

INFORMACIÓN SOBRE EL ESTUDIO FOCAS (Versión para Padres, Tutores y Cuidadores)

Favor de leer esta información detallada sobre el Estudio FOCAS.

1. ¿Cómo se llama el Estudio?

Ensayo Esteroidal para Arteriopatía Cerebral Focal
[*Focal Cerebral Arteriopathy Steroid (FOCAS) Trial*]

2. ¿Qué es un derrame? ¿Qué es la arteriopatía cerebral focal?

Los vasos sanguíneos llamados arterias llevan oxígeno y nutrientes al cerebro. Cuando una arteria cerebral se estrecha o se bloquea, entonces parte del cerebro no recibe la sangre que necesita. Esto puede causar una lesión cerebral permanente, llamada 'derrame', o una lesión cerebral temporal, llamado 'transitorio isquémico' (*transient ischemic attack: TIA*). Si bien los derrames son más comunes entre personas adultas, también pueden afectar a niños, hasta niños sin historial de enfermedades graves. Los derrames infantiles pueden ocurrir por enfermedad, por lesiones en las arterias cerebrales o por coágulos de sangre en el corazón que llegan al cerebro y bloquean una arteria. De cualquier forma, una parte del cerebro deja de recibir suficiente sangre, lo cual puede causar un derrame.

En los niños y adolescentes sin antecedentes, la causa más común de un derrame es una condición raras veces vista llamada 'arteriopatía cerebral focal' (*focal cerebral arteriopathy: FCA*). Con la FCA se inflama la pared de una arteria cerebral. Según se agrava la inflamación a lo largo de varios días, la arteria se vuelve cada vez más estrecha, dificultando el paso de la sangre hacia el cerebro.

3. ¿Por qué están haciendo el Estudio FOCAS?

El objetivo del Estudio FOCAS es de comparar dos opciones de tratamiento con esteroides para determinar el mejor momento para tratar a los niños y adolescentes que podrían padecer de FCA. Los médicos pediatras especializados en derrames acostumbran tratar a la FCA con esteroides para detener el avance de la enfermedad y proteger al cerebro contra mayor lesión. Sin embargo, no saben cuál es el mejor momento para iniciar el tratamiento con esteroides porque no se ha hecho ningún estudio clínico sobre el tratamiento de la FCA.

4. ¿Por qué me están pidiendo que participe en este Estudio?

Buscamos voluntarios para participar en el Estudio. Les hemos invitado a usted y a su hijo(a) a participar porque los médicos creen que su hijo(a) podría padecer de FCA. Al unirse al Estudio, ustedes ayudarán a los médicos a aprender cuál es el mejor momento para iniciar el tratamiento con esteroides para los niños y adolescentes que se encuentren en la misma situación en el futuro.

5. ¿Por qué inscribirse en el Estudio?

Al participar en el Estudio FOCAS, usted ayudará a los médicos a aprender a tratar mejor a los pacientes como su hijo(a) en el futuro. También es posible que los datos producto del Estudio sirvan para optimizar la atención clínica que su hijo(a) recibe. Su hijo(a) podría beneficiarse de las imágenes adicionales del cerebro (llamadas resonancias magnéticas o MRI) pagadas por el Estudio.

Dichas imágenes podrían aportar a sus médicos mayor información sobre el cerebro y vasos sanguíneos de su hijo(a).

Asimismo, el Estudio incluye pruebas para detectar ciertos virus que podrían ser factores que causan la FCA. Esa información podría ayudarles a usted y sus médicos a entender porqué esto le sucedió. Actualmente los médicos no saben porqué algunos niños sanos desarrollan esta enfermedad rara. Su participación en el Estudio FOCAS puede ayudar a los médicos a entender porqué.

6. ¿Cuántas personas participarán en el Estudio? ¿Quién lo dirige?

Unos 80 niños y adolescentes que podrían padecer de FCA participarán en este Estudio. Ellos serán reclutados en unos 25 hospitales de niños en Estados Unidos y Canadá. El Estudio es dirigido por un neurólogo pediatra de la Universidad de California en San Francisco, junto con StrokeNet, la red de ensayos clínicos financiados por los Institutos Nacionales de la Salud.

7. ¿Qué pasará si me inscribo en el Estudio?

Si usted da su consentimiento para participar en este Estudio, lo siguiente pasará:

- Durante su estadía hospitalaria y posteriormente habrá unas actividades más allá de la atención clínica normal que su hijo(a) recibe.
- La duración del Estudio será de hasta doce meses. Se requiere sólo una cita de seguimiento en el hospital un mes después del derrame para obtener imágenes cerebrales.
- Una computadora le asignará aleatoriamente a la Opción A o la Opción B de tratamiento.
 - **Opción A** – La Estrategia ‘Por Aquello’: Se inicia el tratamiento con esteroides en seguida por si su hijo(a) padece de FCA. Este tratamiento podría impedir que la condición se agrave.
 - **Opción B** – La Estrategia ‘Esperar a Ver’: Los médicos le vigilarán la condición de su hijo(a) de cerca y obtendrán nuevas imágenes cerebrales al cabo de unos cinco días. Si se detecta un estrechamiento de las arterias, los médicos sabrán que su hijo(a) padece de FCA e iniciarán el tratamiento con esteroides.
- Una Máquina MRI/MRA tomará fotografías del cerebro y arterias cerebrales de su hijo(a).
 - Se hará una Resonancia MRI/MRA unos cinco días después de la fecha en que diagnosticaron el derrame o TIA, con el fin de seguir el avance de la enfermedad.
 - Se hará una Resonancia MRI/MRA durante la cita de seguimiento al mes, para determinar cuál opción de tratamiento sea la mejor.
 - Aun si los médicos no programan una Resonancia MRI/MRA por motivos clínicos, para efectos del Estudio se hará una a los cinco días y otra al mes. Estas resonancias son iguales que las resonancias clínicas, sólo que el Estudio las paga cuando no sean requeridas para efectos clínicos.
- Se tomarán dos muestras de sangre de cada participante en el Estudio. La primera se tomará al momento de inscribirse y la segunda durante la cita de seguimiento al mes.
- Usted será entrevistado(a) sobre el historial médico de su hijo(a).
- Si su hijo(a) recibe tratamiento con esteroides, les preguntarán sobre los posible efectos secundarios y si su hijo(a) faltó alguna dosis del medicamento y porqué.
- Habrá citas de seguimiento al mes, a los seis meses y a los doce meses.
 - La cita al mes es obligatoria y debe ser presencial, ya que durante esa cita le harán una Resonancia MRI a su hijo(a).
 - Las citas de seguimiento a los seis y a los doce meses serán programadas para coincidir

- con sus otras citas clínicas. Si su hijo(a) no tiene otras citas programadas, entonces las citas de seguimiento se podrán hacer vía telefónica o por videoconferencia.
- La cita a los doce meses es opcional, pero se recomienda fuertemente aprovecharla.
- Se ofrecerá remuneración para ayudar a cubrir los costos por su tiempo y traslados para asistir a las citas del Estudio.

8. ¿Cuál es la diferencia entre la Opción A y la Opción B? ¿Puedo elegir la opción de tratamiento para mi hijo(a)?

Los médicos aún no saben cuál es mejor, la Opción A o la Opción B. Es por eso que se está haciendo el Estudio. Si su hijo(a) se inscribe en el Estudio FOCAS, una computadora le asignará una de las opciones de forma aleatoria. Es decir, su hijo(a) tendrá la misma probabilidad de ser asignado(a) a la Opción A o a la Opción B, igual como tirar una moneda. Ni usted ni los médicos decidirán cuál opción de tratamiento le tocará a su hijo(a).

- **Opción A** – La Estrategia ‘Por Aquello’: Los médicos iniciarán el tratamiento con esteroides dentro de las 24 horas posteriores a la asignación aleatoria. Significa que su hijo(a) recibirá el tratamiento con esteroides aun sin haber sido diagnosticado(a) definitivamente con FCA.
 - **Pros:** Si resulta que su hijo(a) padece de FCA, podría ser mejor iniciar con los esteroides de una vez y así impedir que la enfermedad se empeore.
 - **Contras:** Si resulta que su derrame fue causado por otro factor, entonces su hijo(a) habrá recibido altas dosis de esteroides sin necesidad, y los esteroides pueden causar efectos secundarios fuertes.
- **Opción B** – La Estrategia ‘Esperar a Ver’: Los médicos iniciarán el tratamiento con esteroides *sólo si la enfermedad se empeora*, es decir, ante una diagnosis definitiva de FCA.
 - **Pros:** Su hijo(a) sólo recibe esteroides si los necesita.
 - **Contras:** Si se espera hasta que la enfermedad se empeora antes de tratarla con esteroides, existe la posibilidad de que el cerebro sufra mayor lesión.

Con cualquier Opción, *si su hijo(a) padece de FCA, recibirá tratamiento con esteroides*. La diferencia es que, con la Opción A su hijo(a) recibirá el tratamiento antes de que los médicos hayan diagnosticado la enfermedad con certeza. En cambio, con la Opción B su hijo(a) recibirá los esteroides más tarde, cuando los médicos tengan una diagnosis definitiva.

9. ¿Por qué están estudiando las dos opciones de tratamiento diferentes?

Los médicos no quieren tratar a alguien con esteroides si no los necesita, porque los esteroides pueden causar efectos secundarios. Por eso a menudo los médicos prefieren esperar hasta que haya *certeza* de que el niño(a) padezca de FCA. La certeza se da cuando la enfermedad se agrava (cuando las arterias se estrechan, entre tres y siete días después del derrame inicial). Pero los médicos saben que si esperan a que la FCA se agrave, podría haber mayor lesión al cerebro.

Los médicos simplemente no saben todavía cuál opción es la mejor. Por eso el Estudio FOCAS ayudará a los médicos a entender mejor cuál opción de tratamiento será la mejor para pacientes como su hijo(a) en el futuro.

10. ¿Cuáles son los efectos secundarios de los esteroides?

Hay diferentes tipos de esteroides. Los que se usan para tratar la FCA se llaman ‘corticosteroides.’ En el Estudio FOCAS, los pacientes que reciben esteroides recibirán altas dosis de esteroides de forma intravenosa (directamente a la corriente sanguínea) durante tres días. Luego ellos tomarán esteroides vía oral durante 28 días (algo que pueden hacer en la casa). Los pacientes sienten efectos secundarios más fuertes con el suministro intravenoso. Los efectos secundarios son menores con el suministro vía oral y luego desaparecen al concluirse el tratamiento. Hasta la fecha los informes sobre el uso de corticosteroides para tratar FCA no reportan efectos secundarios serios.

Los efectos secundarios pueden incluir los siguientes:

- Cambios de humor o conducta. El o la paciente puede ponerse más irritable, temperamental o llorosa.
- Trastornos del sueño.
- Mayor apetito.
- Mayor retención de agua.
- Irritación estomacal, lo que puede causar malestar y hasta sangrados.
 - Los médicos pueden recetar medicamentos para prevenir o tratar la irritación estomacal.
- Hipertensión arterial.
 - La hipertensión severa puede incrementar el riesgo de sangrados cerebrales en las personas que han sufrido un derrame recientemente.
 - Los médicos pueden recetar medicamentos para controlar la presión arterial, de ser necesario. Este efecto secundario desaparece al concluirse el suministro de esteroides.
- Disminución de la capacidad del cuerpo para combatir infecciones.
 - Los médicos pueden recetar antibióticos y otros medicamentos para ayudar a combatir infecciones, de ser necesario.

Asimismo, el o la paciente puede sentir otros efectos secundarios después del tratamiento con esteroides. Esto se da porque el cuerpo produce esteroides naturalmente y podría reducir esa producción durante el tratamiento con esteroides. Cuando se deja de tomar esteroides, los niveles esteroidales naturales del cuerpo podrían permanecer bajos por un tiempo hasta que el cuerpo vuelva a producirlos a niveles normales. Durante ese tiempo su hijo(a) podría sentir efectos secundarios como fatiga, náuseas y pérdida de apetito.

11. ¿Cuáles son los beneficios de participar en el Estudio?

Al participar en el Estudio FOCAS, su hijo(a) podría percibir algunos de los siguientes beneficios:

- Ustedes ayudarán a los médicos a aprender cómo mejor tratar a los pacientes futuros.
- La información producto del Estudio podría ayudarnos a entender mejor cuándo se debe iniciar tratamientos con esteroides en los niños que han sufrido derrames.
- Los datos del Estudio podrían servir para optimizar la atención clínica que su hijo(a) recibe.
- Su hijo(a) podría beneficiarse con las imágenes cerebrales adicionales pagadas por el Estudio, que podrían dar a sus médicos mayor información sobre su cerebro y arterias. Asimismo, el Estudio cubrirá algunos de los costos por su tiempo y traslados para asistir a la cita de seguimiento al primer mes. Puede que eso le sirva a ustedes si tienen que asistir a otra cita médica o hacer otras pruebas solicitadas por su médico.

- Su hijo(a) también podría beneficiarse por los consejos dados por los expertos en FCA que dirigen el Estudio. Si sus médicos lo solicitan, dichos expertos analizarán sus imágenes y hablarán con sus médicos de manera confidencial sobre su caso.

12. ¿Cuándo tenemos que decidirnos sobre la participación en el Estudio?

Para poder participar en el Estudio FOCAS, su hijo(a) debe quedar inscrito(a) dentro de las 96 horas (cuatro días) posteriores al derrame o TIA. Es mejor decidirse cuanto antes para que sus médicos sabrán cuál opción de tratamiento le vaya a tocar. El Equipo del Estudio en el hospital le dirá para cuándo deben decidirse con base en su caso específico.

13. ¿Nos pagarán para participar en el Estudio?

Les ofrecerán compensar algunos de los costos incurridos por su tiempo y gastos de traslado para asistir a las citas relacionadas con el Estudio.

14. ¿Qué más debemos saber sobre el Estudio?

He aquí unos detalles más que quisiéramos explicarle sobre el Estudio FOCAS:

- Un(a) representante del Equipo del Estudio en el hospital explicará a ustedes este ensayo de investigación y responderá a las preguntas que ustedes tenga.
- La decisión sobre participar o no es totalmente suya.
- La participación en el Estudio es opcional y no afectará la atención que su hijo(a) recibe.
- Ustedes tendrán el derecho a revocar su decisión y retirarse del Estudio en cualquier momento.
- Nadie les reclamará por su decisión, sea cual sea.
- Ustedes podrán hacer todas las preguntas que quieran antes de decidirse.
- Ustedes pueden consultar con quienes quieran (con parientes, amigos, etc.) sobre la participación antes de tomar una decisión.
- Ustedes no incurrirán costo alguno por participar en el Estudio.
- Todos los demás aspectos de la atención médica brindada a su hijo(a) serán iguales sin importar que le haya tocado la Opción A o la Opción B. El/ella recibirá aspirina, que sirve para ralear levemente la sangre, por lo que se receta comúnmente para prevenir derrames. Durante su estadía en el hospital el personal le monitoreará de cerca a su hijo(a) y él/ella recibirá líquidos intravenosos para mantener al cuerpo debidamente hidratado.

15. ¿Cuáles son las alternativas si decidimos no participar en el Estudio FOCAS?

Su plan de tratamiento depende del criterio de sus médicos, pero algunas opciones podrían incluir:

- La atención que se brinda normalmente a los niños y adolescentes afectados por derrames o TIA.
- La atención que se brinda normalmente a los niños y adolescentes que podrían padecer de la FCA, es decir, que sus médicos decidirán si le tratan a su hijo(a) con esteroides y cuándo. Ya que los neurólogos pediátricos se acostumbran a recetar esteroides para ayudar a prevenir derrames, puede que su hijo(a) reciba esteroides para tratar la FCA aun sin participar en el Estudio FOCAS.