



GUÍA PARA LA PARTICIPACIÓN EN ENSAYOS CLÍNICOS PARA PACIENTES CON EHGNA/EHNA

Propósito de esta guía

Este documento es una breve guía para personas con riesgo o diagnóstico de enfermedad del hígado graso no alcohólico o EHGNA, o esteatohepatitis no alcohólica o EHNA.

Preguntas incluidas en esta guía

- ¿Qué son EHGNA y EHNA?
 - ¿Por qué se hacen investigaciones en este campo?
 - ¿Qué preguntas intentan responder los estudios de investigación de EHNA?
 - ¿Cómo puede mi participación ayudar a responder esas preguntas?
 - ¿Qué debo tener en cuenta al buscar un ensayo de EHNA?
 - ¿Dónde puedo obtener más información?
-

¿Qué significa EHGNA/EHNA?

EHGNA es la sigla de **enfermedad del hígado graso no alcohólico**. La EHNA, o esteatohepatitis no alcohólica, es la forma más grave de EHGNA, que incluye acumulación de grasa en el hígado, inflamación y un tipo de lesión llamada degeneración vacuolar, con o sin fibrosis. **La EHNA puede causar cirrosis, cáncer o la necesidad de un trasplante.**

Según las estimaciones actuales, hasta una de cada cuatro personas padece EHGNA o EHNA y, sin embargo, estas enfermedades están infravaloradas, infradiagnosticadas e infratratadas.

Las personas con diabetes tipo 2, índice de masa corporal (IMC) superior a 30 o mayores de 50 años son más propensas a padecer EHGNA o EHNA, pero esta enfermedad puede afectar a cualquier persona, incluso a las de peso normal o a los niños.



¿Por qué debería considerar la posibilidad de participar en la investigación sobre EHGNA/EHNA?



Con la excepción de la **India**, ninguna agencia reguladora ha aprobado medicamentos específicamente para la EHNA. Sin la participación de los pacientes en los estudios de investigación clínica, desde el diseño de los ensayos hasta la participación en las encuestas y el suministro de muestras biológicas, no habría forma de desarrollar medicamentos, dispositivos u otras intervenciones para comprender o tratar este espectro de enfermedades.

Además, los estudios necesitan voluntarios con características y antecedentes diversos para garantizar que los investigadores comprendan los riesgos y los resultados de los distintos grupos afectados por una determinada enfermedad. Los datos demográficos que pueden afectar el riesgo, el beneficio y los resultados del tratamiento son: **la raza, la etnia, la edad, el sexo y las enfermedades concurrentes.**

¿Qué preguntas intentan responder los estudios de investigación de EHNA?

En general, los ensayos se dividen en:

Estudios de intervención (hacer algo activamente) y estudios de observación (observar y controlar a lo largo del tiempo). Los ensayos de observación también suelen llamarse estudios de evolución natural.

Tipos de ensayos de intervención

FÁRMACOS/MEDICAMENTOS

Fármacos/medicamentos: aquellos que pueden reducir la inflamación y la grasa o solucionar la **degeneración vacuolar**

MEDICAMENTOS

Efectos de reducción de la grasa
Efectos de pérdida de peso
Efectos para detener o hacer retroceder la fibrosis
Efectos antiinflamatorios

DISPOSITIVOS O MÉTODOS DE DIAGNÓSTICO

(por ejemplo, aquellos que pueden analizar el hígado de una persona empleando métodos no invasivos)

DISPOSITIVOS

Terapias con dispositivos como alternativa a procedimientos quirúrgicos invasivos para tratar la obesidad y los trastornos gastrointestinales

Tipos de ensayos de observación

Estudios de observación

aquellos en los que se observan cómo la EHNA o la EHNA afectan a los niños a lo largo del tiempo

Evolución natural

factores genéticos y otros factores de riesgo que predicen la evolución



Preguntas

- ¿Hay algún medicamento en particular que pueda reducir la fibrosis asociada con la EHNA?
- ¿Hay algún medicamento o combinación de medicamentos que pueda reducir la inflamación asociada con la EHNA?
- ¿Hay determinados genes u otros factores que predispongan a una persona a una evolución más rápida de la EHNA que a otras personas?
- ¿Hay una dieta específica que ayude a las personas con EHNA?
- ¿Hay un tipo, duración o intensidad de ejercicio que ayude más a las personas con EHNA?

¿Cómo puede mi participación ayudar a responder esas preguntas?

En la actualidad, solo la **India** tiene un medicamento aprobado específicamente para la EHNA. Sin embargo, se están evaluando varios medicamentos en ensayos clínicos para su aprobación. Las áreas específicas de estudio en las que se necesita seguir investigando incluyen el tratamiento de los pacientes que tienen tanto EHNA como diabetes, los pacientes hispanos con ciertos factores genéticos, así como los individuos que son delgados y padecen EHNA.

Los estudios necesitan voluntarios con diversas características y antecedentes.

¿Me aceptarán automáticamente en el ensayo?

La aceptación e inscripción en un estudio no son automáticos. Los estudios tienen **criterios de inclusión** y **criterios de exclusión**. Asimismo, no todas las personas que cumplen con los criterios serán aceptadas en el ensayo.

- **¿Cómo puedo saber si un ensayo específico de EHNA es adecuado para mí?**
- **¿Qué debo tener en cuenta al buscar un ensayo de EHNA?**
- **¿Qué puedo esperar al participar en un ensayo clínico de EHNA?**

Consulte a su médico si un ensayo clínico sería apropiado para usted y pida que le recomiende ensayos clínicos disponibles en su zona. El estudio puede llevarse a cabo en un hospital, universidad, consultorio médico, clínica pública u otro lugar, según la organización a cargo de su ejecución.

La duración del estudio también puede variar de seis meses a cinco años o más.

Además, tómese el tiempo necesario para evaluar cuidadosamente si puede completar las actividades que implica un ensayo de un medicamento o dispositivo en particular para la EHNA. Las posibles actividades pueden incluir ayuno, cambios en su estilo de vida (por ejemplo, alimentación, ejercicio), análisis de sangre (por ejemplo, niveles de ALT, AST), estudios por imágenes (por ejemplo, ecografías, resonancias magnéticas) e incluso una o más biopsias, procedimiento por el cual se toma una muestra de tejido del cuerpo para analizarla.

Debe hacerle al equipo de investigación todas las preguntas que tenga sobre la participación en el ensayo, tales como

- ¿Cuáles son los posibles riesgos, efectos secundarios y beneficios de este ensayo en comparación con los de mi tratamiento actual?
- ¿A qué pruebas y procedimientos debería someterme?
- ¿Cuánto durará el estudio?
- Si la intervención me beneficia, ¿puedo seguir recibéndola una vez que termine el estudio?
- ¿Quién supervisará mi atención médica durante el ensayo?
- ¿A dónde tengo que ir para participar en este ensayo?
- ¿Incluye viajes?



Vea otras posibles preguntas que puede hacer, según los Institutos Nacionales de Salud de Estados Unidos, en

<https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/learn>.

Consideraciones específicas adicionales para participar en un ensayo clínico

Embarazo: Las directrices para los estudios de ciertos tratamientos pueden prohibir a los participantes concebir durante el ensayo y durante un periodo de tiempo posterior al estudio debido a las inquietudes en cuanto a la seguridad para el bebé. Si le interesa concebir, hable con su proveedor de atención de la salud sobre el tiempo que tendría que esperar para hacerlo, y para que le asesore sobre la anticoncepción.



Vacaciones: Los estudios pueden prohibir los viajes al extranjero si los participantes deben someterse a un control regular. Hable con su proveedor sobre sus planes de viaje antes de inscribirse en un estudio.



Hable con su proveedor de atención de la salud sobre su tratamiento y su interés en los ensayos clínicos.

Consentimiento informado



Mediante el proceso de **consentimiento informado**, los investigadores comunican a los posibles participantes y a los ya inscritos los riesgos y los posibles beneficios de participar en un estudio clínico, lo que permite a los posibles participantes y a los ya inscritos tomar decisiones con conocimiento de causa. El proceso puede involucrar múltiples aspectos, tales como materiales de reclutamiento, instrucciones orales, sesiones de preguntas y respuestas, y oportunidades adicionales para hacer preguntas. En general, los voluntarios deben firmar un documento de consentimiento informado antes de inscribirse en un estudio, aunque de todos modos pueden abandonar el estudio en cualquier momento si así lo desean.

¿Cómo funciona un ensayo clínico?

Los ensayos clínicos siguen un proceso riguroso. Antes de que los investigadores puedan comenzar un ensayo clínico y probar un fármaco en personas, deben evaluar si el fármaco podría causar daños graves. Para hacer esto, realizan investigaciones preclínicas **in vitro** o **in vivo**. Los estudios preclínicos no suelen tener una gran cantidad de participantes.

Una vez que comienza el ensayo clínico, finalizarlo habitualmente puede tomar varios años. Los ensayos clínicos biomédicos tienen cuatro fases: I, II, III y IV. En la Fase II, el objetivo es determinar la dosis y el **régimen** de tratamiento adecuados. En algunos casos, los ensayos de Fase II se dividen a su vez en Fases 2A y 2B. La Fase 2A se centra específicamente en los requisitos de dosificación, mientras que la Fase 2B pone a prueba la eficacia del fármaco en términos de éxito en el tratamiento o la prevención de la enfermedad. En la Fase III, los participantes son asignados aleatoriamente a grupos de tratamiento, también llamados ramas del ensayo. En este punto del desarrollo de la investigación, lo más probable es que se pida a un paciente con EHNA que participe en un ensayo clínico que se encuentre en la fase 2B o III. Un grupo de control recibirá el tratamiento habitual o un **placebo**; el (los) otro(s) grupo(s) recibirá(n) el nuevo tratamiento. Los ensayos también pueden tener más de dos grupos, y cada grupo recibirá dosis diferentes del nuevo fármaco.



¿Qué sucede si deseo abandonar el ensayo clínico?



La participación en el ensayo clínico es voluntaria. La naturaleza voluntaria de la participación en la investigación clínica exige que los investigadores informen a cada participante, antes de comenzar, que tienen el derecho a dejar el estudio en cualquier momento, sin motivo alguno. Cuando se retire de un estudio, asegúrese de informar al equipo de investigación.

¿Cómo puedo encontrar ensayos para tratamientos de la EHGNA y la EHNA?

Unión Europea

En la Unión Europea (UE), el Registro de Ensayos Clínicos de la UE enumera la información sobre los protocolos y los resultados de los ensayos clínicos de intervención realizados en la UE y el Espacio Económico Europeo (EEE), así como los ensayos clínicos realizados fuera de la UE y el EEE que están relacionados con el desarrollo de la medicina pediátrica europea. Visite www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search para buscar en la base de datos.



OR



Estados Unidos y el mundo

La Biblioteca Nacional de Medicina de EE. UU. alberga una base de datos de estudios clínicos financiados con fondos públicos y privados realizados en todo el mundo, en los 50 estados y en 219 países. (Tenga en cuenta que estar en la lista no significa que un estudio haya sido evaluado por el gobierno federal de EE. UU.) Visite www.ClinicalTrials.gov para buscar estudios.

En el sitio, los visitantes pueden filtrar la lista de estudios por

Estado de reclutamiento

(por ejemplo, "Recruiting", "Enrolling by Invitation", o "Completed" [Reclutando, Inscripción por invitación o Completo])

Criterio de elegibilidad

(por ejemplo, edad y sexo)

Palabras claves

(por ejemplo, fatty liver [hígado graso], NAFLD [EHGNA], NASH [EHNA])

Tipo de estudio

(por ejemplo, Interventional [Clinical Trial] u Observational [ensayo clínico de intervención o de observación])

Resultados del estudio

Fase del estudio

Tipo de financiación

(por ejemplo, industrial, instituto de investigación académica o individual)


Ubicación

(por ejemplo, país, estado, ciudad)

Red de registros de la Organización Mundial de la Salud

Además, la Red de Registros de la Organización Mundial de la Salud (OMS) incluye registros de todo el mundo que son específicos de cada país, como el Registro de Ensayos Clínicos de Australia y Nueva Zelanda (Australian New Zealand Clinical Trials Registry, ANZCTR), el Registro de Ensayos Clínicos de la India (Clinical Trials Registry - India, CTRI) y el Servicio de Información sobre Investigación Clínica (Clinical Research Information Service, CRIS) de la República de Corea.

Visite www.who.int/clinical-trials-registry-platform/network para obtener una lista completa y obtener más información.



Independientemente de cómo se entere de la existencia de un ensayo clínico, es imprescindible que hable con su médico antes de participar en un estudio.

¿Hay otras maneras de brindar apoyo a la investigación además de participando en un ensayo?

Hay muchas oportunidades de apoyar la investigación y los ensayos clínicos de EHNA/EHNA. A menudo se incluye a los pacientes en los consejos asesores de diseño de ensayos clínicos, se les pide que participen en ensayos de observación y se los necesita para abogar por una mejor financiación de la investigación. Súmese a la Academia de Promoción Avanzada (Advanced Advocacy Academy) del Global Liver Institute para obtener más información y apoyar la investigación sobre la EHNA/EHGNA. Obtenga más información en www.globalliver.org/advanced-advocacy-academy.





Glosario de términos de los ensayos clínicos

A continuación se enumeran los términos que puede escuchar con frecuencia mientras atraviesa la experiencia del ensayo clínico. Visite www.globalliver.org/liver-glossary para consultar un glosario completo de términos relacionados con la salud hepática.

DEGENERACIÓN VACUOLAR

Tipo de degeneración celular asociada a la inflamación y agrandamiento celular.

BIOMARCADOR

Sustancia o actividad fisiológica medible en el organismo que puede utilizarse como signo de una condición estable, un estado anormal o una enfermedad; puede utilizarse para determinar la respuesta del organismo a nuevos tratamientos.

BIOPSIA

Examen del tejido extraído del cuerpo para descubrir la presencia, la causa o el alcance de una enfermedad.

ENMASCARAMIENTO

Ocultar cómo se asignan los grupos de uno o más individuos que participan en un estudio de investigación clínica, normalmente un ensayo controlado aleatorizado. La aleatorización minimiza las diferencias entre los grupos de tratamiento al inicio de un ensayo; el enmascaramiento ayuda a evitar el tratamiento o las evaluaciones diferenciales.

CRITERIOS DE EXCLUSIÓN

Factores que impiden que una persona participe.

Glosario de términos de los ensayos clínicos

CONSENTIMIENTO INFORMADO

Otorgar permiso para que algo ocurra o aceptar hacer algo.

ESTUDIOS POR IMÁGENES

Pruebas no invasivas que pueden producir imágenes detalladas de los órganos y estructuras del cuerpo; incluyen radiografías, tomografía computarizada (TC), resonancia magnética (RM) y ecografía.

CRITERIOS DE INCLUSIÓN

Factores que debe satisfacer un participante, como edad o sexo.

CONSEJO DE REVISIÓN INSTITUCIONAL (INSTITUTIONAL REVIEW BOARD, IRB)

Grupo de personas que revisa, aprueba y supervisa el protocolo del estudio clínico. Su función es proteger los derechos y el bienestar de las personas que participan en un estudio (llamados sujetos humanos de la investigación), como por ejemplo, revisando el formulario de consentimiento informado. El grupo suele incluir a personas con diversas procedencias, incluido un miembro de la comunidad, para asegurarse de que las actividades de investigación llevadas a cabo por una organización sean revisadas completa y adecuadamente. También recibe el nombre de consejo de revisión de la protección de los sujetos humanos o comité de ética.

IN VITRO

Fuera del organismo.

IN VIVO

Dentro de un organismo entero.

PLACEBO

Una sustancia o tratamiento inactivo que tiene el mismo aspecto y se administra de la misma manera que un fármaco activo o intervención/tratamiento en estudio.

INVESTIGADOR PRINCIPAL

Persona responsable de la dirección científica y técnica de la totalidad del estudio clínico.

FÁRMACOS/MEDICAMENTOS PROHIBIDOS

Sustancias que los participantes no pueden tomar durante el ensayo clínico porque podrían afectar el estudio.

RÉGIMEN

Un tratamiento médico, un modo de vida o una dieta indicados para apoyar o restablecer la salud.

DETECCIÓN

Identificación de la enfermedad cuando no hay síntomas con la esperanza de hallarla en sus primeras etapas.


PATROCINADOR/PATROCINADOR DEL ESTUDIO

La organización o persona que inicia el estudio y que tiene autoridad y control sobre él.



INTERNATIONAL-NASH-DAY.COM
[#NASHDAY](https://twitter.com/NASHDAY)



 www.GlobalLiver.org
 [@GlobalLiver](https://www.facebook.com/GlobalLiver)
 [@GlobalLiver](https://twitter.com/GlobalLiver)
 [@GlobalLiverInstitute](https://www.instagram.com/GlobalLiverInstitute)
 [@GlobalLiverInstitute](https://www.linkedin.com/company/GlobalLiverInstitute)

Referencias

1. National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases. (2018, September). Clinical Trials for NAFLD & NASH. <https://www.niddk.nih.gov/health-information/liver-disease/naflid-nash/clinical-trials>
2. Lackner, C., Gogg-Kamerer, M., Zatloukal, K., Stumptner, C., Brunt, E. M., & Denk, H. (2008). Ballooned hepatocytes in steatohepatitis: the value of keratin immunohistochemistry for diagnosis. *Journal of hepatology*, 48(5), 821–828. <https://doi.org/10.1016/j.jhep.2008.01.026>
3. Pan, J. J., & Fallon, M. B. (2014). Gender and racial differences in nonalcoholic fatty liver disease. *World journal of hepatology*, 6(5), 274–283. <https://doi.org/10.4254/wjh.v6.i5.274>
4. Mayo Clinic. (n.d.) Clinical Trials: Volunteering. <https://www.mayo.edu/research/clinical-trials/deciding-to-volunteer>
National Institutes of Health, U.S. National Library of Medicine. (2019, March). Learn About Clinical Studies. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/learn>
5. National Institutes of Health, U.S. National Library of Medicine, [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). (2020, December). Glossary of Common Site Terms. <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/glossary>
7. U.S. Food & Drug Administration. (2018, January). Step 2: Preclinical Research. <https://www.fda.gov/patients/drug-development-process/step-2-preclinical-research>
8. National Comprehensive Cancer Network. (n.d.) Phases of clinical trials. https://www.nccn.org/patients/resources/clinical_trials/phases.aspx
9. Cancer.net. (2019, September). Phases of Clinical Trials. <https://www.cancer.net/research-and-advocacy/clinical-trials/phases-clinical-trials>
10. Karanicolas, P. J., Farrokhyar, F., & Bhandari, M. (2010). Practical tips for surgical research: blinding: who, what, when, why, how?. *Canadian journal of surgery. Journal canadien de chirurgie*, 53(5), 345–348. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC2947122/>
11. National Institutes of Health, U.S. National Library of Medicine. (2020, December). Glossary of Common Site Terms. [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/glossary). <https://clinicaltrials.gov/ct2/about-studies/glossary>

Publicado en 2022

El Global Liver Institute (GLI) es una organización sin ánimo de lucro exenta de impuestos (501(c)(3)), con sede en Washington, D.C., Estados Unidos, y oficinas en Estados Unidos y Europa. La visión del GLI es que la salud del hígado ocupe su lugar en la agenda de la salud pública mundial en proporción a la prevalencia y el impacto de las enfermedades hepáticas. La misión del GLI es mejorar la vida de las personas y familias afectadas por las enfermedades hepáticas mediante la promoción de la innovación, el fomento de la colaboración y el apoyo a la ampliación de los enfoques óptimos para ayudar a erradicar las enfermedades hepáticas. International NASH Day y su logo son una marca registrada del GLI Para obtener más información, visite www.GlobalLiver.org.

Este contenido está destinado a proporcionar información de salud útil para el público en general. Su objetivo no es sustituir el asesoramiento, el diagnóstico o el tratamiento médico profesional.