

Ensayos clínicos para la DMAE

Fecha: 30 de abril de 2025

Con: Manuel Amador, MD and Maria Carlson

La información proporcionada en esta transcripción es un servicio público de BrightFocus Foundation y no constituye consejo médico. Consulte a su médico para recibir asesoramiento médico, dietético y de ejercicio personalizado. Cualquier medicamento o suplemento debe tomarse solo bajo supervisión médica. BrightFocus Foundation no respalda ningún producto o terapia médica.

Nota: este chat o charla ha sido editado para mayor claridad y brevedad.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Hola y bienvenidos. Soy la Dra. Preeti Subramanian, directora de Programas de Ciencias de la Visión de BrightFocus Foundation. Me complace ser su anfitriona en el Macular Chat de hoy, titulado «Ensayos clínicos para la DMAE». Los Macular Chats son un programa mensual, financiado en parte por subvenciones educativas de Genentech y Regeneron, diseñado para proporcionar a las personas que viven con degeneración macular y a los familiares y amigos que les apoyan información directa de los expertos.

El Programa de Investigación sobre Degeneración Macular de BrightFocus Foundation ha destinado cerca de 53 millones de dólares en becas científicas para explorar las causas fundamentales y las posibles vías de prevención, tratamiento y cura de la degeneración macular, y actualmente está invirtiendo en 49 proyectos en curso en todo el mundo.

En el chat de hoy, contamos con dos ponentes invitados: el Dr. Manuel Amador, que es director médico Senior en Genentech, y María Carlson, que es directora de programas clínicos de Genentech. En primer lugar, escucharemos al Dr. Amador, quien, en su calidad de epidemiólogo clínico, especialista en retina y director médico del departamento de Asuntos Médicos de Oftalmología de Genentech en Estados Unidos, ha dedicado su carrera a mejorar el conocimiento de las enfermedades de retina y a abordar las desigualdades en la atención sanitaria. Es director médico de ELEVATUM, el primer ensayo sobre la retina patrocinado por la industria y centrado en poblaciones subrepresentadas en los EE. UU. Dr. Amador, gracias por acompañarnos hoy.

Dr. MANUEL AMADOR: Muchas gracias por invitarme. Es un gran placer unirme a ustedes hoy, y gracias por recibirme.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Sí, genial. Bien, ¿Podría empezar hoy hablando de oftalmología en general y resumir brevemente los distintos tipos de degeneración macular relacionada con la edad, incluida la forma seca avanzada, que es la atrofia geográfica?

Dr. MANUEL AMADOR: Por supuesto, y gracias por la pregunta. En primer lugar, la oftalmología se centra en el ojo, que es básicamente el órgano que nos permite ver. Y una de las capas de ese ojo es la retina, que es concretamente el órgano que nos permite a nosotros y a los pacientes ver todo en nuestro día a día. Un gran recordatorio de que esta parte del cuerpo es muy relevante. Aunque no le demos mucha importancia o no sepamos tanto sobre ella, es básicamente una de las partes cruciales del cuerpo que nos permite poder ver y vivir nuestro día a día. Lo que hace, la retina, es captar el reflejo de la luz que incide sobre los objetos de vuelta al ojo y transmitir esta información a nuestro cerebro. Este la interpreta entonces como una imagen. Así pues, como puedes comprender, se trata de una parte muy importante de nuestro cuerpo.

La parte más importante de la retina, que en este órgano corresponde a la parte central, se denomina mácula, que es el punto de máxima agudeza visual. Usted puede imaginar que la retina en cierto modo envuelve todo el ojo o está en todo el ojo o se encuentra en su interior, pero hay una zona muy específica de esa retina, que se denomina la mácula. Cualquier cosa que le ocurra a la mácula afectará gravemente a la visión. Y al igual que cualquier otro órgano del cuerpo, las células de la mácula también envejecen y con el tiempo dejan de funcionar, porque cada célula de nuestro cuerpo tiene su propio ciclo vital, duración y empiezan a dejar de funcionar. Cuando esto ocurre, lo llamamos degeneración macular relacionada con la edad. Así que, esto es algo que ocurre en la retina, que, repito, está dentro del ojo.

Recuerdo que en un podcast anterior se habló de la atrofia geográfica, que, insisto, es una forma muy grave de esta degeneración macular relacionada con la edad y es una de las principales causas de ceguera. Las personas con atrofia geográfica tendrán graves dificultades para leer, conducir y, especialmente, para reconocer rostros, ya que, como he mencionado antes, la mácula se encarga de la visión central, es decir, el punto clave de la visión, que tiende a ser el centro. Hay otro tipo de degeneración macular relacionada con la edad denominada degeneración macular húmeda relacionada con la edad, y una pregunta que me hacen a menudo los pacientes es: «¿Por qué a esta se llama húmeda y a la otra se llama seca?». Se denomina "húmeda" porque el cuerpo intenta compensar esas zonas de atrofia. Recuerda que hablamos de atrofia, y de sequedad. Estas atrofas corresponden a las células que estaban muriendo, y ahora el cuerpo intenta compensarlo con nuevos vasos sanguíneos, pero estos no son vasos adecuados. Estos vasos son muy inmaduros, y empiezan a presentar fugas

y dañan la retina. Cuando esto ocurre, y no les pasa a todos los pacientes que tienen degeneración macular seca, pero sí puede ocurrir en algunas personas que padecen este problema, por lo que es necesario estar monitoreando y estar atentos a cuando los pacientes desarrollan degeneración macular húmeda. La razón es que cuando esto ocurre, la visión tiende a verse más amenazada y, de forma aguda, tiende a deteriorarse muy rápidamente, por lo que requiere tratamiento.

Ahora bien, en cuanto al tratamiento, ¿qué podemos hacer por un paciente con estas enfermedades? Afortunadamente, para ambos tipos, se ha hablado mucho durante muchos, muchos años, especialmente desde principios de la década del 2000, y especialmente ahora existen terapias aprobadas tanto para la degeneración macular húmeda neo vascular como para la degeneración macular relacionada con la edad y para la atrofia geográfica. Y ahora, gracias a estos tratamientos, los pacientes han podido conservar un poco más de visión durante un poco más de tiempo o incluso mejorar su visión, lo cual es uno de nuestros objetivos finales como médicos.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Sí, muchas gracias por esa visión general y por explicarnos los antecedentes de los nuevos tratamientos disponibles. Además de la DMAE húmeda y la atrofia geográfica, ¿podría hablarnos un poco del compromiso de Genentech con la oftalmología y del papel que desempeña la organización en la investigación y en la puesta a disposición de nuevos tratamientos?

Dr. MANUEL AMADOR: También es una muy buena pregunta. ¿Por qué Genentech? Genentech existe desde hace bastante tiempo. Hace unos 45 años. Se convirtió oficialmente en parte del Grupo Roche en 2009. Y hemos sido muy activos en oftalmología, especialmente en investigación oftalmológica. Por eso es importante. Y esto ha estado sucediendo desde principios del 2000. En 2021, lanzamos algo realmente muy emocionante -yo participé personalmente- que se llama Advancing Inclusive Research® Site Alliance, en la que salimos con una serie de centros de investigación clínica y el objetivo principal era hacer que los ensayos clínicos fueran más accesibles para un mayor número de personas. Así que, para la gente que está escuchando aquí, queremos hacer que los ensayos clínicos sean más accesibles, que es uno de los objetivos finales. Beneficia a los pacientes y beneficia al desarrollo general de estos medicamentos. Y esta fue realmente la primera asociación de este tipo que se centró en mejorar la forma en que reclutamos a los participantes y cómo retenemos a los pacientes en los ensayos clínicos, algo que siempre es uno de los principales retos cuando se trabaja en ensayos clínicos.

Y justo el año pasado dimos un paso más y ampliamos este Site Alliance a la oftalmología, con la idea de abordar todas las disparidades que observamos en las

enfermedades oculares -especialmente, por ejemplo, en el edema macular diabético- y asegurarnos de que todos los pacientes, en particular los desatendidos o los que pertenecen a determinadas comunidades, tengan un acceso mucho mejor a la atención y la investigación clínica. Y, por supuesto, estamos muy comprometidos para asegurarnos de que todo el mundo, sin importar su procedencia, tenga una primera oportunidad con esta enfermedad para formar parte de estos ensayos, así como para disponer de los mejores tratamientos y cuidados para su enfermedad que destroza la vista.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Genial, eso es muy importante. Gracias. Bien, profundicemos de los ensayos clínicos, que es el tema de hoy. Para empezar, ¿puedes decirnos qué es exactamente un ensayo clínico y por qué son importantes?

Dr. MANUEL AMADOR: Sí, para los oyentes, los ensayos clínicos son básicamente oportunidades para que la gente corriente -gente como usted, gente como yo- se ofrezca voluntaria. Puedes ofrecerte como voluntario y ayudar a probar nuevos tratamientos potenciales con el objetivo principal de ver si esos tratamientos realmente funcionan y si son seguros para un uso más amplio. Pues bien, lo que mucha gente no sabe es que los ensayos clínicos son la forma más rápida y segura de descubrir nuevos tratamientos. Muchos de los tratamientos que utilizamos actualmente en nuestros cuerpos pasaron por un proceso como un ensayo clínico. Es algo que exige la agencia sanitaria. Cuando hablamos de los tratamientos disponibles hoy en día para las enfermedades oculares, por ejemplo, debemos un enorme, enorme agradecimiento a todos los pacientes que dieron un paso al frente y realmente pudieron participar en esos ensayos. Porque sin esto, no tendríamos todo el desarrollo y toda la terapia de la que disponemos actualmente. Y por supuesto, también es importante, que estos ensayos reflejen el mundo real. Eso significa que en realidad nos gusta tener un grupo de participantes más diverso, porque las enfermedades no sólo afectan a un tipo de persona. Necesitamos que las personas que participen en nuestros ensayos reflejen también la población real que vive y padece estas enfermedades.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Sí, excelente. Entonces, ¿Puede hablarnos de las distintas fases que implica un ensayo clínico, en qué consiste cada una de ellas y cuál es el objetivo que se busca alcanzar con cada una?

Dr. MANUEL AMADOR: Por supuesto. Los ensayos clínicos, se puede pensar en ello como diferentes pasos. Hay diferentes pasos para el desarrollo del medicamento. Los ensayos clínicos son los diferentes pasos por los que hay que pasar, así que normalmente se dividen en cuatro fases. De cada fase, esperamos obtener más información sobre el tratamiento potencial y los riesgos probables y lo bien que puede

o no funcionar, junto con otros aspectos de la calidad de vida que también estamos evaluando. Así pues, la progresión de estas fases o pasos se basa en la madurez del tratamiento que se está estudiando, así como en los riesgos potenciales.

Así pues, la fase 1 se denomina, o podemos considerarla, desarrollo temprano. Suele tratarse de un número muy reducido de pacientes, y la evaluación se centra más en la seguridad: población pequeña, más centrada en la seguridad. La fase 3 son los ensayos más grandes, de mayor amplitud, que, de nuevo, parecen ser un poco más a gran escala, y será la preparación de la molécula o el producto hacia la aprobación de la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés). Así que, se trata del tipo de ensayo más riguroso. También son los más grandes, los más costosos y los más rigurosos. Una vez aprobada la molécula, tenemos un último paso, que es la Fase 4, que es para estudios de tipo post comercialización en los que la molécula ya ha sido aprobada, pero todavía hay algún potencial para aprender más sobre ella o para utilizarla en diferentes tipos de enfermedades o diferentes tipos para entender un poco más el potencial de la molécula o del fármaco para todos los diferentes tipos de personas, poblaciones o enfermedades.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Eso es excelente. Así pues, estas fases establecen un proceso claro para que los investigadores evalúen la seguridad, la eficacia y los efectos a largo plazo de los nuevos tratamientos antes de que estén disponibles para el público. Así que, hablemos del papel de la FDA en este proceso. ¿En qué fase interviene?

Dr. MANUEL AMADOR: Es también una pregunta muy oportuna, porque antes de que cualquier tratamiento pueda llegar al mercado, y esto también es para nuestra audiencia, tiene que pasar por un proceso muy, muy riguroso. Y eso incluye ser revisado y aprobado por la FDA, que es la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos. Así pues, la FDA desempeña un papel muy importante a la hora de garantizar que los datos procedentes de nuestros ensayos clínicos sean totalmente sólidos, fiables, precisos y que reflejan realmente cómo funciona el tratamiento. Por lo tanto, los ensayos clínicos no son algo que se hace una sola vez; se llevan a cabo, una vez más, por fases. Están la Fase 1, la Fase 2 y la Fase 3, y cada una se basa en lo aprendido en las fases anteriores, mientras que la FDA supervisa todo el proceso. Solo después de que el tratamiento haya superado con éxito todas esas fases, la FDA considera su aprobación, y el medicamento puede entonces ponerse a disposición del público. Por lo tanto, cuando se oye que un medicamento está aprobado por la FDA, significa que ha pasado por todos esos años de pruebas y revisiones para llegar hasta ahí.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Excelente, y antes mencionaste la Fase 4, que sería un

estudio que se llevaría a cabo después de que la FDA lo apruebe y el medicamento esté disponible en el mercado, ¿es así?

Dr. MANUEL AMADOR: Así es. Y además son ensayos muy interesantes porque, si lo piensas bien, el medicamento ya ha sido autorizado por la FDA, así que, en esencia, se trata de un ensayo centrado en un medicamento que ya está autorizado, cuya seguridad ya ha quedado demostrada y cuya eficacia ya ha sido aprobada. Por lo tanto, es un tipo de ensayo aún más interesante, que aporta información adicional que beneficia realmente a los pacientes.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Genial, así que la FDA proporciona una supervisión fundamental para garantizar la seguridad y la eficacia de los ensayos clínicos. Ya sabe, aunque la FDA apruebe estos nuevos tratamientos, los ensayos clínicos también dependen de que haya personas dispuestas a participar en ellos, y usted habló un poco de esto al comienzo. Entonces, ¿qué importancia tienen los voluntarios de los ensayos clínicos? ¿Y cómo pueden las personas participar en ellos si están interesadas?

Dr. MANUEL AMADOR: Esta es una pregunta muy importante, ya que en Genentech dedicamos gran parte de nuestros esfuerzos a reclutar pacientes para ensayos clínicos, ya que los datos necesarios para la revisión de la autorización por parte de la FDA forman parte de una de mis principales tareas. Por lo tanto, si alguien está interesado en participar en un ensayo clínico, hay varias formas de acceder a la información sobre los estudios disponibles. Genentech, en particular, cuenta con un sitio web específico dedicado a nuestros ensayos clínicos. Se trata de Genentech-ClinicalTrials.com. Este sitio web es un recurso muy útil con toda la información que es muy clara. Está redactada en un lenguaje muy sencillo y trata sobre los ensayos clínicos en los que Roche/Genentech está llevando a cabo o apoyando investigaciones. Y estos recursos pueden ser utilizados por los pacientes, sus familiares o sus cuidadores, lo cual supone también una gran, gran responsabilidad para nosotros, algo en lo que también pensamos, así como por los médicos que tratan a los pacientes o participan en los ensayos clínicos. Además, los pacientes también pueden encontrar información adicional sobre los ensayos clínicos en www.ClinicalTrials.gov, donde podrán informarse sobre en qué fase se encuentra el ensayo y obtener un poco más de detalles sobre qué tipo de datos se están recopilando.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Eso es fantástico. Entonces, ¿cuánta información reciben los participantes en los ensayos clínicos mientras participan en ellos? Por ejemplo, ¿saben qué dosis de tratamiento están recibiendo? ¿Reciben los resultados al final del ensayo? ¿Cuánta información se transmite a los participantes?

Dr. MANUEL AMADOR: Es una pregunta muy importante, ya que es una de las expectativas de los pacientes. Y siempre intentamos ser lo más comunicativos posible con los pacientes a la hora de tomar decisiones. Por supuesto, hay equipos de investigación que proporcionarán a los participantes en los ensayos clínicos toda la información necesaria. En primer lugar, los objetivos del ensayo, si hay grupos de tratamiento activo y con placebo, y los posibles riesgos y efectos secundarios. Así que los pacientes siempre quieren estar informados de todo. Además, están muy bien informados sobre las pruebas o todos los exámenes a los que se someterán, incluyendo la frecuencia con la que se realizarán, dónde y durante cuánto tiempo tendrán que acudir a las citas de seguimiento, lo que, por cierto, es fundamental que los pacientes comprendan porque participar en un ensayo clínico también supone un compromiso, y es importante saber si el paciente o la persona que recibe el tratamiento va a poder completar todo el ensayo. Y esto es muy importante tanto para los pacientes como para los investigadores del ensayo clínico. Y, en ocasiones, a los investigadores también les gustaría considerar la posibilidad de conservar muestras de sangre, tejidos u otras muestras que, por supuesto, resultarán útiles para futuras investigaciones. Pero, en ese caso, siempre se informa a los participantes y, en la mayoría de los casos, estas medidas son opcionales.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Excelente. Gracias, Dr. Amador, por esa información tan útil sobre los ensayos clínicos y sus antecedentes. Pues bien, ahora me gustaría presentar a nuestra segunda ponente invitada. Con una trayectoria profesional de más de dos décadas en el ámbito de las operaciones clínicas, Maria Carlson ocupa actualmente el cargo de directora de programas clínicos en el departamento de Investigación y Desarrollo Temprano de Genentech. Maria se ha especializado en oftalmología, donde ha contribuido al desarrollo y la ejecución de múltiples ensayos clínicos, tanto en fase avanzada y como en fase inicial. En la actualidad, se dedica a un programa de terapia con células madre fuera de la región, supervisando el estudio GAlette de fase 2a. Maria, gracias por acompañarnos hoy.

Sra. MARIA CARLSON: Gracias. Estoy muy contenta de estar aquí y de participar en la charla de hoy. Gracias.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Genial, gracias. Bien, ahora que el Dr. Amador nos ha explicado lo fundamentales que son los ensayos clínicos en el proceso de investigación, ¿podría hablarnos de los ensayos clínicos que se están llevando a cabo en Genentech?

Sra. MARIA CARLSON: Sí, me encantaría profundizar en este tema. Genentech está llevando a cabo actualmente un estudio de fase 2b denominado GAlette en el que se

utiliza OpRegen®. OpRegen es un producto de terapia celular desarrollado por Lineage Cell Therapeutics para el tratamiento de la atrofia geográfica (AG) secundaria a la degeneración macular relacionada con la edad (DMAE). Y consiste en el uso de células del epitelio pigmentario retiniano (EPR), derivadas de células madre embrionarias humanas. El estudio GAlette tiene como objetivo perfeccionar la administración de OpRegen basándose en los resultados preliminares, pero muy prometedores, del anterior estudio de fase 1/2a —el primero en realizarse en seres humanos—, que fue iniciado y llevado a cabo por nuestros socios de Lineage Cell Therapeutics. En ese estudio, el de fase 1/2a, las células del EPR y OpRegen se generaron utilizando un sistema de células alimentadoras libre de componentes de origen animal. Se trata de un sistema que elimina el uso de componentes de origen animal y que reduce la probabilidad de rechazo inmunológico tras la administración sub-retiniana. En ese estudio de fase 1/2a, OpRegen fue bien tolerado y mostró signos iniciales de mejora en la función visual y la estructura de la retina externa. Ahora, los datos del criterio de valoración principal a los 12 meses aportan evidencia preliminar que sugieren que OpRegen es bien tolerado, con un perfil de seguridad aceptable y efectos adversos en su mayoría leves. Además, se observaron indicios preliminares de mejoras en la estructura de la retina externa y en la función visual con OpRegen en pacientes con atrofia geográfica (AG) y problemas de visión. La mejora anatómica con OpRegen se correlacionó con mayores mejoras en la agudeza visual mejor corregida (AVMC) y fue detectable en los tres meses siguientes a la administración.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Es fantástico. Gracias por esa explicación general. Así pues, este estudio consiste en sustituir o aportar células del epitelio pigmentario de la retina (EPR) en la zona que las ha perdido debido a la DMAE. ¿Cuál es el objetivo que pretende medir este estudio?

Sra. MARIA CARLSON: Sí, buena pregunta. Pues bien, en el estudio que estamos llevando a cabo actualmente, el estudio GAlette de fase 2b, estamos evaluando los métodos quirúrgicos óptimos para lograr una administración sub-retiniana satisfactoria y la seguridad de OpRegen, además de analizar la actividad preliminar de OpRegen en pacientes con atrofia geográfica (AG) secundaria a la degeneración macular asociada a la edad (DMAE). Así pues, la administración quirúrgica sub-retiniana consiste en introducir quirúrgicamente agentes terapéuticos en el espacio sub-retiniano, que es la zona situada entre la retina y el epitelio pigmentario retiniano (EPR). Para profundizar un poco más, el EPR es una única capa de células situada en la capa más externa de la retina, entre los fotorreceptores y la parte corio-capilar. Desempeña un papel fundamental en el mantenimiento de la salud y la función de la retina y de las células fotorreceptoras. OpRegen tiene el potencial de contrarrestar la pérdida de células del

epitelio pigmentario retiniano (EPR) al favorecer la salud y la función de las células retinianas restantes en las zonas afectadas por la atrofia geográfica (AG).

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Eso es excelente. Así pues, las células se implantarían en la zona del ojo donde se han perdido las células del epitelio pigmentario retiniano, lo cual es fantástico. Entonces, ¿todas las personas que participen en el estudio recibirán el fármaco activo, o hay grupos de control que reciban placebos?

Sra. MARIA CARLSON: Sí, es una buena pregunta. Pues bien, todos los pacientes de este estudio abierto de un solo grupo con GAlette recibirán OpRegen. Y este se administra mediante una única inyección sub-retiniana como parte de una intervención quirúrgica.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Entonces, ¿podrías explicarnos también qué es un estudio abierto? Un estudio abierto.

Sra. MARIA CARLSON: Sí, un ensayo abierto, esto significa que, ni los participantes ni el personal quirúrgico saben si se está administrando el fármaco o no. Por lo tanto, todos están bajo la impresión de que van a recibir OpRegen. No se oculta a ninguna de las partes.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: De acuerdo. ¿Y quiénes podrían participar en este ensayo? ¿Podría resumir y leer los criterios de inclusión y exclusión que se aplicarían en el estudio?

Sra. MARIA CARLSON: Sí, sin duda. Los criterios de inclusión incluyen padecer AG secundaria a un diagnóstico de DMAE. Además, la capacidad de someterse a una intervención quirúrgica vítreo retiniana. Y, por otra parte, en lo que respecta a la agudeza visual mejor corregida, la puntuación debe ser igual o superior a 29 letras o igual o inferior a 60 letras en el ojo objeto de estudio. Además, el ojo del estudio debe ser pseudo-fáquico. Esto significa que se ha extirpado una catarata y se le ha implantado una lente intraocular. La intervención quirúrgica en sí dura entre 30 y 60 minutos, durante los cuales se administra al paciente sedación o, si es necesario, anestesia general.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: ¿Y has mencionado al principio que se trata de un ensayo de fase 2, ¿fase 2b?

Sra. MARIA CARLSON: Sí, se trata de un estudio de fase 2b, un estudio de fase 2a, y actualmente se están reclutando pacientes en Estados Unidos, donde contamos con cinco centros, y en Israel, donde tenemos dos centros. Los datos del estudio inicial de fase 1/2a sugieren que OpRegen podría contrarrestar la pérdida de células del epitelio

pigmentario retiniano (EPR) al proporcionar apoyo a las células retinianas restantes dentro de la zona de atrofia. Y, por lo tanto, tiene el potencial de ralentizar, detener o revertir la progresión de la enfermedad de atrofia geográfica (AG). Aún se necesita más análisis para confirmar estos resultados preliminares y evaluar las condiciones clínicas óptimas para el uso de OpRegen.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Excelente, sin duda los estudios en fase inicial son alentadores. Entonces, ¿cuánto tiempo se prevé que dure esta fase y cuáles son los siguientes pasos tras esta fase del ensayo clínico?

Sra. MARIA CARLSON: Sí, en el caso de este estudio que estamos llevando a cabo, la fase 2a, el primer año... es un año que incluye la selección de pacientes, la inscripción en el estudio, el tratamiento y el seguimiento tras el trasplante. Los cuatro años restantes de la fase 2a consisten en un seguimiento a largo plazo.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Bien, para quienes estén interesados en saber más sobre este ensayo, ¿dónde pueden obtener la información?

Sra. MARIA CARLSON: Sí, hay mucha información disponible. ClinicalTrials.gov es una fuente. Ofrece una descripción general del ensayo y más información sobre los criterios de inclusión y exclusión, así como nuestros centros donde se lleva a cabo. También puede llamar a la línea de asistencia sobre el ensayo. El número es (888) 662-6728 (sólo en Estados Unidos) para obtener más información. O también puede enviar un correo electrónico a global-roche-genentech-trials@gene.com.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Genial, gracias, María, por esa información. Bien, tenemos tiempo para una pregunta de un oyente, y quiero plantársela al Dr. Amador. Dr. Amador, la pregunta es: «¿Cuáles son los pros y los contras de participar en ensayos clínicos sobre la DMAE?».

Dr. MANUEL AMADOR: Gracias, Preeti. La pregunta se refiere a cuáles son las ventajas y los inconvenientes de participar en ensayos clínicos. Hay que tener en cuenta que todos y cada uno de los ensayos clínicos tienen tanto, ventajas, pero también riesgos potenciales. Por eso, es muy importante que los pacientes estén bien informados sobre ambos aspectos. Algunas de las principales ventajas de participar en un ensayo clínico son, en primer lugar, que tendrás acceso a tratamientos de vanguardia, lo que significa que podrías recibir un nuevo tratamiento antes de que esté ampliamente disponible, sobre todo si se encuentra en las fases iniciales de los ensayos. Además, el hecho de que vaya a estar bajo un seguimiento médico muy estrecho; algo que, por ejemplo, yo mismo hago cuando dirijo un ensayo clínico es formar parte del equipo de seguimiento médico, por lo que siempre estoy muy pendiente de todo lo que le

ocurre al paciente para asegurarme de que recibe la atención estándar y, además, de que, si se producen efectos secundarios, nos aseguramos de controlarlo y podemos suspender la medicación. Por supuesto, la contribución a la ciencia y el futuro de los pacientes podrían beneficiar a nuestras familias en el futuro o incluso a personas que no conocemos, pero es muy importante participar y contribuir a la ciencia. Y sí, esas son probablemente algunas de las principales ventajas.

Entre los inconvenientes, siempre existen riesgos desconocidos o posibles efectos secundarios que forman parte de cualquier fármaco o proceso de desarrollo farmacológico, por lo que podrían producirse efectos secundarios inesperados. Por lo tanto, también va dirigido a los pacientes o a las personas interesadas para que sepan que somos muy conscientes de que esto podría ocurrir y, por supuesto, lo estamos monitoreando muy de cerca para prevenir cualquier tipo de incidente grave. Existe incertidumbre. A veces, los pacientes acuden con ciertas expectativas respecto a los resultados. Y, por supuesto, no hay garantía de que el tratamiento vaya a ser eficaz. Por eso, otro asunto importante es moderar algunas de las expectativas que los pacientes tienen respecto a los ensayos clínicos. Y uno de los aspectos más importantes es también el tiempo que hay que dedicarles. Los pacientes y los participantes en los estudios deben ser conscientes de que es posible que tengan que ausentarse unas horas del trabajo o de sus actividades cotidianas para acudir a algunas de las visitas o cumplir con los requisitos que exige el ensayo. Por lo tanto, es fundamental dedicar al menos algo de tiempo a esto. Pero, al mismo tiempo, el hecho de formar parte de ensayos clínicos y posteriormente dirigir uno de ellos es, sin duda, uno de los aspectos principales que hay que explicar muy bien al paciente. Por eso, es necesario que haya cierta flexibilidad en este sentido. Y sí, creo que esos son los aspectos clave, en mi opinión.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Muchísimas gracias. Creo que es una información muy valiosa. Y, como han dicho, es muy importante participar en el ensayo tras haber tomado una decisión informada y haber establecido unas expectativas realistas sobre los resultados, ya que no hay garantía alguna sobre el resultado de la participación en el ensayo. Así pues, Dr. Amador y María, gracias a ambos por toda la información que han compartido hoy con nosotros. Dr. Amador y María, antes de terminar, me encantaría que compartieran con nuestra audiencia alguna reflexión final sobre los ensayos clínicos para el tratamiento de la degeneración macular. Podemos empezar con María.

Sra. MARIA CARLSON: Sí, tal y como ha dicho antes el Dr. Amador, valoramos enormemente la participación de nuestros pacientes en los ensayos clínicos. Los animo encarecidamente a que busquen información, lo analicen detenidamente, hablen con sus proveedores de atención médica y con su familia. Se trata de un compromiso muy

importante, y esperamos que dispongan de todos los recursos necesarios para tomar estas decisiones tan trascendentales. ¿Dr. Amador?

Dr. MANUEL AMADOR: Gracias, Maria. Y quiero sumarme a lo que has dicho y hacerme eco de tu idea. Es absolutamente cierto. La educación sobre este tema es de vital importancia. Uno de los pasos más importantes para avanzar en el tratamiento de la degeneración macular o de cualquier otro tipo de enfermedad es ayudar a las personas a entender cómo funcionan los ensayos clínicos. Por tanto, el trabajo que realizamos y esta conversación que mantenemos hoy son muy, muy relevantes. Cuando los pacientes o las familias saben qué pueden esperar, se sentirán más cómodos a la hora de participar, y eso puede marcar la gran diferencia. No se trata sólo de financiar el tratamiento, sino también de generar confianza, garantizar el acceso y empoderar a las personas para que participen en la configuración del futuro de la atención oftalmológica o de cualquier otro tipo de atención médica para cualquier otra enfermedad.

Dra. PREETI SUBRAMANIAN: Genial, muchas gracias por acompañarnos hoy. Y a nuestra audiencia, gracias por acompañarnos hoy. Nuestra próxima charla “Macular Chat” será el miércoles 28 de mayo y tratará sobre el tema del cuidado de la salud mental. Y con esto concluye la charla “Macular Chat” de hoy.

Recursos útiles y términos clave

BrightFocus Foundation: (800) 437-2423 o visítenos en www.BrightFocus.org. Los recursos disponibles incluyen –

- [Macular Chats Archive](#)
- [Research funded by Macular Degeneration Research](#)
- [Overview of Macular Degeneration](#)
- [Tratamientos para la degeneración macular](#)
- [Resources for Macular Degeneration](#)
- [Expert Advice for Macular Degeneration](#)
- [Clinical Trials: Your Questions Answered](#)

Otras herramientas y recursos útiles para la baja visión mencionados durante el chat se incluyen:

- [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov)
- [Genentech-ClinicalTrials.com](https://www.genentech-clinicaltrials.com)
- Genentech trial information support contact information: global-roche-genentech-trials@gene.com, 888 662 6728
- [Genentech Advancing Inclusive Research® Site Alliance](#)
- OpRegen®, treatment for dry AMD
- GAlette, a Phase 2a clinical trial sponsored by Genentech