

**[Diapositiva 1 - Bienvenida y presentaciones]**

**Moderador**

Buen día y bienvenidos a la presentación de **¿Ensayos clínicos o tratamiento estándar? Opciones para el cáncer de la sangre**, un programa educativo ofrecido por teléfono e Internet. En nombre de la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma, les damos una calurosa bienvenida a todos. Gracias especialmente al Dr. John P. Leonard por compartir su tiempo y conocimientos con nosotros el día de hoy.

También queremos reconocer y agradecer a Genentech y Biogen Idec, Onyx Pharmaceuticals, una empresa filial de Amgen, y Takeda Oncology por apoyar este programa.

**[Diapositiva 2 – John P. Leonard, MD]**

Me complace presentar ahora al Dr. John P. Leonard, Decano Asociado de Investigación Clínica en Weill Cornell Medical College de la ciudad de Nueva York. En nombre de la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma, gracias por ofrecer su tiempo y sus conocimientos como voluntario. Dr. Leonard, ahora tengo el agrado de dejar el programa en sus manos.

**PRESENTACIÓN**

**John P. Leonard, MD**

Bien, muchas gracias. Es un placer estar aquí hoy y me gustaría agradecer a todos los miembros de la audiencia. Disfruto de los programas de esta naturaleza y, con suerte, podemos hacer de este un programa útil y educativo para todos. También me gustaría agradecer a la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma por apoyar este programa y por todo lo que hace para apoyar a los pacientes y a la investigación dirigida a curar estas difíciles enfermedades que muchos de nosotros enfrentamos. Así que, gracias por eso y me gustaría animar a la audiencia a obtener más información sobre la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma y a hacer todo lo posible para informarse sobre su misión y sobre lo que ustedes pueden hacer para promoverla.

Ahora vamos a pasar directamente a nuestro programa, cuya segunda parte incluirá preguntas de la audiencia. En primer lugar, tenemos una presentación que trata de algunos de los aspectos relacionados con la decisión entre la opción de participar en un ensayo clínico o de recibir la terapia estándar. Ambas opciones forman parte del programa de tratamiento de muchos pacientes.

**[Diapositiva 3 – Divulgación]**

Entonces, me gustaría destacar un poco una divulgación profesional. He asesorado a algunas compañías en cuanto al diseño de ensayos clínicos en diferentes situaciones, con el fin de promover el acceso de los pacientes a los medicamentos.

**[Diapositiva 4 – Cómo se desarrolla un medicamento para el cáncer de la sangre]**

Vamos a hablar sobre varios aspectos del desarrollo de medicamentos para los tipos de cáncer de la sangre y sobre las terapias nuevas para estas enfermedades, y además hablaremos de los diferentes tipos de ensayos clínicos y estudios clínicos en los que los pacientes tienen acceso a estos medicamentos y tratamientos. Hay un proceso muy extenso que tiene lugar mientras se desarrollan los medicamentos y tratamientos. Normalmente, un medicamento nuevo se inicia en el laboratorio. Hay investigadores, por lo general en los centros académicos, que están investigando las

## TRANSCRIPCIÓN

enfermedades y están tratando de entender por qué se presentan los diferentes tipos de cáncer, qué los hace resistentes al tratamiento y las diferentes formas en las que podemos atacar estas células tumorales usando nuestra comprensión de novedosas vías biológicas, y en el curso de todo esto, pueden desarrollar medicamentos o compuestos que parecen tener efecto contra las células tumorales.

Una vez que un compuesto se caracteriza por tener un posible efecto contra las células tumorales, hay un proceso muy extenso para que la sustancia química se convierta en un medicamento. Esto implica convertirla en una formulación adecuada que pueda formar parte de una solución intravenosa o una píldora, así como aspectos relacionados con la fabricación, el entendimiento de la dosificación y el horario de administración del medicamento. Luego, el proceso tiende a progresar a los estudios en animales, en los que obtenemos información sobre los efectos secundarios de los medicamentos nuevos, así como sobre la eficacia de los mismos en ciertos sistemas modelo que se usan para representar la enfermedad a tratar.

Después de esto, normalmente los medicamentos atraviesan varias fases diferentes de desarrollo. Existen distintos tipos de ensayos clínicos, de los que hablaremos en unos minutos, que van desde los estudios de fase I a los de fase II, fase III y, a menudo, fase IV. Así que, este proceso toma mucho tiempo, y creo que es muy frustrante en cierto modo porque lleva mucho tiempo lograr avances con los medicamentos nuevos. Pero, también es reconfortante saber que en el momento en que un nuevo medicamento llega al paciente, y se ofrece al paciente la opción de participar en un ensayo clínico, ya se ha estudiado y caracterizado mucho ese medicamento. Así que, con cada paso hacia adelante, aprendemos más sobre qué esperar, y creo que los pacientes pueden tener más y más confianza en qué esperar de un régimen de tratamiento.

### **[Diapositiva 5 – Desarrollo de medicamentos para el cáncer de la sangre: desafíos únicos]**

Como todos ustedes saben, existen muchos tipos distintos de cáncer de la sangre. A veces es todo un desafío desarrollar medicamentos nuevos porque, en ciertas situaciones, como en los linfomas de baja malignidad y en la leucemia linfocítica crónica, el enfoque del tratamiento puede ser simplemente observar la enfermedad sin administrar ningún tipo de terapia, si el paciente se siente bien y sano. Mientras que en ciertos tipos de leucemia, linfoma y mieloma, es posible que realicemos un trasplante de células madre o de médula ósea. Además, existe una enorme variedad de tratamientos disponibles como parte de los tratamientos estándar. De modo que tratar de mejorar esos tratamientos es muy difícil desde el punto de vista de que hay muchas cosas para comparar y muchas cosas que intentar mejorar. Pero, obviamente, necesitamos tratamientos nuevos para aumentar la tasa de curación de estos trastornos, para hacer que la gente viva más tiempo y para darles mejores opciones cuando otros tratamientos no dan resultado, así como para desarrollar terapias que tienen menos efectos secundarios.

Cuando se trata de un cáncer de la sangre, tenemos que trabajar juntos. Los ensayos clínicos a menudo exigen la participación de muchos pacientes y, aunque algunos estudios se realizan en un solo centro o sólo en unos pocos centros, se llevan a cabo muchos estudios diferentes porque requieren la participación de un número mayor de pacientes y porque hay interés en la participación por todo el país o el mundo.

Otra cosa que puede ser un desafío es que muchas enfermedades tienen tratamientos que funcionan razonablemente bien. Los tratamientos tal vez no nos permitan lograr todo lo que

## TRANSCRIPCIÓN

queremos. A menudo son menos eficaces de lo que queremos pero, ciertamente, en la mayoría de los tipos de cáncer de la sangre, existe al menos un tratamiento que tiene alguna eficacia, así que no queremos necesariamente desecharlos. Nosotros queremos mejorarlos de una manera o de otra, así que necesitamos diseñar nuestros estudios cuidadosamente.

También es importante saber que, obviamente, esto lleva mucho tiempo, demanda muchos recursos y es un proceso bastante caro. Parte de la financiación proviene de los Institutos Nacionales de la Salud y del Instituto Nacional del Cáncer, y parte de fundaciones como la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma y otras. Pero, gran parte proviene de compañías industriales, farmacéuticas y biotecnológicas que se dedican al desarrollo de terapias nuevas. Así que, en realidad, hay muchos participantes en este proceso.

### **[Diapositiva 6 – Ensayos de fase I]**

Ahora, hablemos de las fases de los ensayos clínicos empezando con los de fase I. Estos son estudios que involucran un medicamento que ha sido desarrollado, que ha sido caracterizado en animales, que ha sido formulado de una manera que se puede predecir que será manejable y adecuado en cuanto a su capacidad de atacar el blanco del medicamento.

Normalmente los ensayos de fase I se realizan en un momento relativamente temprano en el desarrollo del medicamento, en cuanto a que los pacientes se cuentan entre los primeros seres humanos en recibir el medicamento. He estado en situaciones en que hemos administrado un medicamento nuevo al primer paciente del mundo en recibirlo. Por otro lado, en algunos ensayos de fase I, pueden participar cientos o miles de pacientes que ya han recibido el medicamento. A pesar de ser un ensayo de fase I, se está administrando el medicamento de una manera nueva o diferente, o como parte de una combinación nueva. De modo que, se está cambiando la dosis en esta situación. Obviamente, existe una gran diferencia entre ser la primera persona y ser la milésima persona que recibe un medicamento. Así que, si está pensando en participar en un ensayo clínico, tiene que reunir toda la información que pueda para entender realmente donde encaja esto en su situación y cuáles son los detalles del medicamento y del ensayo, o del régimen de tratamiento que se está estudiando, porque puede existir un amplio rango.

Generalmente, la meta de un ensayo de fase I es definir la dosis adecuada. Principalmente estamos evaluando los efectos secundarios para asegurarnos de que las dosis que empleamos son adecuadas y no producen efectos secundarios excesivos. Generalmente, los ensayos de fase I se realizan en pacientes que han recibido muchos tratamientos previos. A menudo son pequeños, pero es muy importante saber que pueden existir combinaciones. Así que pueden existir estudios más grandes. También es posible que existan combinaciones de un nuevo medicamento con un tratamiento estándar. Hemos participado en ensayos de fase I de este tipo en que los pacientes eran recién diagnosticados. Esos pacientes estaban recibiendo el régimen de tratamiento estándar y una de varias dosis de un medicamento nuevo a fin de comprender el funcionamiento de este medicamento nuevo en combinación con un tratamiento estándar. Así que, una vez más, la clave está en los detalles.

Para cuando un medicamento llega a los pacientes con cáncer de la sangre, generalmente ha sido estudiado en varios seres humanos, así que tenemos más y más información sobre él.

## TRANSCRIPCIÓN

Algo que estamos aprendiendo de los ensayos de fase I es que la mayor dosis tal vez no sea la mejor. Los medicamentos pueden tener un buen efecto incluso cuando se administran en dosis relativamente bajas. Estamos trabajando diligentemente para desarrollar nuevos diseños de ensayos de fase I de tal modo que la meta no es simplemente administrar tanta cantidad del medicamento como sea posible sin enfermar al paciente, sino que usar la dosis que sea adecuada para obtener el efecto biológico contra el tumor en lugar de simplemente evitar la toxicidad.

### [Diapositiva 7 – Ensayos de fase II]

Y ahora tenemos los ensayos de fase II. Los ensayos de fase II, como su nombre implica, constituyen normalmente el siguiente paso. Estos ensayos son muy comunes con los tratamientos para el cáncer, incluso los tipos de cáncer de la sangre. Estos ensayos pueden tener como objetivo analizar diferentes dosis y horarios de administración, pero la situación típica es aquella en la que tenemos alguna información sobre la dosis y los horarios de administración y entonces nos preguntamos: ¿Cómo funciona este medicamento?, ¿qué tan bien funciona este régimen?, ¿funciona en 30 % de las personas?, ¿en 50 % de las personas?, ¿en 90 % de las personas? Normalmente hemos determinado la dosis en un ensayo de fase I y ahora decimos: “Bien, estamos listos para seguir adelante. Continuemos para ver si este régimen nuevo, cuya dosis conocemos, veamos qué tan bien funciona en esta enfermedad, en este contexto”.

Así que, estos estudios tienden a ser un poco más grandes. Generalmente no tienen grupos de comparación. A menudo se administra el tratamiento a todos los pacientes de la misma forma. A veces pueden ser ensayos aleatorizados en los que hay dos dosis diferentes porque ambas parecen ser seguras, pero no estamos seguros de cuál es la mejor. Por eso, hacemos un ensayo aleatorizado en el que los pacientes en el estudio reciben una u otra dosis. Esto nos permite, una vez más, determinar la eficacia de este régimen, así como obtener datos adicionales sobre la toxicidad.

A menudo, los pacientes de estos estudios participan en lo que llamamos estudios correlativos, en los que tal vez se les extraigan muestras de sangre o de tumor para comprobar si el medicamento realmente está atacando el blanco y para averiguar si hay subgrupos de pacientes en los que el medicamento parece funcionar particularmente bien. Así que ese podría ser un componente de algunos de estos estudios.

### [Diapositiva 8 – Ensayos de fase III]

Los ensayos de fase III son generalmente ensayos aleatorizados, y la meta aquí es realmente concentrarse en la medición de la eficacia de un medicamento. La idea es aproximadamente la siguiente: tenemos un régimen o medicamento estándar, o tenemos un régimen o medicamento nuevo, y debemos determinar cuál es mejor. ¿Realmente es mejor la nueva terapia? ¿Deberían cambiarse todos a la nueva terapia o ceñirse a la antigua terapia? Así que estos estudios tienden a ser más grandes, tienden a ser ensayos aleatorizados en los cuales los pacientes ingresan al estudio y obtienen ya sea el tratamiento estándar o el nuevo tratamiento, y nosotros hacemos una comparación.

La meta principal de estos estudios es determinar, una vez más, si el régimen nuevo es mejor que el anterior. Ahora, es muy importante mencionar que los placebos se usan muy rara vez en oncología. Las personas deben saber esto. El uso de placebos es una de las ideas equivocadas más comunes sobre los ensayos clínicos. Su uso es muy poco común. He participado en muchos ensayos clínicos, y el uso de placebo en los ensayos sobre el cáncer es la excepción, porque en la mayoría de las

## TRANSCRIPCIÓN

situaciones no administrar tratamiento o administrar un placebo no sería adecuado. Así que es poco común que se use un placebo, a menos que el tratamiento sea no administrar ningún tratamiento, y esto es poco común, las situaciones en las cuales no administraríamos ningún tratamiento para el cáncer. Normalmente los ensayos aleatorizados o de fase III son estudios en los que se hace una comparación entre el tratamiento estándar y el tratamiento nuevo. Repito, es muy importante que usted entienda lo que le dice su médico, y para seguir adelante, qué es exactamente lo que va a ocurrir en el ensayo clínico particular, para asegurar que la gente sepa lo que está sucediendo durante el ensayo.

### **[Diapositiva 9 – Lecciones aprendidas sobre el cáncer de la sangre mediante los ensayos de fase III]**

Entonces, quiero darles un par de ejemplos de ensayos de fase III porque algunas personas podrían decir que no quieren participar en un ensayo aleatorizado. Que no quieren participar en un ensayo de fase III. O sea, que quieren el tratamiento estándar o el tratamiento nuevo. Hay muchos ejemplos. Muchos de ustedes que padecen del linfoma no Hodgkin están familiarizados con el régimen llamado CHOP (ciclofosfamida, doxorubicina, vincristina y prednisona). El régimen llamado R-CHOP, (rituximab y los medicamentos del CHOP) es una versión más nueva. Allá por los años 70 y 80, existían varios regímenes diferentes: el CHOP, el MACOP-B (metotrexato, doxorubicina, ciclofosfamida, vincristina, prednisona, bleomicina, leucovorina), el m-BACOD (bleomicina, doxorubicina, ciclofosfamida, vincristina, dexametasona, metotrexato, leucovorina), el ProMACE-CytaBOM (ciclofosfamida, doxorubicina, etopósido, citarabina, bleomicina, vincristina, metotrexato, prednisona); probablemente nunca escucharon los nombres de estos regímenes. Sin embargo, en los años 70 y 80 todos pensaban, o mucha gente lo hacía, que esos eran mejores regímenes. Pero, cuando se concluyó el ensayo de fase III, el CHOP siguió siendo el tratamiento estándar y los otros regímenes fueron más tóxicos. De modo que, sin un ensayo aleatorizado, uno nunca sabría con qué seguir adelante.

El régimen de A-B-V-D (adriamicina, bleomicina, vinblastina y dacarbazina) es la terapia estándar para el linfoma de Hodgkin y ha sido estudiada en ensayos aleatorizados.

En los linfomas agresivos, podemos reducir la terapia, administrar menos quimioterapia, y a veces sustituir la radiación. Eso se determinó mediante ensayos aleatorizados. Por lo tanto, casi todos los tratamientos para los tipos de cáncer de la sangre, que ahora constituyen el tratamiento estándar, fueron establecidos como tratamientos estándar a través de ensayos aleatorizados. Es importante tener esto en cuenta.

### **[Diapositiva 10 – Lecciones aprendidas sobre la oncología mediante los ensayos de fase III]**

Por otro lado, y es posible que algunos de ustedes recuerde esto, hace unos 15 ó 20 años aproximadamente, se creía que las dosis altas de quimioterapia y el trasplante de células madre eran indispensables para los pacientes con cáncer de seno de alto riesgo o avanzado. La gente creía que sería poco ético llevar a cabo un ensayo aleatorizado en el que los pacientes no recibirían un trasplante de células madre para el cáncer de seno. Recuerden que me refiero al cáncer de seno. Yo sé que los trasplantes de células madre se realizan en muchos pacientes con un cáncer de la sangre en ciertas situaciones.

Pero, en los años 80 y 90, e incluso más adelante, existían muchas personas que opinaban que esa era la manera de tratar el cáncer de seno. De hecho, finalmente se llevó a cabo un ensayo

## TRANSCRIPCIÓN

aleatorizado, varios ensayos, que demostraron que ese no era el camino a seguir. De modo que, a veces pensamos que conocemos la respuesta, y a veces estamos en lo correcto y el tratamiento nuevo es mejor, pero a veces estamos equivocados y el tratamiento anterior es mejor, o al menos tan bueno como el nuevo. Esa es la razón por la cual debemos realizar estos ensayos aleatorizados en algunos casos, y es importante que las personas participen en ellos. Si se les pide que participen en un ensayo aleatorizado, es porque realmente no conocemos la respuesta. Si conociera la respuesta, no sería correcto que los alentara a participar en un ensayo aleatorizado. Al contrario, planificaría su tratamiento con base en la respuesta. Si realmente no conocemos la respuesta, pero estamos motivados por la idea de que un enfoque nuevo posiblemente podría ser mejor, es ahí cuando queremos realizar un estudio aleatorizado.

### [Diapositiva 11 – R-CHOP para el linfoma difuso de células B grandes]

Y este es otro ejemplo con el que algunos de ustedes que padecen del linfoma de células grandes tal vez estén familiarizados. Se han realizado ensayos aleatorizados para comparar el R-CHOP con el CHOP... la R representa al Rituxan® o rituximab... y esos ensayos demostraron que la adición de rituximab mejoró la respuesta al tratamiento en los pacientes.

Por otro lado, se han realizado estudios sobre el mantenimiento con rituximab en linfomas agresivos, teniendo en cuenta que a veces se puede hacer el mantenimiento en otras situaciones. Pero en el caso del linfoma agresivo, parece ser que el mantenimiento no cumple ninguna función, una vez más, fruto de los ensayos aleatorizados. Por lo tanto, repito que estos son estudios muy importantes. Cuando el médico le dice: “Esto es lo que pensamos que hay que hacer para el tratamiento de su enfermedad”, se debe principalmente a que los ensayos aleatorizados han proporcionado esa información. Por otro lado, algunos de los pacientes que han sido los primeros beneficiarios de los avances terapéuticos nuevos fueron los que participaron en ensayos aleatorizados y, en algunos casos, recibieron estas terapias nuevas antes de que estuvieran ampliamente disponibles. De modo que esto realmente, en algunos casos, puede beneficiar mucho a los pacientes.

### [Diapositiva 12 – Ensayos recientes de fase III sobre el linfoma en Estados Unidos]

Estos son varios ejemplos de ensayos recientes de fase III sobre el linfoma realizados en los Estados Unidos. No voy a hablar en detalle de todos estos estudios; sólo quiero señalar que se han realizado estudios sobre el linfoma de Hodgkin, linfomas agresivos como el linfoma de células grandes y el linfoma folicular. Repito, los ensayos aleatorizados son los que han permitido los avances en ese campo. A veces esos estudios han dado resultados positivos, lo que significa que el nuevo régimen de tratamiento proporciona beneficios, y a veces han dado resultados negativos. En algunos casos, se probó que estábamos equivocados, que la nueva terapia no era necesariamente mejor.

### [Diapositiva 13 – Ensayos de fase IV]

Y ahora, ¿qué podemos decir de los ensayos de fase IV? Generalmente, estos son ensayos posteriores, que se realizan más adelante, después de que se ha aprobado un medicamento. Son estudios a partir de los cuales la FDA (la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos) espera obtener alguna información adicional sobre un medicamento nuevo, tal vez estudiar un medicamento nuevo o un régimen nuevo en diferentes áreas o de una manera diferente. Estos se tratan sobre todo de esfuerzos por lograr avances, pero en algunos casos, los ensayos de fase IV pueden ser muy útiles para los pacientes y también pueden generar avances en este campo de la investigación clínica.

**[Diapositiva 14 – Proyectos de laboratorio correlativos]**

Entonces, existen muchos otros tipos de investigación clínica que no son necesariamente ensayos clínicos. Es posible que su médico le pida que participe, o que usted tenga la oportunidad de participar, en lo que se llama una base de datos clínicos. En este tipo de estudio, le solicitan permiso para recopilar información sobre usted con el fin de aprender de usted y añadir su información de manera confidencial a la de otros pacientes y aprender más sobre la enfermedad. O, para otro tipo de estudio, podrían pedirle permiso para tomar una muestra de su sangre o de su tejido tumoral, de la sangre o de los ganglios linfáticos, por ejemplo, o de su médula ósea, y usarla en el laboratorio para estudiar la enfermedad y al final desarrollar tratamientos nuevos. Pues bien, estos son proyectos muy importantes que se pueden ofrecer a los pacientes, y uno debe pensar seriamente en participar porque esta es otra manera importante de lograr avances en este campo y aprender más sobre estas enfermedades.

**[Diapositiva 15 – ¿Quién realiza los ensayos clínicos?]**

Y entonces, ¿quién realiza los ensayos clínicos? En todo el país, en todo el mundo, muchos estudios son liderados por el Instituto Nacional del Cáncer. Hay una variedad de grupos cooperativos. Yo estoy muy involucrado en el Grupo B de Cáncer y Leucemia, que se llama C-A-L-G-B por sus siglas en inglés, o simplemente la Alianza. Yo soy presidente del grupo de linfoma de esta Alianza. Nosotros colaboramos con otros dos grupos, el Grupo Oncológico del Suroeste o S-W-O-G, por sus siglas en inglés, y el Grupo Oncológico Cooperativo del Este, o E-C-O-G, por sus siglas en inglés. Estos son acrónimos formados por los nombres de grupos nacionales de ensayos clínicos que trabajan juntos para desarrollar terapias nuevas. A menudo, las compañías farmacéuticas también realizan este tipo de estudios, en el que organizan grupos de investigadores y médicos y también pueden participar centros académicos, facultades universitarias de medicina y hospitales individuales, y a veces incluso consultorios comunitarios también participan en los ensayos clínicos.

De manera que hay muchas oportunidades diferentes. No necesariamente tiene que ir a una gran ciudad. No necesariamente tiene que ir a un hospital académico grande. De verdad podría decir que todas las personas que trabajan en este campo y a las que yo considero expertos en cáncer de la sangre, esas personas normalmente están realizando ensayos. Así que, si está consultando con un experto en cáncer de la sangre, cuando necesite tratamiento, debería preguntarle sobre los ensayos clínicos. Si su médico no está realizando ningún ensayo clínico, puede que le convenga pensar en incluir en su equipo de atención médica a alguien que está llevando a cabo ensayos clínicos, ya que estas son las personas que tienden a ser activas en el campo, que piensan e interactúan con diferentes grupos sobre tratamientos nuevos.

**[Diapositiva 16 – Ventajas de la investigación]**

Entonces, ¿cuáles son las ventajas de participar? Si usted es un paciente, ¿por qué querría hacer esto? Pues bien, esta puede ser una manera de obtener tratamientos nuevos. Tal vez usted no esté satisfecho con los tratamientos antiguos. Tenemos muchos tratamientos buenos pero queremos mejorarlos, y esta podría ser una manera de conseguir algo posiblemente nuevo, diferente, posiblemente algo mejorado. A menudo, el paciente obtiene atención médica de vanguardia porque está consultando con expertos en la enfermedad. Estas son personas que están realizando ensayos clínicos y tienden a estar bien informados al respecto. Por lo general utilizamos procedimientos estandarizados en la estadificación y el seguimiento médico de los pacientes, por lo que tendemos a hacer las cosas de una manera muy organizada. Existe un enfoque de equipo. Hay muchos

## TRANSCRIPCIÓN

participantes diferentes, muchas personas cuidándolo, los expertos tras el estudio, tras el ensayo clínico. El estudio ha sido revisado por muchos, muchos médicos y otros profesionales, así que ellos están involucrados en su régimen de tratamiento, al menos indirectamente. Y por eso, usted puede estar seguro de que lo que recibe es algo que ha sido aprobado por muchas personas, que posiblemente tenga mucha más supervisión que la que obtiene con la atención médica estándar, ya que con el tratamiento estándar, es principalmente su equipo de tratamiento local, su médico, enfermero, etcétera, el que le administra el tratamiento.

Esto es algo que podría resultar útil a la sociedad. Pero, obviamente, usted y la mayoría de los pacientes también quieren ayudarse a sí mismos, y es importante reconocer que hay oportunidades para ayudarse a través de la investigación clínica y los ensayos clínicos, pero es importante que entienda el motivo, las metas. También debería tener en cuenta que si decide cambiar de opinión, usted puede hacerlo en cualquier momento. Y debe saber que tiene derecho a conocer los resultados. Así que cuando termine el estudio, usted puede averiguar cómo ha ido todo. A medida que se desarrolla el estudio y se obtiene información nueva, se le tiene que informar a usted.

### **[Diapositiva 17 – Mitos sobre la investigación clínica]**

Existen mitos sobre la investigación clínica. Creo que hemos hablado un poco de esto. Usted puede participar en cualquier parte del país. No necesariamente tiene que estar en un centro académico grande. Normalmente no hay placebos, como mencioné antes. La investigación clínica no necesariamente aumenta el costo de la atención médica. La mayoría de las veces no lo hace. A veces puede ser más barata porque usted recibe medicamentos que se le suministran como parte del ensayo, pero a veces ese no es el caso. Por eso, realmente debe saber cuál será el costo para usted, si será más o menos caro y cuánto lo va a afectar.

También es importante reconocer que no todos los tratamientos son gratis porque, como parte de la atención médica, usted será responsable de todo aquello de lo que sería responsable como parte de la atención médica habitual para su afección. Así que, repito, el costo generalmente no es un gran problema para las personas, pero es algo que debe entender y asegurarse de haber recibido respuestas a sus preguntas.

### **[Diapositiva 18 – Ensayos clínicos sobre el cáncer]**

Es muy importante que las personas consideren participar en los ensayos clínicos. Solamente un pequeño porcentaje de los pacientes en todo el país participan en los ensayos clínicos y, en mi opinión, eso es realmente una tragedia. Creo que participan poquísimos pacientes. Creo que es fantástico que estén escuchando esta presentación y participando en la llamada para aprender más al respecto, y espero que aprendan más sobre los ensayos clínicos y que, si necesitan tratamiento, hablen con su médico sobre esto y busquen más información. Es posible que se informen al respecto y aun así decidan no participar en un ensayo clínico, lo cual está bien. Pero por lo menos deberían estar informados.

Así que, necesitamos que participen más pacientes. Los pacientes están perdiendo beneficios. La baja participación da como resultado un progreso lento y el retraso del desarrollo de tratamientos nuevos y mejores, especialmente para pacientes mayores. Aún puede participar si es un paciente mayor. Yo he tratado algunos pacientes con edades entre 80 y 90 en ensayos clínicos. De manera que ser mayor no necesariamente lo excluye, asumiendo, otra vez, que el ensayo es algo que le interesa y que es adecuado para usted.



**[Diapositiva 19 – ¿Por qué no se inscriben los pacientes en los ensayos clínicos?]**

¿Porque no se inscriben los pacientes? Bien, a menudo no están enterados de los ensayos. Les da miedo la naturaleza del tratamiento. Tal vez piensan, pues, eso es sólo para las personas que están en la etapa avanzada del curso de la enfermedad. Pero, de hecho, muchos de los ensayos están disponibles y son adecuados para las personas que están en las primeras etapas del curso de la enfermedad. Tal vez los pacientes tengan miedo. Los pacientes tienen otros problemas médicos. Parece complicado. La logística puede ser un desafío, la distancia que el paciente necesita viajar para recibir el tratamiento, o los ensayos pueden consumir mucho tiempo del médico. Lleva algún tiempo explicar a los pacientes y gestionar el ensayo clínico y obtener el apoyo necesario. Así que hay muchas razones y creo que debemos seguir trabajando diligentemente para superar estas barreras.

**[Diapositiva 20 – La baja participación en los ensayos clínicos sobre el cáncer ocasiona la muerte innecesaria de pacientes]**

Voy a darles un ejemplo de un ensayo nacional que fue realizado varios años atrás en el que se comparó el CHOP con el R-CHOP. Y también he hablado un poco de esto antes. Este fue un ensayo con 600 pacientes. Llevó tres años completar este estudio. Si hubiéramos completado este estudio un año antes, lo que básicamente hubiera significado que participaran 100 personas más por año en todo el país, lo cual constituye solo 1 ó 2 pacientes más por cada centro participante... lo que pasó debido a eso es que básicamente murieron alrededor de 4,000 pacientes debido al año adicional que tomó el estudio. Ese año adicional con sólo unos pocos pacientes más ingresando al estudio por año, nos tomó un año más sacar las conclusiones del estudio, un año más para desarrollar una nueva terapia y alrededor de 4,000 pacientes, en este ejemplo en particular, perdieron la oportunidad de curarse debido a que nos llevó un año más completar el estudio. Así que esta es una cuestión importante. Es un gran problema y tenemos que trabajar todos juntos para resolverlo.

**[Diapositiva 21 – ¿Un ensayo clínico es adecuado para usted?]**

Así que surge la pregunta, ¿un ensayo clínico es adecuado para usted? Debe preguntarle a su médico sobre los ensayos clínicos. Tal vez ellos mismos participan en ellos. Si no, pueden enviarlo a consultar con alguien o recomendarle fuentes de información, o remitirlo a otros centros y otros lugares en donde puede obtener información. La mayoría de los centros, o de los médicos que son expertos en cáncer de la sangre, llevan a cabo ensayos clínicos o están muy familiarizados con ellos. Usted puede pedir información y ayuda a la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma u otras organizaciones. Hay información disponible por Internet. A veces las compañías, si tienen un medicamento nuevo interesante del cual usted haya oído, pueden orientarlo sobre cómo obtener información. Yo recomendaría que en cada situación en la cual se encuentre, que al menos considere un ensayo clínico ya sea que tenga un diagnóstico reciente o haya tenido la enfermedad por algún tiempo, o que haya tenido muchos tratamientos y se le estén acabando las opciones. Para todas estas situaciones, existen ensayos clínicos de los cuales debería enterarse y al menos considerar si eso podría ser adecuado para usted.

Y con eso termino mi presentación y les agradezco la atención. Ahora quedo a la espera de la siguiente parte de nuestro programa en la que hablaremos un poco más sobre algunos de estos temas en detalle. Gracias.

**[Diapositiva 22 - Sesión de preguntas y respuestas]**

**Moderador**

Gracias, Dr. Leonard, por su presentación tan clara e informativa. Es hora de la sesión de preguntas y respuestas de nuestro programa.

Dr. Leonard, tomaremos la primera pregunta de las personas que nos escuchan por Internet. Jacqueline pregunta: “Una vez que se completa el ensayo, ¿cuánto tiempo lleva que un tratamiento nuevo esté disponible al público? ¿Los pacientes que participaron en el ensayo pueden seguir con el tratamiento antes de que el medicamento esté disponible al público?”

**John P. Leonard, MD**

Esas son muy buenas preguntas. Voy a responder primero a la segunda pregunta. La pregunta se refiere a que, si usted está participando en un ensayo clínico, está tomando un medicamento nuevo y el ensayo termina, ¿puede seguir con el tratamiento? Es difícil generalizar. Yo diría que, en la mayoría de los casos, si usted está tomando el medicamento, existe una manera de que siga tomándolo si está recibiendo beneficios del mismo. No está garantizado, pero en la gran mayoría de los casos, todos están interesados en que el tratamiento funcione bien, que tenga eficacia. Todas las personas involucradas quieren que siga tomándolo porque es bueno para usted y porque es bueno para todos los que están intentando entender cuán bien funciona ese medicamento y por cuánto tiempo.

La disponibilidad de los tratamientos nuevos después del ensayo clínico realmente depende de la naturaleza del medicamento. Si se trata de un medicamento que ya está disponible, por ejemplo para un tipo de leucemia, linfoma o mieloma, y entonces se realiza un ensayo que demuestra que ese medicamento es útil para otro o un nuevo tipo o para un tipo diferente de enfermedad, entonces es posible que ese medicamento ya esté aprobado y disponible, y a menudo las personas pueden usarlo de una forma relativamente rápida. Por otro lado, si es un medicamento completamente nuevo que aún no ha sido aprobado por la FDA, pero un ensayo demostró que es beneficioso, entonces generalmente toma un poco más de tiempo porque se tiene que aprobar el medicamento nuevo y ponerlo a disposición del público. Se tiene que hacer una revisión de ese medicamento para asegurar que reúne todos los requisitos para ser ahora un medicamento aprobado.

Una vez que sabemos que el ensayo fue positivo y funcionó, que el medicamento tiene eficacia, entonces el proceso generalmente avanza bastante rápido porque, una vez más, todos están entusiasmados y reconocen que existen beneficios. Pero puede llevar varios meses después de que se complete el ensayo hasta que el tratamiento nuevo esté disponible si, repito, es un medicamento nuevo que no ha sido aprobado anteriormente.

**Moderador**

Tomaremos la siguiente pregunta de las personas que nos escuchan por teléfono. Paul pregunta: “En cualquiera de las dos opciones, ya sea tratamiento estándar o un ensayo clínico, ¿es necesario que el formulario de consentimiento mencione el medicamento específico que se usará, o es suficiente mencionar solamente un término general como quimioterapia?”

**John P. Leonard, MD**

Los formularios de consentimiento son documentos muy complejos elaborados para los ensayos clínicos y, de hecho, se está desarrollando mucha investigación para tratar de hacerlos más claros y

## TRANSCRIPCIÓN

transparentes para las personas. Antes de que se inicie y se ponga en marcha un ensayo clínico, muchos grupos diferentes lo revisan, a menudo la FDA, a menudo diferentes grupos de revisión científica. Además, cada institución o conjunto de instituciones tiene lo que se llama una Junta de Revisión Institucional que examina la ética del ensayo clínico y se asegura de que su contenido es adecuado y razonable. La junta también se asegura de que todos los requisitos éticos para proteger a los seres humanos... y yo debería decir pacientes... para protegerlos de cualquier cosa que pudiera ir mal, que todas las garantías estén en orden y es importante que se siga de esa manera.

El formulario de consentimiento, o el proceso de consentimiento, forma parte de eso y es muy importante, si va a participar en un ensayo clínico, que entienda lo que le espera, porque a menudo, es mucho más complicado pasar por todo lo que sucede en un ensayo clínico que en un tratamiento estándar. En el tratamiento estándar, el médico puede simplemente tener una breve conversación con usted, usted tal vez se reúna con el enfermero o asistente médico, y luego ya puede seguir adelante y empezar el tratamiento. Algunas instituciones o centros tienen formularios de consentimiento escritos para acceder al tratamiento para el cáncer. Pero, para un ensayo clínico, hay un documento más detallado y una conversación más detallada en la cual le dicen: “Esta es su situación; estos son los tratamientos estándar; esta es nuestra propuesta; esta es la razón por la cual vamos a hacer esto; estos son los procedimientos, técnicas y supervisión necesarios; estos son los efectos secundarios que sabemos que se presentan; estas son las expectativas de participar en el estudio; estas son las alternativas si no quiere participar en el estudio”.

Así que, con respecto a describir esas alternativas y las otras opciones, el formulario de consentimiento sobre qué tratamiento se usará en ese ensayo es generalmente muy, muy específico. Si es un ensayo aleatorizado y usted puede recibir el tratamiento A o B, hay una explicación detallada de los medicamentos del tratamiento A, así como los del tratamiento B. Eso es algo que se ha revisado de manera que usted pueda entenderlo y que sea honesto y muy claro, de modo que usted pueda tener el panorama completo de lo que involucra el estudio.

Así que las personas pueden sentirse seguras al respecto. También es muy importante que no decida participar en un ensayo clínico por capricho. Debe asegurarse de que han contestado todas sus preguntas, de que ha tenido tiempo para leer el formulario de consentimiento, de que asiste a una reunión con las personas involucradas en el estudio en la que ellas revisan el estudio con usted, responden a sus preguntas y se aseguran de dejarlo todo claro para usted.

### **Moderador**

La siguiente pregunta nos llega por Internet. Elizabeth pregunta: “¿Hay algún sitio fácil de acceder en el que pueda averiguar qué ensayos clínicos están disponibles en el área del país en la que vivo?”

### **John P. Leonard, MD**

Hay varios sitios diferentes a los que puede ir. El sitio nacional grande se llama [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov) y hay un enlace a este sitio web en una de mis diapositivas. La dirección del sitio web se incluye allí. Ese no es siempre el sistema más fácil de explorar porque tiene que ingresar su diagnóstico y quizás algunos detalles sobre su enfermedad, y es posible que encuentre varios lugares por los cuales resulta un poco difícil navegar, pero es un sitio en el cual, con un poco de perseverancia, puede obtener información. Es un listado muy, muy completo de los ensayos clínicos. Pero en este momento está solamente en inglés.

## TRANSCRIPCIÓN

Quiero mencionar otra vez que puede comunicarse con la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma y otras organizaciones que pueden brindarle más información y orientarlo hacia el camino correcto. El Instituto Nacional del Cáncer también tiene otros sitios web en los que puede obtener información; diferentes compañías farmacéuticas ofrecen información y también algunos de los hospitales y centros médicos académicos grandes. En Cornell tenemos un sitio web con un listado de nuestros ensayos clínicos. En muchos centros, lo más fácil es enviar un correo electrónico o llamar a uno de los médicos del equipo del estudio, cuya información normalmente puede encontrarse en un sitio web, y tener una conversación con uno de ellos. Nosotros hacemos eso todo el tiempo, nos ponemos en contacto con alguien por teléfono y le preguntamos: “¿Con qué está lidiando? ¿En qué está interesado? Bien, estos son algunos de los estudios que tenemos en nuestro centro, así como otros que podrían estar disponibles en otros lugares”. Yo diría que la mayoría de los centros tienen eso, pero hay que hablarles. Y, una vez más, la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma también tiene recursos en inglés y en español para guiarlo en la dirección correcta y tratar de dirigirlo para que obtenga la mejor información posible.

### **Moderador**

Sí, Dr. Leonard, y también quiero mencionar que nuestros Especialistas en Información en nuestro Centro de Recursos Informativos pueden realizar búsquedas personalizadas de ensayos clínicos para usted, específicamente para su tipo particular de cáncer de la sangre. Puede comunicarse con ellos llamando al 1-800-955-4572 o enviando un correo electrónico a “infocenter@LLS.org”, esto es i-n-f-o-c-e-n-t-e-r, entonces el símbolo de arroba, entonces las letras L-L-S, seguido por un punto, y entonces las letras o-r-g. Están disponibles de 9 a. m. a 9 p. m., hora del Este. Algunos de los Especialistas en Información hablan español, y se ofrecen servicios de interpretación. Simplemente pida hablar con alguien en español.

Tomaremos la siguiente pregunta de la audiencia por teléfono. Deb pregunta: “He usado Revlimid® y me han cambiado a talidomida. Ahora uso dexametasona. Han reducido la dosis a la mitad, la tomo un día a la semana en una sola dosis. ¿Cuál es su opinión al respecto? He leído que a veces se administra a lo largo del ciclo de 28 días de la talidomida. Además, los efectos secundarios son diferentes que los de Revlimid. Sin embargo, también son difíciles. ¿Qué comentario puede hacer al respecto?”

### **John P. Leonard, MD**

Pues, no puedo ofrecer un comentario específico sobre su situación particular, o de la de ninguna otra persona, sin conocer todos los detalles. Existen muchos tratamientos diferentes para muchos de los tipos de cáncer de la sangre. Se usan varios regímenes de dosis. Algunos de los ensayos clínicos importantes que hemos completado han establecido la mejor dosis, o quizás han identificado un régimen de dosis que es un poco más fuerte y que podría ser más eficaz, compensando así por estar más asociado a efectos secundarios, cuando se compara con otro régimen. Por tanto, ese es un aspecto importante de los ensayos clínicos, que realmente nos brindan información sobre si podemos ajustar las dosis, cuál es la mejor manera de ajustar las dosis y combinar diferentes medicamentos.

Así que, en su situación específica yo hablaría con su médico al respecto para saber las opciones disponibles. Supongo que su médico la dirigirá a los resultados de muchos ensayos clínicos que han sido publicados, que brindan información sobre esa situación y cómo analizar los pros y contras de hacer las cosas de una manera o de otra.

**Moderador**

Tomaremos la siguiente pregunta de la audiencia por Internet. Dee pregunta: “Si los médicos observan que un ensayo tiene éxito, ¿puede ingresar un paciente que lo necesita a un ensayo que ya ha empezado?”

**John P. Leonard, MD**

Normalmente los ensayos están abiertos por un periodo de tiempo definido, para un número definido de pacientes. Es decir, cuando el ensayo está diseñado, uno puede estimar que necesitará 20 o 200 pacientes, o cualquier otro número. Nuestro principal problema, como dije hacia el final de la presentación, es que, como muchos pacientes no participan, normalmente estamos atrasados y avanzando lentamente. Así que, solemos tener un número razonable de oportunidades, y las cosas se mueven un poco más despacio de lo que nos gustaría debido a las diferentes barreras, desafíos, falta de concienciación, etcétera.

La mayoría de los ensayos clínicos están abiertos por un periodo de tiempo. Existen algunos estudios en los que el medicamento es muy atractivo y prometedor, y mucha gente quiere participar debido a que los primeros informes sobre el medicamento son alentadores. Por eso, estos estudios tal vez no estén abiertos por un periodo de tiempo largo, pero en esos casos, eso normalmente se debe a que el medicamento es eficaz y las personas están entusiasmadas con él. Por lo general, poco tiempo después hay oportunidades de acceder al medicamento a través de compañías y una variedad de programas de acceso ampliado, y otras cosas que pueden hacer que un medicamento esté disponible mientras esperamos a ver los resultados del ensayo.

**Moderador**

Gracias, y la siguiente pregunta viene de la audiencia por teléfono. William pregunta: “¿Hay muchos estudios sobre los síndromes mielodisplásicos?”

**John P. Leonard, MD**

Gracias, William, por su pregunta. Los síndromes mielodisplásicos constituyen un trastorno de la médula ósea que pertenece a la familia de algunos tipos de leucemia. No es necesariamente una leucemia, pero a menudo los médicos los tratan de manera similar y con algunos de los mismos medicamentos que se usan para la leucemia, a pesar de ser algo muy diferente.

Sí, hay varios ensayos clínicos distintos. Existen ciertos medicamentos que han sido aprobados para los síndromes mielodisplásicos. Hay medicamentos que pueden beneficiar a este grupo de pacientes; sí, existen varios ensayos clínicos diferentes en esa área y lo aliento a obtener más información sobre ellos si está interesado y lidiando con esa situación.

**Moderador**

Gracias, y tomaremos la siguiente pregunta de las que nos vienen por Internet. Kathryn pregunta: “¿Existe la posibilidad de que, por participar en un ensayo clínico, una persona no podría participar en un ensayo posterior?”

**John P. Leonard, MD**

Los ensayos clínicos tienen requisitos de participación y, obviamente, uno debería tener la enfermedad o la afección médica que se está estudiando. Algunos ensayos clínicos están dirigidos a

## TRANSCRIPCIÓN

ciertos grupos de pacientes por alguna razón. Pueden estar limitados a pacientes recién diagnosticados que nunca han recibido ningún tratamiento. Pueden estar limitados a pacientes que han tenido uno o varios tratamientos previos. Pueden estar limitados a pacientes que han tenido o no han tenido un determinado tratamiento previo. Si la meta del ensayo es determinar si un medicamento da resultado en personas que ya han recibido el tratamiento A sin obtener el resultado esperado, para saber si el tratamiento B da resultado en estas personas, entonces, sería un requisito que hubiera recibido el tratamiento A para participar en el ensayo.

Por otro lado, si la meta es comparar el tratamiento A con el B, y es un ensayo aleatorizado, y usted ya ha recibido el tratamiento A, probablemente no quiera o podría no querer participar en ese ensayo porque una parte de participar en ese ensayo implica obtener un tratamiento que usted ya recibió. De modo que, en esa situación, se lo excluiría si ya recibió el tratamiento A.

Así que depende de las metas del ensayo, y a veces los ensayos tienen restricciones de edad, aunque normalmente no sea así, o a veces restricciones relacionadas con algunas otras afecciones médicas. Si un medicamento tuvo efectos secundarios que afectan al corazón, es posible que se excluya a las personas que han tenido problemas cardíacos o renales, o es posible que existan restricciones en cuanto a los conteos de células sanguíneas o a la función renal, por ejemplo, debido a la naturaleza del funcionamiento del medicamento y sus efectos secundarios previstos, de manera que es posible que no sea adecuado que ciertos pacientes participen.

En general, existen algunos requisitos de participación que tal vez sean de alguna manera restrictivos o mínimamente restrictivos en cuanto a quién puede participar. Es bastante raro ser excluido de un ensayo por haber recibido un tratamiento previo. Pero algunos ensayos pueden estar dirigidos a pacientes recién diagnosticados y, si usted ya ha recibido tratamiento, no sería un paciente recién diagnosticado y por eso no podría participar en el estudio. Por otro lado, algunos podrían estar restringidos.

Así que, por lo general, recibir un tratamiento no impide la participación en un ensayo clínico, pero podrían existir ciertas situaciones poco comunes en las que esto afecte un poco las cosas. Pero en general yo no evitaría un tratamiento si usted lo necesitara, con la esperanza de no interferir con terapias futuras en un ensayo clínico.

### **Moderador**

Gracias. Nuestra siguiente pregunta viene de Ruth. Ella pregunta: “Estoy muy satisfecha con mi medicamento nuevo para la leucemia linfocítica crónica, Imbruvica®, pero estoy teniendo algunos problemas físicos, solo algunos, y me pregunto si son debido al medicamento o a otros motivos. Problemas tales como náuseas, diarrea y acidez estomacal. ¿Cuáles de estos síntomas se deben a mi medicamento y qué otros problemas podría esperar encontrar?”

### **John P. Leonard, MD**

Usted mencionó un medicamento en particular, el ibrutinib, que fue aprobado recientemente para la leucemia linfocítica crónica. Durante el curso de los ensayos clínicos con ese medicamento, así como con cualquier medicamento, se han reunido datos sobre los efectos secundarios que esos pacientes presentaron. Los efectos secundarios fueron informados y resumidos, y en parte se incluyen en el prospecto de venta del medicamento que le cuenta un poco sobre el porcentaje de pacientes que ha tenido este efecto secundario o aquel otro y qué efectos fueron más comunes.

Así que, todo lo que hemos aprendido, o mucho de lo que hemos aprendido sobre los efectos secundarios de los medicamentos proviene de los ensayos clínicos, ya que esa es una manera sistemática en la que los pacientes reciben el medicamento. Los pacientes son supervisados muy cuidadosamente para averiguar qué efectos secundarios han tenido. Y se tienen que atribuir estos efectos secundarios, es decir que las personas involucradas dicen: “Sí, pensamos que esto se debe al medicamento o tal vez es debido a algo más o no estamos seguros”. Se hace un resumen de esa información y eso es lo que le da la información a usted y a su médico para decir: “Mire, cuando tome este medicamento, los efectos secundarios típicos que se vieron en esos ensayos clínicos incluyen A, B, C, D. Y por eso, esto es lo que puede pasar si usted recibe ese medicamento, o estas son las cosas a las cuales tenemos que estar atentos”.

Usted mencionó varios efectos secundarios diferentes. No puedo decirle cuáles fueron causados por el medicamento que toma y cuáles posiblemente por otra cosa. Pero creo que es importante tener en cuenta que su médico es la mejor fuente de información en ese caso, y es de presumir que él buscará información que ha sido publicada y reunida a partir de esos ensayos clínicos para decirle: “Sí, lo que tiene es algo que se puede esperar o es algo común o que se ha visto ocasionalmente en las personas que toman este medicamento, o no lo es y sigámosle la pista buscando otros motivos porque no es lo que se ha visto en esos ensayos clínicos”

Esa es la forma en que respondemos a estas preguntas que todos tenemos cada vez que usamos un medicamento o tomamos un medicamento nuevo, a partir de información reunida en ensayos clínicos. Así que obviamente son muy importantes.

### **Moderador**

Tenemos una pregunta de Sam por Internet. Sam pregunta: “¿Existen ensayos clínicos disponibles o recomendados para pacientes con leucemia linfocítica crónica que están bajo el enfoque de observar y esperar?”

### **John P. Leonard, MD**

Existen varios tipos de cáncer de la sangre, incluyendo la leucemia linfocítica crónica, el linfoma folicular y otros linfomas en los cuales, en ciertos momentos, el enfoque de observar y esperar, o sea, de observación sin tratamiento, puede ser adecuada. Así que la pregunta es: ¿consideraría usted un ensayo clínico? Existen algunos ensayos clínicos que pueden ser adecuados para las personas que están en la situación de observar y esperar. Por el hecho de que uno está siendo observado con el enfoque de observar y esperar, es decir, que no necesita ningún tratamiento, uno se preguntaría: “¿Por qué querría participar en un ensayo clínico? Si no necesito ningún tratamiento, ¿para qué voy a recibir algo si no lo necesito?”. Por otro lado, hay ensayos clínicos que se concentran en los pacientes que están en una etapa muy temprana del curso de la enfermedad, y tal vez quieran intentar un enfoque ligero, novedoso o innovador para ver si pueden cambiar el curso de la enfermedad al emplearlo en la etapa temprana.

De manera que no es algo típico, pero ciertamente es algo que en algunos casos sería razonable. Existen algunos estudios en los que se puede donar sangre o participar en el análisis de datos sin recibir ninguna terapia y que pueden ser particularmente apropiados también para las personas en la situación de observar y esperar.

**Moderador**

Gracias. Nuestra siguiente pregunta viene de Mike. Él pregunta: “Hace solo dos semanas en las noticias se reportó que las personas con cáncer ya no tienen que esperar el prolongado período de tiempo que la FDA toma para aprobar un medicamento”.

**John P. Leonard, MD**

Pues, existen varias iniciativas para tratar de acelerar la manera en que se aprueban los medicamentos, en que se estudian y se obtiene la aprobación de la FDA y se los hace llegar a los pacientes. Obviamente, nos gustaría obtener un balance entre el tiempo que toma entender el medicamento, su valor, sus efectos secundarios y la manera adecuada de usarlo, y el deseo de querer acelerar el proceso para ayudar a los pacientes y obtener medicamentos nuevos que pueden beneficiar más pronto a los pacientes.

Así que este balance es importante. Queremos tomarnos el tiempo suficiente para realmente hacer un buen trabajo y entender el medicamento, para tener todo correcto, pero no tomar tanto tiempo que la gente esté esperando impacientemente para obtener el medicamento cuando lo necesitan. Así que hay varias iniciativas en marcha. Algunas son federales y otras en algunos estados. Es un área complicada y no tengo tiempo para explicar todo al respecto. Pero ciertamente es un trabajo muy importante y sé que escuchamos anteriormente sobre los esfuerzos para la defensa de los derechos del paciente que la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma y otras organizaciones llevan adelante. Creo que se está haciendo mucho para tratar de asegurar que este proceso se desarrolle bien y lo más rápido posible para tratar de obtener medicamentos nuevos para los pacientes cuanto antes. Y quiero animarlos a participar en los ensayos clínicos, porque probablemente el mayor retraso para el acceso a los medicamentos nuevos para los pacientes es el hecho de que no hay suficientes personas que participan en los ensayos clínicos y ese es el obstáculo, obtener la información en los ensayos clínicos. Cuanto antes recibamos esa información de las personas que participan, más rápido podremos evaluar esos medicamentos nuevos y dárselos a los pacientes que los necesitan.

**COMENTARIOS FINALES**

**Moderador**

Gracias. La Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma está trabajando diligentemente con el equipo de defensa de los derechos del paciente para asegurar que los pacientes puedan acceder a estos tratamientos nuevos lo antes posible.

Gracias por todas sus preguntas y agradecemos al Dr. Leonard por brindarnos su tiempo como voluntario el día de hoy. Esperamos que esta información los ayude, a ustedes y a sus familias, en los próximos pasos.

**[Diapositiva 23 – La Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma ofrece]**

La Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma ofrece sesiones de conversación por Internet para pacientes, así como para adultos jóvenes y cuidadores. Estas sesiones de conversación, o chats, son moderadas por trabajadores sociales especializados en oncología y les ofrecen a los pacientes y cuidadores foros para compartir sus experiencias y apoyarse mutuamente. Para obtener más información sobre cómo participar, visite el sitio web en w-w-w, punto L-L-S, punto o-r-g, seguido por una barra diagonal, seguido por la palabra chat, c-h-a-t.



Si no pudimos responder a su pregunta hoy, llame al Centro de Recursos Informativos de la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma al 1-800-955-4572. Los Especialistas en Información están disponibles para hablar con usted de 9 a. m. a 9 p. m., hora del Este, o puede comunicarse con nosotros por correo electrónico a “[infocenter@LLS.org](mailto:infocenter@LLS.org)”, esto es i-n-f-o-c-e-n-t-e-r, entonces el símbolo de arroba, entonces las letras L-L-S, seguido por un punto, y entonces las letras o-r-g. Se habla español. Podemos proporcionarle información sobre el tratamiento, incluyendo los ensayos clínicos, o responder a otras preguntas que pudiera tener sobre los servicios de apoyo, incluyendo preguntas sobre la ayuda económica para el tratamiento.

Una vez más, gracias al Dr. Leonard por compartir sus conocimientos con nosotros el día de hoy. A todos los pacientes, cuidadores y profesionales que nos escuchan hoy por teléfono y por Internet, en nombre de la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma, gracias por compartir su tiempo con nosotros. Les deseamos lo mejor. Adiós.