



Me invitaron a participar en un Ensayo Clínico

Guía para Pacientes

FADEPOF
Federación Argentina
de Enfermedades Poco Frecuentes



Toda persona que es invitada a participar en un Ensayo Clínico tiene que comprender adecuadamente todo lo que esto implica:

- ▶ No es una obligación.
- ▶ Es un acto voluntario.
- ▶ Requiere la decisión autónoma del participante y/o de sus familiares.



Antes de decidir una participación en un Ensayo Clínico...

... Es muy importante tener claras las respuestas a los siguientes interrogantes:

► ¿Cuáles son los aspectos experimentales del estudio y cuáles son los objetivos del mismo?

Es muy importante prestar atención a este punto y preguntar todo lo que no se entienda al médico. No es lo mismo un estudio de una fase temprana de desarrollo que uno en su fase final.

Los objetivos del estudio guardan relación con el estado de desarrollo del objeto de investigación.

El nivel de riesgo de uno y otro es totalmente distinto. En el primero predominan las incertidumbres sobre riesgos y beneficios mientras que en el segundo caso, la incertidumbre sobre la relación riesgo / beneficio es menor aunque no por ello, menos importante.

► ¿Cuáles son todos los tratamientos del estudio? ¿Cuál voy a recibir?

Los tratamientos del estudio son el experimental (que es el que se está investigando) y el control. El tratamiento control suele ser un medicamento que se podría comprar en la farmacia o puede ser un placebo. En ocasiones, pueden estar ambos (control activo y control placebo). El placebo es un medicamento que no tiene sustancia activa por lo que no es esperable que produzca una modificación en la evolución natural de la enfermedad más allá del llamado efecto placebo que puede explicar una eventual mejoría del paciente.

La probabilidad de recibir el medicamento que se está desarrollando o el control está determinada en el protocolo de investigación y tiene el derecho de saber cuál es. Por lo general la probabilidad es de un 50 % de recibir uno u otro. La asignación es al azar (como si se tirara una moneda al aire). Es muy importante que pregunte todo lo que todo lo que no entienda.

► ¿Qué hay que hacer?, ¿Cuántas visitas? ¿Cuánto tiempo demandará cada una de ellas?

Es importante que el investigador le explique muy detalladamente todo lo necesario para que pueda darse cuenta de la verdadera dimensión que significa en lo personal participar en la investigación clínica a la que está siendo invitado.

Las visitas al centro de investigación pueden ser desde muy frecuentes a esporádicas. De la misma manera, la duración de las visitas puede ser de minutos a varias horas en el día.

La participación en un ensayo clínico también implica responsabilidades de parte del voluntario. Entre ellas, cumplir con lo que demanda el protocolo. Responder honestamente todas las preguntas es un acto de responsabilidad hacia el investigador y fundamentalmente hacia uno mismo. La falta de cumplimiento a los requerimientos de un protocolo de investigación puede poner en riesgo su seguridad.

► ¿Voy a poder estar dispuesto y disponible todo el tiempo que demanda el estudio?

La duración del estudio puede ser desde pocos días a años. Es importante conocer esto muy bien para poder responder la pregunta planteada.

► Entiendo que mi participación es voluntaria pero, si me arrepiento, ¿puedo abandonar (retirar el consentimiento)?

Se debe entender y comprender que la forma de obtener un tratamiento para una enfermedad no es ingresando como voluntario en un ensayo clínico. Así como no tengo obligación de participar en un ensayo clínico; aún cuando hubiera aceptado, puedo decidir por la razón que fuera, retirarme del estudio.

Se debe saber que el negarse a participar o retirarse del estudio no le va a significar ninguna pérdida de derechos a seguir siendo asistido como corresponde.

► ¿Qué tratamientos alternativos al propuesto están disponibles? ¿Cuáles son los beneficios potenciales de cada uno de ellos y los riesgos asociados?

No siempre están descriptos en las hojas de información para el voluntario todos los tratamientos alternativos a la medicación en estudio pero es responsabilidad del investigador explicar todos ellos junto con sus riesgos y beneficios.

No hay que dejar pasar la oportunidad de consultar por todos ellos.

► Si decido participar, ¿cuáles son los beneficios razonablemente esperados?

Es importante entender que los beneficios clínicos siempre son potenciales. La enfermedad puede no sólo no mejorar sino que puede no modificarse o empeorar. Esto vale tanto para un tratamiento dentro de un ensayo clínico como por fuera de él. La diferencia es que el nivel de incertidumbre es mayor dentro de un ensayo clínico. Hay que preguntar todo lo que no se entienda.

► ¿Cuáles son los riesgos o molestias esperables?

Todo tratamiento farmacológico tiene riesgos (efectos adversos). Una de las principales diferencias entre los tratamientos farmacológicos que se prescriben en la práctica asistencial habitual es que los riesgos son más o menos conocidos como así también sus potenciales beneficios. Mientras que, los riesgos de los tratamientos que se están investigando se conocen parcialmente y es mucho más lo que se ignora que lo que se sabe. Hay que **preguntar, preguntar y preguntar al médico que está haciendo la invitación a participar.**

El voluntario y su entorno familiar (de corresponder) deben hacer su propia relación riesgo/beneficio (conveniencia o no de participar).

► ¿Cómo debo protegerme de los riesgos en caso de embarazo?

Los riesgos para el feto son impredecibles. Es importante que se discuta abiertamente con el médico y que juntos establezcan la mejor forma de evitar un embarazo durante el período que dure la investigación.

► Participar, ¿me generará algún gasto?

La participación en un ensayo clínico no tiene que significarle ningún gasto. De ocurrir (por ejemplo, gastos generados por viáticos) deben ser debidamente reembolsados.

► Aún cuando yo quiera continuar participando, ¿puedo ser discontinuado del estudio?

Así como un participante puede abandonar el estudio cuando lo crea conveniente, también puede ser discontinuado por distintas circunstancias; por ejemplo, cuando el investigador considere que es lo mejor para su salud.

► ¿Quién se hace cargo si tengo un problema de salud relacionados con el estudio?

En el consentimiento informado debe figurar claramente a quién y a dónde llamar o concurrir por cualquier problema médico que pudiera tener durante el período de investigación.

► Firmar el consentimiento informado, ¿me asegura mi participación en el estudio?

NO. Entre la firma del consentimiento informado y la efectiva participación en el estudio, existe un periodo de tiempo en el que se suelen realizar evaluaciones clínicas, estudios de laboratorio, estudios radiográficos u otros establecidos por el protocolo de investigación para establecer si la persona reúne los llamados criterios de elegibilidad (también llamados criterios de inclusión y exclusión).

► ¿Para qué sirve un Comité de Ética? ¿Qué datos debo conocer del comité que aprobó el estudio?

El Comité de Ética está para proteger los derechos de los participantes en los ensayos clínicos.

Además de evaluar los aspectos científicos y éticos de un protocolo de investigación y de realizar el seguimiento ético del mismo durante su ejecución en el centro de investigación, un Comité de Ética puede asesorar a personas (y a sus familiares) que participan o están pensando en participar en un ensayo clínico.

También los participantes (o sus familiares) pueden comunicarse cuando consideren que se han vulnerado sus derechos. Para que se puedan comunicar con el Comité de Ética, en el consentimiento informado se encuentran todos los datos de contacto del mismo (dirección, teléfono, fax, e-mail).



RECUERDE:

- ▶ **Participar en un Ensayo Clínico es un acto voluntario.**
- ▶ **Hágase escuchar.**
- ▶ **Si no entiende algo pregunte.**
- ▶ **Ninguna pregunta está de más.**
- ▶ **No dude en hablar con su gente de confianza.**

¿Qué es FADEPOF?

La Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes (FADEPOF) es una Organización de la Sociedad Civil (OSC) de segundo grado sin fines de lucro, conformada por 84 organizaciones / grupos de pacientes y/o familiares miembros.

Trabaja junto a sus miembros para promover políticas públicas destinadas a atender los desafíos de los 3,6 millones de argentinos que viven con una enfermedad poco frecuente y sus familias; y también **contribuye al fortalecimiento de las capacidades de sus miembros**

buscando potenciar su accionar e impacto en la comunidad. Mediante su trabajo a nivel nacional, en alianzas regionales y mundiales, **conecta a todas las partes involucradas con el propósito de fortalecer la voz de la comunidad de enfermedades poco frecuentes y la de sus cuidadores primarios** (padres, parejas, convivientes, profesionales de la salud).

FADEPOF ha sido declarada de interés por su labor por la Honorable Cámara de Diputados de la Nación y por la Legislatura Porteña.

¿Qué es FEFyM?

La **Fundación de Estudios Farmacológicos y de Medicamentos “Prof. Luis M. Zieher” (FEFyM)** es una **organización** que tiene entre sus objetivos:

- ▶ **Estimular y participar en la formación científico - académica de la Investigación y Desarrollo de nuevas terapéuticas**, como así también, del **buen uso y aplicabilidad de las mismas** incluyendo aspectos básicos, clínicos, epidemiológicos y farmacoeconómicos.
- ▶ **Propender al desarrollo y a la investigación de**

medicamentos dentro del marco ético que exigen las normas de buena práctica clínica y las disposiciones nacionales e internacionales **que regulan la investigación clínico-farmacológica en los seres humanos.**

- ▶ **Promover conocimiento científico comprensible y capacitar para generar un pensamiento crítico para la toma de decisiones** por el paciente, su entorno y la población en general con el objeto de **salvaguardar el ejercicio pleno de sus derechos.**

AUTORES

FABIANA BEATRIZ IBELLI

Médica Pediatra diplomada en ética en investigación.
Vicepresidente 1° del Comité Independiente de Ética
para Ensayos en Farmacología Clínica - FEFyM

RUBÉN FERNANDO IANNANTUONO

Médico Especialista en Farmacología.
Director de la Fundación de Estudios Farmacológicos y
de Medicamentos - FEFyM

Este material ha sido **diseñado con el apoyo de Biogen.**

Fecha de publicación diciembre 2021

