

Los ensayos clínicos para el cáncer de la sangre



Revisada en **2019**

Esta publicación fue apoyada por:



Narraciones sobre la vida con cáncer de la sangre de pacientes en nuestra Comunidad de LLS

Sé fuerte y sigue avanzando. Encuentra lo positivo en cada día. Sé tu mejor defensor. Esta experiencia ha cambiado mi vida para lo mejor. **Acepta, aprende y céntrate en el presente. Aprendo a vivir una vida distinta. Repentino y transformador: mantente positivo. Espera, preocupación, ansiedad, ¡feliz de estar vivo! Acoge una nueva normalidad cada día. 5 años, 41 infusiones intravenosas, fatiga constante. Paciencia, actitud positiva, esperanza y fe. Una prueba tras otra, ¡sobreviviré! Tratamiento, fatiga, tratamiento, fatiga y supervivencia. Ama la vida, vive mejor cada día. No miro atrás, solo adelante. Por ahora, todo bien, vive la vida. Meditación, atención plena, bienestar, fe, nutrición y optimismo. Encuentro la alegría mientras vivo en la incertidumbre. Observar, esperar, recibir tratamiento, reorganizarse, descansar, recuperar la energía. ¡Afortunado de sentirme tan bien! Experiencia reveladora, aprendizaje necesario y curación. Me siento bien, pero los planes de viaje inciertos me molestan. Fe renovada, meditación, dieta, atención plena, gratitud.** La espera vigilante puede resultar en una preocupación vigilante. Da miedo, caro, agradecido, bendiciones, esperanza, fe. **¡Gracias a Dios por los trasplantes de células madre! No sé qué esperar. Extraordinariamente agradecido, amo mi vida. Diagnosticado, asustado, evaluado, en tratamiento, a la espera, esperanzado. Soy más generoso, menos impaciente. Acoge tu tratamiento día tras día. Vive el día de hoy, acepta el mañana, olvida el pasado. Fortaleza que nunca supe que tenía.** Desafío para nuestros corazones y mentes. La vida es lo que nosotros creamos. **Vive la vida de una manera hermosa.**



Descubra lo que otros miles ya han descubierto en www.LLS.org/Community

Únase a nuestra red social por Internet para las personas que viven con cáncer de la sangre y quienes las apoyan. (El sitio web está en inglés). Los miembros encontrarán:

- Comunicación entre pacientes y cuidadores que comparten sus experiencias e información, con el apoyo de personal experto
- Actualizaciones precisas y de vanguardia sobre las enfermedades
- Oportunidades para participar en encuestas que contribuirán a mejorar la atención médica

Índice

- 2** Glosario de siglas
- 3** Introducción
- 4** Hable con su médico
- 5** La importancia de la participación de los pacientes en ensayos clínicos
- 7** Cómo encontrar ensayos clínicos para el cáncer que podrían ser una buena opción de tratamiento en su caso
- 8** La decisión de participar en un ensayo clínico
- 11** ¿Cómo se organiza y planifica un ensayo clínico?
- 12** Ensayos clínicos de los medicamentos para el cáncer
- 13** Las fases de un ensayo clínico para el cáncer de la sangre
- 16** Inquietudes frecuentes
- 17** ¿Son seguros los ensayos clínicos?
- 24** ¿Qué pasa si no cumplo los criterios de selección de un ensayo clínico?
- 25** Información y recursos
- 28** Recursos de otras organizaciones
- 30** Lista de contactos del equipo de profesionales médicos
- 34** Guías de preguntas:
 - Preguntas que puede hacer sobre los ensayos clínicos
 - Preguntas que puede hacer sobre los asuntos financieros
 - Preguntas que puede hacer sobre la atención de seguimiento

Agradecimiento

La Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma agradece la revisión de la versión en inglés de este material realizada por:

Los enfermeros orientadores del Centro de Apoyo para Ensayos Clínicos de la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma.

Glosario de siglas

Al leer esta publicación, usted notará que se incluyen varias siglas y abreviaturas en inglés. A continuación hay una lista de estas siglas y abreviaturas en orden alfabético, seguidas de los términos que representan en inglés y en español, para ayudarlo a entender su significado y uso. Los profesionales médicos en los Estados Unidos usan siglas y abreviaturas a menudo cuando hablan de enfermedades y tratamientos, así como organizaciones de atención médica y servicios y recursos de apoyo al paciente.

Sigla	Término en inglés	Término en español
ACA	Affordable Care Act	Ley de Cuidado de Salud a Bajo Precio
ALL	acute lymphoblastic leukemia	leucemia linfoblástica aguda
DSMB	data and safety monitoring board	comité de vigilancia de la seguridad y de los datos
FDA	Food and Drug Administration	Administración de Alimentos y Medicamentos
IND	investigational new drug	medicamento nuevo en fase de investigación
IRB	institutional review board	junta de revisión institucional
LLS	Leukemia & Lymphoma Society	Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma
NCI	National Cancer Institute	Instituto Nacional del Cáncer
NIMH	National Institute of Mental Health	Instituto Nacional de la Salud Mental

Introducción

Si usted o uno de sus seres queridos tiene cáncer, tal vez tenga muchas preguntas sobre las opciones de tratamiento que están disponibles. Entre ellas se incluyen la atención médica estándar y el tratamiento en un ensayo clínico.

La atención médica estándar, también denominada terapia estándar o “prácticas óptimas”, consiste en tratamientos extensamente utilizados y aceptados por los expertos médicos como los adecuados para una enfermedad determinada.

Los ensayos clínicos de medicamentos y tratamientos nuevos para el cáncer son estudios de investigación médica cuidadosamente controlados que tienen como objetivo mejorar la atención médica y el tratamiento de pacientes con cáncer. En los Estados Unidos, la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) exige que todos los medicamentos y demás tratamientos nuevos sean probados en ensayos clínicos antes de ponerlos a disposición del público. En todo momento se dispone de miles de ensayos clínicos para el cáncer, ya que los médicos e investigadores siempre están buscando tratamientos nuevos y mejores para los pacientes.

Muchos ensayos clínicos para el cáncer se realizan para buscar una cura, lo que implica idear tratamientos más seguros y eficaces que destruyan las células cancerosas y eviten que reaparezcan. Otros ensayos clínicos se realizan para buscar nuevas formas de mejorar los tratamientos ya existentes y la calidad de vida de los pacientes. Los investigadores diseñan los ensayos clínicos para el cáncer con el fin de estudiar nuevas formas de hacer lo siguiente.

- Tratar el cáncer por medio de:
 - Un medicamento nuevo
 - Una terapia aprobada que se emplea para tratar un diagnóstico distinto
 - Una nueva combinación de medicamentos
 - Una nueva vía de administración de un medicamento (por ejemplo, en forma de comprimido, por vía intravenosa, etc.)
- Manejar los síntomas del cáncer y aliviar los efectos secundarios del tratamiento
- Detectar y diagnosticar el cáncer
- Prevenir una recaída del cáncer
- Manejar los efectos secundarios que se presentan a largo plazo

La participación en un ensayo clínico puede constituir la mejor opción de tratamiento para algunos pacientes con cáncer de la sangre. Hay ensayos clínicos para pacientes en todas las etapas del tratamiento, así como para

aquellos cuya enfermedad está en remisión. Todos los tratamientos estándar para el cáncer que están disponibles hoy en día han sido aprobados con base en los resultados de ensayos clínicos anteriores.

Este librito le servirá para informarse sobre lo siguiente: 1) cómo se desarrollan los nuevos tratamientos; 2) lo que sucede durante un ensayo clínico; 3) cómo contribuyen los ensayos clínicos a los avances en el tratamiento del cáncer de la sangre; 4) cómo evaluar los beneficios y riesgos de un ensayo clínico en su caso; 5) las preguntas que debería hacer al momento de decidir si un ensayo clínico es una buena opción de tratamiento para usted; y 6) las maneras en las que la Sociedad de la Lucha contra la Leucemia y el Linfoma puede ayudarlo en relación con los ensayos clínicos.

Hable con su médico

Las decisiones sobre el tratamiento son muy personales. El tipo de cáncer que tiene, su estado de salud general y sus prioridades son consideraciones importantes que deberían tenerse en cuenta cuando hable con su médico sobre las opciones de tratamiento. Debe estar consciente de que, en algún momento durante el transcurso de su atención médica para el cáncer, un ensayo clínico puede ser la mejor opción de tratamiento para usted. Es importante que usted tenga la oportunidad de hablar con el médico sobre todas sus opciones de tratamiento, incluyendo los ensayos clínicos.

Podría resultarle útil contar con lo siguiente cuando hable con el médico:

- Una lista de preguntas que puede hacer (vea las guías de preguntas a partir de la página 34; también puede descargar otras guías de preguntas en www.LLS.org/preguntas)
- Un familiar, amigo u otra persona que lo acompañe a la consulta, tanto para prestarle apoyo como para tomar notas

Si el médico no sugiere la posibilidad de recibir tratamiento en un ensayo clínico, pregúntele si esta podría ser una opción. Al evaluar todas sus opciones de tratamiento, usted participa activamente en la toma de decisiones sobre su atención médica. Algunos médicos podrían no estar al tanto de la disponibilidad de un ensayo clínico adecuado, o tal vez no le recomienden uno. Conseguir otra opinión sobre su tratamiento, de parte de un médico que se especializa en cáncer de la sangre (llamado hematólogo-oncólogo), podría ayudarlo a encontrar otras opciones de ensayos clínicos.

Hoy en día hay miles de ensayos clínicos para el tratamiento de la leucemia, el linfoma, el mieloma, los síndromes mielodisplásicos, las neoplasias mieloproliferativas y otros tipos de cáncer de la sangre. Estos ensayos clínicos tienen como objetivo mejorar las tasas de respuesta a los tratamientos y la

supervivencia general, reducir los efectos secundarios de las enfermedades y los tratamientos y mejorar el entendimiento de cada enfermedad. Al participar en ensayos clínicos, los médicos y los pacientes aprenden acerca de las enfermedades y contribuyen a nuevas posibilidades para mejorar los desenlaces clínicos y la calidad de vida de los pacientes.

La importancia de la participación de los pacientes en ensayos clínicos

Los ensayos clínicos de medicamentos y tratamientos nuevos son fundamentales para lograr avances en la lucha contra el cáncer. Hoy en día las personas viven más tiempo gracias a exitosos tratamientos del cáncer que fueron el resultado de ensayos clínicos anteriores. Los avances logrados en el tratamiento de niños con leucemia linfoblástica aguda (ALL, por sus siglas en inglés), la forma más común de cáncer infantil, es un ejemplo notable de un tratamiento exitoso del cáncer que fue posible gracias a los ensayos clínicos. Históricamente, la inscripción de niños en ensayos clínicos del cáncer ha sido mucho más alta que la de adultos. Por consiguiente, han habido grandes mejoras en las tasas de supervivencia de los niños, sobre todo aquellos con diagnóstico de leucemia linfoblástica aguda. La tasa de supervivencia para estos niños era solo del 14 por ciento en 1966. Como resultado de ensayos clínicos y del desarrollo de tratamientos eficaces, actualmente más del 90 por ciento de los niños sobreviven este tipo de leucemia. Los pacientes que participan en ensayos clínicos en la actualidad ayudan a mejorar la atención médica para los futuros pacientes con cáncer.

La diversidad de pacientes en los ensayos clínicos también es fundamental para la salud pública. Actualmente los investigadores saben que la respuesta que presenta el paciente a un tratamiento puede variar debido a diversos factores, entre ellos, la edad, el sexo, la genética, el origen étnico y el peso. Estas diferencias pueden desempeñar un papel en cuanto a la seguridad y eficacia de un medicamento. Los pacientes pueden presentar distintas respuestas al mismo medicamento debido a las diferencias que existen entre las personas. Por ejemplo, un grupo de pacientes puede presentar más efectos secundarios a un tratamiento en comparación con otro grupo que está recibiendo el mismo tratamiento. Por lo tanto, es imprescindible probar los tratamientos en una población diversa de pacientes. Cuando los ensayos clínicos incluyen un grupo variado de pacientes, los resultados del estudio pueden ser mucho más relevantes para la población general. Su participación en un ensayo clínico tal vez no solo le beneficie a usted, sino también a su comunidad.

¿Quién puede participar en un ensayo clínico para el cáncer? Puede que su médico le hable sobre la opción de recibir tratamiento en un ensayo clínico. No obstante, muchos pacientes que consultan con un hematólogo-oncólogo dicen que el especialista nunca les informó sobre la posibilidad de participar en un ensayo. Podría ser necesario que los pacientes con cáncer, o las personas que abogan por ellos, pidan información a sus médicos sobre los ensayos clínicos.

Algunos pacientes quizás creen que deberían esperar hasta que el tratamiento estándar falle antes de considerar la posibilidad de recibir tratamiento en un ensayo clínico. Sin embargo, los ensayos clínicos no son únicamente para pacientes con una enfermedad en las etapas más avanzadas. Los ensayos clínicos pueden estar diseñados para probar tratamientos nuevos en pacientes con diagnóstico reciente, pacientes con progresión muy limitada de la enfermedad o pacientes cuya enfermedad está en remisión y/o que están recibiendo una terapia de mantenimiento (tratamiento para mantener la remisión).

Los ensayos clínicos constituyen opciones adecuadas de tratamiento para diferentes tipos de pacientes en función del objetivo y la fase del ensayo. Los criterios de selección que se aplican a los pacientes incluyen, entre otros:

- El tipo de la enfermedad
- La etapa de la enfermedad
- La edad y el sexo del paciente
- Otros tratamientos que ha recibido el paciente
- La presencia de cualquier otra enfermedad o afección

En algunos ensayos clínicos, uno de los criterios de selección es que los pacientes ya hayan recibido el tratamiento estándar, mientras que en otros pueden inscribirse pacientes que no han recibido ningún tratamiento previo. También existen ensayos clínicos que exigen que haya pasado un período de tiempo antes de que el paciente pueda cambiar de un tratamiento estándar a un tratamiento en estudio. Algunos ensayos excluyen a pacientes que tienen ciertas enfermedades, como por ejemplo las del hígado o de los riñones, porque el estudio utiliza tratamientos que causan estrés en estos órganos.

Algunos pacientes pueden tener inquietudes sobre la posibilidad de participar en un ensayo clínico debido a:

- El miedo de recibir atención médica que sea inferior al tratamiento estándar, o de recibir un placebo (vea la página 16)
- Las barreras lingüísticas o diferencias culturales
- Los gastos relacionados con el tratamiento (vea la página 9)
- La falta de acceso a los ensayos en cierta clínica o institución (vea la página 8)
- Las responsabilidades familiares o laborales (vea la página 11)

Si está interesado en participar en un ensayo clínico, hable con el médico o el enfermero que forma parte del equipo de profesionales encargados de su tratamiento. Él o ella podrá responder a cualquier pregunta que tenga y atender sus inquietudes.

Cómo encontrar ensayos clínicos para el cáncer que podrían ser una buena opción de tratamiento en su caso

Hay miles de ensayos clínicos para el cáncer que se están realizando en los Estados Unidos, por lo que el proceso de encontrar un ensayo clínico adecuado puede ser agobiante.

Al iniciar su búsqueda deberá estar al tanto de algunos detalles de su diagnóstico de cáncer. Es importante saber:

- El tipo de cáncer que tiene
- La etapa del cáncer
- Los tratamientos que ya ha recibido y la clase de respuesta que tuvo (si fue favorable o no)

Esta información será útil cuando empiece a evaluar los criterios de selección de distintos ensayos clínicos.

Es importante hablar sobre los ensayos clínicos con el médico u otro miembro del equipo de profesionales médicos. Es posible que ellos sepan de un ensayo clínico que sería una buena opción en su caso.

También puede consultar con uno de los enfermeros orientadores a través del Centro de Apoyo para Ensayos Clínicos de LLS, quien le brindará asistencia durante todo el proceso del ensayo clínico. Estos son enfermeros titulados, con licencia del estado, que tienen experiencia en la atención de pacientes con distintos tipos de cáncer de la sangre, así como en los ensayos clínicos y los trasplantes de médula ósea. El enfermero orientador con quien consulta sobre los ensayos clínicos:

- Le brindará una lista detallada de ensayos clínicos adecuados para que pueda hablar sobre ellos con los miembros del equipo de profesionales médicos
- Le informará sobre los ensayos clínicos y las experiencias de los pacientes con cáncer
- Hablará con usted para entender sus metas, ofrecerle consejos y orientarlo en el proceso del ensayo clínico
- Lo ayudará a entender el proceso del ensayo clínico, incluyendo sus derechos y obligaciones como paciente

- Le pedirá detalles de su diagnóstico, entre ellos, su perfil genético, sus tratamientos anteriores y si tuvo una respuesta favorable a ellos, su estado físico actual y sus antecedentes médicos que podrían afectar su elegibilidad para participar en ciertos ensayos clínicos
- Lo ayudará a entender la manera en que su situación económica, la cobertura de su seguro médico, su red de apoyo y sus posibilidades y disposición para viajar largas distancias pueden afectar sus opciones de ensayos clínicos
- Le guiará y abogará por usted durante el proceso de inscripción en un ensayo clínico, que incluye facilitar la comunicación entre usted y los centros de estudio
- Lo ayudará a hacer frente y superar los obstáculos que dificultan la inscripción
- Estará disponible para apoyarlo a lo largo de sus experiencias con el proceso del ensayo clínico

Para obtener más información sobre este programa, llame al (800) 955-4572 para hablar con un Especialista en Información de LLS, o visite www.LLS.org/ensayos.

La decisión de participar en un ensayo clínico

La decisión de participar en un ensayo clínico es muy personal. Aunque quiera saber las opiniones de sus familiares y amigos y consultar con los miembros del equipo de profesionales médicos, la decisión de participar en un ensayo clínico es exclusivamente suya. Usted tendrá que considerar los posibles riesgos comparados con los posibles beneficios de participar en un ensayo clínico. También tendrá que pensar sobre cómo pagará los costos de su atención médica y la manera en que su participación en el ensayo clínico afectará su vida cotidiana y la de sus familiares.

Consideración de los riesgos y beneficios. Igual que en el caso de cualquier opción de tratamiento, un ensayo clínico tiene posibles beneficios así como riesgos. Usted debe informarse acerca de los beneficios y riesgos de un ensayo clínico antes de acceder a participar en él.

Los posibles beneficios de participar en un ensayo clínico incluyen:

- Acceso temprano a un tratamiento nuevo y prometedor que tal vez no esté disponible fuera de un ensayo clínico, según los requisitos del protocolo (el protocolo es el plan detallado del estudio)
- Atención de alta calidad de parte de los miembros del equipo de profesionales médicos del ensayo clínico, lo cual incluye una vigilancia estrecha del estado de la enfermedad y de los efectos secundarios del tratamiento

- La posibilidad de que una parte o todos los costos del tratamiento del estudio los cubra el fabricante del medicamento del estudio
- Contribuir a los avances de las investigaciones del cáncer (su participación contribuye al conjunto de información que ayudará a otros pacientes con cáncer, ahora y en el futuro)
- Acceso a médicos con amplia experiencia en el tratamiento del tipo de cáncer que usted tiene

Los posibles riesgos de participar en un ensayo clínico incluyen:

- Padecer efectos secundarios desconocidos de un tratamiento nuevo (distintos a los efectos secundarios de los tratamientos actuales)
- La posibilidad de que el medicamento o tratamiento nuevo no sea eficaz
- Consultas más frecuentes con el médico para someterse a pruebas y exámenes adicionales
- La posibilidad de que su póliza de seguro médico no pague todos, una parte o ninguno de los costos del estudio

Costos y seguro médico. Antes de que acceda a participar en un ensayo clínico es importante que pregunte sobre la cobertura de su seguro médico y reúna más información acerca de sus finanzas.

Los siguientes tres tipos de costos están asociados con un ensayo clínico:

- 1) Costos del estudio de investigación: los costos que cubren el (o los) tratamiento(s) del ensayo clínico. Entre ellos podrían incluirse la intervención médica que es el objeto de estudio (por ejemplo, el medicamento que se prueba), las consultas adicionales con el médico, las pruebas de laboratorio y los estudios de imagenología que se realizan solamente con fines de investigación. A menudo, el patrocinador del ensayo cubre dichos costos.
- 2) Atención médica de rutina: estos costos están relacionados con el tratamiento del cáncer, independientemente de que usted participe en un ensayo clínico o no. Entre ellos podrían incluirse las consultas con el médico, hospitalizaciones, las pruebas de laboratorio y los estudios de imagenología, los tratamientos estándar del cáncer y los tratamientos para reducir o eliminar los síntomas del cáncer o aliviar los efectos secundarios del tratamiento. Estos costos se facturarán a su seguro médico. La Ley de Cuidado de Salud a Bajo Precio (ACA, por sus siglas en inglés) exige a la mayoría de los planes de seguro médicos privados que cubran los costos de la atención médica de rutina.
- 3) Gastos de su bolsillo: estos son los costos adicionales que son responsabilidad del paciente. Entre ellos se incluyen los costos de viaje (para acudir al centro de tratamiento, p. ej., combustible, desgaste del vehículo, pasajes aéreos o de

tren), comida durante su estadía en el centro de tratamiento, alojamiento, etc. Estos costos no están cubiertos por el seguro médico.

Las compañías de seguros no pueden disminuir su cobertura ni negarse a permitir que usted participe en un ensayo clínico. En algunos casos, los ensayos clínicos pueden requerir que los pacientes se sometan a otras pruebas y exámenes de detección que tal vez no estén cubiertos por su compañía de seguros. Sin embargo, los patrocinadores de los ensayos clínicos a menudo cubren estos costos si son necesarios para el estudio.

Las compañías de seguros no están obligadas a cubrir los costos de la atención médica ofrecida por proveedores u hospitales “fuera de la red”. Para evitar todo costo imprevisto de su bolsillo asociado con el ensayo clínico, debería hablar directamente con el equipo de profesionales médicos y su compañía de seguros.

Para mantenerse informado de los cambios relacionados con la cobertura de los seguros médicos para ensayos clínicos, visite el sitio web de Triage Cancer en www.triagecancer.org/espanol.

Cobertura de Medicaid. Cada estado tiene sus propios planes para los pacientes que reciben cobertura de su programa Medicaid. Compruebe si su estado cubre los costos derivados de la atención médica de rutina durante los ensayos clínicos.

Cobertura de Medicare. Si usted tiene un seguro médico de Medicare, es posible que este pague muchos de los costos de la atención médica de rutina en el caso de los pacientes con cáncer que participan en ensayos clínicos aprobados. Si usted no está seguro si su ensayo cumple los requisitos de Medicare, hable sobre sus dudas con el equipo de investigadores y visite el sitio web de Medicare en <https://es.medicare.gov/>, o llame al 1-800-MEDICARE (1-800-633-4227). Los usuarios de teletipo (TTY, en inglés) deben llamar al 1-877-486-2048.

Beneficios del seguro médico. Para saber si su tratamiento estará cubierto debe estar informado sobre los beneficios de su seguro médico. Es importante que hable con un miembro del personal del ensayo clínico y con su proveedor de seguro médico para saber con anticipación qué costos estarán cubiertos. Hay medidas que usted puede tomar para informarse sobre su cobertura. El reembolso del seguro varía según el tratamiento, la compañía de seguros y la póliza de seguro médico. Solicite a su compañía de seguros una explicación escrita de sus beneficios a fin de entender qué es lo que está cubierto antes de iniciar un ensayo clínico. Si se le niega la cobertura, podría ser de ayuda pedir que el médico hable con un representante de su compañía de seguros o que presente una apelación escrita ante el representante o director médico del plan de salud. Los Especialistas en Información de LLS y el personal del Centro de Apoyo para Ensayos Clínicos pueden ofrecerle orientación sobre estos asuntos. Llame al (800) 955-4572 para hablar con un Especialista en Información o un enfermero orientador que pueda asistirlo.

Formas en que su participación en un ensayo clínico puede afectarle a usted y a su familia. Antes de inscribirse en un ensayo clínico, el paciente debería considerar las formas en que el ensayo afectará su calidad de vida, por ejemplo, los efectos secundarios del tratamiento, el tiempo requerido y si será necesario viajar para acudir al centro de tratamiento. Cada ensayo clínico exige un nivel diferente de participación de los pacientes. Por ejemplo, un ensayo que ofrece tratamiento de forma ambulatoria tal vez tenga un efecto muy diferente en el estilo de vida del paciente que uno que exige hospitalización. Algunos ensayos pueden exigir pruebas de seguimiento que llevan mucho tiempo y/o son invasivas. Estos tipos de factores podrían afectar el deseo y la capacidad de las personas de participar en un ensayo clínico.

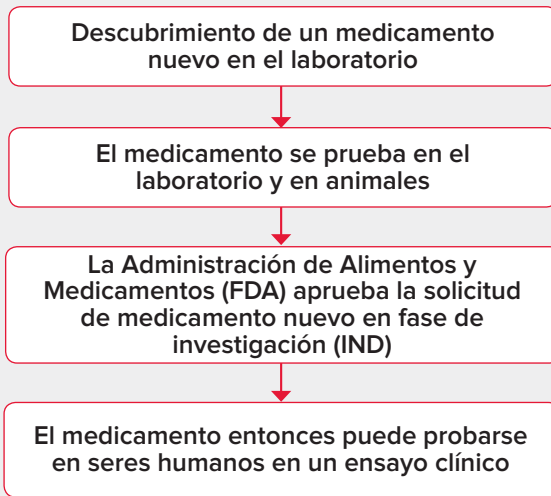
Además, las dificultades económicas pueden ser agobiantes. Los ensayos clínicos pueden suponer visitas frecuentes al hospital, lo cual requiere que los pacientes se tomen una licencia del trabajo e incurran en gastos de viaje, estacionamiento y cuidado infantil. LLS cuenta con varios programas de asistencia económica que podrían ayudarlo. Para obtener más información, visite www.LLS.org/asuntos-financieros o llame al (800) 955-4572. Vea también la sección titulada *Recursos de otras organizaciones* en la página 28 para leer sobre otros recursos que están disponibles para asistir a los pacientes con estos gastos.

¿Cómo se organiza y planifica un ensayo clínico?

Los ensayos preclínicos (investigaciones iniciales) y los ensayos clínicos se implementan para que los investigadores puedan evaluar los medicamentos recién descubiertos y nuevos enfoques de terapias y regímenes de medicamentos (vea la **Figura 1** en la página 12). Si se descubre un medicamento nuevo, se inicia un ensayo preclínico en el que se desarrolla y prueba el medicamento en condiciones de laboratorio. Cuando el proceso del ensayo preclínico demuestra que el tratamiento es seguro y eficaz, la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) debe aprobar una solicitud de medicamento nuevo en fase de investigación (IND, por sus siglas en inglés). Una vez que la aprobación entra en efecto, se implementa un ensayo clínico con supervisión y vigilancia. El ensayo clínico se realiza según un protocolo que está dividido en fases y cuenta con criterios de valoración (objetivos) designados. Está planeado, organizado y documentado en detalle.

Los investigadores también pueden iniciar ensayos clínicos para determinar si medicamentos que ya están aprobados por la FDA para el tratamiento de determinados tipos de cáncer de la sangre también son eficaces para otros tipos. En otros ensayos clínicos, los investigadores evalúan combinaciones nuevas de medicamentos que tienen la capacidad de ofrecer aún más opciones terapéuticas.

Figura 1. Desarrollo de nuevos medicamentos



Ensayos clínicos de los medicamentos para el cáncer

Los ensayos clínicos de los medicamentos para el cáncer son realizados y dirigidos por médicos expertos que se especializan en las investigaciones del cáncer. Estos médicos establecen:

- La enfermedad que se va a tratar
- El tratamiento que se probará
- El (o los) objetivo(s), a veces denominado(s) “criterio(s) de valoración”, del estudio
- Las características de los pacientes que serían participantes aptos del estudio (los “criterios de selección” de los pacientes)
- Las medidas para proteger la seguridad del paciente
- Las dosis de los medicamentos, o si se administrarán otros tratamientos a los pacientes en el ensayo
- Cuánto tiempo se estudiará el tratamiento en el ensayo

Las fases de los ensayos clínicos para el cáncer de la sangre

Para que un medicamento se convierta en un tratamiento estándar que está ampliamente aceptado por los expertos médicos, debe ser probado en ensayos clínicos, en una serie de pasos denominados “fases” (vea la **Figura 2** a continuación). Generalmente los ensayos clínicos de los medicamentos para el cáncer se dividen en cuatro fases. Cada fase está diseñada para responder determinadas preguntas. A medida que se completa con éxito cada fase del ensayo, la investigación del medicamento puede pasar a la siguiente fase.

En las fases iniciales, los investigadores determinan si el tratamiento es seguro y eficaz. En las fases posteriores, evalúan el tratamiento administrado en el ensayo clínico para averiguar si la nueva terapia en fase de investigación es más eficaz que el tratamiento estándar. Los investigadores observan atentamente a los pacientes en todas las fases para detectar posibles efectos secundarios del tratamiento y vigilar la seguridad del paciente (vea la **Tabla 1** en la página 14).

Figura 2. ¿Cómo funcionan los ensayos clínicos?

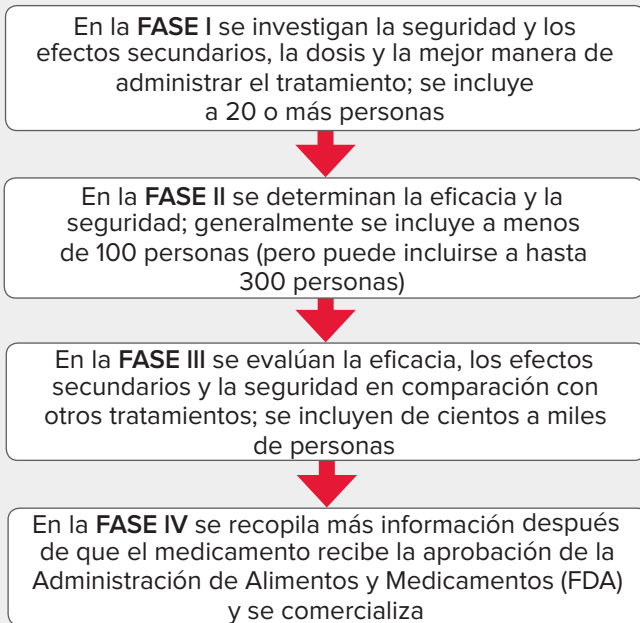


Tabla 1. Fases de los ensayos clínicos

Fase I

El propósito del estudio es:

- Probar la seguridad del tratamiento
- Determinar la dosis máxima tolerada (dosis terapéutica)
- Averiguar cómo afecta el tratamiento el cáncer, así como los efectos secundarios de dicho tratamiento en los participantes

Información sobre la fase I

- Se inscribe a un grupo pequeño de pacientes (20 o más).
- Tal vez sea la primera vez que se prueba el medicamento o combinación de medicamentos en seres humanos, por lo que se denomina estudio de “primera administración en seres humanos”.
- Esta es la primera vez que se estudia un medicamento como tratamiento para una afección determinada.
- Un medicamento que ya está aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) y actualmente se usa para el tratamiento de cierta enfermedad puede probarse y evaluarse por primera vez en el tratamiento de una enfermedad diferente.
- Esta es la primera vez que puede evaluarse un tratamiento administrado como parte de un régimen terapéutico determinado (por ejemplo, en una nueva combinación con otros medicamentos).

Fase II

El propósito del estudio es:

- Probar la eficacia e identificar los efectos secundarios

Información sobre la fase II

- Se inscriben a hasta 300 pacientes.
- Esta es la primera vez que los médicos e investigadores buscan averiguar si el nuevo tratamiento farmacológico surte efecto contra un determinado tipo de cáncer.
- El tratamiento farmacológico podría presentarse para su aprobación ante la FDA si la fase II del ensayo demuestra que es seguro y que probablemente dará resultado.
- Si los investigadores intentan comparar los efectos del medicamento o enfoque de tratamiento nuevo con los resultados del tratamiento estándar, puede que continúe la investigación según protocolos establecidos para ensayos de fase III. La investigación puede pasar a la fase III de inmediato o más adelante.

Fase III

El propósito del estudio es:

- Observar la eficacia y los efectos secundarios, y determinar si el medicamento es beneficioso para la población específica que padece la enfermedad

Información sobre la fase III

- Se inscriben a de 300 a varios miles de pacientes.
- Los ensayos de fase III están diseñados para que los investigadores puedan determinar si el tratamiento del estudio es más eficaz que el tratamiento estándar, si tiene menos efectos secundarios o para evaluar ambos factores.
- En el ensayo de fase III se observan a varios grupos distintos de pacientes. Cada grupo está asociado a un régimen de tratamiento farmacológico específico, es decir que a cada grupo se le administra un régimen de tratamiento distinto. El proceso de asignar a las personas a distintos grupos se denomina “aleatorización”.
- Los ensayos aleatorizados de fase III están diseñados para ser estudios con enmascaramiento simple, con enmascaramiento doble o sin enmascaramiento.
 - En un estudio con enmascaramiento simple los pacientes no saben si están recibiendo el tratamiento del estudio o el tratamiento estándar.
 - En uno con enmascaramiento doble ni los pacientes ni los profesionales clínicos (médicos y/o enfermeros) que tratan a los pacientes saben qué tratamiento están recibiendo los participantes. El estudio aleatorizado con enmascaramiento doble se considera el procedimiento de referencia para establecer la evidencia científica en el caso de un tratamiento nuevo, porque reduce al mínimo la posibilidad de sesgos (o prejuicios) involuntarios.
 - En un ensayo sin enmascaramiento tanto el paciente como el médico y/o la enfermera sabrán qué tratamiento está recibiendo el paciente.
 - Puede ser difícil para los pacientes no saber a qué grupo de tratamiento se les asignó. Sin embargo, los estudios con enmascaramiento disminuyen el riesgo de sesgo que los médicos podrían tener cuando evalúan los desenlaces clínicos de los pacientes.
- Una vez completado el ensayo de fase III, la FDA evalúa los resultados. Luego, la FDA aprobará el tratamiento nuevo si:
 - Es más eficaz que el tratamiento estándar
 - Es igual de eficaz que el tratamiento estándar, pero tiene efectos secundarios menos tóxicos

Fase IV

El propósito del estudio es:

- Recopilar datos a largo plazo sobre la seguridad y eficacia después de que el medicamento recibe la aprobación de la FDA y se comercializa

Información sobre la fase IV

- Se inscriben a varios miles de pacientes.

Algunos ensayos clínicos para el cáncer son financiados por una institución, tal como el Instituto Nacional del Cáncer (NCI, por sus siglas en inglés). Otros son financiados por organizaciones o empresas, por ejemplo, las compañías farmacéuticas. Un ensayo puede tener lugar solamente en unos pocos centros específicos, o puede ofrecerse en una serie de centros oncológicos grandes, hospitales universitarios o centros médicos locales en todo Estados Unidos o el mundo.

Inquietudes frecuentes

¿Recibiré un placebo?

Un placebo es un comprimido, líquido o polvo que se parece al medicamento empleado en el régimen de tratamiento, pero que no tiene ningún efecto sobre la enfermedad. El placebo es inactivo. **Los placebos no se emplean en los ensayos clínicos para el cáncer a menos que se administren junto con un medicamento activo.**

En algunos ensayos clínicos los investigadores quieren determinar si es posible aumentar la eficacia del tratamiento incorporando un nuevo medicamento a la terapia estándar. En estos estudios, algunos pacientes reciben el tratamiento estándar y el medicamento del estudio, mientras que otros reciben el tratamiento estándar y un placebo. Es poco ético administrar a una persona un placebo si se cuenta con un tratamiento que podría dar resultado. Se le informará de antemano si un placebo forma parte del tratamiento de un ensayo clínico, y su médico hablará con usted sobre el régimen farmacológico con mayor detalle.

¿Seré un conejillo de Indias?

El temor a no tener ningún control es una inquietud frecuente entre los pacientes. La idea de que los pacientes en ensayos clínicos sirven como “conejillos de Indias” es errónea. Esta idea supone que el paciente está a merced de los investigadores y que pueden experimentar con él sin su consentimiento. Ese no es el caso. Los ensayos clínicos son estudios diseñados cuidadosamente en los que la salud y la seguridad de los pacientes son las

principales prioridades. Antes de acceder a participar en un ensayo clínico, se le orientará en el proceso del consentimiento informado (vea la sección titulada *El proceso del consentimiento informado* en la página 19). Este proceso le brinda la oportunidad de obtener información sobre el estudio y hacer preguntas. Usted solamente firmará el documento de consentimiento informado si decide que quiere participar en el estudio. No se puede forzar a nadie para que participe en un estudio. La participación en un ensayo clínico es siempre voluntaria, y los pacientes pueden abandonar el estudio en cualquier momento.

¿Puedo elegir el grupo de tratamiento al que me van a asignar?

Si usted participa en un estudio aleatorizado, no podrá elegir su grupo de tratamiento. La aleatorización hace que todos los pacientes tengan la misma probabilidad de ser asignados a cualquiera de los grupos. Algunos pacientes piensan que la idea de no poder elegir su grupo de tratamiento es angustiante, especialmente si quieren estar en el grupo que recibe el tratamiento del estudio. Sin embargo, es importante recordar que:

- Todos los pacientes que participan en un ensayo clínico pueden esperar recibir una atención médica excelente, independientemente de que reciban el tratamiento nuevo o el tratamiento estándar.
- No se sabe si el tratamiento del estudio es en realidad mejor, igual o menos eficaz que el tratamiento estándar.

¿Son seguros los ensayos clínicos?

El objetivo de los ensayos clínicos es recopilar información científica sobre un tratamiento, pero la prioridad principal es la seguridad de cada uno de los pacientes. Todos los ensayos cumplen con estrictos principios éticos y científicos. Cada ensayo tiene un “investigador principal”, por lo general un médico, que está a cargo. El investigador principal debe desarrollar un plan de estudio, llamado “protocolo” (vea la sección titulada *Protocolo del estudio* a continuación). El protocolo del estudio es diseñado cuidadosamente para proporcionar respuestas a preguntas específicas de la investigación y, al mismo tiempo, sopesar los beneficios y riesgos para el paciente. Todos los médicos en cada uno de los centros de tratamiento que participan en el ensayo utilizan el mismo protocolo.

Protocolo del estudio. El protocolo del estudio se explica en un documento en el cual se detallan los antecedentes, el razonamiento, los objetivos, el diseño, la metodología, las consideraciones estadísticas y la organización del proyecto de investigación clínica. Los documentos que detallan el protocolo del estudio pueden ser muy largos (a veces de 100 páginas o más) y muy técnicos. El investigador principal y los miembros del equipo de investigadores emplean el protocolo. El paciente no tiene acceso a este documento. En cambio, toda

la información importante acerca del ensayo se incluye en el documento de consentimiento informado y, de esa manera, está disponible para el paciente.

El protocolo especifica:

- El propósito del estudio
- La fase del estudio
- La cantidad de pacientes que los investigadores planean inscribir en el estudio
- Las características de los pacientes que podrán participar en el estudio (p. ej., pacientes con un tipo particular de cáncer de la sangre, que cumplen los criterios de salud general, etc.)
- Si es un ensayo con o sin enmascaramiento
- La dosis, la frecuencia y la vía de administración del tratamiento (p. ej., en forma de comprimido, por infusión intravenosa o por vía subcutánea)
- Las pruebas médicas a las que tendrá que someterse el paciente y su frecuencia
- Las protecciones contra los riesgos para los pacientes
- La cantidad de visitas que serán necesarias para la atención de seguimiento (en el centro de estudio o con un médico local)
- El tipo de información personal que se recopilará sobre el paciente y los procedimientos para proteger la confidencialidad
- La duración del estudio

Criterios de selección. Todos los protocolos de ensayos clínicos incluyen pautas, denominadas “criterios de selección”, que establecen las características de los pacientes que podrán participar en el estudio. No todas las personas que están interesadas en un ensayo clínico, y que quieren inscribirse en él, serán aceptadas. Los ensayos solo pueden aceptar a los pacientes que cumplen los criterios de selección. Por ejemplo, algunos estudios buscan pacientes que tienen cierto tipo de cáncer, en una determinada etapa. Las características que los pacientes deben tener para poder participar en el estudio se denominan “criterios de inclusión”.

También hay algunos factores que pueden excluir a una persona del estudio. Por ejemplo, puede ser que el estudio solo busque pacientes que pertenecen a cierto grupo etario, por lo que un paciente mayor o menor que el rango de edad del grupo etario específico no podría participar en el estudio. Los factores que excluyen a algunos pacientes de participar en el estudio se denominan “criterios de exclusión”.

Los siguientes son ejemplos de criterios comunes de inclusión y exclusión:

- Tipo de cáncer
- Etapa del cáncer
- Marcadores genéticos o mutaciones específicos
- Antecedentes de otro tipo de cáncer

- Resultados específicos de pruebas de laboratorio
- Antecedentes de tratamiento
- Edad del paciente
- Ciertos medicamentos que la persona está tomando
- Estado de salud actual

Estos criterios ayudan a garantizar:

- La seguridad, porque algunos pacientes pueden tener otros problemas de salud (enfermedades concomitantes) que podrían empeorar con los tratamientos probados en el estudio.
- La exactitud de los resultados del estudio, porque los criterios de selección garantizan que los nuevos enfoques se prueben en grupos de pacientes con características similares. De esta manera, los médicos pueden estar seguros de que los resultados se deben al tratamiento del estudio y no a otros factores.

El proceso del consentimiento informado. Las regulaciones y pautas federales exigen a los investigadores que brinden información completa y precisa sobre el ensayo clínico a los posibles pacientes. Al proceso continuo en el cual un miembro del equipo de investigadores explica los detalles del estudio al paciente y responde a todas sus preguntas e inquietudes sobre el ensayo clínico se le denomina “consentimiento informado”.

Si está pensando en la posibilidad de participar en un ensayo clínico, los médicos y enfermeros involucrados en el ensayo le explicarán el estudio para ayudarlo a decidir si desea participar. Deberían estar presentes tanto usted como sus cuidadores (las personas responsables de su cuidado diario, ya sean familiares o no). Si necesita los servicios de un intérprete, puede pedir que les faciliten alguno.

El proceso del consentimiento informado le ofrece:

- La oportunidad de hacer preguntas, tanto durante su primera reunión como en las reuniones de seguimiento, para que obtenga la información que necesita para tomar una decisión.
- El tiempo para revisar los detalles del estudio; se le dará información escrita para que se la pueda llevar a su casa, leerla y compartirla con su médico, familiares u otras personas en quienes confíe.
- La información sobre qué esperar en el estudio (pruebas médicas, cargas económicas, la opción de retirarse en cualquier momento).

Antes de poder comenzar su participación en el ensayo clínico usted debe aceptar firmar un documento de consentimiento informado. Esto verifica que usted entiende totalmente la naturaleza del estudio. Sin embargo, no es un contrato y usted puede retirarse del estudio si se descubre información

nueva que le lleva a decidir hacerlo. De hecho, puede retirarse del ensayo en cualquier momento, por cualquier motivo. Si ingresa a un estudio y luego se retira, debería informar al equipo de investigadores de sus motivos para abandonar el estudio.

El documento de consentimiento informado incluye:

- Detalles sobre el estudio, tales como su propósito y duración
- Contactos clave
- Exámenes y pruebas de laboratorio necesarios
- Riesgos y posibles beneficios del estudio

Después de leer el documento de consentimiento informado usted puede decidir si desea firmarlo o no. Tómese el tiempo que necesite para pensarlo y hablarlo con sus familiares y cuidadores. Asegúrese de entender totalmente la información. Lea muy atentamente el documento de consentimiento informado. Si tiene preguntas e inquietudes, anótelas. Lleve su lista de preguntas a su próxima cita con el médico o enfermero del equipo de investigadores. Al contar con una lista usted se asegurará de recordar los temas que quería tratar y de obtener respuestas a todas sus preguntas.

Es posible que el equipo de investigadores reciba información nueva a medida que progresa el ensayo. El diseño del ensayo clínico (protocolo) también puede cambiar con el paso del tiempo. El proceso del consentimiento informado exige que los integrantes del equipo de investigadores lo mantengan informado cuando surja este tipo de cambios. Es posible que también se le pida que firme un nuevo documento de consentimiento informado.

Consentimiento informado para niños. La seguridad de los niños sigue siendo la principal prioridad de los estudios de investigación clínica, y los niños menores de edad reciben protección especial como sujetos de investigación. La naturaleza vulnerable de los niños debe tomarse en consideración cuando se sopesan los riesgos de la investigación ante la necesidad de desarrollar tratamientos pediátricos que sean seguros y eficaces.

Según la ley, los niños que participan en un ensayo clínico deben tener la enfermedad o afección que es el objeto de estudio. Además, cuando los investigadores van a administrar un medicamento en investigación a un niño, deben ofrecer indicios de los posibles beneficios clínicos que justifiquen el riesgo de tomar el medicamento.

Casi siempre, ambos padres o los tutores (representantes legales) del niño deben dar su consentimiento legal para que él o ella participe en un ensayo clínico. Los niños no pueden otorgar un verdadero consentimiento informado hasta que alcancen la mayoría de edad. Una vez que el paciente es mayor de edad, puede firmar su propio documento de consentimiento.

La decisión de participar en un ensayo clínico debería discutirse con ambos padres/tutores y el niño. Por regla general, los investigadores preguntan a los niños de 7 años y mayores si están de acuerdo con participar en el estudio. Se les pide que den su “asentimiento”, lo que significa que están de acuerdo en participar. Sin embargo, la edad de asentimiento varía según el niño y la institución que lleva a cabo el ensayo. No todos los niños querrán tener una función activa en el proceso del consentimiento informado, pero es importante darle al niño la oportunidad de aprender acerca de la investigación y de hacer cualquier pregunta que tenga. Podría ser necesario llevar a cabo varias sesiones antes de que el niño realmente entienda el concepto de un ensayo de investigación clínica y el equipo de investigadores sienta que él o ella lo comprende. Llegado ese momento, el niño puede dar su asentimiento. Hay veces en que se prescinde del asentimiento, por ejemplo, si el niño está demasiado enfermo para participar en el proceso de asentimiento.

El equipo de investigadores generalmente no pide el asentimiento de los niños menores de 7 años, ya que generalmente son demasiado jóvenes para entender el concepto de participar en un estudio clínico. Si el niño y sus padres/tutores están en desacuerdo sobre la decisión, a veces un profesional que cumple la función de defensor del niño, como un psicólogo o trabajador social, puede facilitar la continuación de las conversaciones familiares para ayudarlos a tomar una decisión unificada.

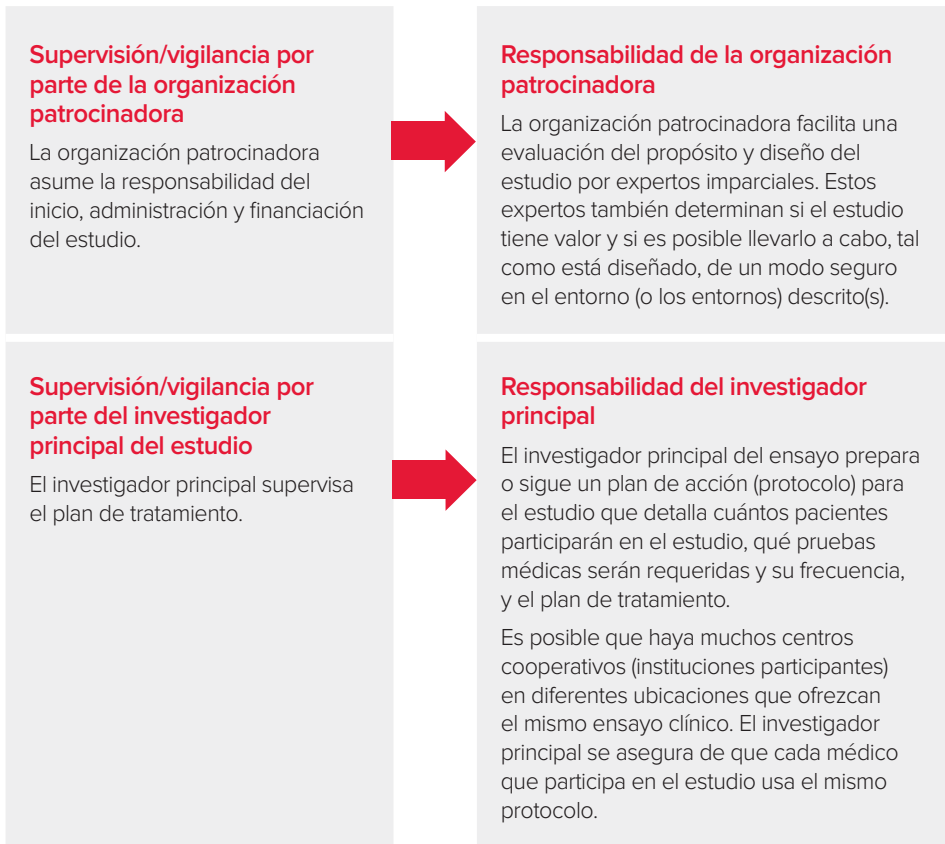
Al igual que el proceso del consentimiento informado, el proceso de asentimiento está previsto para que sea una conversación continua entre el niño y los miembros del equipo de investigadores. Durante el proceso de asentimiento:

- Los padres/tutores otorgan un consentimiento informado en nombre del niño para que participe en el ensayo clínico.
- Un miembro del equipo de investigadores le explicará el ensayo al niño en términos sencillos que él o ella pueda entender. Esta explicación incluye lo que significa participar en un ensayo clínico y qué se puede esperar. El equipo de investigadores puede usar formularios escritos, imágenes y videos para explicar el proceso.
- El equipo de investigadores anima al niño a hacer preguntas.

Los padres/tutores pueden retirar al niño del estudio de investigación en cualquier momento y por cualquier motivo. Si el niño es mayor de edad, él o ella puede decidir dejar de participar en el estudio en cualquier momento. Si un niño que tiene 7 años o más expresa que quiere dejar de participar en el ensayo, habría que tener una conversación al respecto con los padres/tutores y el equipo de profesionales encargados del tratamiento. Si los padres/tutores tienen previsto retirar al niño del ensayo clínico, es importante que hablen sobre otros tratamientos con el hematólogo-oncólogo principal que atiende al niño (el médico especializado en cáncer de la sangre que no forma parte del equipo de investigadores).

Revisión científica. Hay varios procedimientos establecidos para asegurar que los ensayos clínicos se realicen de una manera segura y ética (vea la **Tabla 2** a continuación). Los ensayos clínicos tienen que pasar por diferentes tipos de revisiones que están diseñadas con el fin de proteger a todos los pacientes que participan. Estas revisiones las realiza la organización patrocinadora, el investigador principal, la junta de revisión institucional y el comité de vigilancia de la seguridad y de los datos (IRB y DSMB respectivamente, por sus siglas en inglés).

Tabla 2. Medidas de seguridad en los ensayos clínicos



Continuación

Tabla 2. Medidas de seguridad en los ensayos clínicos (continuación)

Supervisión/vigilancia por parte de la junta de revisión institucional

Cada institución participante tiene una junta de revisión institucional (IRB, por sus siglas en inglés) o utiliza una IRB centralizada, formada por profesionales médicos, científicos y otros miembros de la comunidad. En otros países, estos grupos se denominan comités de ética. El objetivo de la IRB es proteger a los pacientes que participan en el ensayo clínico. También garantiza que el ensayo clínico sea legal, ético, bien diseñado y que no suponga riesgos innecesarios. La IRB revisa, observa y aprueba el plan de tratamiento para el ensayo clínico. Está encargada de proteger los intereses y el bienestar de los pacientes que participan en el ensayo clínico.



Responsabilidad de la IRB

La junta de revisión institucional (IRB):

- Revisa el protocolo para asegurarse de que el estudio se lleve a cabo de una manera justa y segura.
- Decide la frecuencia con la que se va a revisar el ensayo una vez comenzado. Con base en esta información, la IRB decide si el ensayo clínico debería continuar como se planificó inicialmente o, de lo contrario, qué cambios se deberían hacer.
- Puede suspender un ensayo clínico si el investigador no cumple con el protocolo, o si el ensayo parece estar causando daños imprevistos.
- Puede suspender el ensayo clínico si existen indicios claros de que el nuevo medicamento/tratamiento es eficaz, a fin de tomar las medidas necesarias para hacerlo ampliamente disponible.

Supervisión/vigilancia por parte del comité de vigilancia de la seguridad y de los datos

El comité de vigilancia de la seguridad y de los datos (DSMB, por sus siglas en inglés) es un comité independiente formado por estadísticos, médicos y otros científicos expertos. Se encarga de vigilar los datos del ensayo clínico para detectar problemas de seguridad.



Responsabilidad de la DSMB

El comité de vigilancia de la seguridad y de los datos (DSMB):

- Observa periódicamente las pruebas médicas, los resultados y la seguridad de los ensayos para asegurar que los riesgos de participación sean tan bajos como sea posible.
- Se asegura de que los datos estén completos.
- Observa y revisa todos los resultados de los ensayos; si los resultados iniciales muestran ventajas claras de un medicamento nuevo, la DSMB puede recomendar terminar el ensayo antes de tiempo para seguir al proceso de aprobación más rápidamente. La DSMB también podría recomendar que un ensayo finalice precozmente si existen indicios convincentes de que el tratamiento nuevo no da resultado, o si causa efectos secundarios serios o potencialmente mortales.

¿Qué pasa si no cumpla los criterios de selección de un ensayo clínico?

Si usted no cumple los criterios de selección de un ensayo clínico podría haber otras maneras de acceder a tratamientos que no están aprobados por la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) para el tratamiento de la enfermedad que tiene. El acceso ampliado (a veces denominado “uso compasivo”) puede ofrecer una oportunidad a los pacientes para que tengan acceso a medicamentos en investigación, sin ser participantes de un ensayo clínico, cuando no cuentan con la opción de recibir una terapia alternativa que sea adecuada. El acceso ampliado podría permitirse cuando se cumplen todos los siguientes criterios:

- El paciente tiene una enfermedad grave o su vida se ve inmediatamente amenazada por la enfermedad.
- No hay una terapia alternativa equivalente o adecuada para tratar la enfermedad.
- El paciente no puede inscribirse en un ensayo clínico.
- Los posibles beneficios para el paciente justifican los posibles riesgos del tratamiento.
- La provisión del tratamiento en investigación no interferirá con los ensayos de investigación clínica.

Para obtener información actualizada sobre todas las maneras en que los pacientes pueden acceder a un tratamiento fuera de un ensayo clínico, tales como el uso compasivo (acceso ampliado) o el uso para una indicación no aprobada (“off-label use”, en inglés), visite <https://www.fda.gov/forpatients/other/default.htm> (la información está en inglés).

Comentarios. Para ofrecer sugerencias sobre el contenido de esta publicación, visite www.LLS.org/comentarios.

Información y recursos

LLS ofrece información y servicios en forma gratuita para los pacientes y familias afectados por el cáncer de la sangre. En esta sección del librito se enumeran diversos recursos que le pueden ser de ayuda. Use esta información para informarse, preparar y hacer preguntas y para aprovechar al máximo el conocimiento y las habilidades de los miembros del equipo de profesionales médicos.

Para obtener información y ayuda

Consulte con un Especialista en Información. Los Especialistas en Información de LLS son enfermeros, educadores en salud y trabajadores sociales titulados a nivel de maestría y especializados en oncología. Ellos ofrecen información actualizada sobre las enfermedades de la sangre, las opciones de tratamiento y los servicios de apoyo. Algunos Especialistas en Información hablan español, y se ofrecen servicios de interpretación. Para obtener más información:

- Llame al (800) 955-4572 (Lun-Vie, de 9 a.m. a 9 p.m., hora del Este)
- Envíe un correo electrónico a infocenter@LLS.org
- Visite www.LLS.org/especialistas

Comuníquese con un Especialista en Información si tiene preguntas sobre los programas y recursos resumidos a continuación. También puede encontrar información en www.LLS.org/espanol.

Ensayos clínicos. Hay ensayos clínicos en curso para evaluar nuevos tratamientos. Los pacientes pueden informarse sobre estos estudios de investigación médica y cómo acceder a ellos. En casos apropiados, también se dispone de orientación personalizada sobre los ensayos clínicos de parte de enfermeros capacitados a través del Centro de Apoyo para Ensayos Clínicos. Para obtener más información:

- Llame al (800) 955-4572 para hablar con nuestros Especialistas en Información
- Visite www.LLS.org/ensayos

Materiales informativos gratuitos. LLS ofrece publicaciones gratuitas en inglés y en español con fines de educación y apoyo. Puede acceder a estas publicaciones por Internet en www.LLS.org/materiales. También puede pedir copias impresas que se envían por correo.

Programas educativos por teléfono/Internet. LLS ofrece programas educativos en forma gratuita por teléfono/Internet para los pacientes, cuidadores y profesionales médicos. Algunos de estos programas están disponibles en español. Para obtener más información, visite www.LLS.org/programs (en inglés).

Asistencia económica. LLS ofrece asistencia económica a las personas con cáncer de la sangre. Para obtener más información, visite www.LLS.org/asuntos-financieros.

Programa de Asistencia para Copagos. A ciertos pacientes que reúnen los requisitos del programa, LLS ofrece asistencia económica para las primas del seguro médico y los copagos de medicamentos. Para obtener más información:

- Llame al (877) 557-2672
- Visite www.LLS.org/copagos

Consultas personalizadas sobre la nutrición. Aproveche el servicio gratuito de consultas personalizadas con un dietista registrado que cuenta con experiencia en nutrición oncológica. Los dietistas ofrecen asistencia a las personas que llaman con las estrategias de alimentación saludable, el manejo de los efectos secundarios y la nutrición para la supervivencia. También ofrecen otros recursos de nutrición. Para obtener más información, visite www.LLS.org/nutricion.

Podcast. Escuche a expertos y pacientes que ofrecen orientación sobre el diagnóstico y tratamiento de los tipos de cáncer de la sangre y los recursos disponibles para los pacientes con estas enfermedades. La serie de podcasts, llamada *The Bloodline with LLS*, se ofrece para recordarle que luego del diagnóstico, surge la esperanza. Para obtener más información y para suscribirse, visite www.LLS.org/TheBloodline (en inglés).

Lectura sugerida. LLS ofrece una lista de publicaciones que se recomiendan para los pacientes, cuidadores, niños y adolescentes. Para obtener más información, visite www.LLS.org/SuggestedReading (en inglés).

Servicios de interpretación. Informe a su médico si necesita los servicios de un intérprete que hable español o algún otro tipo de asistencia, tal como un intérprete del lenguaje de señas. A menudo, estos servicios están disponibles durante las citas médicas y las emergencias sin costo para los pacientes y sus familiares y cuidadores.

Recursos comunitarios y establecimiento de contactos

Comunidad de LLS. Esta ventanilla única virtual es el sitio para comunicarse con otros pacientes y recibir la información y recursos más recientes en relación con el cáncer de la sangre. Puede compartir sus experiencias con otros pacientes y cuidadores y obtener apoyo personalizado del personal capacitado de LLS. Para inscribirse, visite www.LLS.org/community (en inglés).

Sesiones de conversación (chats) semanales por Internet. Estos chats moderados pueden ofrecer oportunidades para obtener apoyo y ayudar a los pacientes con cáncer a conectarse y compartir información. Para obtener más información, visite www.LLS.org/chat (en inglés).

Oficinas regionales de LLS. LLS ofrece apoyo y servicios a través de su red de oficinas regionales en los Estados Unidos y Canadá, entre ellos, el Programa Primera Conexión de Patti Robinson Kaufmann (que facilita la comunicación entre

pacientes que tienen las mismas enfermedades), grupos de apoyo en persona y otros recursos valiosos. Para obtener más información sobre estos programas, o si necesita ayuda para localizar la oficina de LLS más cercana a su comunidad:

- Llame al (800) 955-4572
- Visite www.LLS.org/ChapterFind (en inglés)

Otras organizaciones útiles. LLS ofrece una lista extensa de recursos para los pacientes y sus familias. Hay recursos relacionados con la asistencia económica, la orientación psicológica, el transporte y la atención del paciente, entre otras necesidades. Para obtener más información, visite www.LLS.org/ResourceDirectory (en inglés).

Defensa de derechos. Con la ayuda de voluntarios, la Oficina de Políticas Públicas de LLS aboga por políticas y leyes que promueven el desarrollo de nuevos tratamientos y mejoran el acceso a una atención médica de calidad. Para obtener más información:

- Llame al (800) 955-4572
- Visite www.LLS.org/advocacy (en inglés)

Ayuda adicional para poblaciones específicas

Información para los veteranos. Los excombatientes que estuvieron expuestos al agente naranja mientras prestaban servicio en Vietnam podrían reunir los requisitos para obtener ayuda del Departamento de Asuntos de los Veteranos de los Estados Unidos. Para obtener más información, llame al (800) 749-8387 o visite www.publichealth.va.gov/exposures/agentorange (en inglés).

Sobrevivientes del World Trade Center. Las personas afectadas directamente por los ataques terroristas del 11 de septiembre de 2001, que posteriormente recibieron un diagnóstico de cáncer de la sangre, podrían reunir los requisitos para obtener ayuda del Programa de Salud World Trade Center. Entre las personas que reúnen los requisitos se incluyen:

- El personal de emergencia que estuvo en el área del World Trade Center
- Los trabajadores y voluntarios que ayudaron con el rescate, la recuperación y la limpieza de los lugares relacionados con el ataque al World Trade Center en la ciudad de Nueva York
- Los sobrevivientes que estuvieron en el área del desastre en la ciudad de Nueva York, o que vivían, trabajaban o estaban asistiendo a una escuela en el área
- El personal de emergencia en el Pentágono y en Shanksville, PA

Para obtener más información:

- Llame al (888) 982-4748
- Visite www.cdc.gov/wtc/faq.html (en inglés)

Hay información en español sobre los requisitos del programa y el proceso de solicitud, así como una solicitud por Internet, en www.cdc.gov/wtc/apply_es.html.

Personas que sufren de depresión. El tratamiento de la depresión tiene beneficios para los pacientes con cáncer. Consulte con un profesional médico si su estado de ánimo no mejora con el tiempo, por ejemplo, si se siente deprimido todos los días durante un período de dos semanas. Para obtener más información, comuníquese con el Instituto Nacional de la Salud Mental (NIMH, por sus siglas en inglés):

- Llame al (866) 615-6464
- Visite www.nimh.nih.gov
Escriba “depresión” en la casilla de búsqueda para obtener enlaces a información en español sobre la depresión y su tratamiento.

Recursos de otras organizaciones

Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration o FDA)

Teléfono: (888) 463-6332

Sitio web: www.fda.gov (información en español: www.fda.gov/AboutFDA/EnEspañol/default.htm)

Una agencia del gobierno federal de los Estados Unidos que garantiza la seguridad y eficacia de medicamentos, dispositivos y equipos médicos.

Fundación Lazarex del Cáncer (Lazarex Cancer Foundation)

Teléfono: (925) 820-4517

Sitio web: www.lazarex.org (en inglés)

Esta fundación ofrece asistencia económica directamente a los pacientes para cubrir los costos relacionados con la participación en un ensayo clínico, y brinda orientación para ayudar a los pacientes a identificar sus opciones de ensayos clínicos aprobados por la FDA.

La fundación puede ofrecer asistencia para cubrir los siguientes costos relacionados con la participación en un ensayo clínico para el cáncer que está aprobado por la FDA:

- Transporte (pasaje aéreo, combustible, alquiler de vehículos, tarifa de taxis, estacionamiento/peajes)

- Alojamiento (vivienda a corto y largo plazo)
- Algunos gastos médicos que no están cubiertos por el seguro médico, pero que son necesarios para el tratamiento del ensayo clínico
- Fondos para pagar a un acompañante de viaje que brinde al paciente apoyo emocional y logístico durante el tratamiento, cuando está lejos de su casa, sus familiares y amigos

Programa de subvención de los doctores Jeffrey e Isabel Chell para los costos de viaje durante los ensayos clínicos (Drs. Jeffrey and Isabel Chell Clinical Trials Travel Grant)

Correo electrónico: patientgrants@nmdp.org

Teléfono: (888) 814-8610

Página web: <https://www.jasoncarterclinicaltrialsprogram.org/education/grants>
(en inglés)

Este programa de subvención, en colaboración con el programa de ensayos clínicos de Jason Carter, ofrece ayuda económica a los pacientes que reúnen los requisitos (aquellos con un trastorno/cáncer de la sangre) y que necesitan ayuda para pagar los siguientes costos de viaje incurridos por participar en ensayos clínicos:

- Viajes aéreos para el paciente y un acompañante, con reservas hechas por agentes de viaje
- Transporte terrestre, que incluye combustible/estacionamiento y transporte público/colectivo (autobús/tren/taxi, etc.)
- Alojamiento, que incluye hotel, albergue temporal e imprevistos

Lista de contactos del equipo de profesionales médicos

Utilice esta lista para recordar los nombres y la información de contacto de los miembros del equipo de profesionales médicos encargados de su atención.

NOMBRE DEL CUIDADOR:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

MÉDICO DE ATENCIÓN PRIMARIA (PCP, EN INGLÉS):

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

NOMBRE DE LA FARMACIA:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Información adicional: _____

Especialistas en Información:

Teléfono: 1-800-955-4572

Correo electrónico: infocenter@LLS.org

Sitio web: www.LLS.org/especialistas

NOMBRE DEL HEMATÓLOGO-ONCÓLOGO:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Sitio web/portal: _____

Información adicional: _____

**NOMBRE DEL ENFERMERO/ENFERMERO DE PRÁCTICA AVANZADA
(NP, EN INGLÉS):**

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

NOMBRE DEL ENFERMERO DEL ESTUDIO:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

NOMBRE DEL COORDINADOR DEL ESTUDIO:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Sitio web o correo electrónico: _____

Información adicional: _____

NOMBRE DEL TRABAJADOR SOCIAL:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

NOMBRE DEL COORDINADOR DE CASOS DEL SEGURO MÉDICO:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Sitio web o correo electrónico: _____

Información adicional: _____

NOMBRE DEL ASOCIADO MÉDICO (PA, EN INGLÉS):

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

**NOMBRE DEL ENFERMERO ORIENTADOR/ENFERMERO TITULADO
CON LICENCIA DEL ESTADO (RN, EN INGLÉS):**

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

OTRO MIEMBRO:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

OTRO MIEMBRO:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

OTRO MIEMBRO:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

OTRO MIEMBRO:

Dirección: _____

Número de teléfono/fax: _____

Correo electrónico: _____

Información adicional: _____

Guías de preguntas

Hable con los miembros del equipo del ensayo clínico y haga preguntas. Esto lo ayudará a usted y a su ser querido a participar activamente en la toma de decisiones en cuanto a la atención médica. Debería hacerles las siguientes preguntas a los miembros del equipo del ensayo clínico. Si no habla inglés, puede solicitar que le faciliten servicios de interpretación.

Nota: el uso de frases con “yo (o nosotros)” y “me (o nos)” y de verbos con conjugaciones correspondientes en las listas de preguntas se incluye para situaciones en las cuales el paciente no tiene la edad suficiente para tomar sus propias decisiones, o no es capaz de hacerlo. En estas situaciones, puede que uno de los padres, un tutor, un pariente o un cuidador esté asistiendo al paciente o esté tomando las decisiones en su nombre.

NOMBRE: _____

Fecha de la cita o la llamada telefónica: _____

Preguntas que puede hacer sobre los ensayos clínicos

1. ¿Cuál es el propósito del ensayo clínico y por qué consideran los investigadores que el enfoque de tratamiento podría ser eficaz?
2. ¿En qué tipo de tratamiento consiste el estudio?
3. ¿Cuál es la fase de este estudio?
4. ¿Se ha estudiado antes este tratamiento? ¿Se ha empleado para el tratamiento de otros tipos de cáncer?
5. ¿Cuáles fueron los resultados en los estudios/etapas previos de este tratamiento?
6. ¿Incluye este ensayo clínico el uso de un placebo?
7. ¿Cómo se comparan los posibles riesgos y beneficios de este ensayo clínico con los del tratamiento estándar?
8. ¿Cuáles son los posibles efectos secundarios a corto y a largo plazo de los tratamientos estándares en comparación con el nuevo tratamiento que se está probando en este ensayo clínico?
9. ¿Qué pasará si mi salud empeora durante el ensayo clínico?
10. ¿Durante cuánto tiempo recibiré tratamiento en el estudio?

11. ¿Dónde se lleva a cabo el ensayo clínico? ¿Se ofrece el ensayo clínico en otros centros?
12. ¿Puedo hablar con otros pacientes que participan en el estudio?
13. ¿Cómo sabré si el tratamiento del estudio está dando resultado en mi caso?
14. ¿Tendré responsabilidades tales como llevar un registro o completar formularios sobre mi salud?
15. ¿Quién sabrá que estoy participando en el ensayo clínico? ¿Cómo se protegerá mi confidencialidad?

Preguntas que puede hacer sobre los asuntos financieros

1. ¿Cómo sé si mi seguro médico cubrirá los costos del ensayo clínico?
2. ¿Tendré que pagar por alguna parte de la atención médica del ensayo, como por ejemplo, las pruebas médicas o el medicamento del estudio?
3. ¿Quién puede ayudar a responder a las preguntas que haga el personal de mi compañía aseguradora o plan de seguro médico?
4. ¿Habrá algún costo de viaje o de cuidado infantil que deba tener en cuenta mientras que participe en el ensayo?

Preguntas que puede hacer sobre la atención de seguimiento

1. Si el tratamiento es eficaz, ¿puedo seguir recibéndolo después de que termine el estudio?
2. ¿Se me informarán de los resultados generales del ensayo?
3. ¿El equipo del estudio continuará comunicándose conmigo después de que termine el tratamiento?
4. ¿Tendré que viajar al centro del estudio para recibir atención de seguimiento, o puedo recibirla en mi localidad?



Para obtener apoyo,
pida ayuda a nuestros

ESPECIALISTAS EN INFORMACIÓN

El equipo de la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma está compuesto por enfermeros, educadores en salud y trabajadores sociales titulados a nivel de maestría y especializados en oncología. Están disponibles por teléfono de lunes a viernes, de 9 a.m. a 9 p.m. (hora del Este).

- Apoyo personalizado e información sobre los tipos de cáncer de la sangre
- Orientación sobre las preguntas que puede hacerle a su médico
- Información sobre los recursos de ayuda económica para pacientes
- Búsquedas personalizadas de ensayos clínicos



**Comuníquese con nosotros al
800-955-4572** o en
**[www.LLS.org/
especialistas](http://www.LLS.org/especialistas)**

(puede solicitar los servicios de un intérprete)



Para obtener más información,
comuníquese con nuestros
Especialistas en Información al
800.955.4572 (se ofrecen servicios
de interpretación a pedido)

**BEATING
CANCER
IS IN
OUR BLOOD.**

Leukemia & Lymphoma Society 3 International Drive, Suite 200 Rye Brook, NY 10573

La misión de la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma (LLS, por sus siglas en inglés) es curar la leucemia, el linfoma, la enfermedad de Hodgkin y el mieloma y mejorar la calidad de vida de los pacientes y sus familias. Para obtener más información, visite www.LLS.org/espanol.