Pacientes involucrados: ensayos de fase III DUET VIH

Introducción

Informe de un caso de participación de pacientes en ensayos de fase III DUET VIH para un nuevo tratamiento usando una combinación de dos compuestos en investigación: TMC125 (etravirina) y TMC114 (darunavir). Consulta entre el Comité de Desarrollo de Fármacos de la Coalición de Activistas en Tratamientos del SIDA (EE. UU.), el Comité Asesor Comunitario Europeo del Grupo Europeo de Tratamiento del Sida (ECAB EATG) y la compañía farmacéutica Tibotec (ahora Janssen Therapeutics).

Descripción del caso:

La empresa farmacéutica Tibotec (ahora Janssen Therapeutics) diseñó los estudios DUET 1 y 2 en 2005. Los ensayos de fase III DUET implicaron el uso simultáneo de TMC125 (etravirina) y TMC114 (darunavir) en una población con experiencia en el tratamiento del VIH. La única característica del ensayo era que ninguno de los dos compuestos utilizados estaba autorizado en el momento de su uso (2006). Era la primera vez que dos compuestos no autorizados se usaban en un ensayo en un entorno de experiencia con el tratamiento, aunque en un solo grupo, mientras que el otro grupo del ensayo seguía controlado con placebo.

La infección por VIH sigue siendo incurable, pero se puede controlar con un tratamiento relativamente estricto de antirretrovirales (TAR) para los pacientes con el fin de evitar la resistencia. La resistencia a determinados fármacos o tipos de fármacos es más común en pacientes con experiencia

en el tratamiento que necesitan tratamientos nuevos o más complejos para controlar la reproducción del virus en el organismo.

La comunidad de pacientes desempeñó un papel crucial a la hora de conseguir que, por primera vez, un ensayo implicara el uso simultáneo de dos compuestos no registrados. El procedimiento estándar es usar un único compuesto nuevo en un ensayo.

El objetivo de la intervención de la comunidad de pacientes era garantizar que una potente combinación nueva de TAR estuviera disponible como terapia de rescate para pacientes muy experimentados en el tratamiento. Se recomendó el uso compasivo del nuevo tratamiento durante el ensayo.

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

La consulta entre la comunidad de pacientes y la empresa farmacéutica se desarrolló y evolucionó significativamente durante este proceso. Las organizaciones de pacientes involucradas pudieron demostrar satisfactoriamente a la industria y a las autoridades que los conocimientos y la experiencia de la comunidad de pacientes pueden realizar contribuciones importantes en el proceso de desarrollo. El

enfoque innovador de la comunidad infundió al proceso de desarrollo un cierto grado de "valentía" a la hora de aplicar estrategias no convencionales cuando los resultados preliminares de ensayos previos eran lo suficientemente convincentes (se había confirmado que los dos compuestos nuevos eran seguros y se toleraban bien en ese momento).

Este nuevo enfoque dio lugar a resultados duraderos y generó confianza entre las partes implicadas. La colaboración de dos organizaciones de pacientes de ambos lados del Atlántico introdujo una nueva fase, más intensiva, lo que permitió el intercambio de experiencias entre comunidades de personas que viven con VIH. El estudio DUET consiguió reducir la resistencia acumulada a múltiples fármacos (RMF) para miles de pacientes altamente tratados.

Desafíos y obstáculos

Ofrecer un uso compasivo de nuevos compuestos a pacientes con opciones de tratamiento reducidas sigue siendo un desafío. La participación en ensayos clínicos es una herramienta eficaz para que los pacientes accedan a nuevos fármacos.

El uso de dos compuestos experimentales no era una práctica común. Se precisó de bastante apoyo (político) de parte de la comunidad de pacientes para convencer a la empresa (y a su vez a la Agencia de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. [FDA], la Agencia Europea de Medicamentos [EMA] y las autoridades nacionales competentes [NCA]) de esta nueva estrategia.

Se celebró una reunión importante con ATAC-DDC, EATG/ECAB y la compañía farmacéutica en Amberes en 2005. El objetivo específico de la reunión era convencer a la empresa de la utilidad y la necesidad de un nuevo enfoque para ayudar a los pacientes necesitados.

Sin embargo, quedó un desafío principal: la empresa farmacéutica decidió diseñar el ensayo con un grupo controlado

por placebo, lo que suponía que el 50% de los pacientes recibía placebo + un compuesto en investigación en lugar de los dos fármacos nuevos.

Aprendizaje

La participación de las organizaciones de pacientes y de los pacientes expertos en el desarrollo farmacéutico ha dejado de ser única. Sin embargo, se precisan nuevas estrategias y un trabajo constante, además de autoformación continua y un riguroso conocimiento del campo por parte de la comunidad para avanzar en el complejo mundo de la investigación y el desarrollo de fármacos.

Se requiere mayor interacción con las autoridades para impulsar los objetivos políticos y la presión que las organizaciones de pacientes quieren ejercer para conseguir sus objetivos, en este caso la disponibilidad de nuevas opciones de tratamiento.

A pesar de todos los esfuerzos, las organizaciones de pacientes solo consiguieron un resultado parcial: un grupo controlado por placebo seguía siendo parte de los ensayos. No obstante, se podrían conseguir mejoras en este campo en diseños de estudios posteriores desarrollados con la participación de pacientes.

Incluso una mejor coordinación entre organizaciones de pacientes y un intercambio más constante de experiencias tanto en un mismo ámbito de enfermedad como en uno diferente mejorarían la eficacia y la eficiencia de la participación de los pacientes en investigación.

Anexos

Versión??