

# Pacientes involucrados en el diseño de ensayos clínicos

## Introducción

Un ejemplo de pacientes involucrados a través de organizaciones de pacientes que ofrecen información para el diseño de un ensayo clínico de la enfermedad de Cushing. La consulta tuvo lugar entre Novartis y enfermeras de diferentes equipos (EE. UU., Canadá y Brasil), pacientes con la enfermedad de Cushing

(EE. UU.) y cuidadores y representantes de organizaciones de pacientes.

## Descripción del caso:

Los objetivos para este caso fueron:

- Obtener información específica sobre secciones de un protocolo en fase de borrador de pacientes, cuidadores, defensores y coordinadores del estudio de investigación sobre el desarrollo del ensayo clínico de la enfermedad de Cushing.
- Identificar posibles áreas de interés de la comunidad de investigadores y de pacientes que pueden repercutir en el futuro en el proceso de inscripción a un ensayo de la enfermedad de Cushing.
- Identificar las formas en que Novartis puede apoyar al desarrollo de nuevos productos con herramientas y materiales educativos para pacientes con la enfermedad de Cushing.

# **Tipos de pacientes (defensores) involucrados**

- Pacientes con experiencia personal de la enfermedad.
- Pacientes o defensores de pacientes expertos con buenos conocimientos especializados sobre la enfermedad pero poca experiencia en I+D.
- Pacientes o defensores de pacientes expertos con buenos conocimientos especializados sobre la enfermedad y mucha experiencia en I+D.

## **Ventajas de la participación de los pacientes**

Se debatieron los siguientes temas y se proporcionaron al equipo de desarrollo:

- Varios aspectos que se deben tener en cuenta al diseñar ensayos de enfermedades raras incluyen la comunicación paciente-investigador, inscripción, educación, asistencia psicosocial, acceso, seguimiento, realización de informes y revisión.
- La duración del estudio, el transporte y la planificación de las visitas se incluyeron entre los principales obstáculos desde el punto de vista de los pacientes.
- Es importantísimo trabajar con grupos de defensa de pacientes en los ensayos clínicos. Los grupos de defensa de pacientes se deben emplear para anunciar y difundir información sobre los ensayos con el fin de fomentar la inscripción.
- Se debe tener en cuenta la prueba de concepto y la posible importancia del fármaco que se está estudiando para los pacientes.

## Resultados

- El diseño del ensayo se adaptó mejor a las necesidades de los pacientes.
- Las diferentes perspectivas y puntos de vista permitieron fundamentar mejor el diseño del estudio.

## Desafíos y obstáculos

No se experimentaron obstáculos específicos.

## Aprendizaje

La necesidad de ofrecer mejor preparación a los defensores de los pacientes para participar en el debate, incluyendo temas como:

- Qué es un ensayo clínico.
- Por qué es importante un ensayo clínico.
- Qué esperar de un ensayo clínico, además de los compromisos temporales que implica.
- Por qué son fundamentales algunas pruebas en un ensayo clínico, así como ofrecer consejos para facilitar la gestión de estas pruebas.
- Qué significa un ensayo con grupos cruzados y por qué es necesario.

## Anexos