



Sr./a

Usted padece una enfermedad rara y desea participar activamente en el desarrollo de la investigación terapéutica. Orphanet es un servicio del INSERM que proporciona información sobre todos los proyectos en curso dentro del campo de las enfermedades raras. El objetivo es ofrecer a los pacientes y sus familias, así como a profesionales de la salud, la posibilidad de estar informado de los últimos avances científicos.

Los servicios de Orphanet están disponibles en <http://www.orpha.net>. En esta página web, usted encontrará información sobre investigación clínica en curso, y un formulario de solicitud para completar en el caso de que desee participar. Sólo están autorizadas a registrarse las personas que padezcan una enfermedad rara, en el caso de que éstas sean adultas. Los menores deben ser registrados por sus padres o su representante legal.

Un ensayo clínico es un estudio médico diseñado para probar el efecto de un fármaco nuevo o ya existente, un tratamiento biológico, o un dispositivo médico que pueda tratar o prevenir una enfermedad rara ya conocida. El objetivo principal de un ensayo clínico es comparar 2 o más grupos de sujetos, utilizando 2 o varios tratamientos, para determinar la eficacia de un fármaco o un tratamiento biológico. Los ensayos clínicos se llevan a cabo éticamente y con la atención centrada en proteger a los pacientes de efectos secundarios innecesarios, y permitir una recopilación de datos precisa y exhaustiva sobre la enfermedad.

Las personas que deseen participar en un ensayo clínico deberán estar bien informadas sobre el estudio, incluyendo los posibles efectos secundarios y los beneficios que puedan obtener del ensayo. El doctor responsable del ensayo es el encargado de explicar el protocolo, de responder a todas las preguntas, y de obtener el “consentimiento informado” de los participantes. El paciente puede negarse a participar, o abandonar el ensayo clínico en cualquier momento, y esto no será perjudicial para la relación entre el paciente y el doctor.

El investigador del ensayo clínico es el encargado de validar las solicitudes, ya que deben cumplirse criterios muy estrictos antes de la inscripción en tales estudios. El registro previo en la lista de Orphanet no constituye una garantía, en ningún caso, de que sea seleccionada su solicitud si tiene lugar un ensayo clínico nuevo. Tampoco el registro garantiza que se lleve a cabo en un futuro próximo dicho ensayo, si no hay en estos momentos un estudio en curso. El registro en la lista de Orphanet de voluntarios para ensayos clínicos le permite estar informado sobre el lanzamiento de nuevos ensayos clínicos, y presentarse al reclutamiento. Este servicio ha sido aprobado por el C.N.I.L (Comisión Nacional Informática y Libertad)

Dr Ségolène Aymé
Orphanet
Plate-forme Maladies rares
102 rue Didot - 75014 Paris - France