

¿Qué es un ensayo clínico?

Prueba clínica, ensayo clínico, trial clínico etc. son sinónimos y se refieren entre otras cosas a los estudios que se llevan a cabo para determinar si un medicamento o un procedimiento es útil para una determinada enfermedad. Para entender esto y cómo estos estudios se desarrollan, es importante tener en mente algunos conceptos.

Una vez identificado o desarrollado un compuesto o molécula (supongamos por un laboratorio de la industria farmacéutica) éste debe superar una serie de pruebas o tests muy estrictos antes de que pueda ser comercializado. Este período de tiempo en general NO es menor a 10 años y debe atravesar distintas etapas o "fases". Estos estudios se llevan a cabo siguiendo lo que llamamos protocolos (ver más adelante).

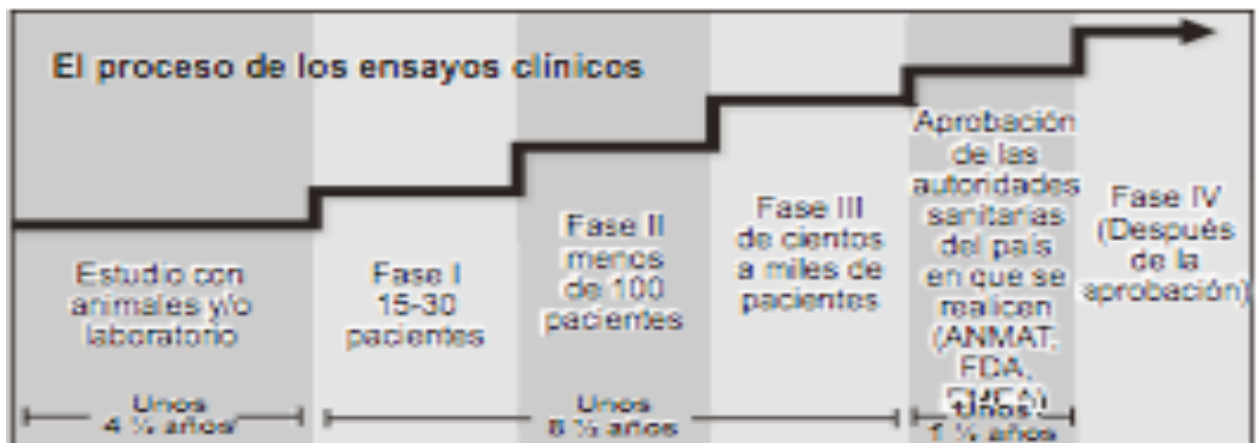
Primero se investigan las presuntas acciones de este compuesto en animales de experimentación, en animales normales, luego en modelos de animales con la enfermedad para la cual se está investigando la droga. Esto lleva años. En una segunda etapa, y una vez comprobado que no causan daño en el animal, se deben probar si no produce daños en humanos con individuos sanos, en general, voluntarios sanos.

Cada vez que hablamos de "probar" estamos diciendo obtener pruebas. Lo que significa costosas investigaciones que involucran muchas veces la necesidad de desarrollar tecnología o biotecnología para estudiar distintos aspectos. Todo esto se debe probar matemáticamente y estadísticamente y los experimentos deben poder replicarse y reproducirse en distintos laboratorios en el mundo. Los resultados se publican en revistas científicas (de circulación solo en la comunidad científica) y se presentan en congresos. Luego, se pasa a la etapa de su uso en humanos, pacientes, de manera progresiva y MUY cuidada.

En los protocolos de investigación se planifica cada mínimo paso que se dará, cada mínima cosa que se hace, quienes serán los pacientes, de que edades, qué tipo de características deben reunir, cómo se medirán los resultados, qué es lo que se medirá, dónde se medirá, etc.

Hay una etapa posterior en la que se prueba el compuesto en pacientes, primeramente en estudios para demostrar la seguridad (si hacen o no hacen daño –efectos adversos-). Para esto se somete a los pacientes a extensos estudios comparando droga y placebo.

Luego viene otra etapa, en otros pacientes, para probar si el nuevo compuesto que podemos llamar ahora "droga" es efectiva o no para la enfermedad específica en la que se lo quiere probar. Este tipo de estudios se hace comparando los efectos de la "droga" contra los de otro tratamiento o muchas veces contra un placebo (esto quiere decir algo que simula ser el compuesto en cuestión pero no tiene ningún efecto, es agua o talco). Esto es a lo que se llama estudio doble ciego ya que ni el paciente ni el médico que lo administra sabe si está suministrando droga o placebo. Después de un tiempo, que depende de cada protocolo, se miden los resultados a través de los distintos métodos que se han pautado. Ahora bien, estos protocolos y todas las investigaciones que involucren pacientes, deben ser aprobados por las autoridades sanitarias y regulatorias del país en que se realicen (en USA la FDA, en Europa la EMEA, en Argentina la ANMAT). Estas agencias sanitarias son MUY estrictas y cada palabra del protocolo debe ser respetada y cuidada. Luego, deben atravesar los IRB o comités de ética de cada institución en donde se realizaran las pruebas. Se decide si hay cuestiones que no son admisibles en experimentación, si hay incompatibilidades éticas, etc.



Si los primeros resultados son auspiciosos recién se pasa a estudios con mayor número de pacientes en donde se repite lo mismo a gran escala. Recién allí, y si la autoridad sanitaria nacional lo aprueba, el laboratorio puede comercializarlo con la indicación ESPECÍFICA para lo que se PROBÓ Y APROBÓ.

Ahora bien. Además de los 10 a 12 años que median entre el descubrimiento del compuesto y su comercialización, se invierten en su desarrollo en general cientos de MILLONES de dólares... Por desgracia, a veces y cuando ya han gastado muchos millones, deben suspender todo por que se dan cuenta que la droga será toxica o no será útil.

Otras veces se crean expectativas indebidas y se prejuzgan resultados antes de que se analicen las estadísticas y resultados.

Para enfermedades como Distrofia Muscular de Duchenne, que se categorizan como huérfanas, estos tiempos en general pueden acortarse pero igualmente debe cumplirse con cada etapa.

Lamentablemente en ciencia todo lleva tiempo y mucho dinero (lo primero vale más que lo segundo para nosotros!!). Pero por suerte hay MUCHAS drogas en estudio y en camino de entrar en fases clínicas.

Muchas no trascienden hasta que se está avanzado en su investigación. Cada vez sabemos más de la enfermedad y eso es clave para poder enfrentarla y ganarle. Cada día se avanza!!!

Dra. Lilia Edith Mesa
Neuróloga Infantil
Departamento de Neurología
Unidad de Enfermedades Neuromusculares
Instituto de Neurociencias
Hospital Universitario Fundación Favaloro