



Esta traducción fue posible gracias a un patrocinio de Herramientas y Recursos de Donaciones Poco Comunes de la Fundación EveryLife para las Enfermedades Raras.

Grupo de trabajo sobre uso compasivo y acceso temprano preguntas frecuentes

La sección de preguntas frecuentes del CUPA es un recurso de gran utilidad para obtener más información sobre el acceso a productos sanitarios en fase de investigación y otros asuntos relacionados. Las respuestas que figuran más abajo se refieren únicamente a los Estados Unidos; las políticas relativas al acceso a productos sanitarios aún no autorizados son diferentes en cada país. Para obtener mayor información sobre las políticas vigentes en otros países para acceder a productos sanitarios aún no autorizados, consulte [esta guía](#), elaborada por Janssen Pharmaceuticals.

Nota: Esta información es precisa a partir de agosto de 2025. Los enlaces a continuación dirigen a páginas y sitios en inglés.

Preguntas generales sobre el acceso temprano a productos sanitarios

- [¿Qué es el acceso temprano?](#)
- [¿Qué se puede obtener mediante el acceso temprano?](#)
- [¿Qué significa “en fase de investigación”?](#)
- [¿Por qué se recurre al acceso temprano?](#)
- [¿Quiénes pueden beneficiarse de un acceso temprano?](#)
- [¿El acceso temprano es lo mismo que un ensayo clínico?](#)
- [¿Cómo solicitar un acceso temprano?](#)
- [¿Qué es el derecho a probar?](#)
- [¿Cuál es la diferencia entre el acceso ampliado y el derecho a probar?](#)
- [¿Acceso ampliado o derecho a probar? ¿Cuál de las dos vías es más rápida?](#)

- [¿Por qué podría una compañía decantarse por el acceso ampliado en lugar del derecho a probar \(o viceversa\)?](#)
- [¿Quién toma las decisiones en lo relativo al acceso temprano?](#)
- [¿Quién financia los fármacos suministrados con carácter previo a su autorización?](#)

Preguntas de los pacientes sobre el acceso temprano

- [¿Cómo puedo acceder a un agente en fase de investigación?](#)
- [¿Cuáles son algunos de los recursos de los que puedo beneficiarme?](#)

Preguntas sobre el acceso ampliado

- [¿Qué es un programa de acceso ampliado \(PAA\)?](#)
- [¿Cuántos pacientes se han beneficiado del acceso ampliado?](#)
- [¿Por qué no apartar a la FDA del proceso de acceso ampliado?](#)
- [¿Es realmente necesario que la FDA examine las propuestas de acceso ampliado?](#)
- [¿Qué papel desempeña un comité de ética asistencial \(CEA\) en el acceso ampliado?](#)

Preguntas sobre el derecho a probar

- [¿En qué consisten las leyes estatales que regulan el derecho a probar?](#)
- [¿En qué consiste es la ley federal que regula el derecho a probar?](#)
- [¿Qué papel desempeña un comité de ética asistencial \(CEA\) en el derecho a probar?](#)

Preguntas sobre la participación pública

- [¿Como cobró tanta notoriedad la posibilidad de acceder q un producto aún no autorizado sin tener que participar en un ensayo clínico?](#)
- [¿Por qué el acceso preaprobación genera tanta controversia?](#)
- [¿Por qué podría alguien oponerse al acceso a productos sanitarios experimentales por fuera de un ensayo clínico?](#)

Preguntas sobre el CUPA

- [¿Quiénes integran el CUPA?](#)
- [¿A qué se dedica el CUPA y qué espera conseguir?](#)
- [¿Los miembros del CUPA hablan con legisladores y otros responsables políticos?](#)
- [¿Qué propuestas ha formulado el CUPA?](#)
- [¿Quién financia los costos de funcionamiento del CUPA?](#)
- [¿Qué ha publicado el CUPA?](#)

Preguntas generales sobre el acceso temprano

¿Qué es el acceso temprano?

Los términos “acceso temprano”, “uso compasivo”, “acceso ampliado” y “derecho a probar” suelen referirse al uso de un producto sanitario cuya comercialización aún no ha sido autorizada por las autoridades regulatorias de un país con el fin de obtener un posible beneficio terapéutico. En el caso de los Estados Unidos, la autoridad regulatoria es la FDA (Food and Drug Administration).

En Estados Unidos, lo más habitual es que los pacientes accedan a fármacos, dispositivos o vacunas no autorizadas (“en fase de investigación”) participando en un ensayo clínico. El término “acceso temprano” hace referencia al acceso a productos sanitarios en fase de investigación tanto dentro de un ensayo clínico como por fuera de él. “Uso compasivo”, “acceso ampliado” y “derecho a probar” hacen referencia específica al acceso a productos sanitarios en fase de investigación *por fuera de* un ensayo clínico, es decir que no se requiere que los pacientes participen en un ensayo clínico para poder utilizar el producto. “Acceso ampliado” y “derecho a probar” hacen referencia a vías específicas a través de las cuales un paciente, por medio de su médico, puede intentar obtener acceso a un producto sanitario antes de su autorización sin tener que participar en un ensayo clínico.

En esta sección de preguntas frecuentes, se utiliza el término “acceso temprano” principalmente para hacer referencia al acceso a productos sanitarios en fase de investigación dentro de un ensayo clínico o por fuera de él. Aunque “uso compasivo” es un término habitual, que a menudo se considera sinónimo de acceso temprano por fuera de un ensayo clínico, el CUPA ha comenzado a dejar de utilizar dicho término porque podría interpretarse que la negativa a suministrar un producto sanitario aún no autorizado supone una falta de compasión. Ciertamente existen circunstancias en las que suministrar al paciente un producto experimental determinado podría no ser demasiado compasivo. Por ejemplo, en el caso de que exista la probabilidad de que el producto pueda causar más daño que beneficios. Asimismo, el alcance del término “uso compasivo” se ha ampliado para incluir, por ejemplo, solicitudes de acceso caritativo a productos sanitarios autorizados. Estas situaciones plantean consideraciones éticas muy diferentes de las planteadas por solicitudes de productos sanitarios aún no autorizados por lo que creemos deben utilizarse términos más precisos, garantizándose así la claridad del mensaje. Sugerimos utilizar el término “acceso temprano por fuera de un ensayo clínico” en lugar de “uso compasivo”.

Fuera de los Estados Unidos, se utilizan otros términos como “programa para pacientes específicos”, “suministro para pacientes específicos”, “acceso gestionado”, “acceso especial” o “acceso temprano”, entre otros. Los miembros del CUPA redactaron un documento a favor de la adopción de un único término para evitar posibles confusiones. Algunos países denominan sus programas de acceso “uso compasivo”; el uso de ese término debería limitarse a esos casos.

¿Qué se puede obtener mediante el acceso temprano?

En los Estados Unidos, el acceso temprano fuera del contexto de un ensayo clínico funciona en dos vertientes: el acceso ampliado y el derecho a probar. A través de los programas de acceso

ampliado de la FDA, un médico puede solicitar el acceso a productos sanitarios en fase de investigación (medicamentos [incluidos los biológicos], vacunas y dispositivos) en nombre del paciente en cualquier momento de su desarrollo. A través del derecho a probar, el médico puede solicitar el acceso a medicamentos en fase de investigación que cumplan con ciertos criterios.

En ambos casos, el paciente debe solicitar el acceso a través de un médico que esté dispuesto a administrar el tratamiento experimental. Cabe destacar que algunos facultativos pueden negarse a hacerlo. Puesto que ni el acceso ampliado ni el derecho a probar suponen que las compañías estén obligadas a suministrar sus productos experimentales, en ambos supuestos el paciente (a través de su médico) tiene el derecho de solicitar el acceso, pero no el de que se le suministre el producto solicitado.

Tanto el acceso ampliado como el derecho a probar tienen restricciones en cuanto a qué pacientes pueden optar a ellos.

¿Qué significa “en fase de investigación”?

En Estados Unidos, es habitual que los medicamentos (incluidos los biológicos), las vacunas y los dispositivos médicos sólo puedan comercializarse o utilizarse una vez que hayan recibido la autorización correspondiente por parte de la FDA, la agencia federal encargada de garantizar la relativa seguridad y eficacia de los productos sanitarios. Antes de obtener dicha autorización, estos productos se denominan “productos en fase de investigación” ya que están siendo investigados para comprobar su seguridad y eficacia. También se los suele denominar “experimentales”, “no aprobados” o “productos de acceso temprano”.

Cuando una compañía desea comercializar un nuevo producto, lo normal es que, en primer lugar, tenga que testar dicho producto en humanos con arreglo a las normas de la FDA. En el caso de los medicamentos, las vacunas y algunas clases de dispositivos, la autorización de comercialización suele requerir la realización de una serie de pruebas encaminadas a demostrar que el producto es seguro (los riesgos que supone su uso son razonables en virtud de los beneficios que ofrece) y eficaz. Estas pruebas, que se conocen como “ensayos clínicos” comprenden una serie de fases (I, II, III, IV), cada una con un objetivo diferente y normalmente con distintos grupos de participantes. La FDA sólo decidirá si aprueba el producto y, consiguientemente autoriza su comercialización, una vez haya examinado los datos obtenidos un el preceptivo ensaño clínico.

¿Por qué se recurre al acceso temprano?

En general, el proceso de desarrollo de un producto sanitario lleva al menos 10 años, desde la fase de estudios preclínicos hasta la autorización por parte del regulador. Contrariamente a lo que se suele pensar, la valoración y aprobación por parte de la FDA de un producto sanitario experimental constituye sólo una pequeña parte de todo el proceso que conduce a la comercialización del nuevo producto; la fase de investigación lleva mucho más tiempo. Los pacientes que no disponen de opciones de tratamiento aprobadas, que han obtenido resultados insatisfactorios con los tratamientos existentes o que no pueden recibir los productos autorizados, podrían desear utilizar un producto en fase de investigación. Independientemente de si el

medicamento está siendo testado en el marco de un ensayo clínico o si los ensayos ya han finalizado y la FDA está en el proceso de examinar los datos de los mismos, los pacientes que desean probar un producto sanitario aún no aprobado deben solicitar el acceso a través de un procedimiento de acceso temprano. Para la mayoría de pacientes, la opción más segura para acceder al tratamiento es participar en un ensayo clínico. No obstante, no todos los pacientes pueden participar en un ensayo clínico, o quizás no exista un ensayo clínico disponible. Estos pacientes pueden intentar obtener acceso a un medicamento aún no autorizado por fuera de un ensayo clínico. Para ello pueden recurrir a la vía del acceso ampliado o a la del derecho a probar.

¿Quiénes pueden beneficiarse de un acceso temprano?

La normativa de la FDA identifica dos grupos de pacientes que pueden optar al acceso ampliado cuando no existe ni un tratamiento alternativo aprobado ni un ensayo clínico disponible: (1) aquellos que padecen enfermedades potencialmente mortales o patologías “asociadas con un riesgo razonablemente previsible de muerte en los meses siguientes o que pueden desencadenar un fallecimiento prematuro si no son tratadas precozmente”; y (2) aquellos con enfermedades graves o patologías asociadas con un “nivel de morbilidad que condiciona sustancialmente su vida diaria”. Para obtener más información, consulte la [disposición de Acceso Ampliado y Medicamentos en Fase de Investigación para Uso terapéutico](#) del Código de Normativas Federales. [Se abre una nueva pestaña.](#)

El derecho a probar está limitado a pacientes que padecen enfermedades o afecciones potencialmente mortales, tal y como vienen definidas en el título 21, apartado 312.81 del Código de Normativas Federales (CFR por sus siglas en inglés): (1) enfermedades o afecciones asociadas con un elevado riesgo de mortalidad si no se interrumpe el proceso patológico; y (2) enfermedades o afecciones potencialmente mortales para las que el criterio de evaluación del análisis de los ensayos clínicos sea la supervivencia. La ley que regula el derecho federal a probar fue promulgada en mayo de 2018, habiéndose descrito muy pocos casos de su uso desde entonces (véanse los informes consolidados de la FDA sobre el uso del derecho a probar en la siguiente sección). Aún no se sabe con certeza cómo se van a conjugar las disposiciones de la ley federal con las disposiciones de las distintas leyes estatales sobre el derecho a probar (que a menudo tienen sus propias normas en cuanto a qué pacientes pueden beneficiarse de ese derecho).

¿El acceso temprano es lo mismo que un ensayo clínico?

Acceso temprano es un término paraguas que abarca el acceso a productos sanitarios tanto dentro o como por fuera de un ensayo clínico. El acceso temprano por fuera de un ensayo clínico (es decir, no se requiere participar en un ensayo clínico para poder acceder al producto) puede obtenerse a través del acceso ampliado o del derecho a probar.

La clase de acceso temprano por fuera de un ensayo clínico más conocida por haber despertado el interés de los medios y del cine es la solicitud de acceso ampliado por un paciente individual. El acceso ampliado de un paciente individual no es un ensayo clínico. La finalidad del acceso ampliado de un paciente individual es la de intentar tratar a ese paciente individual y no la de recoger datos para la investigación. Esto no significa que no puedan recogerse datos; de hecho,

es obligatorio recoger datos de seguridad y recomendable recoger datos de eficacia, pero no es éste el objetivo principal que se persigue. Para obtener más información, consulte el [título 21 parte 321-310 del Código de Normativas Federales \(CFR según sus siglas en inglés\)](#). [Se abre en una nueva pestaña.](#)

Los programas de acceso ampliado, que se establecen para grupos de pacientes que padecen de una enfermedad o afección, pueden tener elementos en común con los ensayos clínicos. Como los ensayos clínicos, los programas de acceso ampliado incorporan normas en cuanto a quiénes pueden participar y exigen que los facultativos recojan, como mínimo, datos de seguridad. No obstante, las normas que determinan quiénes pueden participar en un programa de acceso ampliado son habitualmente menos estrictas que las que estipulan quiénes pueden participar en un ensayo clínico, ya que el objetivo principal de los programas de acceso ampliado es el de tratar pacientes, no el de impulsar el conocimiento científico. Por lo tanto, los pacientes que participan en programas de acceso ampliado podrían ser sometidos a menos pruebas de imagen, etc., que los pacientes que participan en un ensayo clínico. Algunos tipos de ensayos clínicos se parecen a los programas de acceso ampliado. Lo que marca la diferencia entre un ensayo clínico y un programa de acceso ampliado es su finalidad. ¿Es la finalidad principal tratar pacientes o llevar a cabo una investigación?

La Ley de Curas del Siglo XXI, que entró en vigor a principios de 2017, pudo haber hecho que los programas de acceso ampliado y los ensayos clínicos se volviesen más difíciles de distinguir. La Ley de Curas del Siglo XXI promueve el uso de evidencia de la vida real a la hora de evaluar los productos sanitarios. Si quienes financian los PPA los ven como una fuente valiosa de datos de la vida real, podrían estar más dispuestos a desarrollar programas de acceso ampliado de forma simultánea a sus ensayos clínicos. En estos programas de acceso ampliado, se recogerían al menos ciertos datos de seguridad y/o eficacia (a fin de determinar si el programa puede utilizarse para generar evidencia de la vida real sobre la intervención en cuestión), además de darse cumplimiento a su finalidad principal de ofrecer opciones de tratamiento a los pacientes.

Recabar datos durante el transcurso de los programas de acceso ampliado puede tener sentido. Los pacientes que solicitan acceso temprano por fuera de un ensayo clínico normalmente gozan de peor salud que los pacientes que participan en ensayos clínicos. Para cumplir con los requisitos de acceso ampliado o del derecho a probar, es preciso que los pacientes no satisfagan las condiciones requeridas para participar en un ensayo clínico, y esto sucede normalmente cuando su enfermedad o sus comorbilidades son de extrema gravedad. Al recabar los datos de los pacientes tratados con un producto en el marco de un programa de acceso ampliado, la compañía que desarrolla el producto sanitario en cuestión puede recoger evidencia sobre la eficacia del producto en pacientes más enfermos que los que han participado en el ensayo clínico sobre el producto. Esta información podría ser de utilidad para predecir cómo funcionará el producto en situaciones de “vida real”, en contraposición con el mundo extremadamente selectivo de los ensayos clínicos. Sin embargo, los datos obtenidos en los programas de acceso ampliado no son equivalentes, en cuanto a su calidad y aplicabilidad, a los datos recogidos en un ensayo controlado y aleatorizado bien hecho (considerado el “patrón de oro” en el diseño de ensayos clínicos), porque los datos recabados fuera de un ensayo clínico son más propensos a sesgo y a confusión, lo cual limita su utilidad.

El derecho a probar no es un ensayo clínico. Su finalidad es tratar un paciente individual, no recoger datos. Según el [texto de la ley \[Se abre en una nueva pestaña\]](#), el derecho a probar requiere que quien financia los programas presente resúmenes anuales de las dosis suministradas, el número de pacientes tratados, el uso dado a los fármacos suministrados, y cualquier reacción adversa grave conocida. La norma que obliga a la entrega de estos resúmenes entró en vigor el 14 de noviembre de 2022. Los fabricantes o patrocinadores que hubiesen suministrado medicamentos en virtud del derecho a probar antes de la entrada en vigor de esta norma debieron presentar informes relativos a los primeros 5 años desde la entrada en vigor de la norma antes del 31 de marzo de 2023. Transcurrido ese plazo, la presentación de informes se realizará una vez al año, en la misma fecha en la que uno de sus fármacos haya sido suministrado en virtud del derecho a probar [\[Se abre en una nueva pestaña\]](#). La ley exige que la FDA publique informes consolidados de los resúmenes mencionados. El primer informe, que abarca el período comprendido entre 2018 y 2022, identificó 12 casos en los que se ejerció el derecho a probar y el segundo, correspondiente a 2023, identificó sólo 4.

¿Cómo solicitar un acceso temprano?

Acceso temprano a través de ensayos clínicos

Si un paciente cumple con los criterios requeridos, podrá participar en un ensayo clínico. La principal finalidad de un ensayo clínico es evaluar la seguridad y eficacia de un tratamiento experimental en un grupo de pacientes de características similares a los pacientes a los que estará dirigido el producto. Aunque muchas personas deciden participar en un ensayo clínico con la esperanza de obtener un beneficio para su salud, el objetivo principal de un ensayo clínico no es tratar a los pacientes que forman parte de él.

La mayor parte de ensayos clínicos comprenden cuatro fases (I, II, III, y IV). En general, el objetivo de un ensayo clínico de fase I es determinar si una terapia está asociada a algún efecto secundario intolerable y establecer una dosis segura para las fases de investigación posteriores. Normalmente se utilizan voluntarios sanos (individuos sanos que no padecen la enfermedad analizada), aunque en ciertas ocasiones los ensayos de fase I admiten a personas enfermas. Este es el caso de los estudios oncológicos, en los que muchos de los tratamientos suelen ser demasiado tóxicos para ser administrados de forma ética a individuos sanos. Los productos sanitarios experimentales que se toleran bien en la fase I pueden avanzar a la fase II, donde se utiliza un grupo más numeroso de pacientes afectados de la enfermedad analizada para recabar información sobre la seguridad y eficacia del producto y así determinar si posee un efecto beneficioso sobre la enfermedad que se desea tratar. Los ensayos de fase III suelen incluir un grupo aún mayor de participantes con el fin de obtener más datos sobre la seguridad y eficacia del producto, posiblemente comparándolo con un tratamiento ya aprobado o con un placebo. Los ensayos clínicos de fase IV se llevan a cabo en ocasiones para recabar más información sobre la seguridad y eficacia de un producto una vez que ya haya sido autorizado por la FDA, puesto que a menudo no es posible detectar ciertos efectos secundarios hasta que el producto ha sido utilizado más ampliamente.

En muchos ensayos, los pacientes reclutados se [asignan de forma aleatoria](#) a los grupos que reciben los posibles tratamientos. [Se abre en una nueva pestaña](#). Esto ayuda a evitar sesgos a la

hora de comparar los resultados de quienes recibieron un tratamiento con los de quienes recibieron otro. Muchos ensayos son [doble ciego. Se abre en una nueva pestaña](#), lo que significa que ni los participantes del estudio ni el investigador conocen qué tratamiento ha recibido cada paciente hasta que acaba el ensayo. Normalmente, los investigadores comparan un producto sanitario experimental con uno ya autorizado, al que se considera el tratamiento de elección para la enfermedad en cuestión. Los participantes que reciben el tratamiento de elección están en el grupo de “control” del ensayo. Si no existiera ningún tratamiento de elección para una patología, podría compararse el producto experimental con un [placebo. Se abre en una nueva pestaña](#). De esta forma se reduce el riesgo de que los datos pudieran estar sesgados a favor de una u otra intervención terapéutica, incrementándose el grado de precisión en la evaluación del producto aún no autorizado. Hemos ofrecido un resumen de las principales características de los ensayos clínicos. Existen ensayos clínicos con diferentes diseños, no todos ellos son aleatorizados ni doble ciego. Pulse en este enlace para obtener más información sobre [ensayos clínicos. Se abre en una nueva pestaña](#).

Acceso temprano por fuera de un ensayo clínico a través de acceso ampliado o del derecho a probar

Acceso ampliado

No todos los pacientes que hayan agotado las opciones de tratamiento aprobadas para su afección o que no disponen de otros tratamientos aprobados están en condiciones de participar en un ensayo clínico. A un paciente puede serle imposible participar en un ensayo clínico porque reside demasiado lejos del centro donde se lleva a cabo el ensayo; porque no cumple con los criterios de inclusión; porque el ensayo ya ha alcanzado su objetivo de reclutamiento, o incluso podría darse el caso de que no exista un ensayo para la enfermedad/afección que padece. Para brindar una solución a estos pacientes, la FDA ha establecido un mecanismo de acceso ampliado. Se trata de una vía que permite a los pacientes utilizar productos sanitarios experimentales fuera del contexto de un ensayo clínico. La principal finalidad del acceso ampliado es tratar pacientes, no recoger datos para la investigación.

A través de su médico, los pacientes pueden obtener acceso a productos sanitarios experimentales que se encuentren en cualquier fase de desarrollo (incluidos aquellos que sólo se hayan testado en animales, aquellos que no estén en desarrollo en ese momento, o aquellos que hayan sido retirados del mercado). Dichos productos sanitarios pueden ser medicamentos, biológicos, vacunas y dispositivos para ser utilizados con fines terapéuticos, de diagnóstico o de monitorización. Las compañías pueden establecer programas de acceso ampliado (PAA) para dar una solución a ciertos grupos de pacientes, o un médico individual puede solicitar acceso a un PAA para un paciente concreto. En el caso de solicitudes de acceso ampliado para un paciente individual, el médico del paciente en cuestión identifica un producto en fase de investigación y solicita a la compañía que lo desarrolla que permita el acceso a dicho producto. La compañía debe decidir si suministrar el producto y, en ese caso, si cobrará por ello.

Si la compañía acepta suministrar el producto experimental para uso de ese paciente individual, el médico envía la solicitud a la FDA, que examina el plan de tratamiento propuesto para

asegurarse de que es viable desde el punto de vista clínico y que puede suponer más beneficios que daños para el paciente. La FDA también debe confirmar que no existen ensayos clínicos en los que el paciente podría participar. LA FDA podría modificar el plan de tratamiento en función del juicio clínico de sus expertos. Por ejemplo, podría modificar la pauta de dosificación propuesta. Una vez que la FDA decide permitir que se administre el tratamiento propuesto, el comité de ética asistencial (CEA) del centro que tratará al paciente examina el plan para asegurarse de que es ético y preserva los intereses del paciente. Los CEA también examinan el documento de consentimiento informado que se utilizará para garantizar que el paciente (o su tutor legal) es consciente de la naturaleza experimental del producto y de sus riesgos y beneficios potenciales.

La [Oficina Gubernamental de Rendición de Cuentas. Se abre en una nueva pestaña](#) ha determinado que el mecanismo de acceso ampliado funciona correctamente, aunque el CUPA considera que sería de utilidad proporcionar formación adicional a todos los actores implicados en relación con todo lo que permite ese mecanismo y cómo utilizarlo.

Derecho a probar

El ejercicio del derecho a probar supone esencialmente el mismo proceso que el acceso ampliado, con la excepción que no requiere valoración por parte de la FDA ni de un CEA (a menos que la institución donde se vaya a utilizar el producto exija la valoración de su CEA). En al menos un estado, las leyes que regular el derecho a probar requieren la participación del CEA. A nivel federal, no obstante, las leyes no lo exigen y parece probable que la ley federal prevalezca si surgiera algún conflicto, aunque aún no se ha dado el caso.

Existen algunas diferencias cruciales entre el acceso ampliado y el derecho a probar. Primeramente, el derecho a probar se aplica sólo a medicamentos, incluidos los biológicos. En segundo lugar, los fármacos experimentales que pueden ser objeto del derecho a probar deben haber completado con éxito un ensayo clínico de fase I y encontrarse en fase de desarrollo activo en ese momento. En tercer lugar, aunque los pacientes deben proporcionar su consentimiento informado, el documento de consentimiento que firman no recibe la misma consideración que en el acceso ampliado o en un ensayo clínico. Por ejemplo, las leyes federales exigen que los documentos de consentimiento informado utilizados en ensayos clínicos y en el acceso ampliado especifiquen los derechos del paciente, mientras que el derecho a probar no está sujeto a esos requisitos. Por último, el derecho a probar incluye una disposición que exonera de toda responsabilidad a las compañías involucradas, y de la mayor parte de posibles responsabilidades a otras partes (facultativos, farmacéuticos, etc.) en caso de procedimiento judicial. El mecanismo de acceso ampliado de la FDA no contiene una disposición de este tipo, aunque no existe constancia de que se hayan celebrado procedimientos judiciales en el contexto del acceso ampliado.

¿Qué es el derecho a probar?

En los Estados Unidos, la normativa que regula el derecho a probar está compuesta por leyes estatales y federales que permiten a un paciente utilizar un medicamento experimental que ha completado un ensayo clínico de fase I sin solicitar autorización previa ni a la FDA ni a un

comité de ética asistencial (CEA). A mayo de 2025, 40 estados habían introducido leyes que regulaban el derecho a probar, mientras que, a nivel federal, existe una ley sobre la materia que fue promulgada el 10 de mayo de 2018. Algunos estados han aprobado leyes extendiendo el ejercicio del derecho a probar más allá de los medicamentos en fase de investigación, por ejemplo, a las terapias individualizadas o a los productos basados en marihuana o cannabis. El CUPA considera que, dada la falta de supervisión por expertos independientes (la FDA y los CEA), el acceso por fuera de un ensayo clínico a cualquier agente aún no autorizado debe gestionarse a través del mecanismo de acceso ampliado de la FDA.

¿Cuál es la diferencia entre el acceso ampliado y el derecho a probar?

El acceso ampliado permite que grupos de pacientes obtengan acceso a productos sanitarios en fase de investigación, mientras que el derecho a probar no. Por lo tanto, sólo podría realizarse una comparación válida entre el derecho a probar y el acceso ampliado para pacientes individuales. El proceso por el cual un paciente solicita acceder a un producto en fase de investigación por fuera de un ensayo clínico es similar, independientemente del mecanismo que utilice. Ambos requieren que un médico identifique un producto apropiado para el paciente y, seguidamente, se ponga en contacto con la compañía que lo desarrolla para solicitar que lo ponga a disposición del paciente por fuera de un ensayo clínico. El producto sólo será suministrado si la compañía acepta la solicitud: las compañías son la principal barrera de acceso.

El acceso ampliado requiere dos pasos adicionales. Si la compañía acepta suministrar su producto para ese paciente individual, el médico debe enviar la solicitud a la FDA para su valoración. Basándose en la opinión de sus expertos, la FDA podría modificar el plan de tratamiento, por ejemplo, cambiando la pauta de dosificación. Una vez que la FDA notifique al médico que permitirá que la solicitud siga adelante (la resolución suele adoptarse en cuestión de días, o incluso de horas en casos urgentes), un comité de ética asistencial (CEA) debe examinar la solicitud. Los CEA son responsables de proteger los derechos y el bienestar de los participantes humanos en estudios de investigación, así como los de los pacientes que serán tratados con un producto experimental. El CEA examina el documento de consentimiento informado para asegurarse de que el paciente es consciente de la naturaleza experimental del tratamiento y de las “incógnitas” que supone en términos de beneficios y riesgos. El documento también debe recoger, en su caso, las otras opciones de tratamiento a las que podría recurrir. Los CEA también examinan las solicitudes de acceso ampliado para asegurarse de que el paciente cuenta con la protección necesaria, velando entre otras cosas por que el médico que lo trata dispone de la formación y experiencia necesarias y que el centro donde se realice el tratamiento reúne las condiciones necesarias para tratar adecuadamente al paciente y brindarle los cuidados requeridos en caso de que surjan problemas relacionados con el uso del producto. Muchos, aunque no todos, los hospitales estadounidenses cuentan con un CEA; para aquellos que no cuentan con uno existen CEA independientes con la capacidad de valorar planes de acceso ampliado. Debido a la preocupación de que, en ocasiones, el proceso de valoración por los CEA podría resultar un tanto lento, en octubre de 2018 el comisionado de la FDA modificó las normas pertinentes para que la valoración por los CEA de solicitudes de acceso ampliado pueda ser gestionada por un sólo representante del CEA sin que tengan que intervenir todos sus miembros.

El derecho a probar y el acceso ampliado también difieren en lo relativo a los productos que pueden ser objeto de solicitud. El derecho a probar es aplicable sólo a medicamentos (incluidos los biológicos) que hayan completado con éxito un ensayo clínico de fase I y que se encuentren en desarrollo activo en ese momento. Mediante el acceso ampliado, los pacientes pueden obtener acceso a productos sanitarios experimentales que se encuentren en cualquier fase de desarrollo (incluidos aquellos que sólo se hayan testado en animales, que no estén en desarrollo en ese momento, o que hayan sido retirados del mercado), y pueden solicitar acceso a medicamentos, biológicos, vacunas y dispositivos para ser utilizados con fines de tratamiento, diagnóstico o monitorización.

El derecho a probar y el acceso ampliado difieren en cuanto a qué pacientes pueden beneficiarse de cada uno. La normativa de la FDA identifica dos grupos de pacientes que pueden optar al acceso ampliado cuando no existe un tratamiento alternativo aprobado ni un ensayo clínico disponible para ellos: (1) aquellos que padecen enfermedades potencialmente mortales o afecciones para las que “existe un riesgo razonablemente previsible de muerte en los meses siguientes, o que pueden desencadenar un fallecimiento prematuro si no son tratadas precozmente”, y (2) aquellos con enfermedades graves o patologías asociadas con un “nivel de morbilidad que condiciona sustancialmente su vida diaria”. Para obtener más información, consulte la disposición de Acceso Ampliado y Medicamentos en Fase de Investigación para Uso terapéutico del Código de Normativas Federales. [Se abre una nueva pestaña].

Por el contrario, el derecho a probar está limitado a pacientes que padecen enfermedades o afecciones potencialmente mortales, tal y como vienen definidas en el título 21, apartado 312.81 del Código de Normativas Federales (CFR por sus siglas en inglés): (1) enfermedades o afecciones asociadas con un elevado riesgo de mortalidad si no se interrumpe el proceso patológico; y (2) enfermedades o afecciones potencialmente mortales para las que el criterio de evaluación del análisis de los ensayos clínicos sea la supervivencia.

Tanto en el mecanismo de acceso ampliado como en el derecho a probar, se requiere que el paciente preste su consentimiento informado. Sin embargo, el documento de consentimiento no recibe la misma consideración cuando se ejerce el derecho a probar que cuando se recurre al acceso ampliado. Por ejemplo, las leyes federales exigen que los documentos de consentimiento informado utilizados en casos de acceso ampliado especifiquen los derechos del paciente; este requisito no se aplica en relación con el derecho a probar.

Por último, el derecho a probar incluye una disposición que exonera de toda responsabilidad a las compañías involucradas en el uso de un producto experimental como posible agente terapéutico y de la mayor parte de posibles responsabilidades a otras partes (facultativos, farmacéuticos) en caso de procedimiento judicial. El mecanismo de acceso ampliado de la FDA no contiene una disposición de este tipo, aunque no existe constancia de que se hayan celebrado procedimientos judiciales en el contexto del acceso ampliado.

¿Acceso ampliado o derecho a probar? ¿Cuál de los dos mecanismos es más rápido?

Aun no es posible comparar el tiempo que requiere utilizar ambas vías de acceso temprano porque aún no se han notificado suficientes casos de uso del derecho federal a probar para poder realizar una comparación equitativa.

El CUPA considera la fase más lenta del proceso de acceso temprano fuera del contexto de un ensayo clínico es la que se desarrolla en el interior de la compañía que desarrolla el producto. Dado que tanto el mecanismo de acceso ampliado como el derecho a probar suponen esperar una respuesta por parte de la compañía, ambas vías de acceso temprano estarán condicionadas por la duración de este tiempo de espera.

La valoración de la FDA, exigible para el acceso ampliado, pero no para el derecho a probar, es un proceso rápido: se realiza en un solo día en casos urgentes y en una mediana de 4 días en los demás.

En [una encuesta llevada a cabo en 2018, Se abre en una nueva pestaña](#) por los miembros del CUPA sobre la experiencia de los profesionales de los CEA en relación con las solicitudes de acceso ampliado para pacientes individuales, un 56% de los 75 miembros de los CEA que respondieron manifestaron que el presidente o el miembro designado de su CEA tardaba un día o menos en examinar una solicitud para un paciente individual una vez recibida. Un 28% respondió que tardaba de 2 a 5 días, y un 5,3% señaló que tardaba más de 5 días, pero menos de 30. Por último, un 10,7% de quienes respondieron señalaron que no sabían cuánto tardaba su CEA en examinar solicitudes para pacientes individuales. Aunque estos datos se obtuvieron a partir de una pequeña muestra de profesionales de los CEA, se trata de la primera estimación del tiempo que tardan los presidentes o miembros designados de los CEA en examinar solicitudes para pacientes individuales. Aunque las leyes federales no lo exigen, las instituciones son libres de decidir si desean involucrar a su CEA en la aprobación de las solicitudes relacionadas con el derecho a probar. Por lo tanto, es imposible saber a priori si una solicitud relacionada con el derecho a probar requerirá o no una valoración por parte del CEA.

Independientemente de si el derecho a elegir finalmente resulta ser el mecanismo más rápido, el CUPA no considera que se deba acelerar el proceso a expensas de renunciar a la supervisión por parte de organismos expertos independientes como la FDA y los CEA.

¿Por qué podría una compañía decantarse por el acceso ampliado en lugar del derecho a probar (o viceversa)?

Muchas compañías no ven beneficio alguno en suministrar sus productos experimentales a través del derecho a probar. Si un producto se revela como seguro y/o eficaz en el contexto del acceso ampliado, la compañía podría decidir incluir esa información en la documentación presentada a la FDA al solicitar la autorización para comercializar el producto. Si, en el contexto del acceso ampliado, se sospecha que un producto podría causar daños, la compañía querrá poder establecer si hubo alguna omisión por parte de la FDA al autorizar su uso por fuera de un ensayo clínico.

¿Quién adopta las decisiones en lo relativo al acceso temprano?

Las compañías que desarrollan nuevos productos sanitarios son responsables de adoptar la decisión final a la hora de permitir o no el acceso a sus productos en fase de investigación. Esto sucede tanto en el caso del acceso ampliado como del derecho a probar. Además, las compañías dispuestas a suministrar sus productos experimentales deciden qué vía utilizar. Por ejemplo, un médico puede solicitar se conceda acceso a un fármaco en virtud del derecho a probar, pero la compañía podría informarle que sólo concederá ese acceso a través del mecanismo de acceso ampliado, o vice versa.

En el acceso ampliado, el médico solicita a una compañía el suministro de un producto experimental proporcionando información sobre el paciente o los pacientes que lo recibirían. Si la compañía acepta suministrar el producto, dos entidades más deberán examinar el plan de tratamiento propuesto: la FDA y, a menos que el uso del producto se considere una emergencia, un [comité de ética asistencial \(CEA\)](#). [Se abre en una nueva pestaña.](#)

En el derecho a probar, el médico solicita a una compañía el suministro de un fármaco experimental, proporcionando información sobre el paciente que lo recibirá. Si la compañía acepta suministrar el producto, no se requerirá aprobación de la FDA ni de un CEA (a menos que el centro donde se administre el producto requiera la valoración de su CEA).

¿Quién financia los medicamentos suministrados con carácter previo a su autorización?

La normativa federal prohíbe a las empresas biofarmacéuticas que cobren al paciente más que el coste directo que supone la fabricación del producto sanitario experimental

Además de este costo, se permite a las compañías que utilizan el mecanismo de acceso ampliado cobrar a los pacientes el costo de envío del producto y, en algunos casos, el costo que supone la monitorización/recogida de los datos de seguridad. La FDA exige que las compañías le presenten sus cálculos de costos antes de realizar ningún cargo a los pacientes por los productos experimentales suministrados a través del mecanismo de acceso ampliado. Pulse en este enlace para acceder a la información proporcionada por la FDA sobre [los cobros por suministrar medicamentos experimentales](#). [Se abre en una nueva pestaña.](#) Actualmente, la mayoría de las compañías farmacéuticas y biotecnológicas que suministran sus productos experimentales mediante el mecanismo de acceso ampliado lo hacen de forma gratuita.

No se sabe con certeza quién sufraga los costos asociados al uso de un producto experimental (visitas a la clínica o al especialista, pruebas de laboratorio, pruebas de imagen, y cualquier otro examen o tratamiento que pudiera requerir el paciente mientras utiliza el producto). Podría hacerlo la compañía que desarrolla el producto. Podrían hacerlo las aseguradoras, pero la mayoría de aseguradoras públicas y privadas no sufragan el coste de los productos sanitarios experimentales suministrados por fuera de un ensayo clínico. También podría ser el propio paciente quien soporte todos o al menos parte de estos costos.

La compañía que suministra sus fármacos experimentales en virtud del derecho a probar sólo puede cobrar al paciente los costos directos de fabricación, aunque no está obligada a presentar sus cálculos de costos ante ningún órgano de supervisión, como sí está obligada a hacerlo –

según lo establece la FDA - en el marco del mecanismo de acceso ampliado. Puesto que existe escasa información pública sobre pacientes que hayan recibido medicamentos en fase de investigación en virtud del derecho a probar, es imposible saber si, en general, las compañías que están dispuestas a suministrar productos experimentales en virtud del derecho a probar hacen valer su derecho a recuperar los costos incurridos o si, por el contrario, suministran sus productos gratuitamente. Al igual que sucede con el acceso ampliado, es probable que el paciente deba soportar todos o parte de los costes adicionales.

Casos especiales de acceso temprano

La pandemia del Covid-19 introdujo en Estados Unidos la [Autorización de Uso en Emergencia](#). La AUE es un tipo especial de acceso temprano según el cual los medicamentos (y otros productos sanitarios) reciben una autorización temporal durante las emergencias de salud pública para un uso específico o bajo condiciones específicas. En febrero de 2020 se declaró una emergencia sanitaria por el Covid-19 (virus SARS-CoV2) y una serie de productos sanitarios experimentales (tratamientos, pruebas de diagnóstico, y vacunas) fueron autorizados a través de dicho mecanismo. La pandemia del Covid-19 también dio lugar al mayor programa de acceso ampliado arbitrado en la historia de los Estados Unidos: más de 100.000 pacientes participaron en un PAA de plasma de convaleciente, patrocinado por la Clínica Mayo. La emergencia de salud pública del Covid-19 finalizó en mayo de 2023.

El Covid no es la única emergencia de salud pública para la que se ha utilizado la AUE. También se han utilizado AUE para productos relacionados con el ántrax, el ébola, el zika y el MERS-CoV, entre otros. El 22 de agosto de 2022, se declaró una emergencia de salud pública por el virus de la viruela del mono, comenzándose a distribuir una vacuna a través de una AUE ese mismo día. La emergencia finalizó el 31 de enero de 2023. Pulse [aquí](#) para obtener mayor información sobre las AUE así como una lista de productos que han sido objeto de una AUE [[Se abre en una nueva pestaña](#)].

Preguntas de los pacientes sobre el acceso temprano

¿Cómo puedo acceder a un agente en fase de investigación?

Hable con su médico. Aunque puede informarse sobre productos sanitarios experimentales a través de internet, es su médico quien deberá tramitar la solicitud pertinente.

Si usted o su médico necesitan asesoramiento acerca del mecanismo de acceso ampliado, póngase en [contacto con la FDA](#). [Se abre en una nueva pestaña](#). La FDA ha declarado que las preguntas acerca del derecho a probar deben dirigirse a la compañía que desarrolla el producto al que se desea acceder.

En junio de 2019, el Centro Oncológico de Excelencia de la FDA lanzó el proyecto *Facilitate*, un servicio de “conserjería” que guía al oncólogo a través del proceso de acceso ampliado. La FDA espera poder extender este servicio a otras enfermedades o afecciones.

La Fundación Reagan-Udall para la FDA ha desarrollado una [bitácora para el acceso ampliado](#) [Se abre en una nueva pestaña](#) accesible a través de internet, que ofrece instrucciones detalladas sobre cómo identificar productos sanitarios experimentales que estén disponibles y cómo solicitar acceso a ellos de forma individual. Por desgracia, figurar en esta bitácora es voluntario y muchas compañías han decidido no aparecer en la lista. Sin embargo, en el sitio se han incluido las políticas utilizadas por una serie de compañías a la hora de conceder acceso a sus productos experimentales antes de su autorización por fuera de un ensayo clínico, junto con los datos de contacto de la persona de la compañía que se debe contactar para obtener más información.

Si usted o su médico necesitan no saben por dónde empezar, pueden acceder a [ClinicalTrials.gov](#). [Se abre en una nueva pestaña](#) para realizar una búsqueda de los productos que están siendo objeto de ensayos clínicos para el tratamiento de diferentes enfermedades o afecciones. El sitio contiene una lista de ensayos clínicos actuales y futuros. Si usted cumple con los requisitos para participar en un ensayo, en este sitio web encontrará información sobre cómo acceder a él. El sitio también está dirigido a personas que no están en condiciones de participar en un ensayo clínico, proporcionando una lista de programas de acceso ampliado que podrían estar disponibles para ciertos productos sanitarios experimentales.

Si le interesa un producto sanitario experimental en concreto, realice también una búsqueda en el sitio web del fabricante de ese producto para conocer la política de acceso temprano de la compañía. Las empresas biofarmacéuticas están obligadas por ley a hacer públicas dichas políticas cuando realizan un ensayo clínico de fase II. Cabe destacar sin embargo que no todas las compañías cumplen con este requisito.

El CUPA publica un boletín de noticias de periodicidad mensual en el que se informa sobre el uso compasivo de productos sanitarios, el acceso a los mismos con carácter previo a su autorización y el trabajo que el Grupo lleva a cabo en esa materia. Si desea recibir dicho boletín de noticias, póngase en contacto con Lisa Kearns, MS, MA, en la dirección de correo lisa.kearns@nyulangone.org. Para consultas de prensa, póngase en contacto con Lisa Kearns (División de ética médica) o con Sasha Walek (Directora de comunicación, Departamento de salud poblacional, NYU Langone), en el correo sasha.walek@nyulangone.org. Si su asociación de pacientes desea organizar una sesión o un seminario virtual donde se pueda formular preguntas a un experto sobre cualquiera de estos asuntos, póngase en contacto con Lisa Kearns en el correo lisa.kearns@nyulangone.org.

¿Cuáles son algunos de los recursos de los que puedo beneficiarme?

El CUPA mantiene una lista de [recursos para pacientes](#), incluidos enlaces a recursos publicados por los miembros del CUPA sobre el acceso temprano; recursos de la FDA sobre acceso ampliado para pacientes individuales y sobre el derecho a probar; bitácoras para pacientes y facultativos; y sitios web de asociaciones de pacientes, entre otros.

Preguntas sobre el acceso ampliado

¿Qué es un programa de acceso ampliado (PAA)?

Un programa de acceso ampliado (PAA) permite a un grupo de pacientes que padece la misma enfermedad/afección (tales como los niños con distrofia muscular de Duchenne) acceder a un producto sanitario antes de que se autorice su comercialización. Para poder optar a un PAA, el paciente debe cumplir con ciertos requisitos. Sin embargo, éstos suelen ser menos rígidos que los que se imponen a los ensayos clínicos ya que el objetivo de los PAA es terapéutico, no de investigación.

Por ejemplo, si un nuevo fármaco está llegando al final del [proceso de pruebas previstas dentro de un ensayo clínico. Se abre en una nueva pestaña](#) y los datos clínicos recabados sugieren que el producto es seguro y eficaz, la compañía puede introducir un PAA para poner el fármaco a disposición de aquellos pacientes que sufrirían un perjuicio de tener que esperar hasta que el fármaco reciba la autorización de la FDA para ser comercializado. Además, a menudo transcurre cierto tiempo entre la autorización de la FDA y el momento en que el producto está disponible en las farmacias (o en que las aseguradoras aceptan empezar a financiarlo). Gracias al PAA, los pacientes podrían tener la posibilidad de acceder al fármaco recientemente aprobado, pero aún no disponible en farmacias, durante este período de tiempo. Los programas de acceso ampliado finalizan una vez que el producto comienza a comercializarse. Para obtener más información sobre los programas de acceso ampliado para grupos, consulte el [título 21, parte 312-315 del Código de Normativas Federales \(CFR, según sus siglas en inglés\). Se abre en una nueva pestaña](#).

En ausencia de un programa de acceso ampliado, o si un paciente no cumple los requisitos para ser incluido en un PAA existente, éste puede – a través de su médico – solicitar acceso al producto experimental a través del mecanismo de acceso ampliado para pacientes individuales.

¿Cuántos pacientes se han beneficiado del acceso ampliado?

Todos los años, la FDA hace público el número de solicitudes de acceso ampliado que ha recibido y el número de solicitudes que permite que sigan adelante. Aunque la agencia normalmente recibe más de 1.000 solicitudes de acceso ampliado por año, cabe señalar que una solicitud puede ser presentada para uno o varios pacientes. Los [datos más recientes. Se abre en una nueva pestaña](#) publicados por la FDA sobre acceso ampliado indican que en el ejercicio 2023, la FDA permitió que siguieran adelante 1.508 solicitudes de acceso ampliado. De ellas, 1,491 correspondían a situaciones no urgentes de pacientes individuales, 770 a situaciones de emergencia de pacientes individuales, y 18 implicaban a múltiples pacientes. De esas 18 solicitudes multipaciente, 16 se consideraron “intermedias”, al incluir a más de uno y menos de muchos pacientes, y 2 se consideraron “de tratamiento”, es decir solicitudes múltiples que incluían el mayor número de pacientes. Aunque es imposible saber el número de pacientes que integraba cada una de esas solicitudes de tamaño intermedio y grande, no es inusual que los grandes programas de acceso ampliado estén integrados por más de 1.000 pacientes. Antes de que estallara la pandemia del Covid-19, llegó a oídos del CUPA la existencia de un gran programa de acceso ampliado que suministró un fármaco experimental a más de 35.000 pacientes. Durante la pandemia, hubo un programa de acceso ampliado que reclutó alrededor de 100.000 pacientes. Nadie conoce exactamente cuántos pacientes se benefician de acceso temprano fuera del contexto de un ensayo clínico en los Estados Unidos, pero el número es

ciertamente mayor que el de solicitudes de acceso ampliado que la FDA permite que sigan adelante.

¿Por qué no apartar a la FDA del proceso de acceso ampliado?

Veamos un buen ejemplo de por qué es necesario que FDA supervise seguridad de los medicamentos. En 1962, miles de niños en docenas de países (fuera de los Estados Unidos) nacieron con serios defectos congénitos de madres que habían tomado talidomida como tratamiento para las náuseas matutinas características del embarazo. Esto dio lugar a que la FDA introdujera normas que exigían a las empresas farmacéuticas demostrar que sus productos eran seguros y eficaces antes de que pudieran ser autorizados. La tragedia de la talidomida demostró el inesperado, aunque devastador, potencial de toxicidad de los tratamientos farmacológicos. Debe tomarse en consideración que siempre habrá sujetos sin escrúpulos intentando endosar supuestas “curas” a personas en busca de tratamiento. Para encontrar ejemplos actuales de esta práctica basta echar un vistazo al campo de las “terapias” con células madre donde la casi completa falta de regulación es la norma. Dichas “terapias” se han descrito como cura para prácticamente cualquier afección. La FDA realiza un seguimiento de la seguridad, además de la eficacia, de los tratamientos experimentales, contribuyendo así a evitar que se multipliquen los intentos de manipular y aprovecharse de las personas desesperadas por encontrar un tratamiento.

Además de su función general de supervisión, la FDA examina las solicitudes de acceso ampliado para garantizar que están avaladas por un correcto juicio clínico, que el plan de tratamiento propuesto se asocia con mayores probabilidades de beneficio que de daño, y que el paciente en cuestión no está en condiciones de participar en un ensayo clínico. La FDA no “aprueba” propuestas de acceso temprano sino que permite (o no) que sigan adelante, de hecho permite que siga adelante más del 99% de las propuestas de acceso ampliado que recibe. No obstante, puede darse el caso de que una propuesta sufra modificaciones por indicación de los supervisores de la FDA. [Jarow et al. Se abre en una nueva pestaña](#) examinaron una muestra de 150 propuestas y comprobaron que un 11% de las mismas fueron revisadas en respuesta a observaciones de la FDA. Estas revisiones consistieron mayormente en cambios en la pauta de dosificación, o en la inclusión de precauciones de seguridad adicionales. Debido a que supervisa todos los productos sanitarios y tiene acceso a los datos de los ensayos clínicos, la FDA suele contar con mucha más información que el médico a cargo del caso.

En lo relativo a los medicamentos experimentales, especialmente aquellos en las fases iniciales de desarrollo, algunos médicos pueden disponer de muy poca información sobre la manera en la que funciona un producto sanitario y en qué pacientes es más eficaz. Cuanto más asesoramiento reciban sobre cómo utilizar el producto en cuestión y cómo prevenir y tratar sus efectos secundarios, mejor. Una vez que el producto ha sido suministrado al paciente bajo el mecanismo de acceso ampliado, el médico tiene la obligación de notificar a la compañía farmacéutica y a la FDA de cualquier reacción adversa severa no prevista. Esto, a su vez, permite que la FDA evalúe los protocolos futuros con mayor eficacia.

¿Es realmente necesario que la FDA examine las propuestas de acceso ampliado?

Sí. Aunque la FDA casi siempre permite que las solicitudes de acceso ampliado sigan adelante, el personal de la agencia da su opinión sobre distintos aspectos de las solicitudes, tales como la posología, la pauta de dosificación, y otros criterios. En función del conocimiento que posee la FDA sobre el agente experimental y el efecto que éste ha tenido en otros pacientes, la agencia puede ayudar al médico a ajustar más precisamente el plan de tratamiento propuesto. Este es un paso importante a la hora de salvaguardar el bienestar del paciente ya que la FDA emplea para estas tareas a científicos y facultativos expertos especialistas en protocolos de investigación clínica. El médico que trata a un paciente podría no disponer de estos conocimientos. El permiso de la FDA no supone una aprobación automática, sino que requiere la necesaria colaboración entre especialistas en la administración de productos experimentales y el médico de cabecera del paciente. [Jarow et al. Se abre en una nueva pestaña.](#) analizaron una muestra de 150 propuestas y observaron que un 11% de ellas habían sido revisadas en respuesta a observaciones de la FDA. Estas revisiones consistían básicamente en cambiar la pauta de dosificación propuesta o solicitar que se implementaran medidas adicionales de seguridad.

¿Qué papel desempeña un comité de ética asistencial (CEA) en el acceso ampliado?

En el acceso ampliado, el médico solicita a la compañía productos sanitarios en fase de investigación, suministrándole información sobre los pacientes que desean recibir el tratamiento. Si la compañía acepta suministrar el producto, son necesarias dos aprobaciones más: una de la FDA y, a menos que el uso del producto se considere una emergencia, y otra de un comité de ética asistencial (CEA). En el caso de solicitudes urgentes, los facultativos disponen de cinco días desde que se ha iniciado el tratamiento para notificar al CEA de su institución, y presentarle la documentación pertinente. Los CEA son responsables de monitorizar el uso de los tratamientos en fase de investigación y de salvaguardar el bienestar de los pacientes que los reciben. Cuando el CEA examina una solicitud de acceso ampliado, la comprueba para asegurarse de que el paciente haya sido informado acerca de la naturaleza experimental del producto y de que no se conocen sus riesgos y beneficios. También es responsable de garantizar el bienestar del paciente durante su tratamiento.

Con arreglo a una legislación sancionada por el Congreso en el otoño de 2017, la FDA anunció una serie de normas nuevas, incluida la autorización para que el presidente de un CEA, o una persona designada por él, autorice las solicitudes de acceso ampliado, evitándose así que deba reunirse todo el comité para conceder dichas autorizaciones como sucedía previamente.

Preguntas sobre el derecho a probar

¿En qué consisten las leyes estatales sobre el derecho a probar?

Una organización libertaria denominada [Instituto Goldwater, Se abre en una nueva pestaña,](#) concluyó hace años que a los pacientes les resultaba difícil obtener acceso temprano a productos sanitarios debido a un exceso de burocracia en el seno de la FDA. Propuso crear una segunda vía de acceso temprano llamada “derecho a probar”, que funcionaría en paralelo al acceso ampliado, a través del cual los pacientes pudieran acceder a fármacos experimentales sin tener que pasar

por la FDA. El Instituto elaboró un modelo de ley relativa al derecho a probar para que sirviera de inspiración a los estados a la hora de redactar sus propias leyes para regular este derecho. Colorado fue el primer estado que sancionó una ley sobre el derecho a probar en 2014, y actualmente 40 estados tienen su propia ley.

Los miembros del CUPA Lisa Kearns, MS, MA, y [Alison Bateman-House, PhD, MPH](#), [analizaron las diferencias entre las disposiciones contenidas en Se abre en una nueva pestaña](#) las 32 leyes estatales y observaron que estas leyes ofrecen escasos beneficios tangibles a los pacientes, a pesar de que sus impulsores alardean de que están centradas en el paciente. El modelo de ley contenía varias disposiciones contrarias a los intereses de los pacientes que, aun así, han sido incorporadas en muchas leyes estatales que regulan el derecho a probar. Por ejemplo, 16 de esas leyes estatales permitían a las aseguradoras denegar a los pacientes que utilicen un fármaco obtenido a través del derecho a probar la posibilidad de ser atendidos en centros para pacientes terminales, 6 de esas leyes permitían a las aseguradoras denegar la asistencia sanitaria a domicilio, y 4 les permitían denegar a los pacientes que utilicen un medicamento experimental en virtud del derecho a probar cualquier tipo de beneficio relacionado con la salud. Aunque la mayoría de las leyes estatales siguen bastante fielmente el modelo de ley, existen diferencias entre ellas. Por ejemplo, hay un estado que no permite que los pacientes ambulatorios soliciten medicamentos en virtud del derecho a probar, y existen diferencias en la definición de lo que muchos estados consideran una “enfermedad terminal”.

Quienes apoyaban estas leyes estatales sostenían que ayudarían a agilizar el acceso a productos en fase de investigación al apartar a la FDA del proceso. En opinión del CUPA, esta afirmación es engañosa ya que la valoración de la FDA es un proceso rápido. La agencia adopta sus decisiones en 24 horas en casos urgentes y en un plazo mediano de 4 días en los demás. Aunque la intervención de la FDA dilate ligeramente el plazo entre la solicitud inicial y la administración del producto al paciente, la FDA no impide que los pacientes se beneficien de un acceso temprano por fuera de un ensayo clínico. La [Oficina de Rendición de Cuentas](#) del gobierno de los Estados Unidos [Se abre en una nueva pestaña](#) ha llegado a una conclusión similar.

La principal barrera a la que se enfrentan los programas de acceso ampliado y el derecho a probar es la compañía que desarrolla el agente solicitado. Independientemente de si el derecho a probar finalmente resulta ser el mecanismo más rápido, el CUPA no considera que se deba acelerar el proceso a expensas de renunciar a la supervisión por parte de organismos expertos independientes como la FDA y los CEA.

¿En qué consiste la ley federal sobre el derecho a probar?

A pesar de su proliferación, las leyes estatales sobre el derecho a probar han tenido un impacto limitado sobre el acceso de los pacientes a productos sanitarios en fase de investigación. Por este motivo, los defensores del derecho a probar han presionado para que se promulgara una ley de ámbito federal. Otro motivo para impulsar la aprobación de una ley federal pudo ser que existieran dudas acerca de la constitucionalidad de las leyes estatales, que excluían a la FDA de cualquier decisión relativa al derecho a probar. Ésta es simplemente una hipótesis que se fundamenta en que la regulación de los fármacos experimentales corresponde a la jurisdicción

federal y no estatal. [Los juristas consultados han avalado esta hipótesis. Se abre en una nueva pestaña.](#)

[La Ley he Trickett Wendler, Frank Mongiello, Jordan McLinn, y Matthew Bellina de 2017 sobre el derecho a probar Se abre en una nueva pestaña](#) entró en vigor el 30 de mayo de 2018. La norma permite a pacientes con enfermedades o afecciones potencialmente mortales solicitar el acceso a medicamentos experimentales que hayan superado un ensayo clínico de fase I siempre y cuando dichos pacientes hayan agotado otras opciones de tratamiento, no estén en condiciones de participar en un ensayo clínico, y presten su consentimiento informado. A diferencia del acceso ampliado, la normativa no requiere una valoración por parte de la FDA ni de un comité de ética asistencial (CEA), aunque las instituciones donde se utilice el producto experimental podrían requerir la valoración de su CEA. La ley también estipula que las compañías deberán presentar a la FDA un informe anual sobre el uso del derecho a probar. Atendiendo a esta estipulación de la ley, la FDA emitió una norma relativa al derecho a probar en septiembre de 2022 (véase la repuesta a la pregunta *¿El acceso temprano es lo mismo que un ensayo clínico?* que figura más arriba).

Por último, tanto las compañías como los médicos que intervengan en cuestiones relativas al derecho a probar se benefician de una exoneración de responsabilidad.

No se conoce con certeza cómo interactuaría la ley federal con las leyes estatales en caso de que surgieran conflictos entre ellas ya que aún no se ha dirimido ninguna situación de este tipo en los tribunales. En noviembre de 2018, la FDA suministró información sobre [el derecho a probar. Se abre en una nueva pestaña](#). Al igual que el acceso ampliado, el derecho a probar no exige que las compañías aprueben las solicitudes de los pacientes en relación con sus productos experimentales. Además, las compañías dispuestas a conceder acceso temprano a sus productos en fase de investigación sin que los pacientes participen en un ensayo clínico pueden decidir si prefieren hacerlo en virtud del derecho a probar, del acceso ampliado, o de ambos.

¿Qué papel desempeña un comité de ética asistencial (CEA) en el derecho a probar?

En el marco del derecho a probar, un facultativo solicita un producto sanitario a la compañía que lo está desarrollando, suministrando información sobre los pacientes que serán tratados. Si la compañía acepta suministrar el producto, no es necesaria la aprobación de la FDA ni de un comité de ética asistencial (CEA). El derecho a probar exige que el paciente firme un documento de consentimiento informado, pero no estipula cuál debe ser el contenido de dicho documento ni qué procedimiento, en su caso, debe seguirse para asegurarse de que el paciente haya sido debidamente informado.

Las instituciones donde se utilizará el agente en fase de investigación son libres de imponer sus propias normas, tales como exigir una valoración de su CEA en relación con el uso de fármacos experimentales suministrados en virtud del derecho a probar, o directamente prohibir que un paciente pueda acogerse al derecho de probar.

Preguntas sobre la participación pública

¿Cómo cobró tanta notoriedad la posibilidad de acceder a un producto aún no autorizado sin tener que participar en un ensayo clínico?

En 2001, se creó la [Alianza Abigail para un Mejor Acceso a los Fármacos en Desarrollo](#) en honor a Abigail Burroughs, una paciente de cáncer de 21 años de edad que murió mientras intentaba obtener acceso temprano a un medicamento experimental sin tener que participar en un ensayo clínico. Burroughs no cumplía con los requisitos necesarios para participar en el ensayo clínico que se estaba llevando a cabo para testar el fármaco. La Alianza Abigail se querelló contra la FDA y, a resultas de ello, el gobierno estadounidense codificó la normativa relacionada con el acceso ampliado, lo que hizo que la opinión pública comenzara a prestar más atención a las cuestiones relacionadas con el acceso temprano a productos experimentales por fuera de un ensayo clínico.

En 2013, Andrea Sloan solicitó el uso compasivo de un fármaco en fase de investigación. Tras una primera denegación de la solicitud por parte de la compañía, Andrea apeló. Finalmente, otra compañía aceptó suministrarle el producto experimental, pero Andrea murió antes de poder usarlo. Su caso llevó a que la opinión pública volviera a interesarse en la cuestión del acceso temprano a productos en fase de investigación por fuera de un ensayo clínico e impulsó al Congreso de los Estados Unidos a exigir que las compañías con productos en ensayos clínicos de fase II hicieran públicas sus políticas en materia de acceso temprano.

En marzo de 2014, la familia de un muchacho de 7 años llamado Josh Hardy y sus simpatizantes lanzaron una agresiva campaña en las redes sociales para intentar obtener acceso temprano a un fármaco antiviral con el que se pretendía curar una infección oportunista que el muchacho había adquirido mientras era tratado por un cáncer de riñón que padecía desde la infancia. Chimerix, la compañía que desarrollaba el fármaco, se negó a suministrar el producto, incluso en medio de considerable presión social. A sugerencia de la FDA, Chimerix inició un ensayo clínico abierto para pacientes pediátricos, en el que incluyó a Hardy (en un ensayo clínico abierto, todos los pacientes son informados de que reciben el fármaco experimental; no hay proceso de [aleatorización. Se abre en una nueva pestaña](#), ni [cegamiento. Se abre en una nueva pestaña](#)). Hardy respondió satisfactoriamente al fármaco y pudo regresar a casa. Desafortunadamente, murió unos años después. Este caso hizo que el público se interesara aún más por la cuestión del acceso temprano por fuera de un ensayo clínico. (Estos tres ejemplos fueron todos ellos casos de acceso temprano para un paciente individual; también ha habido casos de acceso temprano para grupos de pacientes).

Estas historias y otras despertaron la atención del público y fueron utilizadas como temas de debate en la campaña a favor de una ley federal sobre el derecho a probar. A pesar de que en esos casos los pacientes no obtenían acceso al fármaco deseado debido a una decisión de la compañía desarrolladora y no de la FDA, los activistas que defendían el derecho a probar señalaban a la FDA como el principal escollo que impedía el acceso de los pacientes a productos en fase de investigación. Tras muchos años de presiones, el 30 de mayo de 2018, el presidente Donald Trump promulgó la ley [Trickett Wendler, Frank Mongiello, Jordan McLinn, y Matthew Bellina de 2017 sobre el derecho a probar. Se abre en una nueva pestaña](#).

¿Por qué el acceso temprano genera tanta controversia?

Existen varias razones por las que este asunto genera controversia y debate a nivel social. El acceso a productos experimentales [no es un derecho constitucional. Se abre en una nueva pestaña](#). Cuando una compañía concede un acceso temprano, no siempre lo hace de forma equitativa ni transparente. Por ejemplo, las personas que disponen de recursos financieros o los contactos adecuados podrían beneficiarse de un acceso preferente a los productos en fase de investigación. De igual manera, las personas que saben cómo manejarse en las redes sociales podrían tener mayores posibilidades que aquellas que no tienen esa capacidad. Además, algunos facultativos y pacientes no son conscientes de la posibilidad de solicitar el acceso a un producto experimental antes de su autorización sin tener que participar en un ensayo clínico ni saben cómo hacerlo. Incluso los doctores que saben de la posibilidad de solicitar acceso a un tratamiento en fase de investigación por fuera de un ensayo clínico podrían negarse a solicitar productos sanitarios experimentales para sus pacientes por razones como no disponer del tiempo ni de la capacidad suficientes para rellenar y presentar la documentación, administrar el producto experimental, y/o realizar las tareas de monitorización continua requeridas. Es posible que algunos médicos no consideren que el acceso temprano sin participar en un ensayo clínico sea la mejor opción para sus pacientes. Este es un asunto complejo, pero lo que está claro es que, en el acceso a medicamentos experimentales, no todas las partes están en igualdad de condiciones, y hay personas que ven cómo otros obtienen acceso mientras que a ellos se les niega, lo que conduce a una percepción de injusticia que, por desgracia, muchas veces no dista mucho de la realidad.

Otra cuestión clave es que el acceso temprano fuera del contexto de un ensayo clínico puede entrañar riesgos para el desarrollo de los ensayos clínicos y para el calendario de desarrollo del producto sanitario experimental que se desea someter a la aprobación de la FDA. De no limitarse únicamente a aquellas personas que no pueden participar en un ensayo clínico, la concesión de acceso temprano a productos experimentales podría hacer peligrar el reclutamiento de pacientes en los ensayos necesarios para desarrollar productos sanitarios que podrán ayudar a futuros pacientes y obtener su aprobación. Si se brinda a los pacientes la posibilidad de elegir entre acceder al producto experimental que desean participando de un ensayo clínico o sin tener que hacerlo, es probable que la mayoría de ellos prefiera acceder sin tener que participar en el ensayo, especialmente si el ensayo incluye [aleatorización. Se abre en una nueva pestaña](#) a [placebo. Se abre en una nueva pestaña](#) o a una terapia ya existente. Tales decisiones individuales son comprensibles pero, si se generalizaran, tendrían un efecto perjudicial sobre el reclutamiento de pacientes en los ensayos clínicos, dilatando en tiempo de desarrollo de los fármacos y, en definitiva, retrasando la disponibilidad de nuevos tratamientos para todos los demás pacientes. Esto significa que deben existir normas claras sobre quiénes se pueden beneficiar del acceso temprano a productos experimentales fuera del contexto de un ensayo clínico. Tanto el mecanismo de acceso ampliado como el derecho a probar requieren que los pacientes no estén en condiciones de participar en un ensayo clínico sobre el producto solicitado. Sin embargo, esta circunstancia sólo es verificada por un tercero (la FDA y, en ocasiones, un comité de ética asistencial (CEA)) en el caso de las solicitudes de acceso ampliado.

Por regla general, los productos sanitarios experimentales se fabrican en cantidades limitadas. Retirar un producto experimental escaso de un ensayo clínico para que administre en el marco de

un uso compasivo podría hacer que el ensayo no se pueda finalizar en los plazos previstos, y los retrasos en la finalización de un ensayo, a su vez, retrasarían la autorización del nuevo producto por la FDA y, en definitiva, la disponibilidad de un nuevo tratamiento para otros pacientes que pudieran necesitarlo. Por este motivo, muchas compañías establecen claramente en sus políticas de acceso temprano que su prioridad son los ensayos clínicos y que no suministrarán sus productos en fase de investigación por fuera de estos ensayos.

Los productos experimentales pueden ser de gran utilidad, pero también podrían causar al paciente más daño y sufrimiento, o incluso acelerar su fallecimiento. También podrían no tener ningún efecto perceptible. Los productos sanitarios en fase de investigación, por definición, muchas veces no cuentan con datos de eficacia o seguridad contrastados. La gran mayoría de fármacos experimentales que entran en un ensayo clínico nunca llegan a comercializarse, bien porque no son eficaces, bien porque provocan más toxicidad que beneficios. Dado que los productos en fase de investigación aún no han sido sometidos a pruebas exhaustivas, su eficacia y efectos secundarios casi siempre se desconocen, especialmente en el caso de pacientes gravemente enfermos que no están en condiciones de participar en ensayos clínicos y que han agotado sus opciones terapéuticas. Estos productos podrían causar lesiones inesperadas, hacer que el paciente viva menos tiempo o disminuir su calidad de vida. Aunque los pacientes que no disponen de ninguna otra opción terapéutica podrían estar dispuestos a asumir estos riesgos, una compañía (o un médico) podría abstenerse de participar.

Si un paciente que ha utilizado un producto aún no autorizado a través de un programa de acceso temprano sin participar en un ensayo clínico obtiene resultados muy malos, éstos podrían ser achacados al producto, aunque la culpa haya sido de la propia enfermedad del paciente y no de la intervención terapéutica en sí misma. Si existen dudas (justificadas o no) sobre un producto en fase de desarrollo, la compañía responsable podría suspender su desarrollo o llevar a cabo ensayos clínicos adicionales (lo cual añade gastos y retrasa la fecha de finalización del ensayo); o es posible que los inversores que han financiado el desarrollo del producto decidan retirarse. Estas son algunas de las razones por las que las compañías suelen mostrarse bastante reticentes a la hora de suministrar productos en fase de investigación por fuera de un ensayo clínico. En los ensayos clínicos, los participantes son sometidos a un cribado exhaustivo, siendo excluidos en caso de presentar, por ejemplo, comorbilidades o antecedentes médicos preocupantes. No obstante, las mencionadas reticencias podrían no estar fundamentadas en hechos contrastados. El reporte de la FDA titulado [Acceso ampliado: Reporte Informativo para la Industria Se abre en una nueva pestaña](#) señala que todos los informes de eventos adversos severos (EAS) generados en el marco de un programa de acceso ampliado deben evaluarse tomando en consideración el tratamiento que recibe el paciente y que no se debe utilizar la aparición de EAS como excusa para no autorizar el producto, a menos que sea razonable hacerlo. Recientemente, la FDA ha llevado a cabo [varias auditorías Se abre en una nueva pestaña](#) con las que pretende asegurar a las compañías que el riesgo de sufrir retrasos en el desarrollo de un producto debido a problemas relacionados con un acceso temprano por fuera de un ensayo clínico es extremadamente bajo. Actualmente, se desconoce si estos esfuerzos por parte de la FDA están consiguiendo disipar las reticencias de las compañías.

¿Por qué podría alguien oponerse al acceso a productos sanitarios experimentales por fuera de un ensayo clínico?

Si los pacientes prueban los productos en fase de investigación de manera voluntaria y con plena conciencia de que sus riesgos y beneficios aún se desconocen, existen razones para promover un acceso temprano a los mismos para beneficiar especialmente a los pacientes más gravemente enfermos. No obstante, existen muchas razones para dudar que los pacientes que solicitan beneficiarse de un acceso temprano comprenden cabalmente los riesgos asociados. Incluso si un producto experimental parece prometedor, podría no tener el efecto deseado en un paciente concreto o, peor aún, podría hacerle daño. Es importante informar a los pacientes que esperan beneficiarse de un producto determinado de que no existen garantías de su eficacia y de que los efectos de los productos sanitarios en fase de investigación pueden llegar a ser peores que los de la enfermedad que padecen. Aceptar esto es difícil, no sólo para los pacientes, muchos de los cuales han agotado sus opciones de tratamiento y podrían estar dispuestos a probar cualquier cosa, sino también para los proveedores sanitarios, familias y amigos ya que la sociedad suele percibir las nuevas opciones médicas o tratamientos como terapias superiores a las existentes. Esta percepción podría influir en lo que los proveedores sanitarios dicen o dejan de decir sobre el agente en fase de investigación, haciendo en ocasiones que el paciente se forme una idea sesgada de la situación.

Las preocupaciones relativas al consentimiento informado se refieren tanto al acceso ampliado como al derecho a probar. No obstante, el derecho a probar plantea algunas dudas adicionales. El término “derecho a probar” es en sí mismo engañoso porque sugiere que los pacientes tienen el derecho de acceder a medicamentos experimentales. Sin embargo, corresponde únicamente a la compañía que desarrolla el producto el decidir si acepta o no poner el fármaco a disposición de un paciente. El derecho a probar requiere que exista un consentimiento informado pero, en el contexto del acceso ampliado y de los ensayos clínicos, dicho consentimiento carece de varios componentes que se consideran consustanciales a lo que se entiende por consentimiento informado, planteándose dudas sobre su utilidad.

Proveedores sanitarios y/o compañías sin escrúpulos podrían aprovecharse de las leyes que regulan el derecho a probar para vender remedios y curas milagrosas a pacientes desesperados y a sus familias. Si dichos supuestos tratamientos causaran daños, es probable que quienes hubiesen mercadeado con ellos pudieran eludir la acción de la justicia debido a la cláusula de inmunidad contenida en la normativa del derecho a probar. Un consentimiento informado incompleto y la falta de una valoración por parte de la FDA o de un comité de ética asistencial (CEA) dejan al paciente huérfano de las salvaguardias necesarias.

Muchas leyes estatales que regulan el derecho a probar estipulan que, si los pacientes utilizan un fármaco aún no autorizado obtenido en virtud del derecho a probar, corren el riesgo de perder su derecho a ser atendidos en un centro para pacientes terminales, a beneficiarse de los servicios de telemedicina, o incluso a estar asegurados. Estas disposiciones no han recibido suficiente difusión por lo que es posible que los pacientes no sean conscientes del riesgo que corren al acogerse al derecho a probar.

Por otro lado, la normativa en materia de derecho a probar requiere sólo que se lleve a cabo un estudio de fase I sobre un fármaco experimental. A pesar de que los estudios de fase I a menudo se denominan “estudios de seguridad”, llevar a cabo un estudio de fase I no garantiza que un determinado fármaco experimental sea seguro. La mayoría de estudios de fase I utilizan

voluntarios sanos, que reciben una compensación económica, para determinar la dosis que debe utilizarse en futuros estudios, sin llevar a cabo un seguimiento a largo plazo de los pacientes. Existe poca o nula información sobre el efecto que podrían ejercer estos fármacos experimentales en individuos enfermos. Aunque comprensiblemente los pacientes, en especial aquellos que padecen una enfermedad terminal, podrían estar dispuestos a asumir el riesgo de probar un nuevo tratamiento, es esencial garantizar que sean conscientes de que los ensayos de fase I no garantizan la seguridad del producto analizado y de que no existirá ninguna información sobre la eficacia de fármaco hasta que no se haya completado la fase II del ensayo. La utilización de un fármaco basándose sólo en el resultado de la fase I supone dar un salto hacia lo desconocido.

Preguntas sobre el CUPA

¿Quiénes integran el CUPA?

Los miembros del CUPA se dedican a analizar las múltiples cuestiones éticas relacionadas con el uso compasivo y el acceso temprano, así como a trabajar en pos de facilitar el acceso a productos sanitarios en fase de investigación antes de su autorización. Para hacerlo, y para comprender el punto de vista de todos aquellos que tienen algo que decir sobre estas cuestiones, el CUPA integra a representantes de todas las comunidades implicadas en el acceso temprano: medicina, farmacia, derecho, bioética, administración pública, industria, diseño de ensayos clínicos, asociaciones de pacientes y periodismo. El CUPA colabora estrechamente con asociaciones de pacientes, compañías farmacéuticas y biotecnológicas grandes y pequeñas, capitalistas de riesgo, proveedores sanitarios, y otras múltiples organizaciones, incluida la FDA y varias organizaciones comerciales.

Los copresidentes del CUPA, [Alison Bateman-House PhD, MPH](#) y [Arthur L. Caplan, PhD](#), han detallado sus actividades y relaciones profesionales, tanto remuneradas como no remuneradas en sendas [declaraciones electrónicas](#).

¿A qué se dedica el CUPA y qué espera conseguir?

La misión del Grupo de trabajo sobre uso compasivo y acceso temprano (CUPA según sus siglas en inglés) es impulsar la investigación, la elaboración de políticas y la formación relativas a las cuestiones éticas relacionadas con el acceso a productos sanitarios experimentales. En materia de políticas, el CUPA trabaja para generar cambios en las políticas que conviertan el acceso temprano en un proceso más realista, más justo y más transparente para aquellos que desean acceder a productos sanitarios experimentales fuera del contexto de un ensayo clínico.

¿Los miembros del CUPA hablan con legisladores y otros responsables políticos?

Los miembros del CUPA hablan con cualquier persona que tenga ideas o sugerencias sobre cómo facilitar el acceso a productos sanitarios en fase de investigación antes de su autorización. Colaboramos con legisladores estatales y federales, con los dirigentes de la FDA, con asociaciones de pacientes, y con miembros de los sectores farmacéutico y biotecnológico. Contestamos preguntas, compartimos lo que hemos aprendido, y ofrecemos formación. Ni las

conversaciones que mantenemos ni este documento representan el posicionamiento oficial del Centro Médico Langone de la Universidad de Nueva York o de ninguna otra empresa o institución con la que esté relacionado ningún miembro del CUPA.

No existe impedimento alguno para que los miembros del CUPA puedan expresar sus propias opiniones de forma individual o a través de editoriales o documentos de posicionamiento del Grupo. La postura del CUPA sobre cualquier aspecto se decide por mayoría, no por consenso, aunque hasta la fecha ha existido unanimidad cada vez que el Grupo ha expresado su posicionamiento sobre alguna materia.

¿Qué propuestas ha formulado el CUPA?

Al principio de su andadura, el CUPA manifestó que las empresas farmacéuticas y biotecnológicas debían procurar que sus políticas relativas al acceso temprano por fuera de un ensayo clínico estuvieran disponibles para el público, haciendo públicos un número de teléfono, una dirección de correo electrónico, u otra forma de contacto a la que poder dirigir las solicitudes de acceso. Asimismo, sostuvo que las compañías debían fijar un plazo razonable para expedirse en relación con las solicitudes que reciben y comunicar dicho plazo a los solicitantes, informándolos de sus decisiones en tiempo y forma. Estas recomendaciones fueron oportunamente aprobadas por los legisladores e incorporadas en la [Ley de Curas del Siglo XXI](#) [Se abre en una nueva pestaña](#) promulgada en diciembre de 2016.

En marzo de 2018, el CUPA publicó una versión actualizada de la [ficha informativa y de las recomendaciones](#) relacionadas con las leyes que regulan el ejercicio del derecho a probar así como una lista de propuestas para ayudar a aquellos pacientes que desean probar productos sanitarios aún no aprobados fuera del contexto de un ensayo clínico. En este documento, se identificaban cuestiones clave que los legisladores debían abordar. En respuesta a esta propuesta, [la ley de Reautorización de la FDA de 2017](#) [Se abre en una nueva pestaña](#) exigió que se celebrara una reunión pública con presencia de los institutos nacionales de salud y la FDA para debatir sobre las posibles barreras que pudieran impedir la participación de pacientes en ensayos clínicos y en programas de acceso ampliado. La Ley requería que la FDA publicara un informe sobre los asuntos tratados en dicha reunión y elaborara el borrador de una nueva propuesta sobre cómo promover la participación de pacientes en ensayos clínicos y programas de acceso ampliado.

Existe otro componente de la ley de Reautorización de la FDA de 2017 que también surgió de una propuesta del CUPA. Efectivamente, el CUPA exigió que la FDA revise y simplifique la normativa federal que regula el proceso que los comités de ética asistencial (CEA) deben seguir para la aprobación de los protocolos de acceso ampliado para pacientes individuales. Varios meses después de que el CUPA hiciera públicas sus propuestas, la FDA anunció que admitiría que fuese un único miembro de un CEA—y no el comité en su totalidad tal u como lo exigía la normativa anterior—quien examinara y aprobara las solicitudes de acceso ampliado para pacientes individuales, ya que reunir a todo el comité podría hacer que los pacientes tuvieran que sufrir retrasos injustificados.

El CUPA ha hecho un llamamiento a que los legisladores aclaren el alcance de la autoridad de la FDA sobre los fármacos experimentales, puesto que las leyes estatales que regular el ejercicio del derecho a probar han creado, de forma involuntaria aunque no por ello menos previsible, cierta confusión entre los actores implicados acerca de si deben atenerse a lo estipulado en las leyes estatales o federales que regulan el acceso a fármacos experimentales por fuera de un ensayo clínico. Estas cuestiones fueron debatidas en la [audiencia del subcomité de salud del Comité de Energía y Comercio de la Cámara de Representantes de los Estados Unidos. Se abre en una nueva pestaña](#) del 3 de octubre de 2017, en la que los miembros del CUPA [Alison Bateman-House PhD, MPH](#) y Kenneth I. Moch, MBA, realizaron una declaración sobre el proyecto de ley federal sobre el derecho a probar.

El CUPA también ha hecho un llamamiento a los legisladores para que exploren, junto con el sector farmacéutico y biotecnológico, las vías más adecuadas para hacer que el acceso temprano resulte más atractivo para compañías tanto grandes como pequeñas. A las compañías les preocupa que facilitar el acceso a fármacos experimentales con carácter previo a su autorización pudiera costarles dinero, amenazar los plazos establecidos para el desarrollo de los productos, desincentivar a los inversores, y causarles problemas con la FDA. Estas cuestiones pueden ser solventadas por los legisladores, aunque aún no han sido abordadas. Sin embargo, la FDA ha intentado tranquilizar a las empresas destacando que es muy poco habitual que las reacciones adversas observadas en el marco de un programa de acceso ampliado tengan consecuencias para el desarrollo del producto en cuestión.

El reporte de la FDA titulado [Acceso ampliado: Reporte informativo para la industria. Se abre en una nueva pestaña](#) señala que los informes de eventos adversos severos (EAS) generados en el marco del mecanismo de acceso ampliado se deben analizar tomando en consideración la patología de base del paciente y los EAS no se deben achacar al uso de productos sanitarios aún no autorizados, a menos que sea razonable hacerlo. Recientemente, la FDA ha llevado a cabo [varias auditorías Se abre en una nueva pestaña](#) cuyas conclusiones está utilizando para intentar garantizar a las compañías que la probabilidad de que el desarrollo de un producto experimental sufra retrasos o se interrumpa a causa de resultados insatisfactorios obtenidos en programas de acceso ampliado es extremadamente baja.

El CUPA sigue evaluando nuevas formas de incrementar el acceso a productos sanitarios en fase de investigación aún no autorizados, a través de medidas que incluyen, entre otras, hacer que el acceso temprano resulte más atractivo para la industria farmacéutica/biotecnológica y educar a los proveedores sanitarios acerca de lo que supone el acceso a productos experimentales antes de su aprobación.

El CUPA ha propuesto que los protocolos de acceso ampliado ofrezcan una fuente útil de evidencia de la vida real y, en julio de 2018, formó un subgrupo de ética y evidencia de la vida real (ERWE, según sus siglas en inglés) para analizar la cuestión. Al recabar los datos de los pacientes tratados con un producto sanitario en el marco de un programa de acceso ampliado, la compañía que desarrolla el producto en cuestión podría recoger evidencia sobre la eficacia del producto en pacientes más enfermos que los que han participado en el ensayo clínico sobre el mismo producto. Esta información podría ser de utilidad para predecir cómo funcionará el producto en situaciones de “vida real” en contraposición con el mundo extremadamente selectivo

de los ensayos clínicos. Sin embargo, ésta es una hipótesis que deberá ser demostrada. De lo que no cabe duda es que los datos obtenidos a partir de protocolos de acceso ampliado carecerán de la protección contra posibles sesgos que caracteriza a los datos obtenidos a partir de ensayos clínicos controlados y aleatorizados. Por lo tanto, los datos procedentes de PAA serán de menor calidad que los obtenidos a partir de estudios controlados y aleatorizados.

¿Quién financia los costos de funcionamiento del CUPA?

Los miembros del CUPA no reciben remuneración alguna por su trabajo en el Grupo. Los gastos generales además de otros gastos incurridos son sufragados por la División de Ética Médica del Centro Médico Langone de la Universidad de Nueva York que, a su vez, obtiene sus fondos a partir de una serie de fuentes de financiación, incluidas donaciones privadas y proyectos bajo contrato.

¿Qué ha publicado el CUPA?

Los miembros del CUPA [han expresado repetidamente sus opiniones, tanto por escrito como verbalmente](#), sobre el acceso temprano, la normativa de la FDA, las leyes que regular el derecho a probar, y los criterios de inclusión/exclusión de los ensayos clínicos, entre otras cuestiones.