

Αξιολόγηση της αξίας των αποτελεσμάτων κλινικών δοκιμών

Εισαγωγή

Δεν είναι όλες οι κλινικές δοκιμές ίσες. Για να αποφασίσετε πόση βαρύτητα θα δώσετε στα αποτελέσματα των κλινικών δοκιμών, αξίζει να θέσετε ορισμένες βασικές ερωτήσεις:

Πόσο καλός ήταν ο σχεδιασμός της δοκιμής;

Δεν υπάρχει μόνο ένας κατάλληλος σχεδιασμός για μια κλινική δοκιμή. Το βασικό ερώτημα είναι αν ο σχεδιασμός που χρησιμοποιήθηκε ήταν κατάλληλος για τις περιστάσεις. Ενώ οι μεγάλες δοκιμές είναι γενικά πιο αξιόπιστες από τις μικρές, πρέπει να χρησιμοποιείται κοινή λογική για την ερμηνεία. Για παράδειγμα, μια δοκιμή για μια σπάνια κληρονομική ενζυμική ανεπάρκεια δεν θα μπορέσει ποτέ να συμπεριλάβει 5.000 ασθενείς, όπως συμβαίνει συχνά σε δοκιμές φαρμάκων για την καρδιακή προσβολή. Ομοίως, μια περίοδος παρακολούθησης μερικών εβδομάδων είναι απολύτως επαρκής για μια δοκιμή σε σχέση με την πνευμονία, αλλά δεν θα ήταν κατάλληλη για ένα αντισυλληπτικό χάπι. Οι ομάδες ελέγχου με χρήση εικονικών φαρμάκων, αν και είναι πολύ χρήσιμες ως προς την ερμηνεία των αποτελεσμάτων, θα μπορούσαν να είναι εμφανώς αντιδεοντολογικές σε ορισμένες περιπτώσεις (π.χ. απειλητικές για τη ζωή ασθένειες, για τις οποίες υπάρχουν αποτελεσματικές θεραπείες). Παρότι οι συγκριτικές δοκιμές είναι ο καλύτερος τρόπος αξιολόγησης της δραστηριότητας, οι μεγαλύτερες και πιο μακροχρόνιες ανοιχτές κλινικές μελέτες μπορούν να προσφέρουν περισσότερες πληροφορίες για την ασφάλεια των φαρμάκων στην

πραγματική ζωή.

Ο σχεδιασμός κάθε δοκιμής πρέπει να πραγματοποιείται με βάση το εξής ερώτημα: «Ήταν αυτός ο καλύτερος τρόπος δράσης με βάση αυτές τις συνθήκες;»

Ο πληθυσμός των ασθενών που μελετήθηκε αντιστοιχεί σε αυτόν που με ενδιαφέρει;

Οι πληροφορίες από μια δοκιμή που διεξήχθη σε ενήλικες ηλικίας 18 έως 65 ετών μπορεί να μην είναι ιδιαίτερα σχετικές για πολύ ηλικιωμένους ασθενείς, ενώ είναι σχεδόν βέβαιο ότι θα είναι ανεπαρκείς ως οδηγός για τη θεραπεία βρεφών. Ομοίως, τα άτομα με σοβαρές ασθένειες ή πολύ προχωρημένο στάδιο νόσου μπορεί να ανταποκριθούν εντελώς διαφορετικά από τα άτομα με ηπιότερη πορεία ή σε πρώιμο στάδιο νόσου.

Πόσο σχετικά είναι τα καταληκτικά σημεία;

Ορισμένες ασθένειες και συμπτώματα είναι πιο εύκολο να μελετηθούν σε μια κλινική δοκιμή. Εάν ένα νέο φάρμακο για τον καρκίνο αυξάνει τη μέση επιβίωση κατά ένα έτος, δεν υπάρχει αμφιβολία ότι πρόκειται για σχετική μέτρηση. Ένα νέο παυσίπονο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία των ίδιων ασθενών θα είναι πολύ πιο δύσκολο να αξιολογηθεί, επειδή δεν υπάρχουν σαφείς «τυποποιημένες μονάδες πόνου». Για άλλη μια φορά, το μόνο που μπορεί να γίνει είναι να αμφισβητηθεί κατά πόσον η προσέγγιση που ακολουθήθηκε είναι κατάλληλη για τις περιστάσεις.

Ήταν τα αποτελέσματα του φαρμάκου

κλινικά πολύτιμα;

Γενικά, όσο μεγαλύτερη είναι η επίδραση του φαρμάκου, τόσο το καλύτερο. Όλα τα φάρμακα έχουν κόστος, τόσο σε χρήμα όσο και σε παρενέργειες. Στόχος είναι να βρεθεί το μεγαλύτερο δυνατό όφελος σε αντάλλαγμα για το εν λόγω κόστος. Αξίζει να θυμόμαστε, ωστόσο, ότι ένα αποτέλεσμα που είναι συνολικά μέτριο μπορεί να αποτελεί δραματική βελτίωση για ορισμένους ασθενείς και να μην έχει καμία επίδραση σε άλλους. Εάν η διεξαγωγή περαιτέρω έρευνας μπορεί να βοηθήσει στον εντοπισμό της υποομάδας που είναι πιθανό να έχει ιδιαίτερα καλό αποτέλεσμα, τότε το νέο φάρμακο μπορεί να έχει πολλά να προσφέρει σε αυτόν τον πληθυσμό-στόχο.

Πώς εντάσσονται τα αποτελέσματα των κλινικών δοκιμών στο μοτίβο των γνώσεων που έχουμε ήδη;

Είναι πολύ ασυνήθιστο μια κλινική δοκιμή να είναι η μοναδική πηγή διαθέσιμων πληροφοριών σε έναν συγκεκριμένο τομέα της ιατρικής. Όταν συμβαίνει αυτό, συνήθως αντιπροσωπεύει την πρώτη χρήση μιας ριζικά νέας προσέγγισης στη θεραπεία και το μόνο που μπορεί κανείς να κάνει είναι να σημειώσει με ενδιαφέρον τα αποτελέσματα και να περιμένει να δει αν οι επόμενες δοκιμές θα τα υποστηρίξουν. Είναι πολύ πιο συχνό φαινόμενο να έχουν διεξαχθεί προηγούμενες δοκιμές με το ίδιο φάρμακο ή με φάρμακο της ίδιας κατηγορίας για την ίδια ασθένεια ή για συναφείς ασθένειες. Τα αποτελέσματα των νέων κλινικών δοκιμών μπορούν, στη συνέχεια, να εξεταστούν υπό το πρίσμα των προηγούμενων γνώσεων. Τα ευρήματα που ταιριάζουν με όσα γνωρίζουμε ήδη είναι γενικά ευκολότερο να γίνουν αποδεκτά από εκείνα που έρχονται σε άμεση αντίθεση με προηγούμενα αποτελέσματα. Ωστόσο, είναι σημαντικό να είμαστε ανοιχτόμυαλοι.

Συνημμένα

A2-4.34.3-v1.2