



Centro Nacional para  
el Avance de las  
Ciencias Traslacionales

**GARD** Centro de Información de  
Enfermedades Genéticas y Raras

## Participe en Estudios de Investigación

Aprenda más sobre como participar en un estudio de investigación, ensayo clínico o registro de pacientes.

[Video Tutorial de Gard: Cómo Participar en la Investigación](#) (En inglés)

Un video desarrollado por especialistas en información del Centro de Información de Enfermedades Genéticas y Raras (*Genetic and Rare Diseases Information Center, GARD*) que explica cómo se puede encontrar estudios de investigación para una enfermedad rara.



### Información General Acerca de Estudios de Investigación

Los ensayos clínicos son estudios de investigación en que los descubrimientos médicos son usados para el beneficio del paciente, ya sea para encontrar formas de prevenir, examinar, diagnosticar o tratar una enfermedad o para comparar tratamientos existentes.

[MedlinePlus.gov: Ensayos Clínicos](#) (En español)

La Biblioteca Nacional de la Salud de los Estados Unidos ofrece información sobre estudios clínicos, explicando los detalles de cómo participar en los mismos a través de vídeos, guías informativas y artículos relevantes, y ofrece también información sobre ayuda financiera para la participación en los estudios.

[Los Niños y los Estudios Clínicos](#) (En español)

Información sobre la participación de los niños en estudios clínicos incluyendo como participar en los estudios, cuales son los riesgos y los beneficios, y un video dirigido a los padres de los participantes.

[Estudios de Investigación Clínica y Usted](#) (En inglés)

El Centro Nacional para el Avance de las Ciencias Traslacionales (*National Center for Advancing Translational Sciences, NCATS*) ofrece recursos con información acerca de la participación en estudios clínicos.

## **Ayuda Para Encontrar Estudios de Investigación**

La mayoría de la información encontrada en los recursos descritos a seguir brinda información en inglés y sirve para encontrar estudios de investigación que existen actualmente, que ya se completaron, o que pueden surgir en el futuro:

### [ClinicalTrials.gov](#) (En inglés)

Proporciona a los pacientes y sus familiares, proveedores de salud, profesionales e investigadores una manera fácil de encontrar estudios clínicos financiados con fondos públicos y privados en los Estados Unidos y otros países.

### [Estudios del Centro Clínico de los Institutos Nacionales de la Salud](#) (*NIH Clinical Center*) (En inglés)

Información sobre estudios en el Centro Clínico de los Institutos Nacionales de la Salud localizado en Bethesda, Maryland.

### [Estudios de Investigación del Instituto Nacional del Cáncer](#) (*National Cancer Institute, NCI*)

(En español)

Información acerca de cómo encontrar oportunidades de estudios de investigación para el cáncer mediante la búsqueda en este sitio.

### [Research Portfolio Online Reporting Tools \(RePORT\)](#) (En inglés)

Utilice la base de datos de RePORT para encontrar información sobre todas las actividades de investigación que son financiados por los Institutos Nacionales de la Salud (*National Institutes of Health, NIH*). Algunos de los estudios aceptan participantes, mientras que otros solamente incluyen experimentos de laboratorio.

### [Rare Diseases Clinical Research Network \(RDCRN\)](#) (En inglés)

Averigüe si su condición se está estudiando actualmente por el RDCRN. El RDCRN tiene como objetivo desarrollar nuevos tratamientos para las enfermedades raras, así como despertar la conciencia pública sobre las enfermedades raras y dirigir a los pacientes a servicios que les puedan ayudar. La asistencia es proporcionada por investigadores, médicos y grupos de pacientes.

### [Programa de Terapéutica de Enfermedades Raras y Poco Estudiadas](#) (*Therapeutics for Rare and Neglected Diseases, TRND*) (En inglés)

TRND tiene como objetivo encontrar nuevos fármacos para enfermedades raras y desatendidas. Visite la página en la red de TRND para saber más sobre los estudios actuales.

### El [Centro Internacional de Fogarty](#) (Fogarty International Center) (En español)

Tiene [información sobre cursos de entrenamiento en bioética en español ofrecidos por varias organizaciones.](#)

### La [Oficina de los Institutos Nacionales de la Salud para Investigaciones Extra-institucionales \(OER\)](#) (En inglés)

Ofrece un curso de entrenamiento sobre [protección de los participantes humanos en la investigación](#) para médicos y otros profesionales que estén envueltos en estudios de investigación

### [Orphanet](#) (En español)

Es un portal de enfermedades raras y medicamentos huérfanos que tiene información en español sobre los ensayos clínicos y estudios de investigación en Europa.

### [CenterWatch World](#) (En inglés)

Le permite buscar estudios clínicos internacionales y las características de los centros de investigación.

### [Genetic Modification Clinical Research Information System \(GeMCRIS\)](#) (En inglés)

Aprenda acerca de los estudios de investigación sobre transferencia de genes humanos registrados en los NIH.

## **Organizaciones de Investigación de Enfermedades Raras en Otros Países:**

A continuación, usted puede encontrar organizaciones que realizan investigación sobre diversas enfermedades raras en países de lengua española y en los Estados Unidos:

### **En América Latina:**

#### [Fundación GEISER](#) (En español)

Organización no gubernamental sin fines de lucro de Latino América, con sede en Argentina, que ayuda a las personas afectadas con una enfermedad poco frecuente. Esta fundación tiene un [guía de recursos para enfermedades raras](#) incluyendo información específica sobre investigaciones actuales.

#### [Centro de Educación Médica e Investigaciones Clínicas “Norberto Quirino” \(CEMIC\)](#) (En español)

Promueve el desarrollo de la investigación de enfermedades raras en Argentina y en otros países.

#### [Centro de Investigación Biomédica de Occidente \(CIBO\) del Instituto Mexicano de Seguro Social \(IMSS\)](#) (En español)

Parte del Instituto Nacional de la Salud de México que proporciona información y oportunidades para realizar investigación de enfermedades raras y otras.

### **En Europa:**

#### [Federación Española de Enfermedades Raras \(FEDER\)](#) (En español)

Federación compuesta por más de 200 asociaciones, trabaja con las familias de pacientes con enfermedades raras haciendo proyectos y servicios para mejorar la calidad de vida a corto, medio y largo plazo.

#### [Fundación Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras \(MEHUER\)](#) (En español)

Fomenta la investigación de las enfermedades raras, especialmente sobre tratamientos o cura y ofrece becas de investigación.

#### [Fundación Genzyme](#) (En español)

La Fundación Genzyme es una entidad sin fines de lucro que quiere apoyar y mejorar el conocimiento, diagnóstico y tratamiento de las enfermedades lisosomales.

[Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras \(CIBERER\)](#) (En español)

Agrupación y potencia la investigación sobre enfermedades raras en España con el objetivo de encontrar diagnósticos y terapias para los afectados con la mayor rapidez posible.

[European Union Committee of Experts on Rare Diseases \(EUCERD\)](#) (En inglés)

Grupo de profesionales expertos en enfermedades raras de varios países de la Unión Europea que trabaja en la investigación de las enfermedades raras y acción de salud pública.

[ERA-Net for Research Programmes on Rare Diseases](#) (En inglés)

Es una red de organismos públicos, ministerios y organizaciones que financian la investigación sobre enfermedades raras en doce países de Europa y los países asociados.

[Consortio Internacional de Investigación sobre Enfermedades Raras \(IRDiRC\)](#) (En inglés)

Grupo internacional para promover la investigación de enfermedades raras iniciado por la Comisión Europea y los Institutos Nacionales de Salud (*National Institutes of Health*, NIH) de los Estados Unidos.

[Instituto de Salud Carlos III](#) (En español)

Con sede en España, es el principal organismo público de investigación, que financia, gestiona y ejecuta la investigación biomédica en España. Posee un [Instituto de Investigación de Enfermedades Raras](#) (IIER) que ofrece servicios de diagnóstico de enfermedades genéticas, orientación, información e investigación así como un [Registro Nacional de Enfermedades Raras](#).

[Fundación 1000 sobre Defectos de Nacimientos](#) (En español)

Trata de ayudar a buscar soluciones al problema de la aparición de defectos congénitos en los recién nacidos y su prevención. Presta apoyo económico a las investigaciones que realiza el [Estudio Colaborativo Español de Malformaciones Congénitas \(ECEMC\)](#).

**Registros de Pacientes y Biobancos**

[Registry of Patient Registries AHRQ \(RoPR\)](#) (En inglés)

Utilice RoPR para encontrar registros de pacientes que colectan y organizan la información de salud. Estos registros ayudan a los investigadores a planear nuevos estudios y encontrar personas que quieran participar. RoPR fue creado por la Agencia para la Investigación y la Calidad del Cuidado de la Salud (*Agency for Healthcare Research and Quality*, AHRQ).

[RareConnect](#) (En español)

RareConnect fue creada por EURORDIS y NORD con el objetivo de que individuos y familiares afectados por enfermedades raras puedan conectarse con otras personas en varios lugares del mundo y puedan compartir sus experiencias y encontrar información y recursos relevantes.

[The Rare Diseases Clinical Research Network \(RDCRN\)](#) (En inglés)

Los pacientes con enfermedades raras pueden registrarse con el RDCRN para ser contactados en el futuro acerca de oportunidades de investigación clínica y actualizaciones sobre el progreso de los proyectos de investigación. El registro es anónimo y gratuito.

[ResearchMatch](#) (En inglés)

Regístrese con ResearchMatch para recibir notificaciones acerca de las oportunidades de investigación

que puedan surgir. ResearchMatch fue desarrollado por las principales instituciones académicas de todo el país y está financiado por el Centro Nacional para el Avance de las Ciencias Traslacionales (*National Center for Advancing Translational Sciences*, NCATS). Se trata de un registro nacional de investigación gratuita para reunir a pacientes, voluntarios sanos y los investigadores.

[Biospecimens/Biorepositories Website: Rare Disease-HUB \(RD-HuB\)](#) (En inglés)

Información para identificar los biobancos en los Estados Unidos y en todo el mundo que tienen muestras biológicas de enfermedades raras. Los biobancos colectan tejidos y muestras de sangre para ser utilizados por los investigadores.

[Registro Nacional de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos III \(ISCIII\) en España](#)

(En español)

Registro para participar en investigaciones sobre enfermedades raras.

[Fundación 1000 sobre Defectos Congénitos](#) (En español)

Desarrolla el [ECEMC \(Estudio Colaborativo Español de Malformaciones Congénitas\)](#). El ECEMC investiga las causas por las que se producen los defectos y malformaciones congénitas que se observan en niños recién nacidos en España.

[Registro colaborativo Latinoamericano de Malformaciones Congénitas \(ECLAMC\)](#) (En español)

Es formado por 35 hospitales de Chile, Argentina, Bolivia, Brasil, Perú, Venezuela y Colombia. El ECLAMC es un programa de investigación clínica y epidemiológica de las anomalías congénitas del desarrollo en nacimientos hospitalarios latinoamericanos. Tiene como objetivo la prevención por medio de la investigación.

### **Encuentre Información para los Defensores de Enfermedades Raras**

[Patient Registry Template](#) (En inglés)

El Centro Nacional para el Avance de las Ciencias Traslacionales (*National Center for Advancing Translational Sciences*, NCATS) ha publicado recomendaciones para el consentimiento del paciente que va a participar en registros asociados con biorepositorios y un modelo para un formulario de consentimiento informado para participar en un registro de pacientes. Este modelo puede ser solicitado y modificado de acuerdo a las necesidades específicas de cada registro.

[Global Rare Diseases Patient Registry Data Repository \(GRDR\)](#) (En inglés)

Un proyecto piloto para establecer un repositorio de datos de pacientes sin identificación personal, agregados de manera estandarizada, para permitir el análisis a través de muchas enfermedades raras y facilitar varios proyectos de investigación, estudios clínicos y ensayos clínicos.

[Office for Human Research Protections \(OHRP\)](#)

Tiene la función de proteger los derechos y asegurar el bienestar de los participantes en la investigación que se lleva a cabo o que es apoyada por el Departamento de Salud y Servicios Humanos de los Estados Unidos (*Department of Health and Human Services*, HHS). La información en la red solamente está disponible en inglés pero tienen personas que hablan español en el teléfono: 240-453-6900.

**Recursos para Investigadores y el Público en General**

[Representante del Programa Paciente de la FDA](#) (En español)

Información sobre las formas en que los defensores de pacientes pueden opinar sobre la aprobación y la seguridad de los medicamentos y de los dispositivos de salud.

[El Instituto Nacional de Investigación Dental y Cráneo-Facial](#) (*National Institute of Dental and Craniofacial Research*, NIDCR) (En español)

[Información sobre estudios de investigación en salud oral](#) en que se puede participar.