

Entendendo as Pesquisas/Estudos/Ensaaios Clínicos

Ensaaios clínicos

O ensaio clínico é a única maneira de transformar ciência promissora em tratamentos para as pessoas. Saiba mais sobre o papel da pesquisa clínica no desenvolvimento de novos tratamentos para pessoas com ELA e como você pode se envolver.

Os ensaios clínicos realizam testes em pessoas para verificar se uma terapia candidata é segura e trabalha para combater os efeitos de uma doença. Antes que os pacientes humanos sejam sujeitos, a terapia é testada em células ou tecidos cultivados em laboratório e depois em animais, para fornecer a melhor garantia possível de que um medicamento será seguro para as pessoas tomarem. Os neurônios motores derivados de células-tronco pluripotentes induzidas (iPSCs) também servem como modelo para doenças que refletem diretamente a composição genética de uma pessoa em uma escala. Os iPSCs são usados tanto em estudos pré-clínicos quanto em ensaios clínicos em paralelo ao tratamento medicamentoso.

Tipos de ensaios clínicos

Observacional: Tipo de estudo em que os participantes inscritos são observados. Medidas de resultado, como medidas de força ou função, podem fazer parte da observação. Nenhum tratamento é dado. Geralmente usado para aprender sobre tendências de sintomas ou o curso de uma doença ou para encontrar um biomarcador de doença. Esses ensaios incluem estudos de história natural.

Intervencionista: Um tipo de estudo no qual a exposição à terapia potencial sendo testada, como um medicamento, é atribuída. É usado para determinar a eficácia de um tratamento ou intervenção.

Fases do ensaio clínico

Estudo piloto: É um pequeno estudo que pode incluir o teste de um medicamento aprovado para outra indicação que está sendo testada em pacientes com ELA para determinar a segurança e tolerabilidade ou um estudo para identificar biomarcadores relevantes.

- **Fase I:** O teste analisa a segurança de um tratamento candidato, geralmente em vinte ou menos pessoas. Os participantes são examinados quanto a reações adversas ou efeitos colaterais. Se algum parecer considerado perigoso demais, o teste será interrompido e o medicamento não avançará mais no processo de ensaios clínicos.
- **Fase II:** O teste tenta determinar a dose ideal, a via (por via oral, por injeção, etc.) e o tempo das doses do tratamento candidato. Informações sobre a capacidade de um medicamento para ajudar na doença podem ser obtidas no decorrer dos testes da fase II, mas essas descobertas não são capazes de prever com segurança o efeito de um candidato. Normalmente, para ELA, menos de cem pacientes estão envolvidos
- **Fase III:** O efeito terapêutico do candidato é especificamente procurado nos testes da fase III. Esse é o estágio do teste que envolve pacientes suficientes para permitir um julgamento

estatístico de que um tratamento é eficaz. Os ensaios de fase III para ELA geralmente requerem centenas de participantes. É necessário um grande número devido à diversidade da população de ELA. Nenhuma pessoa com ELA é a mesma e notavelmente, a progressão da doença de um indivíduo para outro é altamente variável.

Outras Informações

Devido aos requisitos para a produção de dados confiáveis, os pacientes podem ter uma certa idade, sexo, estágio da doença ou até raça para participar. As pessoas que vivem com ELA participando de ensaios clínicos devem cumprir determinados critérios da doença ou gravidade da doença ("critérios de inclusão") e podem não ser elegíveis se mostrarem outras características ("critérios de exclusão").

Os ensaios clínicos podem testar apenas relativamente poucos pacientes e devem fazer previsões de algumas pessoas que provavelmente serão válidas para a população de pacientes como um todo. As estatísticas fornecem os meios para julgar se uma mudança induzida pelo tratamento medicamentoso é uma mudança real e reproduzível e para os médicos entenderem se é provável que as observações em um conjunto restrito de pacientes sejam válidas para toda a população de pacientes com essa doença.

O efeito placebo é bem conhecido na medicina como uma melhora temporária na dor ou em outros sintomas de uma doença que segue um tratamento falso. É um efeito real. Mas isso não se deve às propriedades ativas de um medicamento. Portanto, o teste de qualquer novo tratamento deve garantir que o efeito seja devido à droga e não ao poder do pensamento positivo ou à atenção extra da equipe médica que acompanha a participação em um ensaio clínico. A simples esperança de que um novo tratamento funcione pode colorir expectativas e percepções. O discurso de um participante pode parecer mais claro. Uma pessoa pode reunir forças para se sentar sem ajuda ou dar alguns passos sem ajuda. O declínio nas habilidades pode diminuir ou atingir o platô. Estes são efeitos reais do pensamento positivo. Um grupo de controle ajuda a equilibrar os efeitos da mente contra os efeitos de uma droga.

Por que isso importa?

O investimento em estudos clínicos de subsídios de gerenciamento clínico projetados para melhorar e enriquecer vidas para ensaios clínicos para levar a novos tratamentos e curas mais rapidamente são fundamentais na luta para acabar com a ELA.

Uma pessoa com ELA que participa de ensaios clínicos é um herói. Eles dedicam seu tempo precioso e podem ser expostos a possíveis dificuldades, mesmo que seja improvável que eles não vivam para ver seus benefícios em potencial, mas sabem que o resultado pode potencialmente ajudar as pessoas no futuro. Além disso, mesmo que um candidato não cumpra a promessa, os resultados de qualquer ensaio clínico fornecem novas ideias e orientações para aqueles que trabalham para resolver os mistérios da ELA.