Оценка значимости результатов клинических испытаний

Введение

Клинические испытания бывают разными по значимости. Определяя, насколько значимыми являются результаты клинического испытания, необходимо ответить на несколько ключевых вопросов:

Насколько хорошо составлен дизайн испытания?

Одного-единственного правильного дизайна для клинических испытаний не существует. Вопрос скорее заключается в том, был ли использованный дизайн подходящим в данных обстоятельствах. Хотя широкомасштабные испытания в целом дают более достоверные результаты, чем небольшие испытания, к этому нужно относиться с известной долей здравого смысла. Например, в испытании, связанном с редким наследственным дефицитом фермента, невозможно задействовать 5000 пациентов, как это часто бывает при проведении испытаний с медицинскими препаратами от инфарктов. Еще один похожий пример – период последующего сопровождения в виде нескольких недель идеально подходит для испытания, связанного с воспалением легких, но абсолютно нецелесообразен при испытаниях препарата для контрацепции. Контрольные группы по плацебо, будучи очень полезны для истолкования результатов, очевидно являются неэтичным методом в определенных ситуациях (например, в случае со смертельно опасными заболеваниями, для которых существуют эффективные методы лечения). Хотя сравнительные испытания – это оптимальный способ оценки результативности, более масштабные и длительные открытые испытания дают возможность больше узнать о безопасности медицинского препарата в действительности.

При создании дизайна любого испытания необходимо начинать со следующего вопроса: «Было ли это лучшим способом действия в данных обстоятельствах?»

Соответствует ли исследуемая группа пациентов той группе населения, в которой я заинтересован?

Информация, полученная в испытании с участием взрослых людей в возрасте от 18 до 65 лет, может иметь отдаленное значение для очень пожилых пациентов и почти наверняка не подойдет для рекомендаций по лечению младенцев. Люди с тяжелыми заболеваниями или болезнями в запущенной форме могут демонстрировать совсем иную реакцию на препарат, чем люди с менее тяжелыми болезнями или на более ранних стадиях заболевания.

Насколько релевантны конечные точки?

Одни заболевания и симптомы легче, чем другие, поддаются исследованию в ходе клинического испытания. Если новый препарат для лечения рака увеличивает продолжительность жизни в среднем на год, это, несомненно, является релевантным параметром измерения. Новый обезболивающий препарат для лечения тех же пациентов будет еще сложнее оценить, поскольку четких «стандартных единиц боли» не существует. И опять же, все, что можно сделать – это задаться вопросом, насколько используемый подход является подходящим при имеющихся обстоятельствах.

Имел ли эффект от использования

медицинского препарата ценность с клинической точки зрения?

В целом, чем больший эффект оказывает медицинский препарат, тем лучше. Любой медицинский препарат подразумевает издержки как с точки зрения денег, так и с точки зрения побочных эффектов. Главная задача – обнаружить самое большое возможное преимущество, которое превосходит издержки. При этом необходимо помнить, что усредненный скромный результат может состоять из резкого улучшения состояния у одних пациентов и отсутствия изменений у других. Если дальнейшие исследования способствуют определению подгруппы, которая продемонстрирует особенно хорошие результаты, этот новый медицинский препарат имеет хорошие перспективы по использованию в целевой группе.

Как результаты клинического испытания встраиваются в уже имеющуюся систему знаний?

Для клинического испытания крайне нетипично оказаться единственным источником информации в конкретной области медицины. Когда такое действительно случается, обычно речь идет о первом случае применения радикально нового подхода к лечению. Все, что можно сделать в таком случае – зафиксировать результат и ожидать, подтвердят ли его последующие испытания. Гораздо чаще встречается ситуация, при которой до этого уже проводились испытания того же медицинского препарата или препарата того же класса при лечении той же болезни или связанных заболеваний. В таком случае результаты клинического испытания можно рассматривать в свете уже имеющейся системы знаний. Результаты, которые хорошо сочетаются с уже имеющимися данными, обычно воспринимаются гораздо легче по сравнению с теми, которые идут принципиально вразрез с предыдущими результатами. Тем не менее, необходимо сохранять непредвзятое отношение.

A2-4.34.3-v1.2