ha ampliado su misión y ahora pone a disposición recursos integrales para satisfacer las complejas necesidades de los pacientes con tumores cerebrales y de sus cuidadores, de todas las edades y tipos de tumores. Además, financia la investigación de innovaciones para el diagnóstico, el tratamiento y la atención de las personas con tumores cerebrales.

Para obtener más información, visite abta.org.

Agradecemos a Susan Chang, MD, directora de Servicios de Clínica, Servicio de Neurooncología del Centro de Investigaciones de Tumores Cerebrales, Departamento de Cirugía Neurológica, Facultad de Medicina, University of California, San Francisco, y al Comité de Asesoría Clínica de la ABTA por la revisión de esta publicación.

Esta publicación no tiene el objetivo de sustituir el asesoramiento médico profesional y no brinda consejos sobre tratamientos o afecciones para pacientes. Todas las decisiones médicas y de tratamiento deben consultarse con sus médicos con su información médica personal. Ningún producto, tratamiento, médico u hospital que se mencione en esta publicación constituye una recomendación.

Ensayos clínicos

INTRODUCCIÓN

En este folleto se describe de qué manera se usan los estudios de investigación, llamados “ensayos clínicos”, para descubrir modos novedosos de prevenir, detectar y tratar los tumores cerebrales. Debido a que los ensayos clínicos representan una opción más de tratamiento para algunas personas, en la siguiente información se explica qué son, cómo funcionan y de qué forma puede buscar y evaluar un ensayo clínico para determinar si es adecuado para usted.

En general, hay distintos tipos de ensayos clínicos, entre ellos:

- Ensayos de tratamientos.
- Ensayos de tratamiento sintomático (también llamados “ensayos para la calidad de vida”).
- Ensayos de prevención.
- Ensayos de detección temprana o cribado.
- Ensayos de diagnóstico.

Sin embargo, este folleto se centra principalmente en los ensayos clínicos que implican tratamientos nuevos.

SOBRE LOS ENSAYOS CLÍNICOS

Un ensayo clínico es un estudio de investigación que se realiza en un entorno médico. Es una forma organizada de evaluar un tratamiento nuevo en fase de investigación, como un medicamento o un dispositivo, para determinar si es seguro y eficaz. La información que deriva de los ensayos clínicos amplía nuestra comprensión general sobre los tumores cerebrales y nos ayuda a identificar nuevas opciones de tratamiento.

Los participantes de ensayos clínicos son pacientes que se presentan como voluntarios para la oportunidad de obtener un tratamiento que, de otro modo, no estaría disponible. Durante un ensayo clínico, los participantes reciben un tratamiento nuevo, una combinación nueva de tratamientos existentes o el tratamiento de referencia aprobado en la actualidad (que se compara con un tratamiento nuevo), o bien un tratamiento disponible en la actualidad que se usa de una forma novedosa.

Nadie sabe de antemano si el tratamiento nuevo que se está poniendo a prueba en un ensayo clínico tiene la misma eficacia, o incluso una mayor eficacia, que el tratamiento de referencia que se usa actualmente. Los resultados de los ensayos clínicos se miden en comparación con el mejor tratamiento de referencia disponible para la afección en particular.

Aunque los investigadores realmente no saben si es “mejor” el tratamiento nuevo o el tratamiento actual, el tratamiento nuevo que se investiga debe demostrar cierto potencial de éxito antes de que se permita el inicio de un ensayo clínico. Ese potencial se determina según la experiencia previa de laboratorio, los ensayos en animales o los resultados de otros ensayos clínicos.

Los ensayos están diseñados para responder las siguientes preguntas sobre el tratamiento nuevo:

- ¿Es seguro? (fase I)
- ¿Es eficaz? (fase II)
- ¿Es más eficaz que el tratamiento de referencia? (fase III)

- ¿Otorga algún beneficio o ventaja con respecto al tratamiento de referencia? ¿O tiene la misma o menor eficacia que el tratamiento de referencia? (fase IV)

POR QUÉ SON NECESARIOS LOS ENSAYOS CLÍNICOS

Los ensayos clínicos cumplen una función importante para determinar si los tratamientos nuevos se pondrán a disposición del público. Muchos de los tratamientos disponibles hoy en día son el resultado de ensayos clínicos.

La Administración de Alimentos y Medicamentos de los EE. UU. (FDA) requiere que todo tratamiento nuevo se evalúe minuciosamente y se apruebe antes de que se ofrezca al público. Para obtener la aprobación de la FDA, el fabricante del tratamiento o dispositivo debe presentar los informes completos de los estudios para demostrar que el tratamiento o el dispositivo es seguro y eficaz para su uso previsto.

Los ensayos clínicos son la forma principal que tienen los fabricantes para demostrar que su producto es seguro y eficaz.

CÓMO COMIENZAN LOS ENSAYOS CLÍNICOS

Si, después de los estudios de laboratorio y en animales, los investigadores consideran que un tratamiento o dispositivo será seguro y eficaz contra una enfermedad concreta, el siguiente paso es evaluarlo en seres humanos. Esto es importante porque lo que funciona en el laboratorio o en animales podría no funcionar en las personas. Los ensayos clínicos están diseñados para responder preguntas cruciales sobre la seguridad y la eficacia del tratamiento en seres humanos.

Un ensayo clínico puede iniciarse por acción de un investigador en un solo centro médico o de una organización, como por ejemplo:

- Institutos Nacionales de la Salud (NIH).
- Instituto Nacional del Cáncer (NCI).
- Instituto Nacional de Trastornos Neurológicos y Accidentes Cerebrovasculares (NINDS).

-
- Compañías farmacéuticas, de dispositivos o biomedicina.
 - Grupos o consorcios cooperativos clínicos.

Antes de que pueda iniciarse el ensayo clínico, la FDA debe aprobar la solicitud para realizar un ensayo sobre un tratamiento nuevo. La solicitud incluye una descripción del protocolo del tratamiento y el proceso que seguirá el ensayo clínico. Si el ensayo está patrocinado por una organización, como el Instituto Nacional del Cáncer, también debe contar con la aprobación de otros comités de revisión.

DÓNDE SE REALIZAN LOS ENSAYOS CLÍNICOS

El Gobierno de los EE. UU., las compañías farmacéuticas, de biomedicina o dispositivos y las instituciones médicas son quienes realizan principalmente los ensayos clínicos. Suelen llevarse a cabo en centros de atención del cáncer, hospitales universitarios, centros médicos de importancia y centros médicos comunitarios.

COSTOS DE LOS ENSAYOS CLÍNICOS

Los costos de los ensayos clínicos están cubiertos por diversas entidades, como compañías farmacéuticas, y a menudo se complementan con subvenciones o becas, el seguro del paciente y el Gobierno de los EE. UU.

La mayoría de los ensayos clínicos los paga el patrocinador del ensayo, que puede ser el Gobierno de los EE. UU., una compañía farmacéutica o una compañía de dispositivos médicos. Los costos de atención de rutina, como la cirugía para extirpar el tumor o las exploraciones por resonancia magnética (IRM) habituales de seguimiento, podrían estar cubiertos por una compañía de seguros, y el paciente paga los deducibles y los gastos de bolsillo habituales. En algunos ensayos clínicos, aunque no muchos, se realizan pequeños reembolsos para cubrir los costos en los que incurre el paciente por participar, como el traslado o el estacionamiento.

En algunos casos, los proveedores de seguros médicos y atención administrada no cubren ningún costo del paciente en un ensayo clínico, ni los gastos que se producen debido a efectos secundarios del tratamiento recibido en un ensayo clínico. Esto se debe a que algunos planes de seguro médico definen a los ensayos clínicos como procedimientos “experimentales” o “en fase de investigación”. A causa de esto, el paciente podría ser responsable de pagar ciertos costos.

Antes de tomar la decisión de inscribirse en un ensayo clínico, comuníquese con el patrocinador del ensayo y con su compañía de seguros para conocer qué cobertura está disponible para usted.

CÓMO SE ORGANIZAN LOS ENSAYOS CLÍNICOS

Cada ensayo clínico sigue un protocolo, que es un plan detallado por escrito donde se explica por qué se necesita el estudio, cuál es el objetivo por evaluar y cómo se realizará. El investigador principal del ensayo clínico (el médico o científico que está a cargo del ensayo) redacta el protocolo con los aportes de otros médicos, investigadores, defensores de pacientes y estadísticos.

Específicamente, un protocolo incluye lo siguiente:

- El motivo (la justificación o base científica) por el que se realiza el ensayo.
- Los objetivos del estudio.
- La cantidad de participantes que deben inscribirse para que los datos sean significativos.
- Los criterios de elegibilidad: los tipos de tumores que se tratarán y sus biomarcadores, los rangos de edad aceptables, los requisitos médicos y la necesidad de un consentimiento informado, y cualquier exclusión debido a tratamientos previos.
- Los tratamientos o dispositivos que se usarán.

-
- Una explicación detallada de cómo se administrará el tratamiento, su duración y el cronograma.
 - Los posibles efectos secundarios y las intervenciones autorizadas para aliviarlos.
 - Cómo se deberá evaluar el progreso de los pacientes: las pruebas médicas y neurológicas, los cuestionarios, las exploraciones y las visitas de seguimiento que serán obligatorios.
 - Los criterios de valoración del ensayo clínico, como la supervivencia sin enfermedad (DFS), la supervivencia global, la calidad de vida (QOL), la función neurocognitiva, la recurrencia, el tiempo hasta la progresión (TTP) y la toxicidad/seguridad.

Todas las personas que participan en un ensayo clínico deben cumplir los mismos requisitos de elegibilidad, recibir el mismo proceso de tratamiento y ser evaluadas de la misma manera. Esta uniformidad permite que los investigadores midan con objetividad los resultados de un posible tratamiento nuevo. Esto significa que los pacientes que participan en el mismo ensayo clínico muy probablemente tengan el mismo tipo de tumor, además de muchas otras similitudes, para procurar que los resultados sean válidos y no se deban a algún otro factor.

También es importante que se inscriba una cantidad adecuada de pacientes en el estudio para determinar si los efectos (positivos y negativos) se deben al tratamiento o a diferencias individuales entre los pacientes. El protocolo del ensayo clínico ayuda a procurar que se traten estos tipos de cuestiones.

La mayoría de los ensayos clínicos dividen a los participantes en dos grupos: el grupo de investigación (que recibe el tratamiento nuevo) y el grupo de control (que recibe el tratamiento de referencia o el placebo). Normalmente, se asigna a los participantes a uno de los dos grupos de manera aleatoria; esto también se conoce como “ensayo clínico aleatorizado”.

Se considera que los ensayos clínicos aleatorizados (en los que los participantes se asignan de manera aleatoria a cada grupo) son el método más confiable e imparcial para determinar cuál de los tratamientos funciona mejor.

En un ensayo clínico con doble enmascaramiento (doble ciego), ni el médico ni el paciente saben cuál es el tratamiento que se administra. En un ensayo clínico con enmascaramiento único (simple ciego), solo los pacientes no saben cuál es el tratamiento que reciben.

Al final del estudio, si un grupo tiene un resultado mejor que el otro, los investigadores podrán concluir con cierto grado de confianza que un tratamiento es mejor que el otro. También existen estudios no aleatorizados, en los que todos los pacientes con características similares reciben el mismo tratamiento en fase de investigación.

Debido a la gravedad de los tumores cerebrales, no suelen utilizarse placebos. Si se usan placebos en el ensayo, se debe informar a cada paciente sobre esta posibilidad antes de que se inscriba. Además, los pacientes deben recibir, como mínimo, el tratamiento de referencia. Ningún paciente que participe en un ensayo clínico de tumores cerebrales quedará “sin recibir tratamiento”.

FASES DE LOS ENSAYOS CLÍNICOS

Los ensayos clínicos se realizan en fases. Cada fase se centra en responder una pregunta específica acerca del tratamiento nuevo.

Fase I

Los ensayos clínicos de fase I están diseñados para responder a la pregunta: ¿Cuál es la cantidad de tratamiento que se puede administrar de forma segura y cuál es la mejor forma de administrarlo?

El equipo de investigación monitorea al paciente con atención para evaluar los efectos secundarios del tratamiento. También se evalúan los efectos del tratamiento contra el tumor, pero este no es el propósito principal de un estudio de fase I.

Algunos de estos ensayos clínicos son estudios con aumento escalonado de la dosis, en los que la dosis del tratamiento se incrementa gradualmente para determinar con mayor

eficacia cuál dosis es segura. El resultado de este tipo de estudio es la determinación del punto en el que se alcanza un equilibrio entre la dosis y los efectos secundarios aceptables. El ensayo normalmente dura entre unos meses y un año, e incluye la participación de un grupo reducido de unos 20 pacientes. Cuando se alcanza un equilibrio entre la dosis y los efectos secundarios aceptables, el tratamiento pasa a un estudio de fase II. El ensayo clínico se detiene si se producen efectos secundarios inaceptables.

Si los tratamientos bajo investigación ya se conocen en profundidad para el tratamiento de otras enfermedades, pero aún no se ha determinado la dosis correcta para los tumores cerebrales, podrían combinarse la fase I y la fase II en el mismo ensayo.

Fase II

Los ensayos clínicos de fase II están diseñados para responder a la pregunta: ¿El tratamiento nuevo es eficaz contra un tipo específico de tumor?

Un tratamiento es eficaz cuando logra que los tumores reduzcan su tamaño o dejen de crecer. Hay pautas muy específicas que se usan en los ensayos de fase II para evaluar la eficacia de la respuesta al tratamiento. En una remisión completa (CR), el tumor desaparece en la exploración observada. Una remisión parcial (PR) significa que el tumor ha reducido su tamaño en la cantidad que se describe en las pautas. Enfermedad estable (SD) significa que hay pequeños cambios o ningún cambio en el tamaño del tumor. Y enfermedad progresiva (PD) significa que el tamaño del tumor ha aumentado según las pautas.

Un ensayo clínico de fase II de tumores cerebrales podría extenderse unos dos años y requerir unos 75 pacientes, pero esto puede variar según el diseño del estudio. Los pacientes se monitorean según la descripción del protocolo, y se evalúan con atención los efectos secundarios.

Si se produce una respuesta positiva en una cantidad de pacientes suficiente para tener significancia

estadística (resultados que no se deban al azar o a errores), la investigación avanzará a un ensayo de fase III. Si se descubre que el tratamiento no es eficaz, se detienen los análisis. Si se detienen los análisis, podría ofrecerse a los pacientes inscritos en el ensayo otras opciones de tratamiento o la posibilidad de participar en otro ensayo clínico.

Fase III

Los ensayos clínicos de fase III están diseñados para responder a las siguientes preguntas:

¿Este tratamiento nuevo es más eficaz que los tratamientos de referencia que ya están aprobados?

¿Tiene menos efectos secundarios que el tratamiento de referencia?

Además, si el tratamiento nuevo tiene la misma eficacia que el de referencia, ¿ofrece alguna otra ventaja? Por ejemplo, ¿el tratamiento nuevo se administra por vía oral en lugar de por vía intravenosa o es más seguro de administrar?

Un ensayo de fase III normalmente abarca a cientos o incluso miles de participantes para que se pueda medir de forma estadística y comparar a gran escala la eficacia de los distintos tratamientos.

Cuando se haya demostrado la eficacia de un tratamiento en un ensayo de fase III, se puede enviar una solicitud de aprobación a la FDA. Si los datos de los ensayos clínicos cumplen con las normas de la FDA, el tratamiento se aprobará para su uso.

Fase IV

La FDA podría exigir un ensayo de fase IV para evaluar los efectos secundarios que no fueron evidentes en los ensayos de fase III o para responder preguntas que no fueron resueltas. Esta fase se realiza después de que el tratamiento haya recibido la aprobación de la FDA. Nuevamente, se inscribe una gran cantidad de participantes en este tipo de ensayos.

SUS DERECHOS Y PROTECCIONES COMO PARTICIPANTE DE UN ENSAYO CLÍNICO

Abandono del ensayo

Usted puede finalizar su participación en un ensayo clínico en cualquier momento y por cualquier motivo. Si decide abandonar el estudio, tiene derecho a conocer otras opciones de tratamiento. Después de abandonar el ensayo, puede permanecer con los médicos en el centro de tratamiento del ensayo, regresar a la atención de su médico habitual para recibir otro tratamiento o consultar con otros expertos.

Consentimiento informado

Antes de recibir cualquier tipo de tratamiento, tiene derecho a conocer la naturaleza exacta del tratamiento: los riesgos conocidos, las expectativas de éxito y si hay tratamientos de referencia. El consentimiento informado implica que un miembro del equipo de tratamiento del ensayo debe explicarle la información, que se deben responder todas sus preguntas y que usted debe comprender la explicación completamente. Se le pedirá que firme un formulario de consentimiento cuando esté seguro de tener toda la información que necesita y haya decidido participar en el estudio. En el caso de los menores de edad, pueden firmar los padres o tutores legales. Los menores de edad podrían recibir un formulario de asentimiento, que presenta información apropiada para su edad y les permite participar en el proceso.

Monitoreo continuo

Algunos profesionales médicos se encargarán de monitorearlo con atención a lo largo del estudio a fin de controlar los cambios en su salud en general, no solo del tumor cerebral. Un comité de monitoreo de datos examina las partes estadísticas del estudio y alerta a los investigadores si los efectos secundarios superan los beneficios del tratamiento. Si se obtiene más información sobre el tratamiento durante el estudio, usted recibirá esas novedades.

Varias entidades monitorean y supervisan los ensayos clínicos para procurar que se protejan los derechos y la seguridad de los participantes. Estas entidades incluyen al investigador clínico, la junta de revisión institucional, la junta de monitoreo de seguridad de datos y agencias gubernamentales, como la FDA.

Privacidad

Los administradores del estudio deben hacer todo esfuerzo posible por mantener la confidencialidad de su información personal y de la información relacionada con su salud. Para lograr esto, la mayor parte de sus registros se identificará con un número en lugar de su nombre.

Evaluación de riesgos

Las juntas de revisión institucional (IRB) compuestas por expertos y no expertos de hospitales e instituciones de investigación de todo el territorio de los EE. UU. trabajan para procurar que usted no quede expuesto a riesgos innecesarios durante el ensayo clínico. Los ensayos clínicos patrocinados por el Instituto Nacional del Cáncer (NCI) y algunas compañías de medicamentos tendrán su propio comité de monitoreo de datos (DMC) o junta de monitoreo de seguridad de datos (DSMB) para revisar los posibles riesgos.

¿CUÁNTO TARDA UN PATROCINADOR EN COMPLETAR UN ENSAYO CLÍNICO?

La respuesta a esta pregunta depende de la fase del ensayo y de la cantidad de personas que participan. Los ensayos de fase I pueden durar de varios meses a un año, pero incluyen la participación de pocas personas. Los ensayos de fase II pueden tardar hasta dos años en completarse. Los ensayos de fase III a menudo requieren varios años para inscribir y monitorear el progreso de los cientos o miles de participantes del estudio.

Sin embargo, si un ensayo clínico en particular es de interés para muchas personas, el ensayo podría “conseguir” a los participantes más rápido de lo esperado, lo que ayuda a acelerar el plazo anticipado.

CÓMO SE DIFUNDEN LOS RESULTADOS DE LOS ENSAYOS CLÍNICOS

Después de que todos los pacientes hayan recibido el tratamiento y el seguimiento por el tiempo indicado, se analizan los resultados. Es obligación del patrocinador distribuir los resultados de la manera más rápida y amplia posible. En realidad, esto puede tardar meses, o incluso años. Los resultados de los ensayos se difunden de varias maneras:

- Una publicación o presentación en una reunión médica científica.
- Un artículo que se publica en una revista científica (puede tardar meses hasta que el artículo se imprima; algunas revistas ponen a disposición versiones electrónicas del artículo tan pronto como se revise).
- Boletines electrónicos del Instituto Nacional del Cáncer (NCI).
- Ensayos nuevos en los que se citen los resultados del estudio anterior.
- Una solicitud de autorización de un medicamento nuevo (NDA) a la FDA.
- Recomendaciones verbales entre investigadores o patrocinadores.
- Informes en diferentes medios de comunicación, comunicados de prensa, etc.

CÓMO ENCONTRAR ENSAYOS CLÍNICOS

Las mejores opciones para encontrar ensayos clínicos son consultar a su equipo de atención médica o buscar ensayos clínicos por su cuenta.

Consulte a su equipo de atención médica

Dado que sus médicos conocen su afección física, es sensato hablar con ellos sobre las opciones de tratamiento. Es posible que uno de sus médicos ya sea investigador

en un ensayo cerca de su hogar. O bien su médico podría conocer los ensayos clínicos para los que usted reuniría los requisitos. Además, su equipo de atención médica puede comunicarse con colegas de su campo o especialistas de centros de referencia para tumores cerebrales. No dude en pedirles consejos y ayuda.

Busque ensayos clínicos por su cuenta

Si decide buscar información sobre ensayos clínicos por su cuenta, informe a su médico que le gustaría conocer más sobre los ensayos clínicos como opción de tratamiento. Comuníquese con la ABTA para que lo orienten sobre cómo encontrar un ensayo clínico que sea adecuado para su caso. También puede visitar el sitio web clinicaltrials.gov para buscar entre los ensayos clínicos disponibles. Luego, reúna toda la información de su diagnóstico. Pida al personal del consultorio de su médico que le ayude a obtener la información correcta.

Deberá saber lo siguiente:

- El nombre exacto del tumor.
- La ubicación del tumor dentro del cerebro o la espina dorsal.
- Los biomarcadores del tumor (normalmente se encuentran en los informes de patología).
- El tamaño del tumor.
- Si tiene más de un tumor, la cantidad de tumores.
- El tipo de tratamientos que ya ha recibido (biopsia o cirugía, radioterapia, quimioterapia, etc.). Si ha recibido quimioterapia o radiación, tendrá que saber información específica: tipo de radiación o fármaco, dosis y fechas de tratamiento.

Finalmente, necesitará copias de sus registros médicos. Cuando encuentre un ensayo clínico que sea de su interés, los coordinadores del ensayo le darán una lista de los registros que necesitarán revisar, como copias de exploraciones (y las fechas), pruebas de

laboratorio, informes de cirugía, informes de patología, cortes de patología, etc.

Sus registros médicos le pertenecen, y no debería tener ningún problema en obtener las copias que necesita (aunque le podrían cobrar los costos de copiado, los gastos de envío, etc.). Tenga en cuenta que algunas veces los costos de copiado son altos. En algunos estados, los registros médicos se entregan solamente a otro médico.

CÓMO SABER SI ES ELEGIBLE PARA UN ENSAYO CLÍNICO

Cada ensayo clínico tiene sus propios requisitos de elegibilidad, denominados “criterios de inclusión y exclusión”. Algunos de estos requisitos incluyen, entre otros, los siguientes:

- Tipo de tumor.
- Requisitos de edad y/o género.
- Ciertos tipos de tumores o biomarcadores.
- Tratamientos previos permitidos (o no).
- Antecedentes médicos.
- Un estado funcional mínimo requerido (el estado funcional se refiere a la capacidad de una persona para funcionar y realizar las actividades cotidianas normales; consulte a continuación la escala de funcionalidad de Zubrod y Karnofsky).

Si está considerando un ensayo clínico en particular, busque toda la información que pueda acerca de ese tratamiento nuevo. En los ensayos de fase I, como recién están iniciando con su análisis, podría haber muy poca información disponible. Por el contrario, hay una cantidad considerable de información cuando un ensayo clínico alcanza la fase III. Puede investigar la bibliografía médica para obtener más información sobre el tratamiento en sitios web como el de la Biblioteca Nacional de Medicina PubMed® de los Institutos Nacionales de la Salud (pubmed.gov) y Google Scholar (scholar.google.com).

ESCALAS DE FUNCIONALIDAD DE ZUBROD (Y KARNOFSKY)

0 Completamente activo, capaz de realizar todas las actividades previas a la enfermedad sin restricción (puntaje de 0 de Zubrod, que equivale a un puntaje de 90 a 100 de Karnofsky).

1 Restringido en una actividad física extenuante, pero ambulatorio y capaz de realizar tareas de carácter leve o sedentario. Por ejemplo, tareas ligeras del hogar, trabajo de oficina (puntaje de 70 a 80 de Karnofsky).

2 Ambulatorio y capaz de realizar todas las tareas de cuidado personal, pero incapaz de realizar actividades laborales. Deambula más del 50 % de las horas en que está despierto (puntaje de 50 a 60 de Karnofsky).

3 Capaz de cuidar de sí mismo de forma limitada; confinado en una cama o silla el 50 % o más de las horas en que está despierto (puntaje de 30 a 40 de Karnofsky).

4 Completamente incapacitado. No puede realizar ningún cuidado personal. Totalmente confinado a una cama o silla (puntaje de 10 a 20 de Karnofsky).

COMUNÍQUESE CON EL COORDINADOR DEL ESTUDIO PARA HABLAR DE LOS ENSAYOS CLÍNICOS EN LOS QUE TENGA INTERÉS

Llame al número de contacto del centro del ensayo clínico en el que tenga interés, o pida a su médico que llame por usted. Un coordinador del ensayo clínico, asistente de protocolo, asociado de investigación o enfermero podría aceptar las consultas telefónicas o por correo electrónico para verificar que el ensayo continúa abierto. Antes de llamar, haga una lista de las preguntas que más le interesen y que necesite que le respondan antes de poder tomar una decisión.

Estas son algunas de las preguntas más frecuentes:

- ¿Por qué piensan que el tratamiento nuevo es eficaz?
¿Se lo estudió anteriormente?
- ¿Cuándo empezó el ensayo?
- ¿A cuántas personas se ha tratado hasta ahora?
- ¿Cuántos participantes tienen mi tipo de tumor?
- ¿Cuáles son los posibles efectos secundarios que se conocen? ¿Son temporales o permanentes?
¿Se pueden controlar o aliviar de alguna manera (medicamentos, dieta, etc.)? ¿Cómo podrían afectar mis actividades diarias?
- ¿Cómo se administra el tratamiento y dónde se realiza?
¿Se puede administrar cerca de mi casa?
- ¿Cuántos tratamientos habrá? ¿Cuánto durará cada uno de ellos?
- ¿Los médicos del estudio trabajarán con mis médicos habituales mientras participo en el estudio?
- ¿Me tendrán que hospitalizar como parte del estudio?
- ¿Soy elegible para este estudio?

- ¿Cómo y cuándo me notificarán si soy elegible para el ensayo clínico?
- ¿Cuáles son los costos que cubrirá el patrocinador del ensayo clínico? ¿Cuáles son los costos que cubrirá mi compañía de seguros? ¿Cuáles son los costos que serán mi responsabilidad?

Para tener una respuesta definitiva sobre la elegibilidad, podrían requerirse copias de sus registros médicos, que incluyen informes de análisis de sangre, informes de cirugía, exploraciones, informes de patología, etc. Averigüe qué documentos se necesitan para determinar su elegibilidad y cuál es la mejor forma de enviarlos.

Pida una copia del protocolo completo y del formulario de consentimiento informado. El formulario de consentimiento informado incluye la información sobre los beneficios que se esperan, los riesgos conocidos y los efectos secundarios informados del tratamiento nuevo. El protocolo probablemente sea el único documento que incluya la justificación completa para el estudio. En él se documenta el motivo por el que se está realizando el estudio y los resultados de los análisis anteriores del medicamento o dispositivo nuevo. Algunos grupos clínicos cooperativos ofrecen sus protocolos completos en su sitio web; si este no es el caso, pídale a un asociado de investigación o investigador que esté relacionado con el ensayo clínico.

DERECHO A PROBAR Y ACCESO EXTENDIDO

Algunas personas no son elegibles para los ensayos clínicos por motivos que están fuera de su control, como sus tratamientos anteriores, sus antecedentes médicos, los criterios de inclusión específicos del tratamiento, la financiación del ensayo u otros factores.

La **Ley del Derecho a Probar** (Right to Try Act) y el **acceso extendido** son dos maneras en que los pacientes pueden obtener acceso a un ensayo clínico u otro tratamiento en fase de investigación incluso si no cumplen con los requisitos de

elegibilidad. Al usar cualquiera de estas opciones, los costos de un ensayo clínico o tratamiento en fase de investigación podrían no estar cubiertos por el patrocinador del ensayo, por lo que es importante que el paciente comprenda cuáles son los costos de los que será responsable.

LEY DEL DERECHO A PROBAR

La Ley del Derecho a Probar se sancionó en 2018. A través de esta ley, se puede admitir a un paciente a un ensayo clínico en el que normalmente no sería elegible para participar, o se le puede recetar un medicamento que no está aprobado por la FDA y que se haya estudiado en un ensayo clínico.

Para que se use un tratamiento conforme a las leyes del derecho a probar, debe haber aprobado los análisis de un ensayo clínico de fase I de la FDA. El paciente debe tener una enfermedad o afección potencialmente mortal y debe haber probado primero todas las opciones de tratamiento aprobadas. Además, el paciente (o su representante legalmente autorizado) debe obtener y dar a un médico el consentimiento informado por escrito con respecto al ensayo.

Los costos de un tratamiento en fase de investigación provisto conforme a la Ley del Derecho a Probar podrían no estar cubiertos por el patrocinador del ensayo clínico o la compañía de seguros, por lo que es importante que el paciente comprenda cuáles son los posibles costos. Además, podría haber riesgos al probar un tratamiento conforme a la Ley del Derecho a Probar. Hable con su médico sobre los riesgos de estos tratamientos.

ACCESO EXTENDIDO/USO COMPASIVO

El acceso extendido (también llamado “uso compasivo”) permite a los pacientes que tienen enfermedades o afecciones potencialmente mortales acceder a un tratamiento en fase de investigación que no ha sido

aprobado por la FDA. El paciente no debe tener disponible ninguna otra opción de tratamiento generalmente aceptada y no debe ser elegible para un ensayo clínico. Un médico con licencia debe supervisar el tratamiento y trabajar con las partes que analizan el tratamiento en fase de investigación. La FDA debe aprobar la solicitud del paciente de usar un tratamiento en fase de investigación en virtud del acceso extendido. Los costos de un tratamiento en fase de investigación provisto conforme al acceso extendido podrían no estar cubiertos por el patrocinador del ensayo clínico o la compañía de seguros, por lo que es importante que el paciente comprenda cuáles son los costos de los que será responsable. Además, podría haber riesgos al probar un tratamiento conforme al acceso extendido. Hable con su médico sobre los riesgos de estos tratamientos.

DECIDIR

Cuando esté al tanto de los ensayos clínicos que hay disponibles y haya hablado con su médico sobre los tratamientos de referencia, se acerca el momento de decidir cuál es el paso siguiente. Ahora debería tener suficiente información para decidir si es lo mejor para usted participar en un ensayo clínico.

Recuerde que los ensayos clínicos son investigaciones médicas: no pueden prometerle que se curará (ni que se aliviará) con el tratamiento que se está estudiando. Hay puntos a favor y en contra de los tratamientos en fase de investigación, así como existen para todas las otras opciones de tratamiento. Hable sobre los resultados de su investigación con su médico, su familia y otras personas en quienes confíe y de quienes valore su criterio. Si ha investigado adecuadamente sus opciones, debería poder tomar una decisión informada sobre cómo avanzar. Además, el paciente (o su representante legalmente autorizado) debe obtener y dar a un médico el consentimiento informado por escrito con respecto al ensayo.

INFORMACIÓN, RECURSOS Y APOYO DE LA AMERICAN BRAIN TUMOR ASSOCIATION

Guías

Puede encontrar las guías educativas en nuestro sitio web o solicitarlas en formato impreso y de forma gratuita llamando a la ABTA. La mayoría de las guías están disponibles en español (las que no están disponibles se indican con un asterisco).

Información general

Acerca de los tumores cerebrales:

Manual básico para pacientes y cuidadores

Diccionario de tumores cerebrales*

Manual de tumores cerebrales para personas recién diagnosticadas*

Manual para cuidadores*

Tipos de tumores

Ependimoma

Glioblastoma y astrocitoma anaplásico

Meduloblastoma

Meningioma

Tumores cerebrales metastásicos

Oligodendroglioma y oligoastrocitoma

Tumores pituitarios

Tratamiento

Quimioterapia

Ensayos clínicos

Radioterapia convencional

Terapia de protones

Radiocirugía estereotáctica*

Esteroides

Cirugía

INFORMACIÓN, RECURSOS Y APOYO DE LA AMERICAN BRAIN TUMOR ASSOCIATION

Información

SITIO WEB DE ABTA | ABTA.ORG

Pone a disposición más de 200 páginas de información, programas, servicios de apoyo y recursos, por ejemplo: localizadores de centros de tratamiento de tumores cerebrales y grupos de apoyo; recursos para cuidadores; actualizaciones de investigaciones, e información sobre tipos de tumores y tratamientos para todas las edades y tipos de tumores.

Educación y apoyo

- Reuniones y seminarios web educativos de la ABTA
Reuniones educativas presenciales y virtuales a cargo de profesionales médicos reconocidos a nivel nacional.
- Programa de asesores pares de la ABTA
Comuníquese con un asesor de pacientes o cuidadores capacitado para ayudarlo a afrontar un diagnóstico de tumor cerebral.
- Comunidad ABTA Connections
Una comunidad de apoyo y debate en línea con más de 25,000 miembros.
- CareLine de ABTA
Para obtener información y recursos personalizados, llame al 800-886-ABTA (2282) o envíe un correo electrónico a info@abta.org para ponerse en contacto con un miembro del personal de CareLine.

Únase

- Participe en un evento de recaudación de fondos de la ABTA.
- Para donar, visite abta.org/donate.

Comuníquese con la ABTA

CareLine: 800-886-ABTA (2282)

Correo electrónico: info@abta.org

Sitio web: abta.org

AMERICAN BRAIN TUMOR ASSOCIATION

8550 W. Bryn Mawr Avenue, Suite 550

Chicago IL 60631

Para obtener más información:

Sitio web: abta.org

CareLine: 800-886-ABTA (2282)

Correo electrónico: info@abta.org



American
Brain Tumor
Association®

Providing and pursuing answers®