

Tabla 2. TIPOS DE ENSAYO CLÍNICO

Ensayo clínico de fase I	Estudio inicial de la seguridad de un nuevo fármaco, habitualmente en voluntarios sanos. También pretende establecer el intervalo de dosificación tolerable tras la administración de dosis únicas o múltiples. Estos estudios también determinan la absorción, distribución, metabolización y excreción del fármaco, así como la duración de su acción. Este tipo de ensayos se realiza en pacientes, y no en voluntarios sanos: (1) cuando el fármaco es demasiado tóxico (ej., antineoplásicos); (2) se prevé que el índice terapéutico sea demasiado estrecho (ej., antiarrítmicos); (3) se prevé que la dosis terapéutica en pacientes será mayor de la que puedan tolerar los sujetos sanos (ej., neurolépticos).
Ensayo clínico de fase II	Ensayo clínico cuyo propósito es evaluar la eficacia por primera vez, ampliar la información sobre la tolerabilidad a corto plazo y establecer la relación dosis-respuesta. Se realizan en pacientes que presentan la enfermedad o trastorno que el fármaco pretende tratar. Siempre que sea posible y útil, deberían consistir en investigaciones comparativas con placebo o un tratamiento estándar.
Ensayo clínico de fase III	Ensayo destinado a evaluar la eficacia, la seguridad a más largo plazo y la relación beneficio-riesgo global, en condiciones más representativas de la población en la que se pretende utilizar el fármaco. Se trata de estudios preferentemente controlados, aleatorizados y enmascarados, en los que el grupo de control suele estar constituido por un fármaco de eficacia establecida en la enfermedad. Para la autorización de la comercialización de un fármaco, la FDA estadounidense exige al promotor la realización de los llamados pivotal clinical studies (estudios clínicos esenciales o fundamentales) que deben satisfacer al menos cuatro criterios: (1) ser comparativo con placebo o un tratamiento estándar; (2) tener un diseño doble ciego (siempre que sea viable y ético); (3) ser aleatorizado; (4) tener un tamaño muestral adecuado para permitir un poder estadístico suficiente.
Ensayo clínico de fase IV	Estudio destinado a determinar la eficacia y seguridad de un medicamento tras su comercialización. Se realizan con el fin de: (1) satisfacer un requisito regulatorio; (2) evaluar la eficacia y tolerabilidad del medicamento en condiciones de utilización amplia, de modo de incluir grupos de pacientes no representados en los ensayos clínicos de fase III; (3) evaluar aspectos específicos, como los estudios de coste-beneficio y coste-efectividad.
Ensayo clínico en un solo paciente	Ensayo en el que un solo individuo recibe reiteradamente un tratamiento para varios episodios de una enfermedad con el fin de establecer su efecto terapéutico. A menudo se realiza con un diseño controlado y aleatorizado.
Ensayo clínico abierto	Ensayo clínico en el que todas las partes implicadas (paciente, investigador, promotor) conocen la identidad de los tratamientos administrados.
Ensayo controlado aleatorizado	Ensayo en el que el grupo en el que se evalúa la intervención se compara, tras una distribución al azar, con uno o más grupos de control (procedimiento estándar, placebo o bien con ninguna intervención). En la medida de lo posible, el estudio se efectuará conforme a un diseño enmascarado.
Ensayo clínico unicéntrico	Ensayo realizado en un solo centro hospitalario o extrahospitalario, por un único investigador o equipo de investigación.
Ensayo clínico multicéntrico	Ensayo clínico realizado de acuerdo con un protocolo único pero en más de un centro y, por tanto, realizado por más de un investigador.
Ensayo clínico no controlado	Ensayo en el que el grupo de estudio no se compara con ningún grupo de control. Aunque de escasa utilidad para valorar la eficacia, pueden ser útiles para evaluar la seguridad.
Ensayo clínico pragmático	Ensayo clínico realizado para evaluar los beneficios (efectividad) de una intervención, farmacológica o no, en condiciones clínicas reales.
Ensayo clínico secuencial	Ensayo clínico en el que los sujetos del grupo experimental y de control se disponen en pares o bloques y para los cuales la decisión de incorporar nuevos pacientes se basa en que la diferencia acumulada entre las intervenciones se encuentre dentro de determinados límites, la superación de los cuales comporta la finalización del ensayo. Se utilizan cuando es posible evaluar los resultados con cierta rapidez y cuando los períodos de seguimiento no son demasiado largos.