



ELA Y PARTICIPACIÓN EN INVESTIGACIONES CLÍNICAS

Una guía hecha por la Les Turner ALS Foundation para personas
viviendo con ELA



Contents

¿Qué es la investigación clínica?	3
¿Cuáles son los beneficios de participar en la investigación clínica?	4
¿Cuáles son las fases de un ensayo clínico?	4
¿Cómo decidir si desea participar en un estudio de investigación clínica?	5
Paso 1: Aprenda sobre la investigación clínica actual sobre ELA	5
Paso 2: Piense en sus necesidades y objetivos	7
Paso 3: Encuentre un estudio	8
Paso 4: Hable con el equipo de investigación	8
¿Cuáles son mis derechos como participante en un estudio de investigación clínica?	8
Paso 5: Hable con su médico o equipo de cuidado de ELA	9
Preguntas que debe hacer antes de participar en un estudio	9
Paso 6: Reflexione sobre sí mismo y tome una decisión	10
Notas	11

Declaración de exención de responsabilidad: La información en esta guía no constituye un consejo médico. Hable con su equipo de cuidado de la ELA antes de tomar cualquier decisión sobre su salud o tratamiento. Juntos, usted y su equipo de cuidados pueden encontrar un plan de tratamiento que funcione para usted.

Última revisión: 22 de abril de 2024



Las personas que viven con ELA (esclerosis lateral amiotrófica), junto con sus familiares y cuidadores, son socios esenciales en la investigación sobre la ELA. Usted puede ayudar a los científicos y doctores a aprender sobre la ELA y desarrollar nuevos tratamientos participando en un estudio de investigación clínica.

¿Qué es la investigación clínica?

Si usted vive con ELA, puede ofrecerse como voluntario para participar en un tipo de estudio científico llamado estudio de investigación clínica. A través de la investigación clínica, los científicos y médicos pueden aprender sobre la ELA de las personas que la han experimentado en primera persona, obtener una comprensión más profunda de las diferencias genéticas vinculadas a la ELA y probar opciones de tratamiento potenciales.

Hay muchas formas en que las personas que viven con ELA pueden involucrarse en la investigación clínica:



Ensayos clínicos

Un ensayo clínico, también conocido como ensayo de intervención, es un experimento médico en el que las personas que viven con ELA pueden ofrecerse como voluntarios para participar. Estos experimentos ayudan a los investigadores a identificar información sobre productos en investigación: medicamentos de estudio, dietas especiales o dispositivos médicos. Todos los productos en investigación que se prueban en ensayos clínicos se consideran experimentales. Eso significa que no se sabe si, o cómo, estos productos podrían impactar potencialmente en su enfermedad o síntomas.



Acceso ampliado

El Acceso Ampliado (EA) es una vía para las personas que no califican para un ensayo clínico para acceder a un producto en investigación que aún no está aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA).



Estudios observacionales

Durante un estudio observacional, los investigadores siguen a un grupo de personas que viven con ELA para aprender más sobre su condición. Los voluntarios pueden llenar encuestas, proporcionar muestras de su sangre o líquido espinal, o realizarse una prueba de imagen de su cerebro. Estos estudios se utilizan para identificar tendencias en personas que viven con ELA y descubrir nuevas posibilidades para ensayos clínicos.



Donaciones de tejido al final de la vida

Cualquier persona que viva con ELA puede elegir hacer una donación de tejido al final de la vida para la investigación sobre la ELA. Una donación de tejido (más comúnmente cerebro y médula espinal) es un regalo significativo e impactante para la investigación sobre la ELA.

¿Cuáles son los beneficios de participar en la investigación clínica?

Si usted se une a un ensayo clínico, podría probar una nueva opción de tratamiento que aún no está disponible para el público. Durante un ensayo clínico, será monitoreado frecuentemente.

Al participar en cualquier tipo de investigación clínica, usted puede ayudar a los investigadores a hacer descubrimientos científicos que ayudarán a las personas que viven con ELA en el futuro. Para muchas personas, participar en la investigación puede ser una experiencia empoderadora.

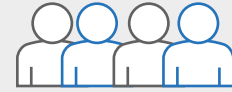


La investigación sobre la ELA necesita perspectivas diversas.

Es importante que personas con diversos antecedentes y experiencias se involucren en la investigación sobre la ELA. Cuando personas de todas las edades, géneros, razas y etnias participan en la investigación, los científicos pueden aprender más sobre cómo la ELA afecta a todos, y desarrollar tratamientos que funcionen para la mayor cantidad de personas posible.

¿Cuáles son las fases de un ensayo clínico?

Los ensayos clínicos se realizan en cuatro pasos o fases. Esto es lo que sucede en cada fase:



Fase 1: Los investigadores prueban el producto en investigación en un pequeño grupo de personas. El propósito de la primera fase es determinar la seguridad, tolerabilidad y dosificación: si el producto en investigación es seguro, si las personas pueden tolerarlo y cómo afecta el medicamento a las personas en diferentes dosis.



Fase 2: El propósito de la segunda fase es continuar monitoreando la seguridad, tolerabilidad y dosificación y comenzar a aprender sobre los efectos potenciales del producto en investigación. The purpose of the second phase is to continue to monitor the safety, tolerability, and dosing and start to learn about the potential effects of the investigational product.



Fase 3: El propósito de la tercera fase es continuar monitoreando la seguridad, tolerabilidad y dosificación y confirmar el beneficio potencial del producto en investigación. Si los investigadores confirman el beneficio del producto en investigación, podría ser aprobado como tratamiento para la ELA.



Fase 4: La cuarta fase ocurre después de la aprobación de un nuevo tratamiento para la ELA. El propósito de esta fase es monitorear la seguridad, efectos secundarios raros y efectividad del tratamiento durante un período de tiempo más largo.

¿Cómo decidir si desea participar en un estudio de investigación clínica?

Participar en un estudio de investigación clínica es una decisión importante y personal. Puede seguir estos pasos para aprender sobre estudios de investigación clínica, explorar sus opciones y decidir si participar en un estudio es adecuado para usted.



Paso 1

Aprenda sobre la investigación clínica actual sobre ELA

El primer paso es aprender sobre la investigación clínica de ELA de fuentes confiables. Hablar con su médico o equipo de atención de ELA es un gran punto de partida. Ellos pueden guiarlo a través de los conceptos básicos de la investigación clínica y brindarle información basada en su situación personal. También puede explorar estos recursos en línea:

ClinicalTrials.gov es una base de datos central de ensayos clínicos para todas las condiciones de salud, incluida la ELA. Todos los estudios que buscan participantes en los Estados Unidos (y la mayoría de los estudios a nivel mundial) se publican en **ClinicalTrials.gov**.



Los ensayos clínicos son experimentales.

Aunque los efectos del producto en investigación que se prueba en ELA son desconocidos, los ensayos clínicos siguen siendo la mejor manera de desarrollar nuevos tratamientos para las personas que viven con ELA.



Como cuidador de un ser querido, habría hecho cualquier cosa para asegurarle a mi esposo que estaría a su lado durante este viaje, y que lo superaríamos juntos. Estuve de acuerdo en que si había un ensayo disponible, lo mejor era participar. De cualquier manera es una victoria, el mejor resultado es que se demuestre que ayuda, el peor es que no, pero podemos avanzar con nuevos conocimientos.



Con una enfermedad donde tanto está fuera de su control y los resultados son tan pobres, decidir participar en un ensayo fue empoderador para mí. Tenemos los medicamentos que tenemos ahora porque otros participaron en ensayos. Cosas positivas pueden salir de las investigaciones.

NEALS (NEALS.org) tiene una base de datos de estudios de investigación clínica relacionados con la ELA. Si tiene preguntas sobre la base de datos o le gustaría aprender más sobre un estudio, contacte al Enlace de Ensayos Clínicos en alstrials@neals.org o (855) 437-4823.

El Navegador de Ensayos de ELA (ALS.net/ALS-Trial-Navigator) es un recurso integral que guía a las personas que viven con ELA mientras aprenden más sobre encontrar y participar en ensayos clínicos para la ELA. Después de responder algunas preguntas, puede aprender sobre oportunidades de investigación, establecer prioridades personales y encontrar ensayos que cumplan con sus criterios. El Navegador también tiene un mapa interactivo para ayudarlo a encontrar ensayos en su área.



Si tiene preguntas sobre la investigación clínica de ELA, puede comunicarse con las siguientes organizaciones:

- Su coordinador de estudio local
- NEALS: alstrials@neals.org
- Investigación de ELA en el Hospital General de Massachusetts (MGH): mghalsresearch@mgh.harvard.edu
- Plataforma Healey y AMG para ELA del MGH: healeyalsplatform@mgh.harvard.edu

Si tiene preguntas sobre un estudio específico listado en **ClinicalTrials.gov**, puede comunicarse con el equipo del estudio. Busque la tabla de Contactos y Ubicaciones bajo cada estudio.



Además de explorar la investigación clínica, algunas personas que viven con ELA consideran probar tratamientos alternativos o no autorizados (AOTs). ALSUntangled proporciona revisiones científicas de AOTs para ayudar a las personas que viven con ELA a tomar decisiones más informadas.

Explore revisiones de tratamientos, preguntas y respuestas, episodios de podcast y más en [ALSUntangled.com](https://www.alsuntangled.com).

Paso 2: Piense en sus necesidades y objetivos

Ahora que ha aprendido los conceptos básicos sobre la investigación clínica de ELA, es momento de pensar en sus necesidades y objetivos. ¿Por qué desea participar en la investigación clínica? ¿Qué espera obtener al participar en un estudio de investigación?



Tenga en cuenta que participar en un estudio de investigación clínica es una inversión de su tiempo y energía.



La mayoría de los ensayos clínicos pueden requerir citas semanales a mensuales durante varios meses. Los estudios observacionales suelen tener menos citas. Aunque algunas citas del estudio pueden realizarse virtualmente, en la mayoría de los casos necesitará ir a un hospital o centro médico. En estas citas, responderá preguntas sobre su salud y se realizarán pruebas médicas, como extracciones de sangre o punciones lumbares. Si tiene un horario apretado, otras responsabilidades o dificultad con la movilidad, podría ser más difícil realizar múltiples viajes al lugar del estudio.



El patrocinador del estudio generalmente paga el costo de participar en ensayos clínicos. Algunos ensayos clínicos le reembolsarán (le pagarán) los costos de viaje y estacionamiento, y otros pueden proporcionarle un estipendio o asignación por su participación. Su equipo del estudio lo guiará a través de todos los detalles asociados con el costo.



Finalmente, algunas personas que viven con ELA piden a una persona de apoyo, como un compañero, miembro de la familia o amigo cercano, que los acompañe a las citas del estudio. Mientras aprende sobre la investigación clínica, es una buena idea hablar con sus seres queridos y averiguar quién podría apoyarlo durante un estudio de investigación.



Paso 3

Encuentre un estudio

A continuación, busque estudios de investigación clínica que se alineen con sus necesidades. Pregunte a su médico o equipo de cuidado de ELA si conocen algún estudio que podría ser adecuado para usted basado en el tipo de ELA que tiene. También puede usar los sitios web mencionados en el Paso 1 para encontrar estudios.

Al revisar las descripciones de los estudios, busque información sobre dónde se realizará el estudio y cuánto tiempo durará. Algunos ensayos clínicos prueban el mismo medicamento de estudio en múltiples ubicaciones, lo que hace posible que más personas participen.

Las descripciones de los estudios también pueden listar criterios de elegibilidad, o reglas sobre quién puede participar en el estudio. Por ejemplo, los investigadores pueden estar buscando personas de cierto grupo de edad o personas que tienen un tipo específico de ELA.



Paso 4

Hable con el equipo de investigación

Si encuentra un estudio que le interese, contacte al equipo de investigación. Si su médico le habló sobre el estudio, él puede ayudarlo a ponerse en contacto con el equipo de investigación. Si encontró el estudio en línea, la descripción del estudio generalmente incluirá información de contacto o un formulario en línea para completar.



¿Cuáles son mis derechos como participante en un estudio de investigación clínica?

Antes de poder participar en un estudio de investigación clínica, el equipo de investigación le pedirá que firme un formulario de consentimiento informado. El consentimiento informado significa que usted entiende lo que sucederá durante el estudio, incluidos los posibles riesgos, y que está de acuerdo en participar. Usted tiene el derecho de tomarse su tiempo para leer el formulario de consentimiento, hacer tantas preguntas como desee y obtener una copia del formulario después de haberlo firmado.

Participar en la investigación es voluntario y usted tiene el derecho a ser tratado con respeto.

Si el equipo de investigación piensa que usted podría ser un buen candidato para el estudio, es posible que le hagan preguntas y revisen información sobre su salud, como sus:

- **Síntomas de ELA**
- **Historial médico familiar**
- **Puntuaciones de respiración**
- **Puntuaciones en la Escala de Calificación Funcional de ELA (ALFRS-R)**
- **Resultados de pruebas genéticas**
- **Medicamentos**

Basándose en toda esta información, el equipo decidirá si califica para participar en el estudio. Si califica, le explicarán cómo funciona el estudio y responderán cualquier pregunta que pueda tener. Consulte el lado derecho de esta página para obtener una lista de preguntas para hacer al equipo de investigación.



Paso 5

Hable con su médico o equipo de cuidado de ELA

Comparta lo que ha aprendido sobre el estudio con su médico o equipo de cuidado de ELA. Ellos pueden ayudar a decidir si es una buena idea participar en el estudio basándose en su situación personal y sus necesidades de atención médica.

Preguntas que debe hacer antes de participar en un estudio

Participar en un estudio de investigación es una decisión importante. Es importante hacer preguntas y asegurarse de que el estudio sea adecuado para usted. Aquí tiene algunas preguntas que podría querer hacer al equipo de investigación.

Qué esperar durante el estudio

- ¿Cuánto durará el estudio?
- ¿Dónde se realizará el estudio?
- ¿Cuáles son los posibles riesgos de participar en el estudio?
- ¿Recibiré algún medicamento o tratamiento como parte del estudio?
- ¿Necesitaré someterme a algún examen médico durante el estudio? En caso afirmativo, ¿me informarán de los resultados?

Atención médica durante el estudio

- ¿Puedo seguir viendo a mis médicos habituales durante el estudio?
- ¿Comunicaré con mis médicos para informarles sobre mi progreso?
- ¿Puedo seguir tomando mis medicamentos actuales mientras participo en el estudio?

Seguro médico y costos

- ¿Necesito tener seguro médico para participar en el estudio?
- ¿Me reembolsarán los gastos relacionados con el estudio, como los de viaje o estacionamiento?

Qué sucede después del estudio

- ¿Puedo seguir recibiendo tratamiento después de que finalice el estudio?
- ¿Me informarán de los resultados del estudio?
- ¿Me dirán si estuve tomando el medicamento real del estudio?
- ¿A quién puedo contactar si tengo preguntas después de que finalice el estudio?



Paso 6

Reflexione sobre sí mismo y tome una decisión

Finalmente, reflexione sobre sí mismo y decida si desea participar en el estudio. ¿Es este estudio adecuado para usted? Aquí hay algunas preguntas a considerar:

¿Qué espero obtener de este estudio?

¿Cuáles son los beneficios y riesgos de participar en este estudio?

¿Necesitaré ayuda para viajar a las citas del estudio, tomar medicamentos o realizar pruebas médicas? Si es así, ¿quién puede ayudarme durante el estudio?

También puede ser útil discutir estas preguntas con alguien de su confianza.

Recuerde, no hay una respuesta correcta o incorrecta, se trata de lo que mejor funcione para usted.

“

Después de recibir mi diagnóstico, fue muy importante para mí involucrarme. Sigo buscando cualquier estudio de investigación observacional en el que pueda participar porque quiero hacer todo lo que esté en mi poder para ayudar a responder los ‘porqués’ de la ELA.

“

Me sorprendieron un par de cosas al participar en la investigación. Una fue cómo me hizo sentir tan esperanzado y alentado al estar haciendo algo proactivo hacia la búsqueda de una cura. Y la otra sorpresa fue lo apasionados y accesibles que han sido los investigadores y ver que esto está sucediendo en todo el mundo es inspirador.



Únase al Registro Nacional de ELA

Inscribirse en el Registro Nacional de ELA es otra forma de involucrarse con la investigación sobre la ELA. La investigación de hoy puede conducir a una mejor comprensión y posibles tratamientos mañana. Al unirse al Registro Nacional de ELA, ser contado y tomar encuestas sobre factores de riesgo, las personas que viven con ELA pueden ayudar a encontrar respuestas. Cuando se inscribe en el registro en [CDC.gov/ALS](https://www.cdc.gov/als), recibirá notificaciones para ensayos clínicos y otros estudios de investigación.



Fundada en 1977, la Fundación Les Turner ALS es el grupo independiente de ELA más antiguo del país. Durante más de 45 años, nuestra misión ha sido brindar la atención y el apoyo más integrales a las personas que viven con ELA y sus familias para que puedan afrontar la enfermedad con confianza y tener acceso a las terapias más prometedoras. Tratamos a cada persona como a una familia, los apoyamos en cada paso del camino y brindamos a sus seres queridos respuestas y aliento. Nuestro Centro Les Turner ALS en Northwestern Medicine está avanzando en la atención y la investigación vitales en busca de tratamientos y una cura que mejoren la vida.

lesturnerals.org



El Consorcio del Noreste de Esclerosis Lateral Amiotrófica® (NEALS) es el consorcio más grande del mundo de sitios de investigación clínica dedicados a traducir rápidamente los avances científicos en investigación clínica y nuevos tratamientos para personas con Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA) y enfermedades de las neuronas motoras (ENM). A través del Programa de Embajadores de Investigación del Instituto de Aprendizaje de Investigación Clínica de ELA® (CRLI) para personas afectadas por la ELA, NEALS apoya activamente la integración de la experiencia vivida en el proceso global de desarrollo de medicamentos, creando oportunidades de colaboración dentro de la comunidad de pacientes, la academia y la industria que aseguran un enfoque centrado en el paciente para el descubrimiento de tratamientos.

neals.org