

# Испытания 2 фазы

## Введение

Исследования 2-й фазы начинаются после успешного завершения 1-й фазы. Во время 2-й фазы исследуемый медицинский препарат оценивается на его эффективность (и безопасность). Исследования, которые проводятся во время 2-й фазы, обычно являются терапевтическими поисковыми исследованиями, в которых исследователи пытаются узнать, эффективен ли лекарственный препарат в лечении целевого заболевания или состояния. В случае неэффективности исследуемого медицинского препарата результаты исследований 2-й фазы обычно показывают, что действие препарата не соответствует ожиданиям, или он оказывает непредвиденное токсическое действие у пациентов.

## Ключевые вопросы для исследований 2-й фазы

- Является ли лекарственный препарат безопасным для пациентов? (безопасность)
- Какое влияние оказывает медицинский препарат на организм? (фармакодинамика (ФД))
- Является ли лекарственный препарат, по всей видимости, действенным у пациентов? В какой/каких дозе/дозах? (действие)
- Как следует планировать проведение подтверждающих исследований? (конечные точки, целевая популяция, другие принимаемые (сопутствующие) лекарственные препараты и т. д.)

## Описание исследований 2-й фазы

### Участники

Исследования 2-й фазы проводятся в больших группах участников (обычно примерно по 100-500 человек). Зачастую группа лечения включает больше 30 участников. Обычно участники выбираются согласно строгим критериям включения, это значит, что исследуемая популяция является относительно однородной. Однородная исследуемая популяция помогает интерпретировать результаты исследования.

### **Продолжительность**

Продолжительность исследований 2-й фазы обычно достаточно короткая, всего несколько недель или месяцев.

## **Изучение терапевтической эффективности: Исследования для проверки правильности концепции**

Исследования 2-й фазы должны показать, что исследуемый медицинский препарат эффективен в лечении целевого показания в конкретной популяции пациентов. Это называется «проверка правильности концепции». Исследования для проверки правильности концепции должны четко показать клиническое улучшение, чтобы можно было определить наличие активности препарата или ответа на лечение. Исходы и результаты этих исследований учитываются при принятии решения о прекращении разработки/переходе к разработке 3-й фазы лекарственного препарата.

## **Оценка уровней и схем дозирования: Исследования влияния величины дозы на эффективность**

В исследованиях 2-й фазы также должен осуществляться сбор информации об оптимальных уровнях и схемах дозирования. Правильность концепции обычно проверяется при применении

препарата в максимальной переносимой дозе (МПД) для минимизации получения ложно-отрицательных результатов, проведения оптимальной проверки гипотезы и увеличения фармакодинамического (ФД) эффекта до максимума.

Исследования влияния величины дозы на эффективность ориентированы, чтобы:

- найти минимальную эффективную дозу
  - наименьшую дозу, при которой наблюдается действие препарата;
- найти оптимальную дозу
  - дозу, при которой наблюдается оптимальное (желаемое) действие препарата;
  - снизить риск МПД, который не переносится.

Как правило в исследованиях влияния величины дозы на эффективность препарата используется рандомизированный дизайн в параллельных группах с изучением трех или больше уровней дозирования препарата, один из которых может быть нулевым (плацебо).

Данные по влиянию величины дозы на эффективность имеют важное значение и должны собираться не только в официальных исследованиях влияния величины дозы на эффективность препарата, но и из всех других возможных источников во время проведения предыдущих исследований исследуемого медицинского препарата.

A2-5.03.3-V1.1