

Novartis Portugal

programa **+teu**

**Informação essencial
sobre ensaios clínicos**

 **NOVARTIS**

Versão 1.2 de 16 de maio de 2019, aprovada pela CEIC em 20 de maio de 2019.



INTRODUÇÃO

A Novartis tem como missão descobrir novas formas de melhorar e prolongar a vida. Para tal, recorreremos à inovação de base científica para endereçar alguns dos problemas de saúde mais desafiadores da sociedade. Investigamos e desenvolvemos tratamentos inovadores e procuramos novas formas de os fazer chegar, a tantas pessoas quanto possível. Os ensaios clínicos são uma componente crucial, em todo este processo.

Escolher participar num ensaio clínico é uma decisão pessoal importante. Deverá sempre ter em consideração os riscos desconhecidos das consequências e riscos do ensaio clínico. As perguntas e respostas que se seguem incluem informação que lhe poderá ser útil. Antes de decidir participar num ensaio, é aconselhável falar primeiro com o seu médico de Medicina Geral e Familiar, família, amigos, ou com um representante de uma associação de doentes.

O próximo passo é contactar com o médico do estudo e pedir informação mais específica. Esta brochura destina-se à população em geral, entre os quais, doentes, familiares, cuidadores ou amigos, interessados em saber mais sobre ensaios clínicos com medicamentos em Portugal.

ÍNDICE

Perguntas e respostas para uma participação informada

1. O que me faria considerar participar num ensaio clínico?	7
2. Onde posso encontrar informação sobre ensaios clínicos em Portugal?	8
3. O que é um ensaio clínico intervencional?	9
4. Quais os objetivos de um ensaio intervencional?	10
5. Quais as diferentes fases de desenvolvimento clínico?	11
6. Que autoridades avaliam se o ensaio pode ser realizado no ser humano?	13
7. Que informação devo saber sobre o ensaio?	15
8. O que é o desenho do estudo?	16
9. O que são avaliações do ensaio?	17
10. Que pessoas tenho que contactar durante a participação no ensaio?	18
11. Como posso ter acesso a informação essencial sobre o estudo que me pode ajudar a decidir participar, ou não, no mesmo?	19
12. Sou elegível para participar no ensaio?	22
13. Posso entrar num ensaio em qualquer altura?	23
14. Quais os meus direitos e obrigações como participante?	24
15. Quais os benefícios e riscos de participar num ensaio clínico?	25
16. Como é garantida a confidencialidade dos meus dados pessoais?	26
17. Os procedimentos experimentais do ensaio ou outros procedimentos estão cobertos por seguro?	27
18. Que acontece se o fármaco em estudo afetar a minha doença?	28
19. Que acontece depois de todos os dados terem sido recolhidos?	29
20. Que tipo de tratamento recebo depois de terminar o ensaio?	30
Glossário	32
Bibliografia	35

1 O que me faria considerar participar num ensaio clínico?

Participar num **ensaio clínico** significa poder colaborar com o desenvolvimento de novos medicamentos, contribuindo para a investigação científica e assim ajudar as pessoas que são afetadas pela mesma doença, não só em Portugal como em todo o mundo.

A participação num Ensaio Clínico tem inerente sempre um risco que é geralmente desconhecido, podendo ser maior ou menor, de acordo com a etapa de desenvolvimento do medicamento em estudo. Os riscos inerentes ao ensaio podem dever-se não só ao medicamento em estudo, bem como aos procedimentos do mesmo.



2 Onde posso encontrar informação sobre ensaios clínicos em Portugal?

Os promotores dos ensaios publicam informação essencial em *sites* disponíveis para profissionais de saúde e para o público em geral. Poderá encontrar informação:

- Registo Nacional de Estudos Clínicos¹ (RNEC), <http://www.rnec.pt>. Aqui, é possível encontrar informação sobre todos os ensaios realizados em Portugal, bem como legislação nacional sobre investigação no ser humano.
- <https://clinicaltrials.gov>, base de dados internacional de resultados de ensaios clínicos no ser humano, apoiados por entidades públicas e privadas em todo o mundo, propriedade do Instituto Nacional de Saúde Americano.²

Toda esta informação é atualizada frequentemente, sendo que a sua consulta regular pode ser extremamente interessante para o doente. O seu médico assistente irá responder a qualquer pergunta ou dúvida que possa ter e contactar o **promotor** caso seja necessário obter alguma informação adicional.

3 O que é um ensaio intervencional?

Segundo a legislação de ensaios clínicos relativa a investigação que envolve seres humanos, um ensaio clínico é um projeto de investigação com pessoas, o que implica que, ao entrar no estudo, tenha uma participação ativa neste.³ Os ensaios clínicos são denominados ensaios intervencionais, pois o seu objetivo é avaliar os efeitos da **intervenção** sobre a saúde do doente (medicamento, dispositivo, radiação ou cirurgia) num dado quadro clínico ou patologia.

Existem no entanto, outros estudos de investigação:

- 1) Estudos observacionais nos quais as pessoas são observadas durante o tratamento habitual no sistema de saúde e,
- 2) Projetos de investigação que são baseados em dados relacionados com a saúde e/ou material biológico sem envolvimento das pessoas a que pertencem.

	ENSAIO CLÍNICO	ENSAIO OBSERVACIONAL	PROJECTO INVESTIGAÇÃO
Avaliação da intervenção relacionada com a saúde	Yes	No	No
Avaliação do tratamento habitual da doença	No	Yes	No
Avaliação dos dados de saúde recolhidos e/ou amostras	No	No	Yes

4 Quais os objetivos de um ensaio intervencional?

A investigação clínica é o segundo passo do percurso de desenvolvimento que conduz à validação de um novo tratamento. A investigação inicia-se em laboratórios (investigação básica), em que se estuda um composto em linhas de células e no animal, de forma a avaliar a sua eficácia e segurança.

Só depois da conclusão bem-sucedida desta fase é que os tratamentos experimentais com os resultados laboratoriais mais promissores entram no segundo passo, que consiste em ensaios intervencionais no Homem. Ao longo do desenvolvimento clínico, é recolhida uma quantidade crescente de informação sobre o tratamento experimental, os seus riscos e a sua eficácia (ou a ausência da mesma). A segurança é medida, nomeadamente por testes de laboratório, imagiologia e exames funcionais, enquanto a eficácia de um **fármaco** pode ser avaliada através de diferentes medidas específicas para a indicação provável do mesmo.

Quando um composto entra em desenvolvimento clínico, existe informação limitada. Deste modo, o desenvolvimento de um medicamento implica uma progressão faseada ao longo de quatro fases diferentes. Cada fase tem um objetivo diferente e ajuda os investigadores a responder a diferentes perguntas.

O ensaio pretende responder a perguntas científicas como:

- Qual a dose do tratamento experimental associada com uma alteração na doença?
- O tratamento experimental pode afetar a melhoria ou agravamento da doença?
- O tratamento experimental está associado a efeitos adversos?

5 Quais as diferentes fases de desenvolvimento clínico?

O desenvolvimento clínico de um fármaco numa doença comum é o seguinte:

Nos ensaios de **fase I**, os investigadores estudam um tratamento experimental pela primeira vez num pequeno grupo de pessoas (20–80) para avaliar a forma como é absorvido, distribuído, transformado e eliminado pelo organismo, de forma a identificar a via de administração e a dose ótimas. Nesta fase, os participantes do estudo são geralmente voluntários saudáveis.

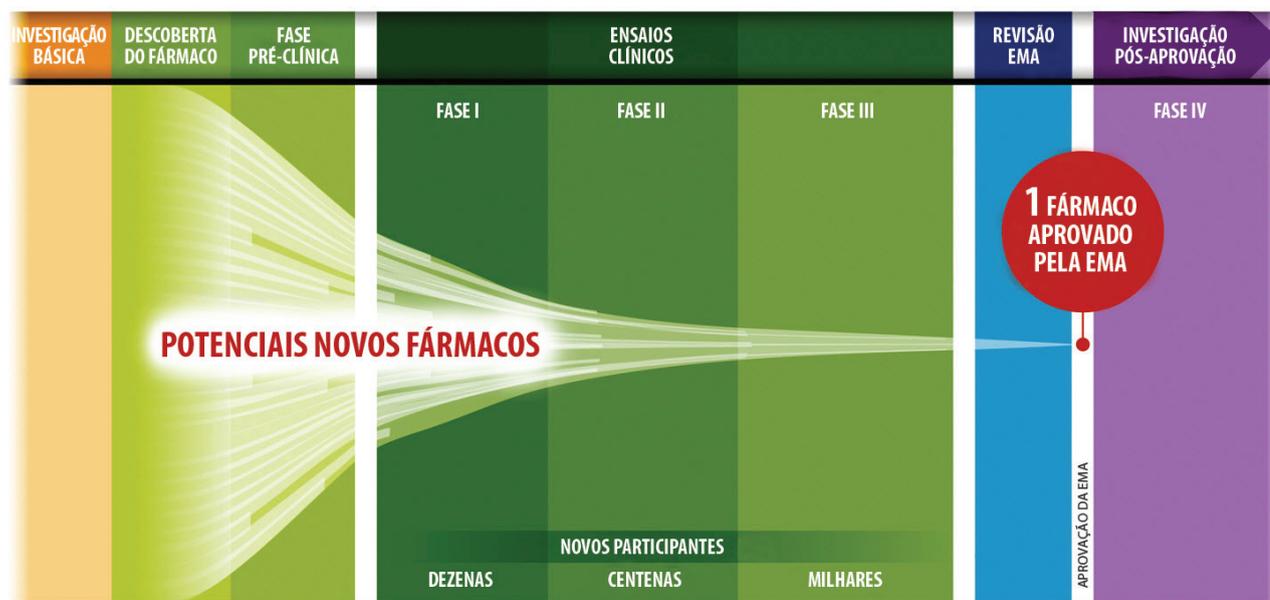
Nos ensaios de **fase II**, o tratamento experimental é administrado a um maior grupo de pessoas (100–300), para verificar a eficácia e a segurança da sua utilização. A partir desta fase, os participantes apresentam a doença para a qual o fármaco está a ser desenvolvido.

Nos ensaios de **fase III**, o tratamento experimental é administrado a grupos muito maiores de doentes (1000–3000), para confirmar a sua eficácia, monitorizar efeitos secundários, analisar face a comparador ou placebo, tratamentos habituais (caso não existam tratamentos disponíveis na prática clínica), e recolher informação que irá permitir utilizar o fármaco ou tratamento com o maior benefício para o doente.

Os ensaios de **fase IV** são realizados depois da Autorização de Introdução no Mercado e são usados para obter informação adicional sobre os riscos, benefícios ou utilização ótima do medicamento.

O desenvolvimento clínico de um medicamento numa doença rara pode ser ligeiramente diferente.

Os ensaios de fase I podem ser realizados em doentes e não em voluntários saudáveis, uma vez que o equilíbrio entre os riscos e os benefícios pode ser diferente em doentes afetados por uma doença crónica incapacitante sem opções terapêuticas. Nos ensaios clínicos realizados em doentes com doenças raras, o número de participantes pode ser inferior e algumas das fases de desenvolvimento dos fármacos, podem mesmo ser associadas.



EMA: European Medicines Agency
 KEY: IND: Investigational New Drug Application, NDA: New Drug Application, BLA: Biologics License Application

Imagem adaptada de: <https://www.phrma.org>

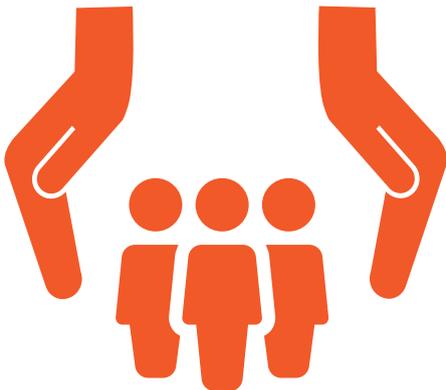
6 Que autoridades avaliam se o ensaio pode ser realizado no ser humano?

A investigação clínica em Portugal está sujeita às obrigações estipuladas pelas orientações internacionais e pela legislação local.³⁸ Esta legislação assegura publicamente que os direitos, a segurança e o bem-estar dos participantes são protegidos e que os dados recolhidos são de confiança. Todas as partes envolvidas são obrigadas a cumprir escrupulosamente todas estas normas.

Como subscritor de tratados internacionais, Portugal implementou os princípios e proibições de dois textos juridicamente vinculativos, a Convenção Europeia dos Direitos Humanos em 1974 e a Convenção Europeia de Direitos Humanos e Biomedicina em 1999, que garantem a dignidade, os direitos e a liberdade do ser humano.⁴⁻⁵ A legislação portuguesa sobre investigação clínica respeita igualmente as orientações não vinculativas relativas a aspetos éticos, a Declaração de Helsínquia da Associação Médica Mundial, as Boas Práticas Clínicas e as Orientações Éticas Internacionais para Investigação Biomédica envolvendo o Ser Humano.⁶⁻⁷

Os mesmos princípios foram implementados na legislação nacional que rege a investigação clínica no ser humano e o Regulamento Europeu dos Ensaio Clínicos.

A Portaria relativa a aspetos organizativos da investigação no ser humano rege o funcionamento dos organismos independentes, denominados - **comissões de ética**.⁹



As comissões de ética são formadas por profissionais da comunidade médica/científica e de outras áreas, cuja responsabilidade é assegurar a proteção dos direitos, a segurança e o bem-estar das pessoas envolvidas num ensaio.

Em Portugal, a Comissão de Ética para a Investigação Clínica – CEIC, atua sob a responsabilidade do Ministério da Saúde e exerce a sua autoridade em Portugal.

O INFARMED- Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde- é a autoridade nacional, responsável pela autorização e supervisão dos produtos terapêuticos, assegurando a qualidade, segurança e eficácia dos medicamentos e dispositivos médicos.¹⁰

Um ensaio clínico apenas pode ser realizado em Portugal quando os dois organismos, a CEIC e o INFARMED aprovam o pedido para realização do ensaio clínico. Toda a informação dos ensaios clínicos é submetida à CEIC através do RNEC (Registo Nacional de Estudos Clínicos), www.rnec.pt, desde 2017 e após aprovação do ensaio clínico é publicada informação do mesmo que poderá ser consultada

7 Que informação devo saber sobre o ensaio?

É importante que o doente tenha acesso a todos os aspetos do ensaio, de forma a que tome a decisão de participação no ensaio clínico de forma consciente.

Um ensaio clínico é um projeto de investigação único definido por objetivos específicos, com um **desenho** de estudo próprio, um fármaco em estudo (incluindo os seus riscos e benefícios – consultar o ponto 15), parâmetros de avaliação (consultar o ponto 9), **população** em estudo (critérios de inclusão e exclusão – consultar o ponto 12). Toda a informação específica do ensaio está reunida num documento denominado protocolo do ensaio, disponível para o médico e os membros da sua equipa do ensaio.

De forma a permitir que um candidato potencial saiba e compreenda os pormenores, riscos e inconvenientes do ensaio e possa decidir formalmente se participa ou não, é disponibilizada ao doente informação essencial sobre o ensaio, incluída no formulário de **consentimento informado** (consultar o ponto 11).

O que é o desenho do estudo?

O desenho do estudo refere-se à estrutura do ensaio clínico. É determinado para definir as melhores condições para alcançar os objetivos do estudo e dar resposta às perguntas do ensaio.

A avaliação dos efeitos de um composto pode requerer a comparação com um composto inativo (**placebo**) ou outro fármaco (**comparador ativo**). O placebo é uma substância inativa utilizada como referência para comparar o fármaco em investigação, de forma a avaliar o efeito relativo do fármaco em estudo. De forma a permitir a comparação sem a influência de nenhum outro fator sendo os doentes distribuídos aleatoriamente para um **braço de tratamento**. **Aleatorização** é o processo através do qual os doentes são distribuídos aleatoriamente para o tratamento experimental ou grupo controlo, placebo ou fármaco ativo.

O tratamento com ocultação é um procedimento através do qual a equipa clínica do ensaio ou os/as doentes participantes, ou os dois não sabem que tratamento foi atribuído.

Ocultação simples significa que apenas os doentes não sabem qual o tratamento atribuído, e **dupla ocultação** significa que tanto os doentes como os investigadores e, nalguns casos, mesmo os analistas dos dados, não sabem qual o tratamento atribuído.

Tratamento **aberto** é um procedimento no qual a equipa médica do ensaio e os doentes que participam no mesmo, sabem qual o tratamento atribuído.



O que são avaliações do ensaio?

Avaliações são os procedimentos do estudo que avaliam o efeito do fármaco em estudo, bem como a sua eficácia e segurança. As avaliações incluem medidas de parâmetros biológicos no sangue, na urina ou noutras amostras biológicas e são procedimentos regulares, frequentemente semanais ou mensais, dependendo do desenho do estudo, que podem obrigar à colheita de amostras biológicas (sangue, urina, biopsias por ex.), realização de exames radiológicos (radiografias, TAC, RM, PET por ex.), sinais recolhidos durante o exame físico (pressão arterial e frequência cardíaca) ou exames funcionais, como a determinação da velocidade da marcha. As avaliações e a sua calendarização ao longo do ensaio são definidas no protocolo do ensaio e descritas em detalhe no formulário de consentimento informado desenvolvido para o doente.

Exemplo de avaliações num Ensaio Clínico:

	DIA 1	DIA 8	DIA 15	DIA 22
Peso	X	X	X	X
Altura	X	X	X	X
Pressão Arterial			X	
Açúcar no sangue	X		X	

X-Avaliação realizada na visita

10

Que pessoas tenho de contactar durante a participação no ensaio?

A **equipa do ensaio** inclui o médico responsável pelo ensaio, também chamado investigador principal, e os seus colaboradores, i.e. médicos, enfermeiros, coordenadores do ensaio, técnicos, farmacêuticos e outros profissionais de saúde. O **investigador principal** pode delegar parte das suas tarefas a outros membros das equipas do ensaio, mas continua responsável pela orientação correta do ensaio no centro. Cada um desempenha tarefas específicas atribuídas pelo investigador principal e atua sob a sua supervisão.

A realização de um ensaio clínico é determinada pelo **protocolo** do ensaio. A equipa do ensaio avalia o seu estado de saúde no início, ao longo do mesmo e no final do ensaio clínico, disponibilizando instruções específicas, monitoriza e informa o doente durante o ensaio e poderá permanecer em contacto com o mesmo depois do fim do ensaio. Alguns ensaios implicam mais exames e visitas do que faria normalmente devido à sua doença ou quadro clínico específico. Durante o ensaio clínico, deve colaborar com a equipa do ensaio para assegurar o seguimento estrito do protocolo, de forma a avaliar os riscos/efeitos adversos que possam surgir e a evolução da doença durante o decurso do mesmo.

O seu médico assistente desempenha igualmente um papel importante; embora não faça diretamente parte da equipa do ensaio, contribui para a realização correta do mesmo. De facto, os ensaios disponibilizam tratamento para um período de tempo específico e para uma dada doença ou quadro clínico, mas não proporcionam assistência médica de outras possíveis patologias associadas que o doente tenha de base, que vai ser assegurada pelo seu médico assistente.

O médico assistente pode observar o doente durante o período do ensaio e prescrever tratamentos e terapêuticas que devem estar em conformidade com o protocolo do ensaio. Além disso, pode detetar problemas de segurança que podem ser importantes para conhecimento da equipa do ensaio, e deverá, sempre que o identificar, contactar o médico investigador. Assim, é recomendado que fale sobre a sua participação num ensaio clínico com o seu médico de Medicina Geral e Familiar, mantendo-o atualizado sobre os progressos do ensaio.

11

Como posso ter acesso a informação essencial sobre o estudo que me pode ajudar a decidir participar, ou não, no mesmo?

Tal como outro procedimento médico, a decisão de participar num ensaio pertence unicamente ao doente ou à doente com capacidade de **discernimento** depois de receber a informação apropriada. Os Investigadores disponibilizam um formulário de informação para o/a doente e um consentimento informado que inclui informação detalhada.³

A informação é desenvolvida para o potencial participante, usando uma linguagem acessível, incluindo os seguintes pontos:

Objetivos do ensaio	Outras opções de tratamento
Seleção das pessoas elegíveis para o ensaio	Achados durante o ensaio
Informação geral sobre o ensaio	Confidencialidade de dados e amostras
Estrutura do ensaio	Abandono do ensaio
Benefícios do/a participante	Compensação do/a participante
Direitos do/a participante	Seguro por danos
Deveres do/a participante	Financiamento do projeto
Riscos e constrangimentos	Contacto

Tal como todos os materiais relacionados com o ensaio, o formulário de consentimento informado é revisto e aprovado pela CEIC.

É muito importante que despenda tempo para esclarecer qualquer questão ou dúvida com o médico do ensaio ou outra pessoa de confiança, médico assistente, família, amigos ou representantes de associações de doentes. Se aceitar participar no ensaio irá assinar o formulário de consentimento informado.



As crianças e adolescentes podem participar em ensaios clínicos?

As crianças (até aos 13 anos de idade) e adolescentes (dos 14 aos 17 anos de idade) podem participar em ensaios clínicos. No entanto, são considerados como sujeitos de ensaio particulares, cuja vontade de participação no estudo deve ser expressa de acordo com o seu grau de desenvolvimento. Independentemente da idade carecem sempre do consentimento dos seus pais ou tutores legais. A concordância/o assentimento do menor deve ser sempre obtido, e tomado em consideração, na medida do seu discernimento. Assim, devem ser tidos em linha de conta os benefícios diretos esperados bem como os riscos e os encargos do ensaio no desenho do estudo, com especial atenção para a obtenção do consentimento.³

Nos primeiros anos de vida da criança (recém-nascido, lactentes e crianças em idade pré-escolar, 5-7 anos) é requerido aos pais (ou outros representantes legais) o consentimento para participar num ensaio clínico. A partir dos 7-8 anos, deverá ser partilhada informação com os participantes do ensaio clínico, devendo ser clara e adequada à idade a informação disponibilizada para a obtenção de consentimento. Em idades superiores aos 14 anos deve ser contemplado solicitar consentimento aos participantes, acentuando-se esta necessidade com o avançar da idade, características do ensaio e a capacidade de compreensão do participante.

Uma eventual recusa da criança, avaliada de acordo com a sua capacidade de discernimento, deve ser vinculativa, mesmo que os pais/representante legal deem o seu consentimento para a sua participação. A participação de um menor num ensaio clínico deve ser sempre decidida em comum por ambos os progenitores.



Os adultos sem capacidade de discernimento podem participar num ensaio clínico?

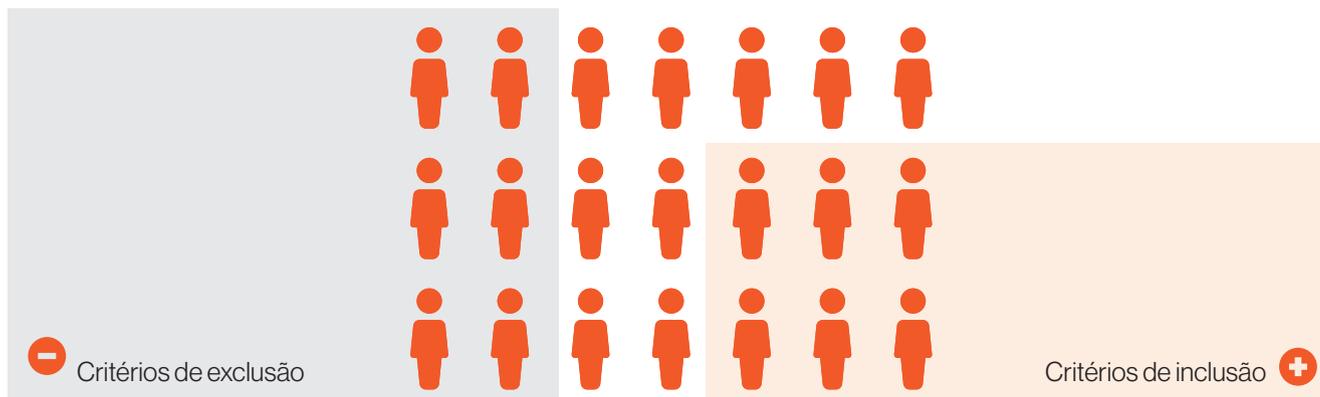
Sim, adultos sem capacidade de discernimento podem participar em ensaios clínicos. No entanto, são considerados como sujeitos incapazes e deste modo devem receber a informação do consentimento esclarecido de forma adequada tendo em conta a sua capacidade de compreensão da mesma, obtido o consentimento esclarecido do seu representante legalmente autorizado e o investigador deverá respeitar o desejo de recusa em participar ou de ser retirado do ensaio clínico a qualquer momento.

12

Sou elegível para participar no ensaio?

Para cada ensaio, é claramente definido no protocolo e no formulário de consentimento informado quem são os doentes elegíveis que podem potencialmente participar no ensaio. Os fatores que permitem a algumas pessoas participar num ensaio são chamados **critérios de inclusão**, enquanto os que não permitem que uma pessoa participe, são denominados por **critérios de exclusão**. Estes critérios são baseados em fatores como idade, sexo, tipo e estadió da doença, tratamentos anteriores, outros quadros clínicos e valores das análises laboratoriais. Em conjunto, os critérios de inclusão e exclusão definem a população do ensaio. A utilização de critérios de inclusão/exclusão é um princípio importante da investigação clínica que ajuda a proteger a segurança dos participantes e a obter resultados fiáveis. Por isso, antes da participação num ensaio clínico, os critérios devem ser cuidadosamente verificados pelo médico do ensaio.

É importante notar que os critérios de inclusão e exclusão não são usados para discriminar os participantes mas, pelo contrário são usados para identificar as pessoas mais adequadas para o ensaio e para proteger a sua saúde e de forma a minimizar os possíveis riscos dos medicamentos experimentais e/ou dispositivos médicos. O médico do ensaio irá falar sobre estes critérios consigo para determinar a sua elegibilidade.

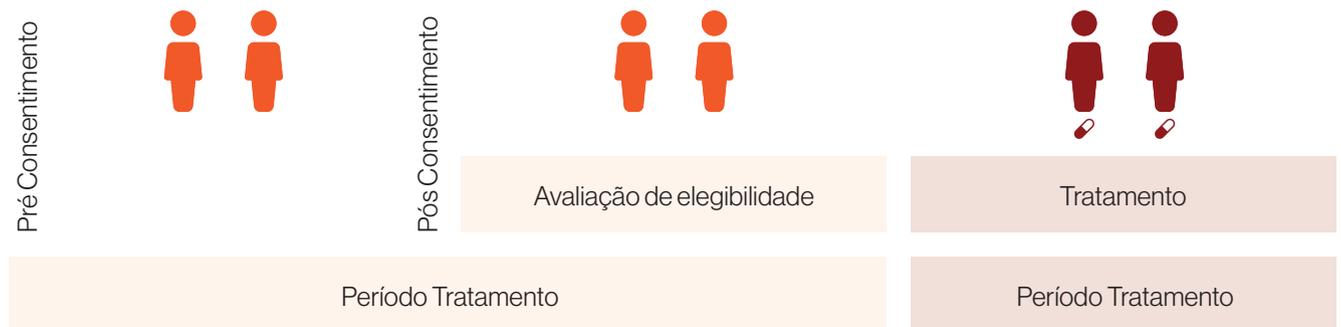


13

Posso entrar num ensaio em qualquer altura?

A admissão num ensaio clínico não é apenas determinada por critérios de inclusão e exclusão definidos, mas também condicionada face a um dado período de tempo. Este período de tempo é denominado período de **recrutamento**.

O período de recrutamento pode depender do tamanho da amostra, das características da população em estudo e da fase de desenvolvimento. Assim o período de recrutamento de um estudo com pessoas que sofrem de uma doença comum pode ser menor que o período de recrutamento de um ensaio com doentes afetados por uma doença rara. Depois de passar este período, já não é possível entrar no ensaio clínico.



..... **TEMPO**

14 Quais os meus direitos e obrigações como participante?

Tal como com qualquer procedimento médico, a decisão de participar é do/a doente. Ninguém pode obrigar ou influenciar de qualquer forma o/a doente. Pode sempre mudar de ideias, se decidir participar. Não é necessário qualquer explicação se não der o seu consentimento ou o retirar. Tem direito a informação, antes do início do ensaio, durante a sua realização e depois da sua conclusão. Pode fazer perguntas em qualquer altura ao médico responsável, usando os contactos disponibilizados.

Se decidir participar no ensaio, será pedido que documente a sua decisão assinando o formulário de consentimento informado especialmente desenvolvido para o estudo específico. Ao dar o seu consentimento, espera-se que siga as orientações para a sua segurança e saúde. A equipa do ensaio irá dar todo o apoio, na medida do possível.

Como participante no ensaio, e de forma à minimização do risco/efeitos secundários, espera-se que:

- Siga as recomendações médicas do médico responsável e cumpra o plano do ensaio.
- Informe o médico responsável sobre o estado da sua doença e de novos sintomas ou sinais, até à conclusão do ensaio.
- Informe o médico responsável sobre o seu tratamento atual, incluindo outros medicamentos comprados sem receita médica.



15

Quais os benefícios e riscos de participar num ensaio clínico?

Os benefícios e riscos de participar num ensaio clínico são específicos de cada ensaio, dependendo do desenho do estudo, do fármaco em estudo, da população do ensaio e das avaliações do ensaio. Os benefícios do tratamento experimental podem não ter sido demonstrados e pode deste modo não retirar qualquer benefício da sua participação no ensaio. Por outro lado, há riscos ou efeitos adversos que podem não ser completamente conhecidos e por isso afetar a saúde do participante.

O medicamento experimental pode não ter a eficácia esperada, e o participante não ter qualquer efeito positivo, podendo por vezes ter efeitos negativos na sua saúde. No entanto, espera-se que o tratamento experimental possa melhorar alguns aspetos da sua doença, com base em estudos pré-clínicos ou clínicos anteriores.

Como participante, deve considerar não só os benefícios como também os riscos associados com o tratamento experimental e outros procedimentos relacionados com o ensaio. Existem ensaios clínicos cujo objetivo não é a eficácia (ensaio de fase I) e ensaios de fase II que significa que o medicamento experimental está ainda numa fase precoce de desenvolvimento e a informação relativa à eficácia poderá ainda não ser conhecida.

Pode também ter sido associado com efeitos adversos notificados no passado, em estudos no homem ou no animal. À medida que o desenvolvimento clínico se desenrola, pode existir nova informação. Será disponibilizada informação, no devido tempo, relativa a qualquer alteração nos benefícios e riscos que possa influenciar a sua decisão de manter a participação no ensaio. É muito importante informar a equipa do ensaio de qualquer alteração no seu quadro clínico e da presença de novos sintomas ou sinais. A equipa do ensaio tomará medidas para si e para todos os participantes, se necessário. Se sofrer qualquer perda ou dano como resultado do produto em investigação ou de procedimentos relacionados com o ensaio, todas as responsabilidades serão cobertas pelo seguro contratado pelo promotor.



16

Como é garantida a confidencialidade dos meus dados pessoais?

Durante a realização do ensaio serão recolhidos dados pessoais, como a sua história clínica e resultados de análises de laboratório. O promotor é responsável por cumprir a legislação de proteção de dados pessoais, nacional e internacional, nomeadamente, as disposições do Regulamento Geral sobre Proteção de Dados (RGPD), assegurando um tratamento de dados pessoais lícito, leal e transparente. Toda a informação pessoal e médica, bem como as amostras colhidas no contexto de um ensaio são codificadas, o que significa que são identificadas apenas por um número aleatório e que não permite a identificação direta dos participantes. É responsabilidade do promotor manter os mesmos padrões de proteção exigidos no Espaço Económico Europeu (EEE) para os dados pessoais e as amostras enviadas para fora do EEE.

O ensaio pode ser analisado pelas autoridades regulamentares, o INFARMED ou a comissão de ética ou pelo promotor para avaliar os processos, assegurando que a sua segurança é respeitada. No caso de uma auditoria, o investigador pode ter necessidade de conceder acesso aos seus dados pessoais e médicos às autoridades responsáveis e ao promotor. Toda a equipa envolvida no ensaio é obrigada a respeitar a mais estrita confidencialidade.

17

Os procedimentos experimentais do ensaio ou outros procedimentos estão cobertos por seguro?

Devido aos riscos e benefícios de um ensaio clínico, e de forma a assegurar que a decisão de participar é tomada de livre vontade, não há remuneração para o participante, apenas a comparticipação das despesas tidas no âmbito da sua participação.

Durante o tempo do ensaio, todos os procedimentos médicos que fazem parte do tratamento padrão da doença, serão suportados pelo seu sistema de saúde. Todos os outros procedimentos específicos do ensaio serão pagos pelo promotor do ensaio.

TODOS OS TRATAMENTOS E PROCEDIMENTOS



18

O que acontece se o fármaco em estudo afetar a minha doença?

Durante a administração do fármaco em estudo e até ao final do ensaio (alguns incluem um período de seguimento), qualquer alteração que possa observar, relacionada ou não com a sua doença, deve ser notificada à equipa do ensaio como referido nas suas obrigações (consultar o ponto 14). Se o fármaco em estudo está a ser administrado num ensaio clínico aleatorizado com ocultação, será informado sobre o seu tratamento apenas no final do ensaio a não ser que um evento relacionado com a saúde obrigue à desocultação do seu tratamento (consultar o ponto 9).

Se o seu estado de saúde se alterar, o médico do ensaio pode sempre contemplar a retirada do participante do ensaio e adaptar o tratamento à sua condição de saúde.



19

O que acontece depois de todos os dados terem sido recolhidos?

No final de um ensaio, os técnicos de análise estatística analisam os dados recolhidos durante o ensaio e estabelecem a eficácia e segurança do tratamento. Esta informação permanece confidencial até os resultados do ensaio terem sido divulgados publicamente. Para saber mais sobre resultados, pode falar com o médico do ensaio. Os resultados do ensaio clínico, após a sua conclusão, de acordo com as Boas Práticas de Publicação, Good Publication Practice 3 (GPP3) deverão ser publicados, quer sejam positivos ou negativos.

Os resultados do ensaio têm que ser submetidos às autoridades (CEIC e INFARMED) que aprovaram o ensaio, e registados em locais da internet do domínio público como <https://clinicaltrials.gov>.²

Além disso, os resultados dos ensaios são publicados em revistas científicas. Depois de demonstradas a segurança e a eficácia nos ensaios clínicos, pode ser submetido um pedido de Autorização de Introdução no Mercado às autoridades de saúde Europeias ou Portuguesas.



20 Que tipo de tratamento recebo depois de terminar o ensaio?

Após a conclusão do estudo clínico com intervenção, os medicamentos experimentais devem, até à decisão de comparticipação pelo SNS, ser disponibilizados gratuitamente pelo promotor ao participante, desde que o investigador considere indispensável a continuação da sua utilização pelo mesmo e não existam alternativas terapêuticas de eficácia e segurança equiparáveis, bem como cumpridas pelo investigador algumas regras definidas na Lei.

Para este efeito, o investigador deve:

- a) Obter o consentimento informado do participante ou do seu representante legal;
- b) Apresentar um relatório clínico justificativo da necessidade de continuação do tratamento;
- c) Nos ensaios clínicos, comunicar à CEIC e ao INFARMED, I.P., e ao responsável pela unidade de saúde, no prazo mais curto possível, a continuação do tratamento, da administração do medicamento ou da utilização do dispositivo médico;
- d) Notificar a CEIC e o INFARMED, I. P., das reações e dos acontecimentos adversos que ocorram no decurso da administração do medicamento.

APÓS TÉRMINO
DO ENSAIO CLÍNICO



Mantém fármaco em estudo:
· Estudo de extensão
· Uso compassivo



Inicia terapêutica padrão



MEDICAMENTO
APROVADO

Glossário

Aberto

Tipo de ensaio ou período do ensaio durante o qual o/a participante recebe um fármaco em estudo (fármaco ativo, placebo ou comparador ativo, segundo o protocolo), em que o/a participante sabe qual o fármaco administrado.

Aleatorização

Processo de distribuição aleatória dos/das participantes do ensaio para os diferentes braços de tratamento (pelo menos dois para permitir a comparação).

Avaliação

As avaliações do ensaio são formas de medir a atividade da doença e deste modo o efeito do fármaco em estudo na mesma. As avaliações do ensaio podem ser exames de rotina sobre o tratamento padrão da doença ou exames específicos do ensaio.

Exemplos: análises de sangue, TAC, questionário ao doente.

Braço de tratamento

Grupo de participantes que recebem um tratamento específico.

Exemplos: braço placebo, braço comparador.

Comparador

Fármaco ativo que já demonstrou um efeito clínico numa dada patologia. O comparador é utilizado como referência para comparar o fármaco em investigação, de forma a avaliar o efeito relativo do fármaco em estudo.

Consentimento informado

Tal como com outras intervenções relacionadas com a saúde, o consentimento informado é necessário antes da participação no ensaio. É o processo pelo qual se apresenta ao/à doente toda a informação essencial para avaliar se deseja participar. Depois de esclarecido/a, o/a doente dispõe de um formulário de consentimento informado elaborado pelo promotor, que confirma o seu consentimento.

Comissão de Ética

Comissão independente que inclui diferentes especialistas, como médicos, biólogos e consultores jurídicos que analisam os aspetos científicos, éticos e jurídicos do ensaio de forma a assegurar a proteção dos participantes do ensaio.

Critérios de exclusão

Critérios que excluem potenciais participantes do ensaio. Os critérios de exclusão destinam-se a proteger os/as participantes que potencialmente podem estar num maior risco de efeitos adversos caso participassem no ensaio.

Exemplo: idade inferior a 20 anos como critério de exclusão significa que os voluntários/doentes com menos de 20 anos não podem participar no ensaio.

Critérios de inclusão

Critérios que definem a elegibilidade de potenciais participantes no ensaio. Os critérios de inclusão destinam-se a identificar os/as participantes que podem potencialmente beneficiar da sua participação no ensaio.

Exemplo: doentes com diabetes mellitus como critério de inclusão significa que os/as doentes com diabetes mellitus podem participar no ensaio.

Desenho

O desenho do estudo descreve o curso de ação do ensaio. O desenho do estudo é determinado pela hipótese a testar no ensaio.

Exemplo: Hipótese: o fármaco "A" é mais eficaz no tratamento da doença "X" que o fármaco "B"? Desenho do estudo: dois braços de tratamento para comparar o efeito do fármaco "A" com o fármaco "B" em doentes afetados por "X".

Discernimento

Discernimento refere-se à capacidade de qualquer pessoa tomar uma decisão racional, quando não é muito jovem ou criança, não apresenta défice cognitivo, doença psiquiátrica, abuso de drogas ou outro problema que possa afetar o discernimento.

Dupla ocultação

Tipo de ensaio ou período do ensaio durante o qual o/a participante recebe o fármaco em estudo (fármaco em estudo, placebo ou comparador ativo conforme o protocolo), sem que o/a doente nem o médico tenham conhecimento do mesmo para evitar a interferência de fatores psicológicos.

Ensaio clínico

Projeto de investigação envolvendo o ser humano no qual os participantes são sujeitos a uma intervenção na área da saúde (como um medicamento) de forma a avaliar o seu efeito na saúde ou no funcionamento do organismo humano.

Equipa do ensaio

Grupo de pessoas envolvidas na realização do ensaio sob a liderança do investigador principal. A equipa do ensaio pode incluir médicos, enfermeiros, farmacêuticos, fisioterapeutas e outros profissionais de saúde. Estas são as pessoas que o/a participante encontra com regularidade durante o tempo de duração do ensaio clínico.

Fármaco

Fármaco em estudo refere-se a qualquer fármaco utilizado num ensaio clínico.

Exemplos: fármaco ativo, placebo, comparador ativo.

Intervenção

Em ensaios clínicos, a intervenção é uma ação relacionada com a saúde, destinada a prevenir, diagnosticar, tratar ou curar uma patologia.

Exemplos: dispositivo médico, tratamento, medicamento, cirurgia, radiação.

Investigador principal

Pessoa responsável pela realização de um ensaio clínico e pela proteção dos/as participantes no centro do ensaio; um investigador que assume a responsabilidade de um ensaio clínico em Portugal é designado por Investigador Coordenador.

Ocultação simples

Tipo de ensaio ou período do ensaio durante o qual o/a participante recebe o fármaco em estudo (fármaco em estudo, placebo ou comparador ativo conforme o protocolo), sem que o/a doente tenha conhecimento do mesmo para evitar a interferência de fatores psicológicos.

Placebo

Substância inativa utilizada como referência para comparar o fármaco em investigação, de forma a avaliar o efeito relativo do fármaco em estudo.

População

A população do ensaio é definida pelos critérios de inclusão e exclusão.

Promotor

Pessoa ou instituição com sede ou representada em Portugal que assume a responsabilidade de organizar um ensaio clínico, em especial o seu início, gestão e financiamento.

Protocolo

Documento que contém toda a informação sobre a realização e os objetivos do ensaio.

Recrutamento

Período do ensaio durante o qual os/as participantes entram no estudo. Durante a preparação do ensaio, o recrutamento de participantes ainda não está aberto. Depois do encerramento do recrutamento, não são admitidos/as doentes adicionais no ensaio.

Bibliografia

1. RNEC

Disponível em <http://www.rnec.pt> (Acedido em junho 2017)

2. Clinicaltrials.gov

Disponível em: <https://clinicaltrials.gov/> (Acedido em junho 2017)

3. Federal Act on Research involving Human Beings

Disponível em <https://www.admin.ch/opc/en/classified-compilation/20061313/index.html> (Acedido em Junho 2017)

4. European Convention on Human Rights

Disponível em http://www.echr.coe.int/Documents/Convention_ENG.pdf (Acedido em junho 2017)

5. European Convention on Human Rights and Biomedicine

Disponível em <https://rm.coe.int/CoERMPublicCommonSearchServices/DisplayDCTMContent?documentId=090000168007cf98> (Acedido em junho 2017)

6. Declaration of Helsinki

Disponível em <http://www.wma.net/en/30publications/10policies/b3/17c.pdf> (Acedido em junho 2017)

7. The Good Clinical Practices

Disponível em <http://www.recerca.uab.es/ceeah/docs/cioms.pdf> (Acedido em junho 2017)

8. Ordinance on Clinical Trials in Human Research

Disponível em <https://www.admin.ch/opc/en/classified-compilation/20121176/index.html> (Acedido em Junho 2017)

9. Ordinance on Organizational Aspects of the Human Research Act

Disponível em <https://www.admin.ch/opc/en/classified-compilation/20121179/index.html> (Acedido em Junho 2017)

10. INFARMED

Disponível em <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?qid=1528874672298&uri=CELEX%3A32016R0679> (Acedido em Julho 2018)

11. Documento Orientador CEIC sobre Consentimento Informado (CI) para participação em ensaios clínicos em pediatria

Disponível em <http://www.ceic.pt/documents/20727/57550/cumento+Orientador+CEIC+sobre+Consentimento+Informado+%28CI%29+para+participa%C3%A7%C3%A3o+em+ensaios+cl%C3%ADnicos+em+pediatria/15385b28-a792-4f2b-9a57-efc184f7951cDocumento+Orientador+CEIC+sobre+Consentimento+Informado+%28CI%29+para+participa%C3%A7%C3%A3o+em+ensaios+cl%C3%ADnicos+em+pediatria/15385b28-a792-4f2b-9a57-efc184f7951c> (Acedido em Julho 2018)

12. Regulamento Europeu relativo aos ensaios clínicos de medicamentos para uso humano

Disponível em https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/eudralex/vol-1/reg_2014_536/reg_2014_536_pt.pdf (Acedido em Julho 2018)

13. Good Publication Practice (GPP3)

Disponível em <http://annals.org/aim/fullarticle/2424869/good-publication-practice-communicating-company-sponsored-medical-research-gpp3> (Acedido em Julho 2018)

MED158/05/2019

Novartis Farma – Produtos Farmacêuticos, S.A.
Avenida Professor Doutor Cavaco Silva, n.º 10E, Taguspark, 2740-255 Porto Salvo
NIPC 500063524

