

**Módulo. INVESTIGACIÓN EN HIPERTENSIÓN PULMONAR
PARA PACIENTES**

Asociación Nacional de
HIPERTENSIÓN PULMONAR

Contenido del módulo IIA. Investigación en la Hipertensión Pulmonar para pacientes

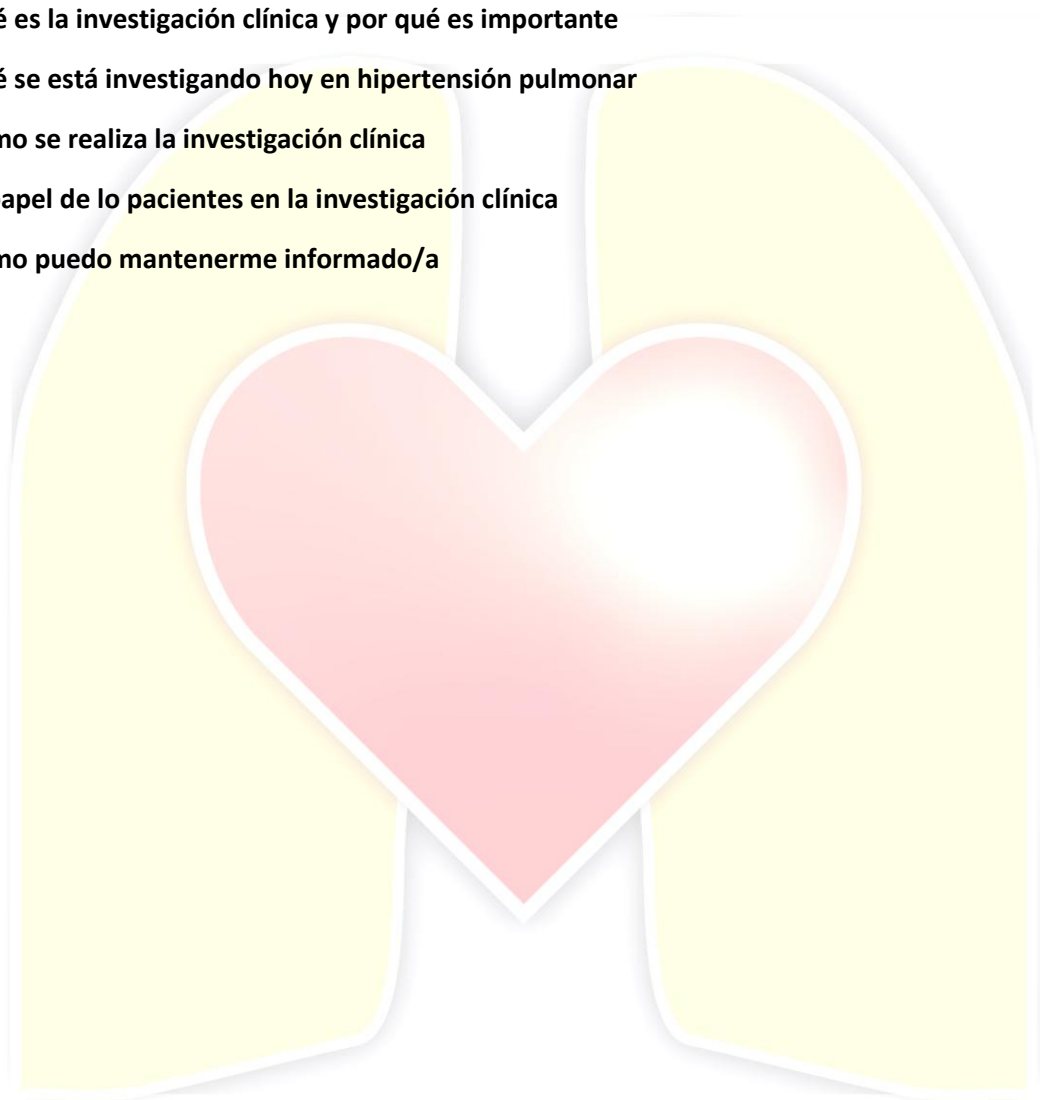
Qué es la investigación clínica y por qué es importante

Qué se está investigando hoy en hipertensión pulmonar

Cómo se realiza la investigación clínica

El papel de los pacientes en la investigación clínica

Cómo puedo mantenerme informado/a



Asociación Nacional de
HIPERTENSIÓN PULMONAR

El contenido de dicho módulo está elaborado por la Asociación Nacional de Hipertensión Pulmonar siendo supervisado por el Comité Científico de la entidad.

Introducción

Como hemos visto en el módulo II de este curso, la hipertensión pulmonar es una enfermedad vascular compleja y en algunas de sus tipologías, poco frecuente. Hoy en día, sabemos mucho más de lo que se sabía hace una década o dos y, hoy en día las personas diagnosticadas tienen más opciones terapéuticas que hace unos años. Esto es gracias al trabajo de médicos, investigadores y de la implicación de personas, como tú, que han formado parte de este camino de la investigación favoreciendo a que haya más tratamientos, técnicas de diagnóstico y estrategias de cuidados que mejoren la calidad de vida y lo que más nos importa, la supervivencia.

Por tanto, la investigación clínica es la base sobre la que se construyen los avances que mejoran la vida de las personas con hipertensión pulmonar. Comprender cómo funciona la investigación, qué se está estudiando actualmente y cómo tú, como paciente, puedes tener un rol activo, es clave para que te sientas más informado/a, empoderado/a y parte del cambio.

En este módulo aprenderás qué es la investigación clínica, cómo se desarrollan los ensayos, qué derechos y protecciones tienen los participantes, y cómo puedes acceder a información confiable o incluso participar en estudios si lo deseas.

La investigación no solo es para científicos: también es una herramienta de esperanza para los pacientes y sus familias.

El objetivo de este módulo es que te sientas más informado/a, con herramientas para decidir si te interesa participar en algún estudio o ensayo, y con la confianza de que tu voz, tu experiencia e implicación son parte esencial de esta gran misión.

A s o c i a c i ó n N a c i o n a l d e
H I P E R T E N S I Ó N P U L M O N A R

Qué es la investigación y por qué es importante

La investigación es el proceso de buscar respuestas a preguntas importantes para entender mejor cómo funcionan las cosas. En salud, la investigación ayuda a saber:

- ¿Por qué aparece una enfermedad?
- ¿Cómo podemos detectarla antes?
- ¿Qué tratamientos funcionan mejor?
- ¿Cómo podemos mejorar la calidad de vida de las personas que padecen la enfermedad?
- ¿Curación?

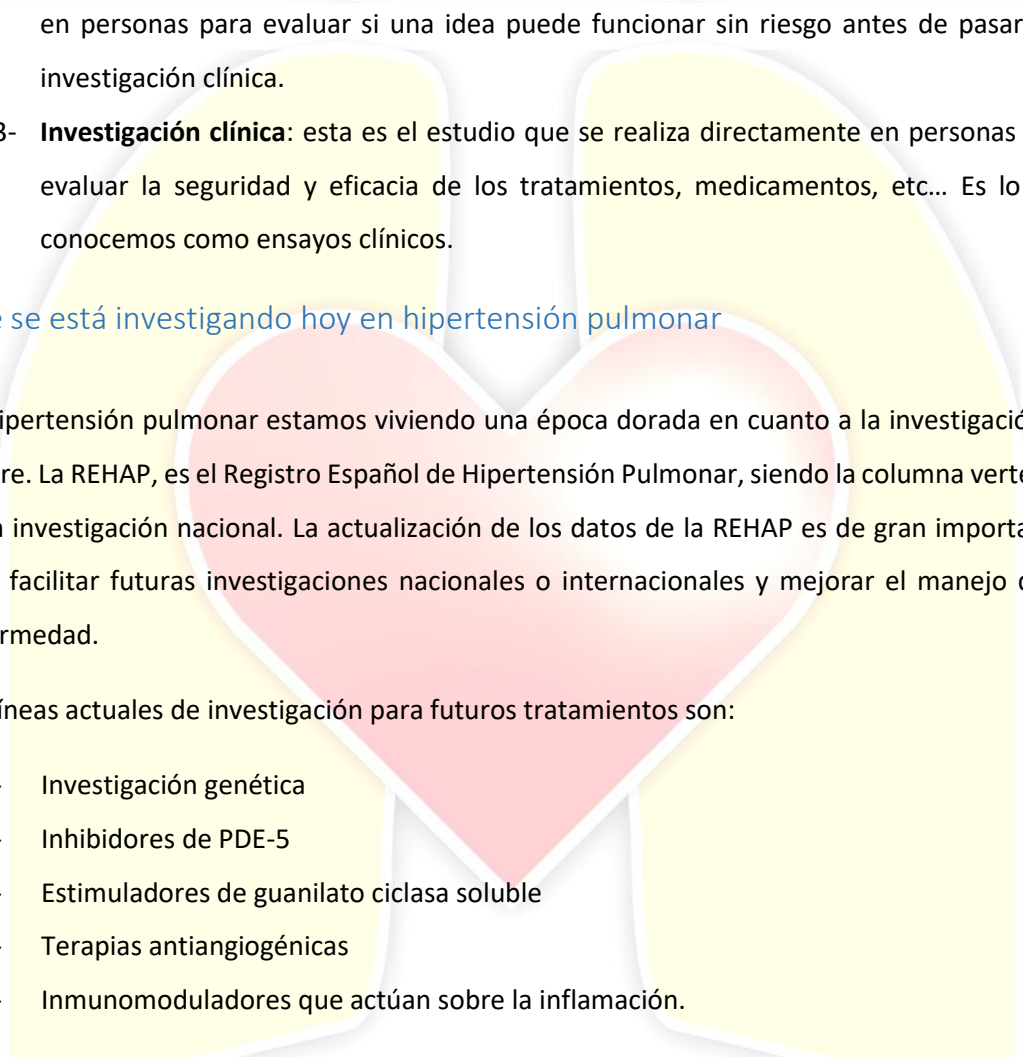
En definitiva, la investigación es ese camino que empieza de “no sabemos” al “ahora sabemos algo con lo que podemos ayudar mejor”.

¿Qué tipos de investigación existen?

Existen diferentes tipos de investigación y todas se complementan entre sí. A continuación, detallamos cuáles son, con ejemplos relacionados con la hipertensión pulmonar.



- 1- **Investigación básica:** es aquella en la que nos ayuda a conocer cómo funciona el organismo (qué ocurre a nivel celular o molecular) y qué puede estar causando la enfermedad, como la hipertensión pulmonar. Este tipo de investigación nos ayuda a entender el origen de la enfermedad. A través de este tipo de investigación se descubrió que en la vía de BMPR2 se encuentra el 80% de las mutaciones genéticas en hipertensión pulmonar, pero también se ha descubierto que esta vía “funciona mal” en aquellos pacientes que no tienen mutación genética. De ahí que se haya focalizado muchos de los estudios en esta vía.

- 
- 2- **Investigación traslacional:** esta investigación es la que prueba medicamentos o tratamientos en el laboratorio (in vitro) o en modelos animales (en vivo) antes de usarlo en personas para evaluar si una idea puede funcionar sin riesgo antes de pasar a la investigación clínica.
- 3- **Investigación clínica:** esta es el estudio que se realiza directamente en personas para evaluar la seguridad y eficacia de los tratamientos, medicamentos, etc... Es lo que conocemos como ensayos clínicos.

Qué se está investigando hoy en hipertensión pulmonar

En hipertensión pulmonar estamos viviendo una época dorada en cuanto a la investigación se refiere. La REHAP, es el Registro Español de Hipertensión Pulmonar, siendo la columna vertebral de la investigación nacional. La actualización de los datos de la REHAP es de gran importancia para facilitar futuras investigaciones nacionales o internacionales y mejorar el manejo de la enfermedad.

Las líneas actuales de investigación para futuros tratamientos son:

- Investigación genética
- Inhibidores de PDE-5
- Estimuladores de guanilato ciclasa soluble
- Terapias antiangiogénicas
- Inmunomoduladores que actúan sobre la inflamación.

En cuanto a la investigación genética lo que se busca es identificar variantes genéticas responsables en la hipertensión pulmonar. El objetivo es definir subgrupo según su defecto molecular y estudiar biomarcadores de respuesta a tratamiento, lo que abre la puerta a una *medicina personalizada*.

Muchas variantes siguen siendo nuevas o de función incierta, el objetivo a largo plazo es *usar esta información para tratamientos específicos según el perfil genético*.

Detectar las mutaciones en genes como *BMPR2*, *TBX4* o *EIF2AK4* permiten realizar cribado en familiares, identificar casos antes de que se manifiesta la enfermedad, y adaptar el seguimiento clínico. **¿No te han hecho la prueba genética?** Si quieres realizarla, solicítalo a tu médico es tan

sencillo como extraer sangre. Suelen realizarse en centros de referencia en hipertensión pulmonar.

Cómo se realiza la investigación clínica

Como hemos comentado anteriormente, la investigación clínica es lo que conocemos como ensayos clínicos diseñados para obtener más información sobre cómo responde el organismo a ciertos medicamentos y otros tratamientos. Ponen a prueba formas de prevenir, encontrar, diagnosticar y tratar una enfermedad. Ayuda a descubrir si nuevos tratamientos en fase de investigación o tratamientos ya existentes pueden ser útiles y seguros para otras patologías.

Los ensayos clínicos se desarrollan en distintas fases, cada fase evalúa la seguridad del tratamiento, su eficacia, cantidad (dosis) y efectos secundarios. La participación en los ensayos clínicos es voluntaria, sin pacientes no existirían los ensayos ni los tratamientos que hoy en día conocemos para ralentizar la progresión, en algunos casos, de la hipertensión pulmonar.

Ahora hablaremos de las distintas fases dentro de los ensayos clínicos:



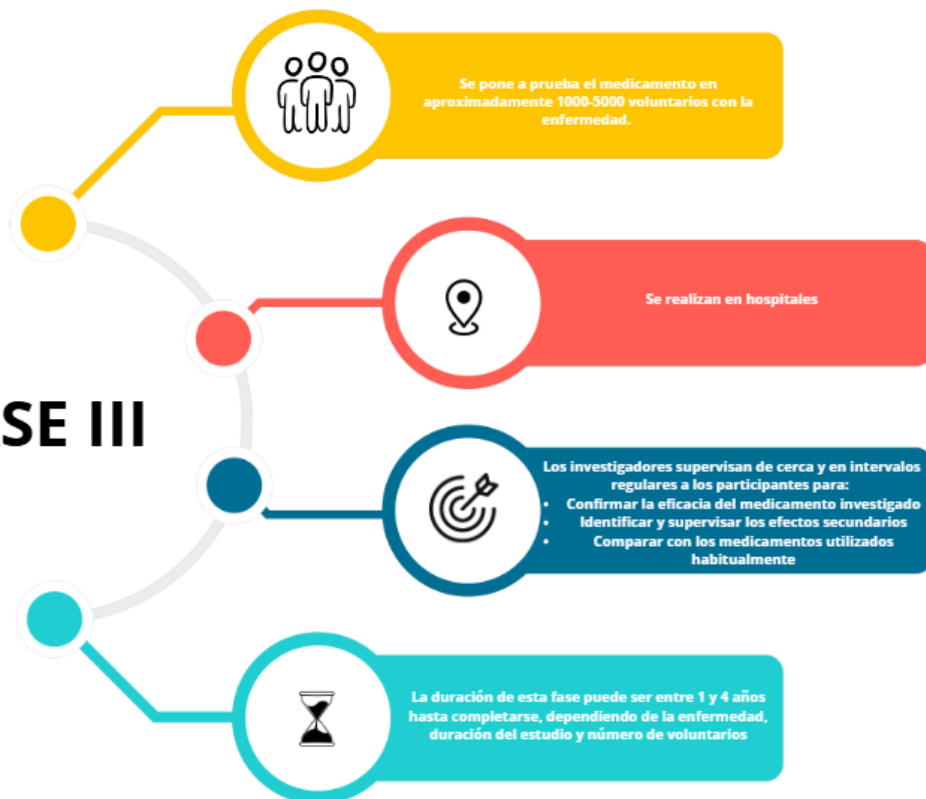


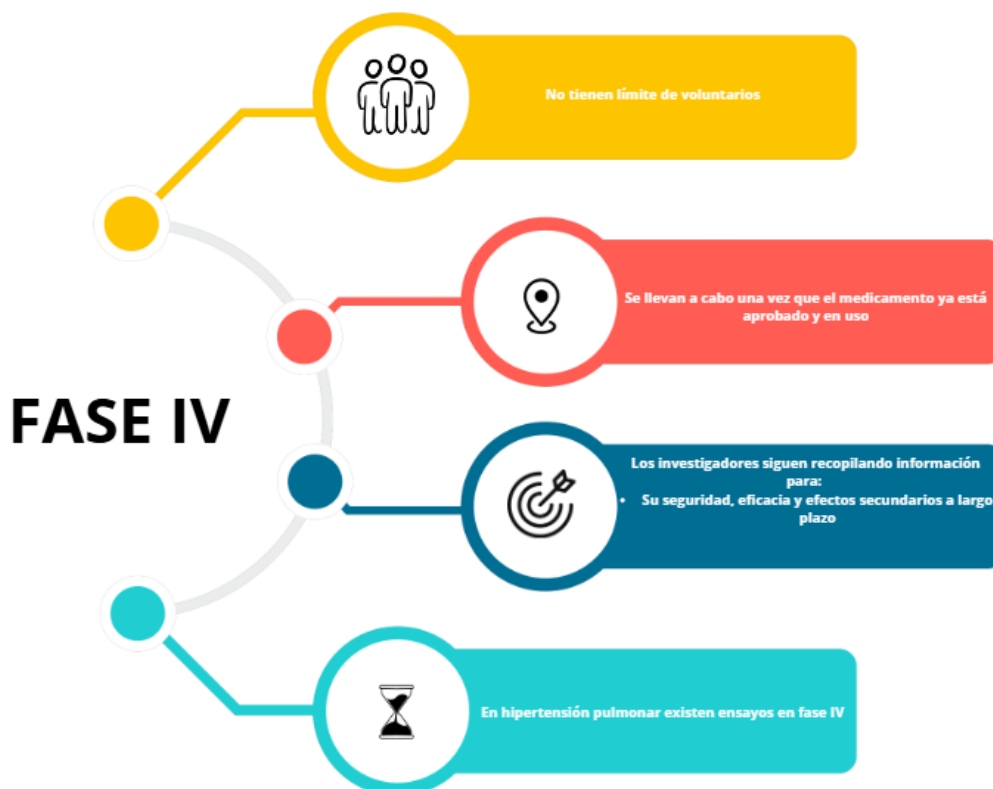
Asociación Nacional de
HIPERTENSIÓN PULMONAR

FASE II



FASE III





El papel de los pacientes en la investigación clínica

Como hemos señalado los ensayos clínicos no serían posibles sin la participación voluntaria de las personas que deciden formar parte de ellos. Somos conscientes que para tomar la decisión de participar o no en un ensayo clínico, la información y la confianza son la clave. Por lo que en este apartado del módulo, queremos ofrecerte la información y así comprender el proceso y qué se puede esperar.

El que una persona quiera participar no basta, el equipo médico tiene que valorar la idoneidad de cada participante, para comprender el proceso vamos a dividirlo en fases:

1- PRESELECCIÓN

En este proceso es donde equipo sanitario valora y comprueba tu estado de salud y si cumples los criterios de inclusión (que están enumerados en el protocolo del ensayo clínico) para lo que es posible que te realicen alguna prueba. El equipo médico revisará contigo las instrucciones para participar en el ensayo.

2- CONSENTIMIENTO INFORMADO

Esta fase es cuando los investigadores hablan contigo y te piden que leas un formulario de consentimiento informado (FCI) que describe:

- Posibles riesgos y beneficios de participar
- Menciona que participar en el ensayo es voluntario, y que por tanto lo puedes abandonar en cualquier momento.

Quizás el formulario no contenga respuestas a todas tus preguntas por lo que es importante que hables de tus miedos e inquietudes con ellos.

3- SELECCIÓN

Este paso es donde valoran si eres una persona apta para el ensayo a partir de las pruebas realizadas y el estado de salud, si cumples con los criterios de inclusión.

4- PARTICIPACIÓN EN EL ENSAYO

Esta parte depende del tipo de ensayo, pero el equipo del ensayo te dará toda la información que necesitas sobre tu participación y responderá a todas las preguntas que tengas, alguna de las cosas que tengas que hacer sean:

- Contestar al teléfono o acudir en persona a las visitas médicas
- Cumplimentar un diario electrónico
- Rellenar encuestas
- Realizarte pruebas como análisis de sangre, cateterismos, prueba de la marcha de los 6 minutos u otros procedimientos

Si el estado de salud empeora o hay cualquier motivo que pueda provocar el abandono del ensayo se puede realizar en cualquier momento.

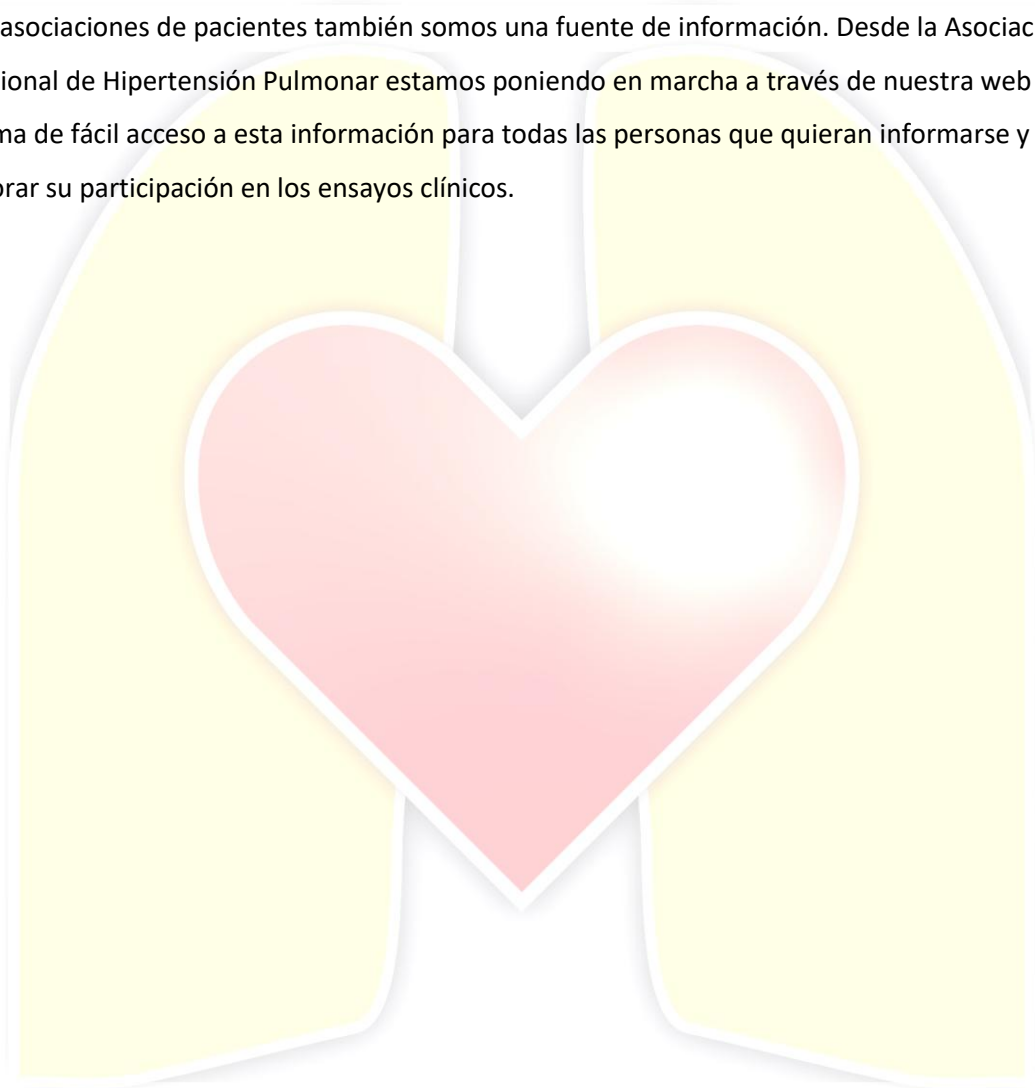
5- SEGUIMIENTO

Una vez finalizado el ensayo puede ser que el equipo contacte contigo o tengas alguna visita de seguimiento para revisar tu estado de salud y anotar cualquier cambio que pueda haberse producido, si esto fuera necesario el equipo investigador te informará si hay un periodo de seguimiento antes de iniciar el ensayo.

Cómo puedo mantenerme informado

Si quieres conocer qué ensayos clínicos existen y que estén reclutando para investigar medicamentos en hipertensión pulmonar consulta con tu especialista, es el que mejor conoce tu estado de salud y el que mejor podrá orientarte.

Las asociaciones de pacientes también somos una fuente de información. Desde la Asociación Nacional de Hipertensión Pulmonar estamos poniendo en marcha a través de nuestra web una forma de fácil acceso a esta información para todas las personas que quieran informarse y así, valorar su participación en los ensayos clínicos.



Asociación Nacional de
HIPERTENSIÓN PULMONAR