

ACCESO A ENSAYOS CLÍNICOS

Superar los obstáculos
iniciales para el tratamiento



SEPTIEMBRE DE 2022



Los hallazgos científicos constituyen el primer paso para los nuevos tratamientos y las curas innovadoras

Introducción

El acceso de los pacientes comienza con la investigación médica. Los ensayos clínicos son una parte fundamental del desarrollo de nuevos medicamentos, dispositivos y diagnósticos que mejoran la salud y la calidad de vida en todo el mundo.

Los ensayos clínicos determinan si los nuevos tratamientos son seguros y eficaces. Si bien se requiere una sólida inscripción para que la investigación tenga éxito, existen algunos obstáculos en el camino, entre los que se incluyen:

- Falta de conocimiento sobre los ensayos clínicos por parte del público
- Costes en los que incurren los pacientes participantes
- Falta de compromiso de los profesionales de la salud
- La persistencia de disparidades en materia de salud

Estos impedimentos son el primer y más importante obstáculo para que los pacientes accedan a la nueva generación de tratamientos y curas innovadores.

Si bien los obstáculos son diversos, también existen amplias oportunidades para que los responsables de formular políticas, los profesionales de la salud logren y los defensores de pacientes mejorar el acceso y promover la innovación médica.¹

Los ensayos clínicos, de un vistazo

En muchos aspectos, los ensayos clínicos representan una historia de éxito a nivel mundial.

En la actualidad, aproximadamente 419 000 estudios se encuentran en curso en los 50 estados de Estados Unidos y en 221 países de todo el mundo.² Europa Occidental tiene el mayor índice de nuevos ensayos, seguida por Europa Oriental y la región de Asia-Pacífico.³ Cada año, se gastan más de USD 160 000 millones en investigación y desarrollo para ensayos clínicos, lo que ha permitido la aprobación de 50 nuevos tratamientos por parte de la agencia de alimentos y medicamentos de Estados Unidos solo en 2021.

Estos impresionantes números reflejan el tiempo y el compromiso necesarios para llevar a cabo una investigación clínica. Un ensayo para un nuevo medicamento puede requerir una inversión de cientos de millones de dólares, cientos o miles de participantes aptos para el estudio, y años o décadas de investigación para probar su seguridad y eficacia.

También existen costes indirectos. Estos incluyen gastos en investigación y líneas de análisis científico que no tienen éxito, además de gastos no reembolsables que asumen los participantes del estudio, sus familias y sus cuidadores.

Estas inversiones (y la perseverancia de los investigadores) se han traducido en nuevas esperanzas para los pacientes. Solo en la última década, las curas y tratamientos innovadores incluyen inmunoterapias para curar algunos tipos de cáncer infantil, tratamientos para la fibrosis quística que aumentan considerablemente la expectativa de vida y medicamentos que suponen un cambio positivo en afecciones debilitantes como la migraña. Las décadas de investigación colectiva han salvado millones de vidas gracias al desarrollo de la tecnología de ARN mensajero, que dio como resultado una vacuna contra la COVID-19 en tiempo récord.

Existen ensayos clínicos en curso en 221 países de todo el mundo.

La investigación de enfermedades poco frecuentes ofrece una historia de éxito particularmente convincente. Si bien las probabilidades de aprobación de nuevos medicamentos fueron, en general, del 8 % entre 2011 y 2020, los tratamientos para las enfermedades poco frecuentes demostraron un éxito notable, ya que se observó una probabilidad de aprobación del 17 %.⁴

Hablando de números: Ensayos clínicos globales⁵



Desafíos de la inscripción

No obstante, en todas estas historias de éxito, los resultados de los ensayos clínicos se han visto limitados por la baja inscripción.

Los estudios indican que el 12 % de los ensayos registrados se suspenden, lo que significa que detienen la inscripción antes de tiempo. El motivo más habitual es el bajo nivel de reclutamiento.⁶ Asimismo, casi el 80 % de los ensayos clínicos no logran cumplir con los plazos de inscripción, lo que retrasa el desarrollo de tratamientos que podrían salvar vidas.⁷

La aprobación del desarrollo de un medicamento es un largo proceso. Llevar un tratamiento potencial “desde el laboratorio hasta la cama del paciente” puede requerir más de 10 años. Los cálculos de los costes totales varían, pero pueden alcanzar hasta los USD 2000 millones si se contabilizan los costes de estudios posteriores y de oportunidad.

El lento reclutamiento entorpece el cumplimiento de los plazos establecidos, aumenta los costes y demanda más tiempo y recursos que cualquier otro aspecto de los ensayos clínicos. El reclutamiento de participantes ocupa hasta el 30 % de los plazos de desarrollo y se lleva alrededor de USD 1200 millones de la inversión. Las dificultades de reclutamiento generan demoras que oscilan entre uno y seis meses.⁸

Por cada día que un ensayo se retrasa, las pérdidas se acumulan. Con un 11 % de centros de investigación clínica que no logran inscribir ni un solo participante, y un 37 % de centros con bajos niveles de inscripción, las estrategias de reclutamiento son un componente fundamental de los ensayos que se llevan a cabo con éxito.⁹



Uno de cada 10 ensayos se suspenden, a menudo por el bajo nivel de inscripción.

Entender los obstáculos para el acceso

Los obstáculos para el acceso, incluidas las dificultades de inscripción, provienen de varios factores.

Falta de conocimiento

Muchos pacientes no cuentan con conocimientos generales sobre los ensayos clínicos. Los datos indican que un alto nivel educativo, unos ingresos anuales más altos y el uso de Internet se asocian con un mayor conocimiento.¹⁰ Sin embargo, estas ventajas no están disponibles para todos. Tal vez por eso el 40 % de los adultos entrevistados admiten que no entienden plenamente los ensayos clínicos.¹¹ Esta brecha de conocimientos puede reducir las oportunidades de los pacientes de participar y empeorar las disparidades económicas y sanitarias.

Compromiso insuficiente de los profesionales de la salud

El compromiso de los profesionales de la salud es otro motivo de preocupación. Los estudios indican que la mayoría de los médicos se sienten

cómodos a la hora de conversar con sus pacientes sobre ensayos clínicos, pero menos del 1 % derivan pacientes activamente a estos estudios. Mantenerse al tanto de las oportunidades de ensayos es un factor decisivo. Los médicos manifiestan que no cuentan con acceso a información actual sobre los ensayos, y alrededor de una tercera parte afirma que no tiene tiempo para informarse sobre los ensayos activos.¹²

Falta de diversidad

El reclutamiento de un grupo variado de pacientes para los ensayos también es difícil, pero fundamental. Los pacientes deben presentar la misma enfermedad de maneras muy diferentes. Una muestra variada ofrece a los investigadores una mejor oportunidad de medir la eficacia e identificar los efectos secundarios específicos para las subpoblaciones de pacientes.

Hablando de números: Conocimientos sobre ensayos clínicos



11 %

de los centros no logran inscribir **ni siquiera a un solo paciente**



40 %

de los adultos entrevistados **no entienden los ensayos clínicos**



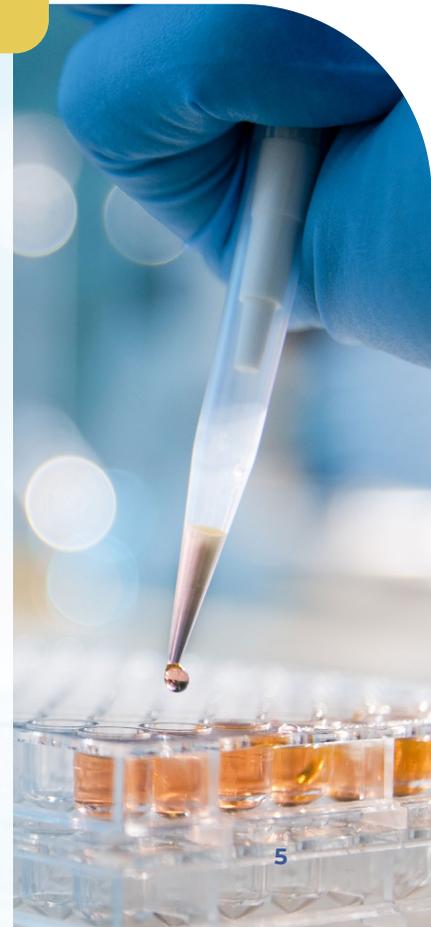
37 %

de los centros **no cumplen** sus objetivos de inscripción



32 %

de los adultos entrevistados afirman que **considerarían su participación** una vez que logran entender qué es un ensayo clínico^{13,14}





En la Unión Europea, las personas de color están poco representadas en más de la mitad de los ensayos de Fase III.

En cualquier caso, la inscripción de participantes de comunidades diversas y desatendidas ha sido históricamente un desafío o simplemente no ha sido una prioridad para los investigadores. Las personas de color están poco representadas en más de la mitad de los ensayos de Fase III en la Unión Europea.¹⁵ Tampoco hay diversidad en el personal de los centros de investigación. En Europa, menos del 10 % del personal de los ensayos clínicos provienen de poblaciones minoritarias. Las investigaciones demuestran que los dos factores están interconectados. Los ensayos que cuentan con personal diverso tienen más probabilidades de considerar la diversidad de los participantes como un factor de éxito y de priorizar el reclutamiento de participantes diversos.¹⁶

Costes y compromisos de tiempo para los participantes

A menudo, el compromiso de tiempo, los costes financieros y la carga emocional que asumen los pacientes que quieren inscribirse en un estudio representa otro obstáculo para el acceso a los ensayos clínicos. Estas cargas incluyen la dificultad de localizar un ensayo, el viaje y la distancia que deben recorrer para llegar al centro del estudio, el compromiso de tiempo para completar la documentación y las revisiones, y los costes no reembolsables en los que podría incurrir el paciente.

Muy a menudo, los pacientes se sienten abrumados por el proceso burocrático de identificarse e inscribirse en un ensayo. Por ejemplo, el consentimiento informado es un extenso proceso durante el cual se puede perder a los participantes predispuestos debido a que necesitan un tratamiento con urgencia.

Si bien los patrocinadores de los ensayos generalmente cubren todos los costes relacionados con la investigación y las pruebas especiales, aun así los participantes afrontan gastos indirectos. Entre estos se pueden incluir la pérdida de ingresos debido al tiempo que se le resta al trabajo, el cuidado de niños y los gastos de viaje no reembolsables, y los costos médicos de bolsillo.

Preocupaciones e incertidumbre del paciente

El temor y la ansiedad también pueden afectar negativamente a la participación. Muchos pacientes ya sufren las consecuencias del malestar, los síntomas y las secuelas de su enfermedad. La posibilidad de participar en un estudio clínico introduce nuevas preocupaciones, como el temor a tomar un medicamento que no ha sido probado o recibir un placebo y perderse los beneficios de un medicamento homologado durante un período crucial.

Mejorar el acceso a los ensayos clínicos

Mejorar el acceso a los ensayos clínicos exige un esfuerzo concertado por parte de todos los interesados.

- **Inversores.** Alrededor del 90 % de la inversión proviene de las empresas de ciencias de la vida, pero la investigación médica requiere un mayor compromiso del sector público.
- **Pacientes.** El diseño de los ensayos se centra cada vez más en el paciente, pero el estudio mejor diseñado no puede tener éxito si no tiene pacientes inscritos.
- **Profesionales de la salud.** Decenas de miles de profesionales participan en la investigación médica, pero la amplia mayoría podría hacer más para aumentar el acceso de los pacientes a los ensayos clínicos.
- **Responsables de la formulación de políticas.** Los responsables de la formulación de políticas regulan los ensayos clínicos, pero deberían tratar el acceso a los ensayos clínicos como una prioridad de salud pública.

Los responsables de la formulación de políticas en particular pueden aumentar el conocimiento del público y mejorar el acceso de los pacientes a los ensayos de varias maneras.



Promover la inscripción de pacientes

Los responsables de la formulación de políticas pueden facilitar a los pacientes el acceso a la información sobre ensayos clínicos. Las bases de datos en línea fáciles de usar son esenciales. Estas bases de datos de los ensayos abiertos deben ser tan fáciles de navegar como un sitio web de comercio electrónico.

Los responsables de la formulación de políticas también pueden proporcionar fondos para orientadores relacionados con los ensayos clínicos, cuyos servicios pueden facilitar la inscripción y responder las preguntas de los pacientes a medida que surgen. La tasa de inscripción general de los pacientes que reciben servicios de orientación llegar al 95 %. En los estudios sobre cómo la orientación de los pacientes impacta en la inscripción de las minorías en los ensayos clínicos, estrategias como hacer más sencillo el proceso de inscripción y el reembolso de los gastos han demostrado una efectividad de hasta el 86 % en personas afroamericanas que habían considerado su participación.¹⁷



Educar y potenciar a los proveedores

Los responsables de la formulación de políticas también deben alentar a los profesionales de la salud para que promuevan la inscripción de los pacientes.

Esto significa incentivar a los profesionales para que apoyen a los pacientes en la búsqueda de estudios y en la inscripción correspondiente, y para que mantengan un compromiso constante como parte del equipo de cuidados del ensayo clínico. Las mejoras en los historiales clínicos electrónicos también son fundamentales. Los sistemas de registros médicos deben mejorarse, de modo que cuando los profesionales registren un diagnóstico, este quede directamente vinculado con una base de datos de los ensayos clínicos en los un determinado paciente podría participar.



Priorizar la diversidad

Los ensayos clínicos suelen depender de manera desproporcionada de participantes masculinos blancos. Esta limitación ha generado brechas de conocimiento en la investigación de enfermedades y afecciones, en los factores de prevención y en la eficacia de los tratamientos sobre las poblaciones.¹⁸

Los responsables de la formulación de políticas deben proporcionar apoyo financiero (a través de subvenciones y créditos fiscales) a los ensayos cuyo diseño y objetivos de inscripción promuevan una participación racial y étnica diversa e involucren a investigadores de color. Los gobiernos también deben dedicar recursos para llegar a las comunidades de color y para abordar las disparidades económicas que impiden o desalientan que estas personas participen en los ensayos.



La participación como una prioridad de salud pública

La investigación médica es un aspecto fundamental de la salud pública. Para abordar cualquier desafío de salud pública, los responsables de la formulación de políticas deben, en primer lugar, sensibilizar al público. Esto implica invertir en campañas para aumentar el conocimiento general sobre el valor de la investigación médica y las oportunidades de inscripción para los pacientes. Las campañas de sensibilización, desde la lucha contra el tabaquismo hasta las de donación de órganos, han cumplido una función histórica como iniciativa de cambio de las actitudes y los comportamientos de la opinión pública.



Promover una mayor inversión en la investigación

Para crear más oportunidades de avances y descubrimientos médicos, la investigación clínica necesita atraer aún más la financiación del sector privado.

Para ello, se requieren alianzas público-privadas que incentiven la inversión, así como soluciones normativas que recompensen la innovación, fortalezcan la protección de la propiedad intelectual de los investigadores, y fomenten la inscripción en los estudios y el acceso a nuevas terapias.





Conclusión

La mejora del acceso a los ensayos clínicos estimulará la inversión y reducirá los costes de investigación, algo que, en definitiva, mejorará y extenderá la vida de los pacientes en todo el mundo.

Así como los obstáculos para el acceso a los ensayos clínicos adoptan diversas formas, lo mismo ocurre con las soluciones normativas que ayudarán a los pacientes a superar esos obstáculos. El acceso se mejorará si se logra que la inscripción a los ensayos clínicos sea más eficiente, se fomenta la diversidad entre los participantes, se aumenta el compromiso de los profesionales de la salud y se crea una mayor sensibilización entre los pacientes.

Al trabajar juntos para minimizar los obstáculos, pacientes, profesionales de la salud, investigadores y formuladores de políticas pueden despejar el camino para llevar a cabo sólidos ensayos clínicos que produzcan la próxima generación de medicamentos y tratamientos que salvan vidas.

Bibliografía

1. Gibson M. 4 Common Challenges in Clinical Trials. Right Patient. 21 April 2021. <https://www.rightpatient.com/professional-patients/4-common-challenges-clinical-trials/>
2. U.S. National Library of Medicine. ClinicalTrials.gov. Accessed 28 June 2022. <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/resources/trends>
3. Tufts Center for the Study of Drug Development. New Research From Tufts Center for the Study of Drug Development Characterizes Effectiveness and Variability of Patient Recruitment and Retention Practices. 15-Jan-13. <https://www.biospace.com/article/releases/new-research-from-tufts-center-for-the-study-of-drug-development-characterizes-effectiveness-and-variability-of-patient-recruitment-and-retention-prac/>
4. Pharma Intelligence. 2021 Clinical Development Success Rates. Accessed 1 July 2022. <https://pharmaintelligence.informa.com/resources/product-content/2021-clinical-development-success-rates>
5. U.S. National Library of Medicine. ClinicalTrials.gov. Accessed 28 June 2022. <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/resources/trends>
6. Morgan C. Journal of Nuclear Cardiology; Statistical Issues Associated with Terminating a Clinical Trial Due to Slow Enrollment, 2017. J. Nucl. Cardiol. 24, 525—526 (2017). DOI: 10.1007/s12350-016-0702-1. <https://link.springer.com/article/10.1007/s12350-016-0702-1>
7. Clinical Trials Arena. Clinical Trial Delays: America's Patient Recruitment Dilemma. 13 July 2022. <https://www.clinicaltrialsarena.com/marketdata/featureclinical-trial-patient-recruitment/>
8. Chaudhari N, Ravi R, Gogtay NJ, Thatte UM. Recruitment and Retention of the Participants in Clinical Trials: Challenges and Solutions. Perspect Clin Res. 2020 Apr-Jun;11(2):64-69. DOI: 10.4103/picr.PICR_206_19. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7342338/>
9. Tufts Center for the Study of Drug Development. New Research From Tufts Center for the Study of Drug Development Characterizes Effectiveness and Variability of Patient Recruitment and Retention Practices. 15-Jan-13. <https://www.biospace.com/article/releases/new-research-from-tufts-center-for-the-study-of-drug-development-characterizes-effectiveness-and-variability-of-patient-recruitment-and-retention-prac/>
10. Leiter A, Diefenbach MA, Doucette J, Oh WK, Galsky MD. Clinical Trial Awareness: Changes Over Time and Sociodemographic Disparities. Clin Trials. 2015 Jun;12(3):215-23. DOI: 10.1177/1740774515571917. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4667750/>
11. Comis R, Miller J, Aldigé C, Krebs L, Stoval E. Public Attitudes Toward Participation in Cancer Clinical Trials. Journal of Clinical Oncology. Volume 21, Issue 5. Accessed 22 July 2022. <https://ascopubs.org/doi/figure/10.1200/JCO.2003.02.105>
12. PatientCentra. Why Aren't Doctors Telling Their Patients About Clinical Trials? 2 May 2018. <https://www.patientcentra.com/patient-recruitment-insights/doctors-patients-clinical-trials>
13. Lamberti MJ, Mathias A, Myles JE, et al. Evaluating the impact of patient recruitment and retention practices. Therap Innov Regul Sci. 2012;46(5):573-80.
14. Comis, R. L., Miller, J. D., Aldigé, C. R., Krebs, L., & Stoval, E. (2003). Public Attitudes Toward Participation in Cancer Clinical Trials. Journal of Clinical Oncology (Vol. 21, Issue 5, pp. 830-835). American Society of Clinical Oncology. <https://doi.org/10.1200/jco.2003.02.105>
15. Tufts Center for the Study of Drug Development. Impact Report: Analysis & Insight into Critical Drug Development Issues. Volume 24, Number 3. May/June 2022. https://9468915.fs1.hubspotusercontent-na1.net/hubfs/9468915/May_Jun_22.jpeg
16. Tufts Center for the Study of Drug Development. Impact Report: Analysis & Insight into Critical Drug Development Issues. Volume 23, Number 6. November/December 2021. <https://f.hubspotusercontent10.net/hubfs/9468915/Impact%20Report%20Preview.png>
17. Uveges MK, Lansey DG, Mbah O, Gray T, Sherden L, Wenzel J. Patient Navigation and Clinical Trial Participation: A Randomized Controlled Trial Design. Contemp Clin Trials Commun. 2018 Sep 22;12:98-102. DOI: 10.1016/j.conctc.2018.09.003. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6197623/>
18. Instituto Nacional de Salud y Disparidades Sanitarias de las Minorías (NIH). Diversidad e inclusión en ensayos clínicos. 7 de febrero de 2022 <https://www.nimhd.nih.gov/resources/understanding-health-disparities/diversity-and-inclusion-in-clinical-trials.html>



Acerca de la Alianza Global para el Acceso de los Pacientes

La Alianza Global para el Acceso de los Pacientes es una plataforma internacional para profesionales de la salud y defensores de pacientes cuyo objetivo es informar el diálogo político sobre la atención centrada en el paciente.

[GAfPA.org](https://www.GAfPA.org)

