



# **LUPUS Y ENSAYOS CLÍNICOS: MITOS Y REALIDADES**

**Irene Blanco, MD**

## ¿Qué es el Lupus?

- Enfermedad autoinmunológica:
  - Activación excesiva del sistema inmunológico
  - Pérdida de la tolerancia del sistema inmunológico al cuerpo
  - Ciertos genes son más probables de ocurrir en pacientes con lupus
    - Muchos de estos genes codifican componentes del sistema inmunológico.
  - Metabolismo anormal de estrógeno
    - En estudios de animales el estrógeno empeora la actividad de la enfermedad y causa mortalidad temprana



## Mortalidad

- 90% sobrevive 5 años, 80% 10 años
- La enfermedad renal empeora el pronóstico
- En Afro-Norteamericanos la enfermedad es más severa y resistente a tratamiento
- Existen 2 etapas de mortalidad diferentes:
  - Temprano: actividad de SLE e infecciones
  - Tarde: la enfermedad cardiovascular, actividad de SLE, complicaciones de enfermedad renal, y complicaciones tromboembólicas

## Complicaciones y Manifestaciones Severas de Lupus

### ○ Renal:

- 60% de pacientes
- Nefritis de clase I-VI
  - Clases: III, IV, V, VI son las mas severas
- Puede causar daños permanentes requiriendo diálisis
- Pacientes de decendencia Africana o Hispana tienden a tener pero pronóstico
- Requiere tratamiento agresivo

## Complicaciones y Manifestaciones Severas de Lupus

- Cardiovasculares a causa del Lupus:
  - Líquido alrededor del corazón
  - Endocarditis: Libman-Sacks
  - Miocarditis
  - Vasculitis
- Cardiovasculares a causa del Lupus y sus tratamientos:
  - Ataque al corazón
  - Derrame cerebral

## Complicaciones y Manifestaciones Severas de Lupus

### ○ Hematológico:

- Anemia: destrucción de células rojas
- Leucopenia: destrucción de células blancas
  - Riesgo alto de infecciones
- Trombocitopenia: destrucción de plaquetas
  - Riesgo de sangrar
- Trombosis: arterial o venosa
- Púrpura Trombocitopenica

## Complicaciones y Manifestaciones Severas de Lupus

- Desórdenes neurológicos y psiquiátricos:
  - Convulsiones
  - Coma
  - Derrame cerebral
  - Parálisis a causa de inflamación de la cuerda vertebral
  - Psicosis
  - Ceguera a causa de inflamación del nervio óptico

## Complicaciones y Manifestaciones Severas de Lupus

- Pulmonares:
  - Neumonitis
  - Hipertensión pulmonar
  - Hemorragia pulmonar
  - Embolismo pulmonar
  - Fibrosis pulmonar



## MEDICINAS PARA EL LUPUS

- 1948: Aspirina
- 1955: Hydroxychloroquine (Plaquenil) y prednisona
- 2011: Belimumab

¿COMO ENCONTRAR NUEVAS MEDICINAS?



# ENSAYOS CLÍNICOS!



## ¿QUÉ ES UN ENSAYO CLÍNICO?

- Un ensayo clínico es un estudio científico para encontrar mejores maneras de resolver problemas médicos.
- Ensayos clínicos ayudan a:
  - Prevenir
  - Encontrar
  - Diagnosticar
  - Tratar



## ¿QUÉ ES UN ENSAYO CLÍNICO?

- Ensayos clínicos forman parte de lo que son estudios de investigación médica
- También hay:
  - Estudios epidemiológicos
  - Estudios observacionales
  - Estudios descriptivos
  - Estudios retrospectivos

## ¿POR QUÉ UN ENSAYO CLÍNICO?

- Gran parte de ensayos clínicos se planean después de que haya información pre-clínica relacionada a un nuevo tratamiento
- Bastantes medicinas nuevas se desarrollan en un laboratorio
  - Se desenlazan en células y animales
- Los tratamientos prometedores se estudian en ensayos clínicos



## DISEÑO DE UN ENSAYO

- Un ensayo clínico siempre se diseña para:
  1. Proteger a la persona participando
  2. Dar la mejor cantidad de información posible sobre los riesgos y beneficios de un tratamiento
- Cada ensayo clínico sigue un protocolo:
  - Quién puede participar
  - Detalles sobre análisis, dosis de medicinas
  - Cuanto va durar un ensayo



## REVISION DE BIOÉTICAS

- Cada estudio que investiga una neuva medicina tiene que ser aprobado por el “Institucional Review Board”
  - Este es un comité independiente que se encarga de supervisar el ensayo clínico para proteger a los participantes
  - Miembros del comité normalmente son estadísticos, médicos, y personas de la comunidad
  - Antes de participar, una persona debe asegurarse de que un ensayo haya sido revisado por el IRB



## CONSENTIMIENTO INFORMADO

- Consentimiento informado es el proceso de explicar y entregar toda la información relevante al participante antes de participar en el ensayo
- Consentimiento en un proceso continuo
- Servicios de traducción a otros idiomas normalmente están disponibles al participante



## CONSENTIMIENTO INFORMADO

- Se le da a todos los participantes un documento que provee información detallada sobre el ensayo clínico
  - Este documento NO es un contrato!
  - Si una persona quiere abandonar el ensayo en cualquier momento no hay ninguna obligación al director o al centro de medicina
  - Si un participante deja el estudio/ensayo jamás se le negaría tratamiento médico aparte



## PARTICIPANTES

- Participantes en un ensayo clínico son voluntarios que se prestaron para tratar un tratamiento nuevo
- Pueden ser personas completamente saludables o pueden tener una enfermedad
  - Cada ensayo determina el tipo de personas que se buscan como participantes



## CLASES DE ENSAYOS

- Historia natural de una enfermedad: como progresa una enfermedad
- Prevención: prevenir una enfermedad en una persona que jamás la haya tenido
- Diagnóstico: buscar la mejor manera de diagnosticar una enfermedad
- Detección: como detectar ciertas condiciones
- Tratamiento: como mejor tratar una enfermedad
- Calidad de vida: como mejorar la calidad de vida de personas con enfermedades crónicas



## FASES DE UN ENSAYO

- Fase I: un ensayo pequeño de solo 20-50. Es un ensayo donde se estudia un nuevo tratamiento por primera vez
- Fase II: Incluye 100-300 participantes. Aquí se empieza a buscar una dosis eficaz y tolerable
- Fase III: Incluye 1000-3000. Se tienen que completar varios ensayos de fase III antes de lanzar un nuevo tratamiento al mercado.
- Fase IV: El FDA monitorea un tratamiento nuevo después que se haya lanzado al mercado



## ENSAYO DE TRATAMIENTO

- Placebo: un tratamiento inactivo que se parece al tratamiento
  - No siempre se usa
  - Es una manera rápida de saber si un nuevo tratamiento es eficaz
- Hay un proceso de autorización que trata de hacer que los grupos de participantes sean lo más similares posibles
- Ensayos de tratamiento son frecuentemente “cegados”
  - El participante solamente, o el participante y el médico no saben si se esta recibiendo el tratamiento o placebo



## BENEFICIOS DE PARTICIPAR

- Ayudar a los demás
- Acceso a nuevos tratamientos
- Recibir atención médica regularmente



## RIESGOS DE PARTICIPAR

- Puede haber efectos secundarios serios
- Participación en un ensayo clínico puede ser mucho más complicado que solo ir al médico





## ALGUNAS PREGUNTAS PARA SU MÉDICO

- ¿Por que han lanzado este ensayo?
- ¿ Quien ha revisado el protocolo?
- ¿ Ha sido aprobado por el IRB?
- ¿ Cómo esta protegido el participante?
- ¿ Cuánto tiempo dura el ensayo?
- ¿ Cuáles son mis responsabilidades?
- ¿ Cuáles son los riesgos y beneficios?
- ¿ Quién estará a cargo de mis cuidados médicos?
- ¿ Cómo me afectará el ensayo día a día?
- ¿Cuál es el costo?



MITOS



“Hay suficientes voluntarios, yo no tengo que prestarme como voluntaria.”



“Mi enfermedad está demasiado avanzada para participar.”



“Si participo no voy a tener un alto cuidado médico.”



“Si participo me darán placebo.”



“No hay ningún ensayo cerca de mi.”



“Participación requiere pruebas médicas dolorosas e invasivas.”





“Cuesta demasiado participar en un ensayo.”



“Ensayos clínicos no son seguros, y pondrían en  
juego mi salud.”



“No puedo dejar de participar en un ensayo clínico  
sin arriesgar mi salud.”



## RECURSOS

- NIH:<http://www.nih.gov/health/clinicaltrials/index.htm>
- NIAMS:[http://www.niams.nih.gov/Research/Studies\\_Seeking\\_Patients/whatis.asp](http://www.niams.nih.gov/Research/Studies_Seeking_Patients/whatis.asp)
- NMOI:<http://www.niams.nih.gov/Multicultural/default.asp>

