



# Conociendo los ensayos clínicos

Si usted padece una insuficiencia de la médula ósea, es posible que considere formar parte de un ensayo clínico, también denominado estudio de investigación. Estos estudios ofrecen buenas opciones de tratamiento para algunas personas que padecen enfermedades relacionadas con insuficiencia de la médula ósea. Esta hoja informativa le brinda a usted y su familia información básica sobre ensayos clínicos y le ofrece datos para tener en cuenta al momento de decidir si desea participar.

## ¿Qué es un ensayo clínico?

Un ensayo clínico es un estudio de investigación acerca de la manera en que un medicamento, dispositivo médico o método de tratamiento actúa sobre las personas. Los estudios están a cargo de médicos y otros profesionales de la salud. Ellos siguen pautas estrictas para probar cómo funciona un nuevo medicamento o método médico. Cuando usted se presenta como voluntario para formar parte de este estudio, podría probar un nuevo tratamiento o medicamento que puede o no ser mejor que el que se utiliza en la actualidad. Los médicos e investigadores no saben con anterioridad los resultados del estudio. Es por eso que llevamos a cabo la investigación.

Cada estudio de investigación cuenta con un plan de acción o protocolo que describe lo que se realizará en el estudio y de qué manera se llevará a cabo. Esto ayuda a garantizar que las personas que aceptan participar en el ensayo clínico sean tratadas de la manera más segura posible. Este plan cuenta con la revisión y aprobación de un comité en cada institución que realiza el ensayo clínico. Esta revisión ayuda a garantizar que los riesgos del estudio sean mínimos y que generen la mayor cantidad de beneficios posible.

## ¿Por qué debo participar en un ensayo clínico?

Formar parte de un ensayo clínico puede significar tener una participación más activa en su atención médica.

Además puede:

- Ayudarle a tener acceso a nuevos tratamientos antes de que estén disponibles al público.
- Brindarle atención especializada en centros de atención médica de primer nivel durante el ensayo.
- Ayudar a otros mediante su aporte a la investigación médica.

No todos pueden participar en un ensayo clínico. Lea esta hoja informativa, hable con su médico y visite nuestro sitio web en [www.AAMDS.org/clinicaltrials](http://www.AAMDS.org/clinicaltrials) para obtener más información sobre los estudios de investigación para ayudarle a decidir si esta opción es adecuada para usted.

## ¿Por qué los ensayos clínicos son importantes para las enfermedades poco frecuentes?

- Las opciones de tratamiento generalmente son limitadas para las enfermedades poco frecuentes. Estos estudios ayudan a los médicos a encontrar nuevas y mejores maneras de prevenir, diagnosticar, tratar y controlar problemas de salud poco frecuentes.
- Los estudios de investigación ayudan a los médicos a determinar la mejor dosis y el cronograma que se debe utilizar durante el tratamiento. Ello mejora el porcentaje de éxito del tratamiento. Los estudios además son una gran manera de encontrar mejores tratamientos con menos efectos secundarios.

Visite nuestro sitio web:

[www.AAMDS.org/clinicaltrials](http://www.AAMDS.org/clinicaltrials)  
para obtener más información sobre ensayos clínicos, incluyendo:

- Las diferentes fases de los ensayos clínicos.
- Cómo decidir si debe participar o no en un ensayo clínico, incluso las preguntas que debe hacer.
- Cómo se protege su seguridad si participa en un ensayo clínico.
- Dónde puede encontrar información sobre ensayos clínicos específicos.

Si tiene más preguntas sobre los ensayos clínicos, también puede hablar con un educador de pacientes llamando al +1 (800) 747-2820, opción 1.

(atrás)

Mayo de 2014

## Aplastic Anemia & MDS International Foundation

100 Park Avenue, Suite 108 Rockville, Maryland 20850 USA  
+1 (800) 747-2820 +1 (301) 279-7202 +1 (301) 279-7205 fax  
help@aaamds.org www.AAMDS.org

**Combatiendo enfermedades relacionadas con insuficiencia de la médula ósea mediante la investigación y el apoyo a los pacientes desde 1983**

- Los estudios de investigación del pasado han derivado en la aprobación de diversos tratamientos efectivos para enfermedades relacionadas con insuficiencia de la médula ósea. Estos incluyen:
  - decitabina (Dacogen®)
  - deferasirox (Exjade®)
  - lenalidomida (Revlimid®)
  - eculizumab (Soliris®)
  - azacitidina (Vidaza®)

Las investigaciones además han ayudado a desarrollar nuevos procedimientos, tales como los trasplantes de médula ósea.

### ¿Cuáles son los riesgos de participar en un ensayo clínico?

Antes de participar en un estudio de investigación clínica, debe saber lo siguiente:

- Es posible que el tratamiento que se está probando no funcione tan bien como el tratamiento estándar. El término “tratamiento estándar” significa un tratamiento que ha sido probado y se ha determinado que es útil, y se utiliza comúnmente.
- Existe una posibilidad de que los efectos secundarios del tratamiento que se está probando sean más graves que los del tratamiento estándar. Los riesgos dependerán del tipo de tratamiento que reciba. Los investigadores del estudio le explicarán todos los riesgos conocidos.
- Es posible que deba visitar a su médico con mayor frecuencia y realizar más exámenes que si no participara en el estudio.

### ¿Cuáles son los diferentes tipos de ensayos clínicos?

Existen diversos tipos de ensayos clínicos:

- Los **ensayos de tratamiento** prueban nuevas opciones de tratamiento. Por ejemplo, los ensayos de tratamiento para enfermedad relacionada con insuficiencia de la médula ósea podrían estudiar un nuevo medicamento. O bien, la finalidad del estudio podría ser encontrar un nuevo uso para uno o más medicamentos que ya se utilizan. Los ensayos de tratamiento garantizan que el tratamiento sea seguro y efectivo antes de ser aprobado para su uso en general.
- Los **ensayos de diagnóstico** prueban y evalúan nuevas maneras de diagnosticar una enfermedad.
- Los **ensayos de detección** prueban la mejor manera de detectar una enfermedad o problema de salud.
- Los **ensayos de calidad de vida** también se denominan ensayos de atención de apoyo. Estudian maneras de mejorar el bienestar y calidad de vida de las personas con enfermedades prolongadas.
- Los **ensayos de prevención** buscan mejores maneras de prevenir una enfermedad en personas que nunca han sufrido dicha enfermedad. Además pueden explorar maneras de evitar que la enfermedad regrese. Estos ensayos pueden incluir el uso de medicamentos, vacunas, vitaminas o realizar cambios en su estilo de vida.

### Cómo encontrar un ensayo clínico:

Si está pensando en participar de un ensayo clínico, el primer paso es hablar con su médico. Podrá ayudarle a decidir si la participación en el estudio es una buena opción para usted. Además, su médico posiblemente conozca los estudios de investigación que se están llevando a cabo en la actualidad.

Visite [www.ClinicalTrials.gov](http://www.ClinicalTrials.gov).

Para encontrar un ensayo clínico, el mejor lugar que puede visitar es [www.ClinicalTrials.gov](http://www.ClinicalTrials.gov). Este sitio web es un servicio de Institutos Nacionales de Salud de EE. UU. (NIH). Los estudios enumerados en este sitio están respaldados por el gobierno de los Estados Unidos y por instituciones y organismos privados. Podrá buscar estudios de investigación en los Estados Unidos y en todo el mundo.