



LUPUS Y ENSAYOS CLÍNICOS: MITOS Y REALIDADES

Irene Blanco, MD

¿Qué es el Lupus?

- Enfermedad autoinmuneológica:
 - 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 descendencia Africana o Hispana tienden a tener peor 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 Trombocitopénica

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 nueva medicina tiene que ser aprobado por el "Institutional 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 negará 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 está 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 mí."

"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
- NMOI:<http://www.niams.nih.gov/Multicultural/default.asp>
