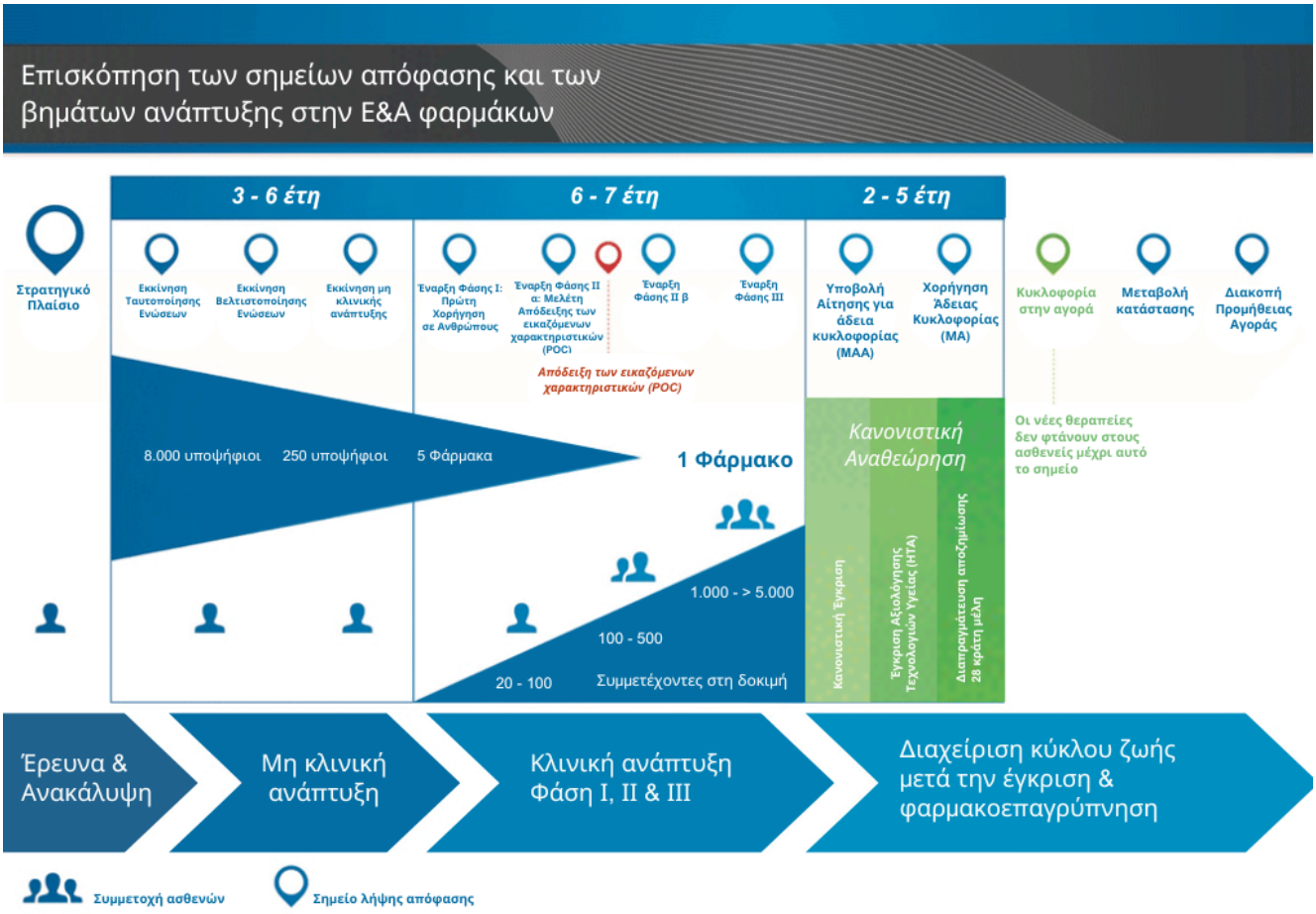
Η δημιουργία ενός φαρμάκου. Βήμα 8: Μελέτες επιβεβαίωσης

Εισαγωγή

Για τη διεξαγωγή όλης της απαραίτητης έρευνας και της ανάπτυξης προτού ένα νέο φάρμακο γίνει διαθέσιμο για χρήση από τους ασθενείς, απαιτούνται πάνω από 12 έτη και το μέσο κόστος ανέρχεται σε 1 δισεκατομμύριο ευρώ.

Η ανάπτυξη φαρμάκων είναι ένα εγχείρημα υψηλού κινδύνου. Η πλειονότητα των ουσιών (περίπου το 98%) που αναπτύσσονται δεν καταφέρνουν να κυκλοφορήσουν στην αγορά ως νέα φάρμακα. Αυτό οφείλεται κυρίως στο γεγονός ότι, όταν εξετάζονται τα οφέλη και οι κίνδυνοι (αρνητικές παρενέργειες) που εντοπίζονται κατά την ανάπτυξη, δεν αποτελούν βελτίωση σε σύγκριση με τα φάρμακα που διατίθενται ήδη στους ασθενείς.

Η ανάπτυξη ενός νέου φαρμάκου μπορεί να χωριστεί σε 10 διαφορετικά βήματα. Το ακόλουθο άρθρο καλύπτει το βήμα 8: Μελέτες επιβεβαίωσης.



Απαιτούνται πάνω από 10 χρόνια προσεκτικού σχεδιασμού και έρευνας για να περάσει ένα φάρμακο από το στάδιο του μορίου στο να γίνει εγκεκριμένη θεραπεία.

Βήμα 8: Ανάπτυξη για διάθεση: Κλινικές μελέτες φάσης ΙΙΙ – Μελέτες επιβεβαίωσης

Οι δοκιμές της φάσης ΙΙΙ (που αποκαλούνται επίσης μελέτες επιβεβαίωσης) είναι το μεγαλύτερο, πιο περίπλοκο και πιο δαπανηρό μέρος της ανάπτυξης ενός φαρμάκου. Στόχος τους είναι να επιβεβαιώσουν την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια της υποψήφιας ένωσης σε μεγάλο πληθυσμό ασθενών.

Η απόφαση για την μετάβαση σε δοκιμές φάσης ΙΙΙ λαμβάνεται μόνο εφόσον υποστηρίζεται από όλες τις πληροφορίες που

συγκεντρώθηκαν από προηγούμενες μελέτες, καθώς και από τις μονάδες παραγωγής και τις επιχειρηματικές μονάδες. Ο σχεδιασμός αυτών των δοκιμών είναι επίσης κρίσιμης σημασίας. Ως εκ τούτου, πριν από την έναρξη των δοκιμών φάσης ΙΙΙ, πραγματοποιείται μεγάλος αριθμός συζητήσεων με τους εξωτερικούς εμπειρογνώμονες, τις ρυθμιστικές αρχές, τις ομάδες ασθενών και άλλα μέρη. Έτσι διασφαλίζεται ότι τίθενται οι σωστές ερωτήσεις και ότι συλλέγονται οι κατάλληλες πληροφορίες. Ο αριθμός των ασθενών στη δοκιμή είναι επίσης πολύ σημαντικός, ώστε τα αποτελέσματα να μπορούν να ερμηνευθούν σωστά και να πληρούνται οι απαιτήσεις των ρυθμιστικών αρχών.

Όλες οι πληροφορίες που συγκεντρώνονται από τα προηγούμενα στάδια χρησιμοποιούνται για τη λήψη σημαντικών αποφάσεων, όπως:

- την τελική σύνθεση του φαρμάκου (πώς συνδυάζεται το δραστικό φάρμακο με άλλες χημικές ουσίες)
- τη δόση προς δοκιμή
- ποιοι ασθενείς μπορούν να λάβουν μέρος (κριτήρια συμμετοχής)
- ποιοι ασθενείς δεν μπορούν να λάβουν μέρος (κριτήρια αποκλεισμού)
- πόσοι ασθενείς απαιτούνται
- τον σχεδιασμό της μελέτης
- τη διάρκεια της μελέτης
- πώς θα μετρηθεί η αποτελεσματικότητα και η ασφάλεια
- τις στατιστικές δοκιμές που θα χρησιμοποιηθούν

Σε αυτό το στάδιο, οι δοκιμές μπορεί να συμπεριλαμβάνουν χιλιάδες ασθενείς. Ωστόσο, αυτό εξαρτάται από το τι προορίζεται να θεραπεύσει το φάρμακο (η «ένδειξη»). Για παράδειγμα, οι δοκιμές φάσης ΙΙΙ μπορεί να διεξάγονται σε μικρότερους πληθυσμούς, εάν η ένδειξη είναι μια ασυνήθης πάθηση.

Οι μελέτες της φάσης ΙΙΙ μπορεί να περιλαμβάνουν χιλιάδες

ασθενείς, διεξάγονται σε πολλές χώρες και απαιτούν τεράστια τεχνογνωσία προκειμένου να διεξαχθούν αποτελεσματικά. Επομένως, είναι πολύ δαπανηρές και χρονοβόρες. Ωστόσο, αυτός είναι ο μόνος τρόπος για να προκύψει μια σαφής εικόνα της σχέσης μεταξύ της αποτελεσματικότητας του φαρμάκου (αν λειτουργεί) και της ασφάλειάς του (αν είναι καλά ανεκτό), πράγμα που είναι πολύ σημαντικό.

Οι μελέτες φάσης III αποτελούν το μεγαλύτερο, πιο περίπλοκο και πιο δαπανηρό μέρος της διαδικασίας ανάπτυξης φαρμάκων. Πάνω από το 50% των φαρμάκων αποτυγχάνουν σε αυτό το βήμα. Συνολικά, το ποσοστό αποτυχίας των έργων που ξεκινούν στο στάδιο της ανακάλυψης υπερβαίνει το 97%. Τα έσοδα από τα λίγα φάρμακα που καταφέρνουν να κυκλοφορήσουν στην αγορά καλύπτουν το κόστος όλων των έργων, τόσο των αποτυχημένων όσο και των επιτυχημένων.

Παραπομπές:

1. Edwards, L., Fox, A., & Stonier, P. (Επιμέλεια). (2010). *Principles and practice of pharmaceutical medicine* (3η έκδοση). Οξφόρδη: Wiley-Blackwell.

Συνημμένα

A2-1.02.7-v1.1