



# TERAPIAS GENÉTICAS PARA FQ

## PREGUNTAS PARA HACER ANTES DE INSCRIBIRSE EN UN ENSAYO CLÍNICO

Antes de que inicie el estudio clínico, se reunirá con el especialista en fibrosis quística a cargo del estudio o el coordinador de investigación para obtener más información sobre el estudio. Es su derecho saber todo sobre su papel en un estudio clínico. Cada estudio es diferente, así que siéntase libre de hacer todas las preguntas que necesite.

Si no está seguro de qué preguntar, comience con las siguientes preguntas. También puede consultar el reverso de este documento para obtener respuestas a algunas de las preguntas más frecuentes de la comunidad sobre la participación en ensayos clínicos.

### PREGUNTAS SUGERIDAS

1. ¿Cuál es el propósito de este estudio?
2. ¿Por qué cree que soy un buen candidato para este estudio?
3. ¿Cuáles son los posibles beneficios de participar en este estudio?
4. ¿Cuáles son los posibles riesgos para mí si participo?
5. ¿Cuántas personas participarán en el estudio?
6. ¿Puede explicar lo que se sabe sobre mi mutación genética?
7. Si participo en este estudio, ¿podré inscribirme en una futura terapia genética u otros estudios?
8. ¿Cómo funciona el fármaco en estudio?
  - ¿Afectará esto a mi ADN u otros genes?
  - ¿Durará este tratamiento para siempre o tendrá que repetirlo?
  - ¿Qué partes de mi cuerpo se verán afectadas? (p. ej., pulmones, otros órganos)
  - ¿Revertirá esto mi daño pulmonar existente?
  - ¿En qué es diferente el fármaco del estudio de tomar un modulador?
9. ¿Qué tendría que hacer si participo en este estudio?
  - ¿Cuánto dura el estudio?
  - ¿Cuántas visitas del estudio hay y cuánto tiempo durará cada visita?
  - ¿Qué pruebas o procedimientos tendrá que hacer?
  - ¿Cómo se administra el fármaco del estudio? (p. ej., inhalado, oral, inyección)
  - ¿Necesito cambiar cualquiera de mis otros tratamientos?
10. ¿Podré ver mis propios datos durante el estudio?
11. ¿Quién más podrá ver mis datos (historia clínica)? ¿Cómo se protegerá mi identidad?
12. Si se toman muestras como sangre o tejido, ¿cuánto tiempo se conservarán y quién tendrá acceso a ellas?
13. Si estoy respondiendo bien al tratamiento, ¿puedo continuar con el tratamiento después de que finalice el estudio?

# PARTICIPAR EN UN ENSAYO CLÍNICO: PREGUNTAS FRECUENTES

## ¿Cómo se protegerá mi seguridad durante el estudio?

Cada ensayo clínico debe pasar por muchos niveles de revisión rigurosa antes de que pueda comenzar. El gobierno de EE. UU. cuenta con estrictas directrices y salvaguardas para mantener los riesgos lo más bajos posible y garantizar que cualquier riesgo valga la pena. Además de estos requisitos, añadimos medidas de seguridad adicionales para los ensayos sobre la FQ. Cada ensayo clínico es supervisado por un comité de expertos independientes, incluidos médicos, investigadores, eticistas, estadísticos y personas con FQ. Estos comités son responsables de proteger la seguridad y el bienestar de todas las personas que participan en un ensayo clínico de FQ, y toman muchas medidas para garantizar que los ensayos sean seguros, entre ellos:

- Revisar el protocolo antes de que comience el estudio para asegurarse de que incluye un plan adecuado para supervisar la seguridad de los participantes
- Supervisar el estudio en tiempo real y a intervalos regulares para detectar los signos tempranos de posibles efectos secundarios
- Si es necesario, sugerir cambios o incluso interrumpir el ensayo para proteger la seguridad de los participantes

## ¿Qué sucederá si enfermo durante el estudio?

El equipo del estudio supervisará su salud a lo largo del estudio. Si experimenta algún cambio en sus síntomas de la FQ o en su salud general, trabajarán estrechamente con usted para determinar si puede continuar con el estudio de forma segura. Si en algún momento el equipo del estudio considera que el estudio no es lo mejor para usted, no solo tienen derecho, sino también el deber, de sacarlo del estudio.

## ¿Con quién me pongo en contacto si no me encuentro bien o si tengo preguntas durante el estudio?

Es importante mantener informado al equipo del estudio sobre cualquier cambio en la salud o inquietudes que pueda tener durante un estudio. Antes de inscribirse en un estudio, identifique con qué miembro(s) del equipo del estudio debe ponerse en contacto si tiene preguntas o inquietudes y tenga a mano su información de contacto. Si se siente mal, el equipo del estudio también puede recomendar que se ponga en contacto con su equipo de atención habitual para la FQ.

## ¿Puedo dejar de participar en el estudio?

Su seguridad es la prioridad principal y su participación en cualquier estudio clínico siempre es voluntaria. Si alguna vez cree que participar en el estudio no es lo mejor para usted, puede decidir dejar de participar en cualquier momento.

## ¿Se me compensará por mi tiempo?

Algunos estudios clínicos pueden compensarlo por participar y las cantidades pueden variar. Esta es una decisión tomada por el patrocinador del estudio, quien paga el estudio. Recibirá información sobre la compensación durante el proceso de consentimiento informado antes de que comience el estudio.

## ¿Se me reembolsarán los gastos relacionados con el estudio (p. ej., kilometraje, estacionamiento, comidas, etc.)?

La mayoría de los estudios ofrecen reembolso por los gastos en los que usted incurre como resultado de su participación, incluyendo comidas, kilometraje y estacionamiento, así como pasajes de avión y estadías en hoteles, si es necesario. Es posible que algunos gastos, como el cuidado de niños, no estén cubiertos. Antes de inscribirse en un ensayo, pregunte al equipo del estudio que costos se reembolsarán.

## ¿Cuándo podré conocer los resultados del estudio y si recibí el fármaco del estudio o un placebo?

La manera más fácil de conocer el progreso de su ensayo clínico es hablar con su coordinador de investigación. Una vez finalizado el ensayo, el patrocinador del estudio proporcionará información sobre quién recibió el tratamiento y quién recibió el placebo, y su coordinador de investigación podrá compartir esta información con usted. Si el patrocinador del estudio no proporciona esta información de forma proactiva, su coordinador de investigación puede realizar una consulta al patrocinador. También puede hacer un seguimiento de los resultados del estudio utilizando Clinical Trial Finder ([cff.org/finder](http://cff.org/finder)) o buscando el ensayo en [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov).

## ¿Existe la posibilidad de que una terapia genética pueda afectar el ADN/los genes a los que no está dirigida?

Es importante comprender que todos los ensayos clínicos para terapias experimentales implican algún nivel de riesgo. Si bien las terapias genéticas actualmente en desarrollo para la FQ están dirigidas solo a las células pulmonares, un riesgo posible es la absorción no intencionada por tipos de células no objetivo. Esto podría dar lugar a la creación de la proteína CFTR o a cambios en el gen CFTR en células no objetivo. También existe un riesgo pequeño de que las terapias de edición genética hagan cambios no deseados en los genes distintos del CFTR. Los detalles sobre estos tipos de riesgos son específicos de cada terapia genética y es probable que se encuentren en el consentimiento informado.

## Estoy pensando en tener un bebé en el futuro. ¿Afectaría una terapia genética mi fertilidad o la de mi futuro hijo?

Debido a que las terapias genéticas actualmente en desarrollo para la FQ solo se administrarán a los pulmones, no se espera que tengan ningún efecto en el aparato reproductor. Estas terapias no se dirigen a las células de la línea germinal (es decir, espermatozoides y óvulos) que participan en la reproducción, y los efectos de la terapia no se transmitirían de padres a hijos. Adicionalmente, a diferencia de la terapia genética para la enfermedad de células falciformes, las terapias genéticas para la FQ no requerirían quimioterapia ni ningún otro procedimiento que pudiera afectar la fertilidad.

Debido al riesgo pequeño de absorción no deseada, las reglamentaciones gubernamentales requieren estudios preclínicos extensivos diseñados para detectar cualquier absorción no intencional o cambios en el ADN de las células, incluidas las células de la línea germinal. Estos estudios deben realizarse antes de que una terapia genética llegue a los ensayos clínicos en personas con FQ.