Guía para

Participación en investigación

¿Alguna vez ha considerado participar en investigación?

¿Sabe que la primera persona que se curará del Alzheimer será en un ensayo clínico? La participación en un estudio de investigación es una gran oportunidad para ayudar a encontrar tratamientos o una cura para el Alzheimer y las demencias. Los participantes del estudio contribuyen a la investigación recibiendo nuevos tratamientos experimentales o proporcionando a los investigadores evidencias importantes a través de observaciones a largo plazo.

¿Cuál es la diferencia entre un estudio clínico y un estudio de observación?

La investigación sobre el Alzheimer se realiza de diferentes maneras. Los dos tipos más comunes son los ensayos clínicos y los estudios de observación.

Los ensayos clínicos son estudios de investigación que se usan para probar la seguridad y la efectividad de un nuevo medicamento o tratamiento. Durante los ensayos clínicos, los participantes se colocan al azar dentro de dos o más grupos y reciben el nuevo tratamiento o un placebo. Un placebo, que se define con frecuencia como "una pastilla de azúcar", es un medicamento inactivo o un tratamiento que se usa para observar los efectos de la medicación experimental comparados con los efectos sin tratamiento. Durante el estudio, tanto usted como el equipo del estudio serán ciegos (no sabrán) en qué grupo está. Durante el estudio, se controla muy de cerca la seguridad del participante.

Los **Estudios de observación** quieren recopilar información para entender mejor cómo tratar los síntomas de diagnóstico del Alzheimer y de otras enfermedades neurológicas. Esto conlleva al diseño de estudios clínicos más efectivos. Cada estudio de observación es único. Algunos estudios se realizan online, algunos consisten en una sola visita, y otros incluyen varias visitas al centro de investigación. Algunos estudios de observación actualmente en marcha incluyen el uso de tecnología, como móbiles o computadoras, para reconocer los cambios del cerebro. Esta información puede ayudar a los médicos a identificar a alguien en riesgo de desarrollar una enfermedad cerebral o diagnosticar antes a las personas.

Otros estudios de observación pretenden responder preguntas importantes, como porqué una persona que está preocupada sobre su memoria y su pensamiento puede tener un riesgo mayor de desarrollar una enfermedad cerebral y qué papel puede jugar el sueño en la progresión de la enfermedad. Estos estudios buscan inscribir tanto voluntarios sanos como otros que viven con una enfermedad cerebral.

Contenido:

Ensayos clínicos versus estudios de observación.....2

Visitas antes de la revisión y visitas para la revisión.....3

MRI y PET Scans.....4

Pruebas de memoria y administración de medicamentos.....5

Preguntas frecuentes.....6

Recursos.....7- 8

MASSACHUSETTS Alzheimer's Disease Research Center

Mass General Brigham

ENSAYOS CLÍNICOS

VS

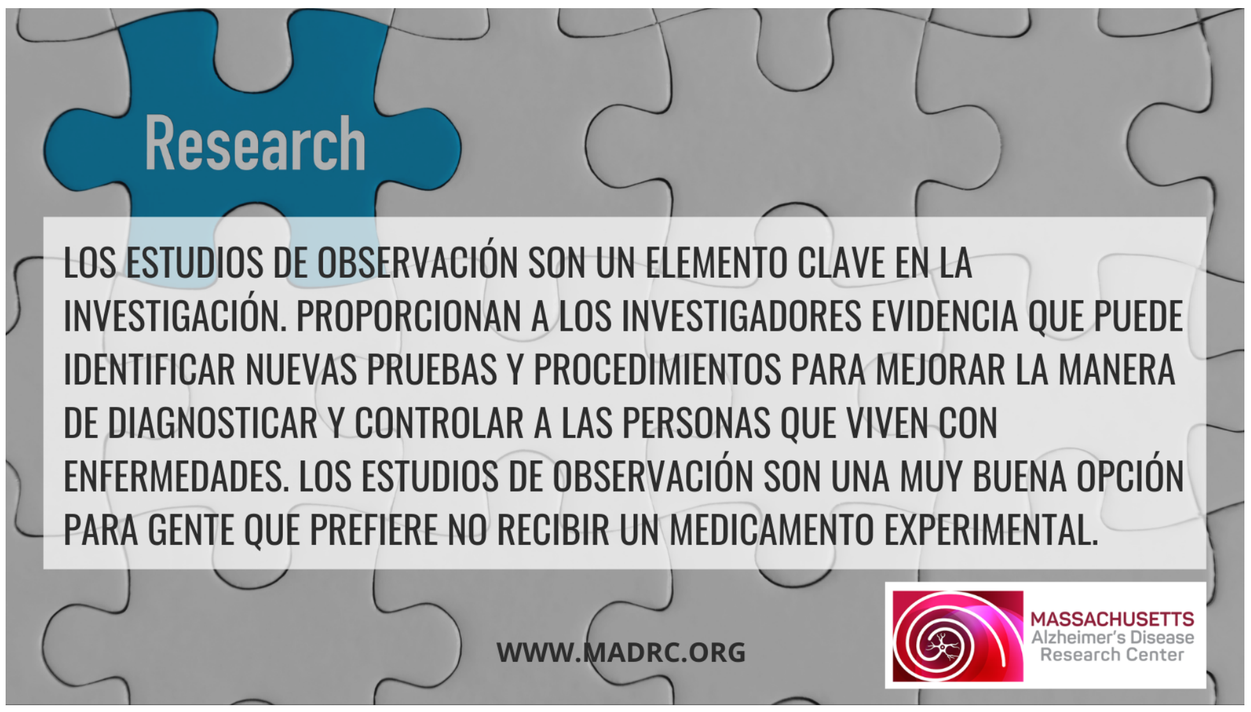
ESTUDIOS DE OBSERVACIÓN

COMPARANDO LOS DOS TIPOS DE INVESTIGACIÓN

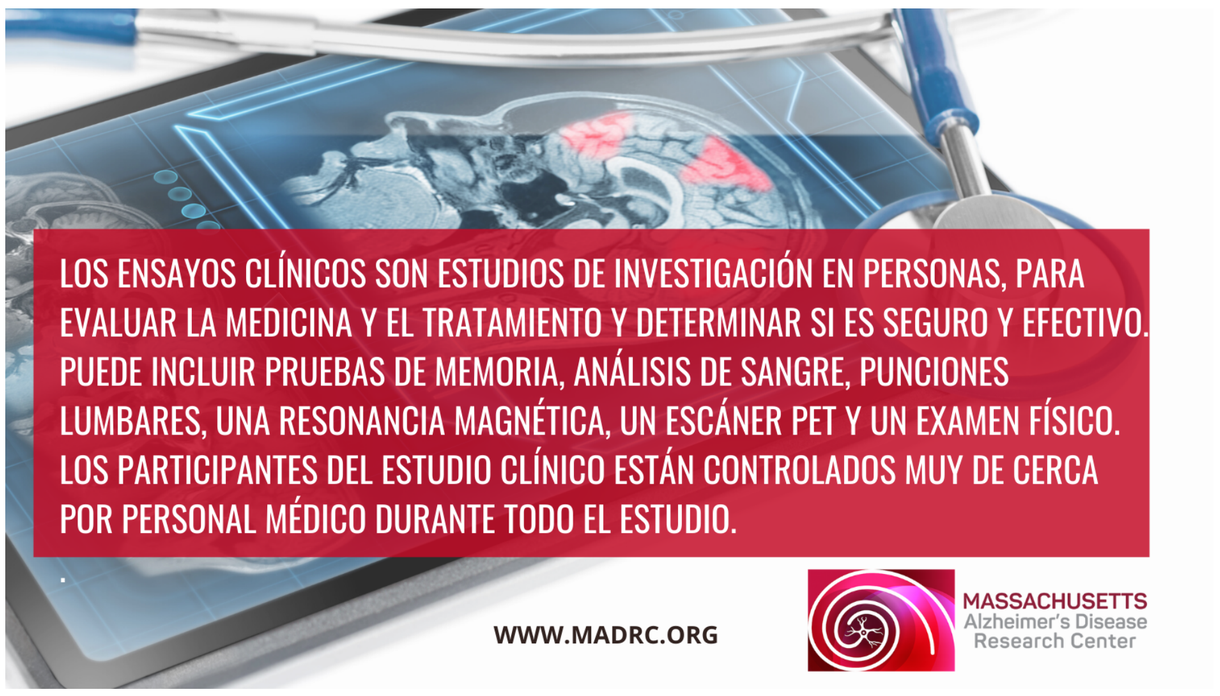
Ensayos clínicos	Estudios de observación
Determina nuevas maneras de tratar o de prevenir la enfermedad	Determina nuevas maneras de detectar y de seguir la enfermedad
Incluye una intervención con un medicamento o tratamiento para saber si es seguro y efectivo	No incluyen tratamientos ni intervenciones
Los participantes se distribuyen al azar en grupos y reciben un tratamiento de investigación o están dentro del grupo de control que recibirá una cura estándar o un placebo	Se pueden realizar evaluaciones clínicas como pruebas de memoria, resonancias magnéticas (MRI), escáneres PET, exámenes físicos, punciones lumbares y análisis de sangre
Ni el equipo de estudio ni los participantes saben en qué grupo estarán	Las evaluaciones pueden ayudar a identificar nuevas pruebas, procedimientos, biomarcadores, que mejoran la manera de diagnosticar o controlar a las personas que viven con la enfermedad El estudio puede ayudar a informar sobre el desarrollo de un estudio clínico
Se pueden realizar evaluaciones clínicas como pruebas de memoria, resonancias magnéticas (MRI), escáneres PET, exámenes físicos, punciones lumbares y análisis de sangre	Puede que sea una o más visitas
El equipo de investigación controla la seguridad y la eficacia	MASSACHUSETTS Alzheimer's Disease Research Center

"Formar parte de un equipo que busca la cura y la prevención del Alzheimer y mejorar de esta manera la vida de futuras generaciones es un sentimiento maravilloso. Donar dinero está bien, pero participar en la lucha es mejor y más gratificante."
– Participante en investigaciones

"Reconozco que la idea de participar en estudios de investigación no es algo con lo que todo el mundo se sienta cómodo. Mi sugerencia es empezar con estudios de observación como una manera de entrar poco a poco."
– Asociado en estudios de investigación



"Además de una evaluación personalizada de la salud de mi cerebro, en cada visita con el personal de CART me siento como si estuviese entre amigos. La comunidad de los participantes en investigaciones se ha convertido en una parte importante de mi vida. Normalmente soy una persona introvertida, pero me ha encantado formar parte de la gente increíble que vive con problemas de memoria y que forman parte de la investigación de CART."
- Participante en investigaciones



"En el voluntariado se recibe más de lo que se da. El personal es fantástico, sientes que formas parte de una família y tu colaboración puede llevar a una cura. ¿Qué mejores motivos hay para ser voluntario?"
- Participante en investigaciones

¿Qué incluye un examen clínico?

Cada estudio es diferente, pero estas son algunas de las partes más comunes al participar en un ensayo clínico:

Paso 1: Pre-evaluación

El primer paso es una llamada telefónica de pre-evaluación en la cual se podrá revisar su historial médico y realizar una prueba de memoria breve. Esto ayudará a determinar en qué estudio puede calificar. Cada estudio tiene diferentes criterios de inclusión y exclusión (motivos por los cuales una persona no es elegible para participar) para inscribirse. Algunos de los motivos más comunes para excluirle de un ensayo clínico son:

- Medicamentos excluyentes como los usados para las convulsiones, estimulantes para el TDAH o el uso regular de algunos sedantes.
- Diagnóstico y/o tratamiento de cáncer en los últimos 2-5 años
- Puntuación demasiado alta o demasiado baja en pruebas de memoria
- Otras enfermedades neurodegenerativas o trauma en la cabeza

Durante la llamada de la pre-evaluación, puede que le pidan que firme un formulario que permita el acceso a sus registros médicos. De este modo, usted autoriza la revisión de sus registros médicos para determinar si usted es elegible para algún estudio. El formulario recopila información básica y los nombres de los médicos que usted visita con frecuencia, incluyendo su neurólogo (si tiene uno). Después pediremos sus registros médicos y los médicos del estudio los revisarán.

Cuando su registro médico esté completo, le llamaremos para informarle sobre los estudios para los cuales es elegible. Si califica para múltiples estudios, le daremos la información de cada estudio para que la revise y así pueda usted elegir. Cada estudio dispone de un formulario de consentimiento que revisa detalles específicos del estudio, incluyendo los riesgos asociados y sus derechos como participante. Hablaremos en detalle del formulario de consentimiento durante su primera visita. Nuestro personal investigador y nuestros embajadores de investigación (participantes en la investigación actuales y pasados) estarán disponibles para contestar cualquiera de sus preguntas y solucionar cualquier duda.

Para participar en un ensayo, necesitará un compañero de estudio. Su compañero de estudio debe ser alguien que le conoce bien y con quien pasa tiempo de forma regular. Algunos ejemplos de un buen compañero de estudio son el esposo/a o el compañero/a, un familiar o un amigo cercano. Se le pedirá a su compañero de estudio que responda preguntas sobre su memoria, funcionamiento diario y/o estado de ánimo o comportamiento.

Paso 2: Visita de evaluación

La visita de evaluación inicial para un estudio es una cita de entre 3 y 5 horas de duración que incluye varios componentes:

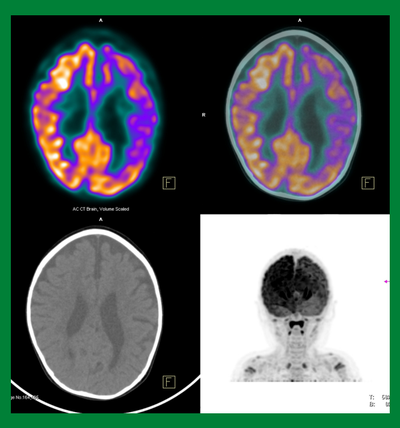
- Revisión del formulario de consentimiento con uno de nuestros médicos del estudio
- Tomar sus signos vitales y seguramente una muestra de sangre, de orina o un EKG
- Revisión de su historial médico y medicamentos actuales

Pruebas cognitivas y cuestionarios sobre sus actividades diarias, estado de ánimo y comportamiento.

Las evaluaciones son importantes para asegurar que el estudio es seguro para usted. Debe superar cada uno de los componentes para calificar para el ensayo. Puede que no sea elegible para el estudio en cualquier momento de la visita de la evaluación. Los motivos más comunes para su inegibilidad pueden ser:

- Puntuar demasiado alto o demasiado bajo en las pruebas de memoria.
- Análisis de sangre, de orina o EKG anormales
- Respuestas a las preguntas que lo excluyen debido a su diagnóstico de demencia

Si no supera la evaluación, le buscaremos estudios adicionales. Si supera todos los componentes, le programaremos citas adicionales para realizarle escáneres de imágenes de resonancia magnética (MRI) y/o escáneres de tomografía de emisión de positrones (PET). Estos se usan para determinar la elegibilidad basándose en imágenes de su cerebro.



¿QUÉ ES UN ESCÁNER PET?

Un escáner tomográfico de emisión de positrones (PET) es una prueba de imagen que nos permite mirar la proteína en el cuerpo de un individuo usando un medicamento de investigación que se llama "trazador" que trabaja uniéndose a la proteína. Cada trazador se administra a través de una vía intravenosa (IV) colocada en el brazo.

Nuestros estudios usan diferentes trazadores para mirar dos proteínas específicas del cerebro asociadas al Alzheimer, pero también presentes en cerebros sanos, motivo por el cual esperamos aprender más. Cada trazador contiene una pequeña dosis de un colorante radioactivo, y este colorante es lo que hace "encender" a la proteína en la imagen para que podamos ver donde y en qué cantidad está. Los trazadores que usamos en nuestros estudios han estado probados en miles de personas y todas han estado seguras.

¿QUÉ ES UN MRI?

Normalmente usamos escáneres de imágenes de resonancia magnética (MRI) para nuestros estudios. Esto nos permite ver la estructura y función de su cerebro. Después usamos la imagen como un "mapa de su cerebro" para entender dónde se concentran la mayoría de las diferentes proteínas en el cerebro.

Paso 3: escáneres MRI y PET

Como parte del proceso de evaluación, normalmente se le realizará un escáner MRI y un PET.

MRI: MRI significa imagen de resonancia magnética. Estos escáneres se usan para controlar la seguridad durante los ensayos, y signos de convulsiones, áreas con sangrado y cambios de volumen en su cerebro.

PET: PET significa tomografía por emisión de positrones. Estos escáneres usan contrastes radioactivos para medir los niveles de las proteínas amiloide y tau en el cerebro. Muchos medicamentos en fase de investigación se enfocan en una de estas dos proteínas, con lo cual los escáneres PET ayudan a los investigadores a controlar la respuesta del tratamiento.

Puede que lo excluyan del ensayo basándose en los resultados de los escáneres de MRI y PET. En algunos ensayos, necesita tener un cierto nivel acumulado de proteína amiloide para poder calificar. Además, si se encuentran algunas anormalidades en su escáner de MRI, como un tumor, puede ser excluído.

Paso 4: Punción lumbar (puede ser opcional)

Algunos de nuestros ensayos incluyen una punción lumbar, para sacar una pequeña cantidad de fluido cerebroespinal (CSF) de la columna vertebral. Esto se realiza usando un anestésico local en la parte inferior de su espalda e insertando una pequeña aguja entre dos vértebras. Después, en este fluido se analizan las mismas proteínas amiloide y tau visible a través de escáneres PET. Las punciones lumbares las realizan médicos expertos con dilatada experiencia realizando este procedimiento. Si desea más información sobre punciones lumbares, pregunte a nuestro personal sobre folletos específicos del estudio.

Paso 5: Visita base de partida/asignación al azar

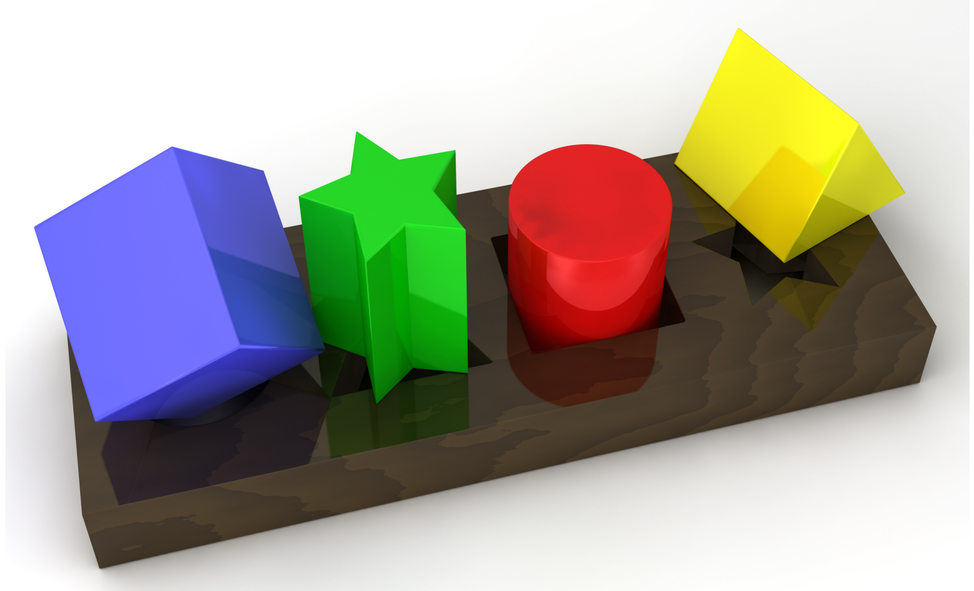
Una vez superados los pasos anteriores, asistirá a una visita de asignación al azar. Esta visita puede durar hasta cuatro horas, y puede incluir pruebas de memoria, cuestonarios tanto para usted como para su compañero de estudio, y recolección de signos vitales y de muestras de sangre y de orina. Incluso podrá recibir la primera dosis, ya sea del medicamento o del placebo, a través de una pastilla, infusión o inyección. Puede que le pidamos que se quede en el centro un rato después de las primeras dosis, como medida de precaución.

Visitas rutinarias del estudio

Después de la primera visita, vendrá a la clínica para visitas del estudio programadas y rutinarias. Estas visitan incluirán infusión o distribución del medicamento. Algunas sesiones pueden incluir pruebas de memoria adicionales, escáneres del cerebro o cuestionarios que deben ser completados por usted o por su compañero de estudio.

Pruebas de memoria

Se le realizará una prueba cognitiva en su primera visita de evaluación y en su visita de partida, y también periódicamente durante el resto del estudio. Estas pruebas determinan cambios en ciertos aspectos cognitivos, como la función ejecutiva y la memoria, durante el transcurso del estudio. La mayoría de las pruebas consisten en tareas como dibujar formas, recordar listas cortas de palabras, identificar objetos, y recordar partes de una historia corta. Otras tareas pueden completarse usando la tableta o la computadora. También rellenará cuestionarios, ya sea usted solo o con uno de sus calificadores. Estos cuestionarios le preguntan sobre cambios en sus actividades diarias, memoria, estado de ánimo, comportamiento y salud y bienestar general. Sus respuestas se usarán para evaluar los cambios a medida que pasa el tiempo.



Administración de medicamentos del estudio

Si usted está en un estudio que incluye un medicamento experimental, siempre le preguntaremos sobre sus condiciones médicas actuales, medicamentos, y cualquier cambio que pueda haber ocurrido desde su última visita. El estudio de administración de medicamento es un estudio específico y puede variar la forma en que se puede administrar el medicamento.

En algunos estudios, el medicamento es en forma de pastilla, y se toma oralmente cada día durante la duración del estudio. En otros estudios, el medicamento es a través de infusión intravenosa (IV). La duración y frecuencia de las infusiones depende del estudio. Las infusiones de medicamento se realizan a través de una bomba IV bajo la supervisión de infermeros, neurólogos, y/o médicos asistentes del estudio. Una vez ha recibido el medicamento del estudio, le quitarán el IV.

En otros estudios, el medicamento se recibe a través de una inyección dentro del tejido (normalmente en el hombro o el abdomen). Estas inyecciones las da un enfermero del estudio. La frecuencia de estas inyecciones depende del estudio.

Análisis y electrocardiograma (EKG o ECG)

En las visitas de evaluación y durante todo el estudio, se realizarán análisis de sangre y EKG. El motivo principal es para confirmar que usted está relativamente sano y para controlar cualquier cambio clínico significativo a medida que pasa el tiempo. En los ensayos clínicos, esto sirve para asegurar que usted no tiene ningún efecto adverso debido a la medicación experimental. El motivo secundario es evaluar la efectividad del medicamento y guardar muestras, con su consentimiento, para investigaciones futuras.

Un electrocardiograma (EKG o ECG) es un tipo común de prueba diagnóstica, que se usa para controlar la salud del corazón y detectar cualquier problema, a través de electrodos colocados en el pecho.

Estudios de investigación - Preguntas frecuentes

Q: ¿Qué opciones de transporte tengo para ir al centro de investigación?

A: Le pediremos que lo hable con el personal del estudio en concreto. Algunos estudios cubren el coste del transporte a los participantes en la investigación y/o validan párquing en garajes del hospital. Además, algunos estudios reembolsan a los participantes con un estipendio para cada visita.

Los sitios del estudio de Brigham & Women's Hospital (BWH) y el Massachusetts General Hospital (MGH) son accesibles a través de transporte público.

Q: ¿Debo pagar para formar parte del estudio o mi participación se cargará a mi seguro médico?

A: No, todas las actividades relacionadas con el estudio son gratis para usted. Los costes los asume la compañía farmacéutica que produce el medicamento, el NIH, fundaciones, fondos filantrópicos, u otras subvenciones de investigación. Si usted decide ver uno de nuestros neurólogos en la clínica fuera del estudio, esto se cargará a su seguro. Sin embargo, todas las visitas del estudio, escáneres, medicamentos y gastos son libres de coste para usted.

Q: ¿Los medicamentos que se prueban están aprobados por la Administración de comida y medicamentos (FDA)?

A: Aún no. Si tienen éxito, los medicamentos de nuestros ensayos se presentarán a la FDA para que ésta los apruebe después de finalizar el ensayo de la fase III (la última etapa de prueba de un medicamento). Sin embargo, la mayoría de nuestros ensayos están en las fases II o III, lo que significa que muchas de las pruebas de seguridad ya se han completado durante la fase I y ahora nos centramos en la eficacia.

Q: ¿Qué sucede cuando finaliza el estudio? ¿Podré tomar el medicamento en ese momento si estaba tomando el placebo?

A: Algunos de nuestros ensayos tienen lo que se llama una fase de "extensión de etiqueta abierta", en la que los particpantes toman el medicamento, independientemente del estatus previo en el grupo del placebo o del medicamento, en esta parte extendida del estudio. No todos los ensayos tienen esta fase de extensión, y algunos no pueden garantizar esta fase hasta que se haya realizado un análisis provisional.

Q: Durante el curso del estudio ¿Qué información tendré sobre mi salud/funcionamiento cognitivo?

A: Durante el estudio, no recibirá puntuaciones individuales ni resultados de pruebas y escáneres, puesto que esto introduce el riesgo de sesgo en el estudio. Sin embargo, si se encuentra alguna cosa clínicamente significativa (problemática o peligrosa para su salud) durante las pruebas o los escáneres, se le notificará y se le guiará para recibir los cuidados clínicos apropiados. Además, usted puede pedir programar una visita con uno de nuestros médicos del estudio para hablar de sus puntuaciones en las pruebas y de cómo le va en el estudio.

Q: ¿Cuales son las opciones de recibir el medicamento vs el placebo?

A: Depende del estudio. En algunos estudios, los grupos están divididos 50-50, y en algunos hay múltiples grupos de tratamiento con dosis diferentes. En este caso, sus posibilidades de recibir el medicamento pueden ser, por ejemplo de 2 sobre 3 o de 3 sobre 4.

Q: Antes de inscribirme ¿Hablarán con mi médico o neurólogo? ¿Mi neurólogo o médico recibirá los resultados de mis pruebas a medida que progrese el estudio?

A: Antes de la evaluación, contactaremos con su neurólogo y su médico de cabecera para tener acceso a sus informes médicos. Después de la inscripción, actualizaremos a su equipo de salud sobre el estatus en el estudio, y también les indicaremos si se encuentran algunos hallazgos preocupantes en pruebas, escáneres o analíticas.

Q: ¿Cuales son los efectos secundarios de los medicamentos del estudio?

A: Esto depende de cada estudio. Los medicamentos del estudio pueden tener efectos secundarios leves, como dolores de cabeza, mareos o náuseas, o efectos secundarios más significativos, como inflamación en el cerebro de forma temporal o irreversible. Todos los efectos secundarios se remarcarán en el formulario de consentimiento, que debe revisar a conciencia y firmarlo antes de tomar parte en el estudio.

Q: ¿Cuando recibiré los resultados del estudio?

A: Cuando todos los participantes hayan completado el estudio. Es decir, cuando el último participante de todos los sitios del estudio complete la porción doble ciego del ensayo, el esponsor dedicará unos meses a comprobar que no haya errores y a analizar los datos. Después de esto, los resultados preliminares se darán a conocer al público. En ese momento se le notificará si usted ha recibido un medicmento o un placebo.

Recursos para pacientes y cuidadores

Recursos para pacientes y cuidadores Alzheimer's Association, MA/NH Chapter National línea de ayuda: 800-272-3900, www.alz.org

Association for Frontotemporal Degeneration línea de ayuda: 866-507-7222, www.theaftd.org

Alzheimer's Foundation of America Línea directa nacional: 866-232-8484, www.alzfdn.org

National Institute on Aging: Alzheimer's Disease Education and Referral Center (ADEAR) ADEAR Center: 800-438-4380, www.nia.nih.gov/health/about-adear-center

Lewy Body Dementia Association LBD Caregiver: 888-204-3054, www.lbda.org

Información sobre ensayos clínicos nacionales

La participación en estudios de investigación, tanto de la persona con demencia como de su cuidador, ayudará de manera significativa a los científicos a encontrar tratamientos más efectivos contra el Alzheimer y las demencias. Están disponibles numerosas oportunidades de investigación a través de los sitios del Massachusetts Alzheimer's Disease Research Center (vea el gráfico a continuación).

Información sobre ensayos clínicos nacionales: www.clinicaltrials.gov

National Institute on Aging: Alzheimer's Disease Education and Referral Center (ADEAR):
800-439-4380

Alzheimer's Association TrialMatch: 800-272-3900

Alzheimer Prevention Network: www.alzpreventionnetwork.org

Center for Alzheimer Research & Treatment

Brigham & Women's Hospital
Center for Alzheimer Research & Treatment
(617) 732-8085
CART@partners.org

Mass General Brigham

Massachusetts General Hospital
Frontotemporal Disorders Unit
(617) 726-8689
MGHTFDUNIT@partners.org

ACTRU
Alzheimer's Clinical & Translational Research Unit

Massachusetts General Hospital
Alzheimer's Clinical & Translational Research Unit
KCROPP1@mgh.harvard.edu

Massachusetts General Hospital
Lewy Body Dementia Unit
(617) 726-1728
mquan4@mgh.harvard.edu

MASSACHUSETTS Alzheimer's Disease Research Center

Massachusetts Alzheimer's Disease Research Center
https://www.madrc.org/join-a-study/
To speak with someone about research studies: (617) 278-0600

Responsables del contenido

Dorene Rentz, PsyD
Gad Marshall, MD
Lenore Jackson-Pope, MSM, BSN, CCRP

Colaboradores de contenido

Katie Brandt
Christine Brown
Orett Burke
Nicole Chan
Hadley Hustead
Judy Johanson
Leah Levine
Alison Pietras, PA-C
Jeff Robins, LICSW
Roser Rovira
Christopher Wight, LCSW