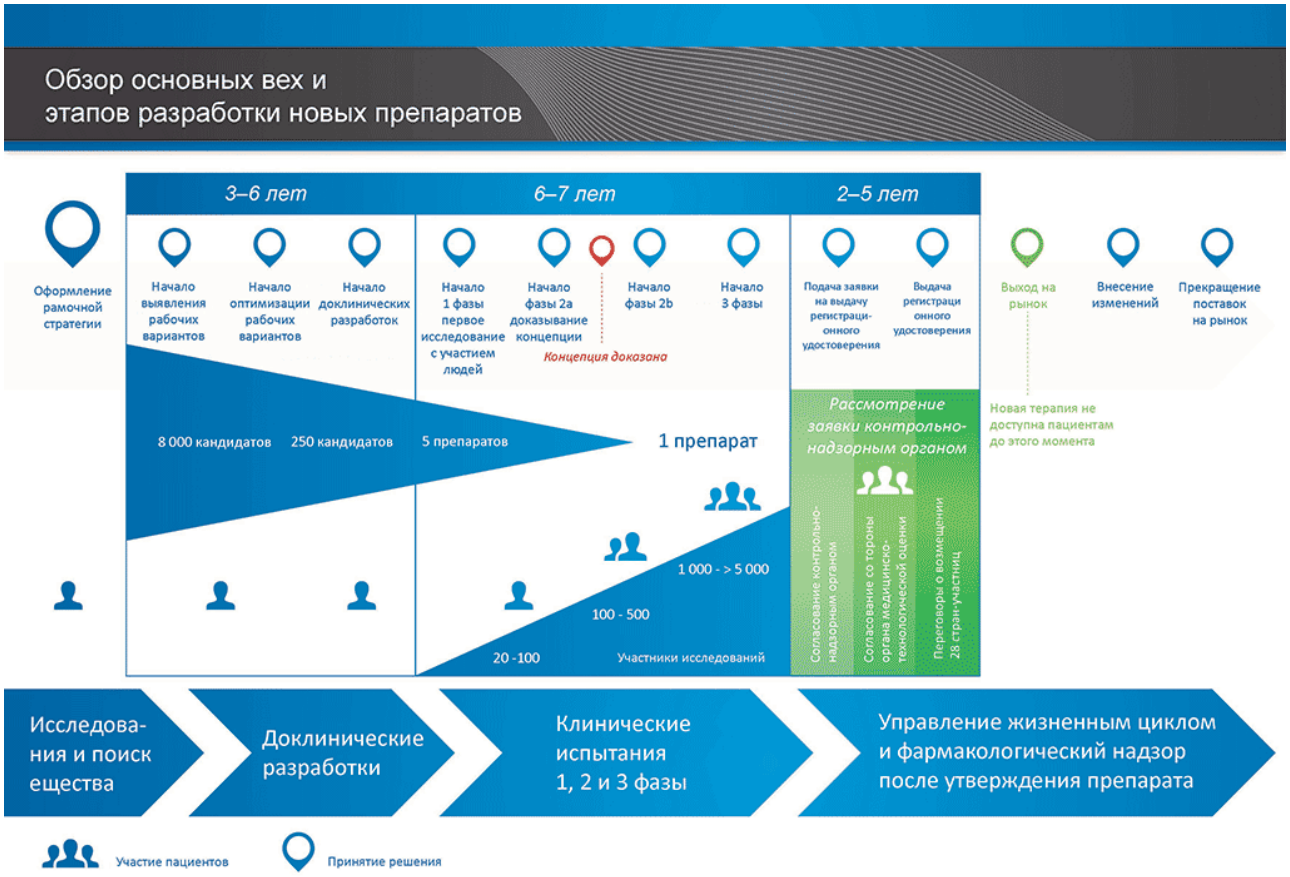
Создание лекарственных препаратов Шаг 7: Фаза 2 — Проверка правильности концепции

Введение

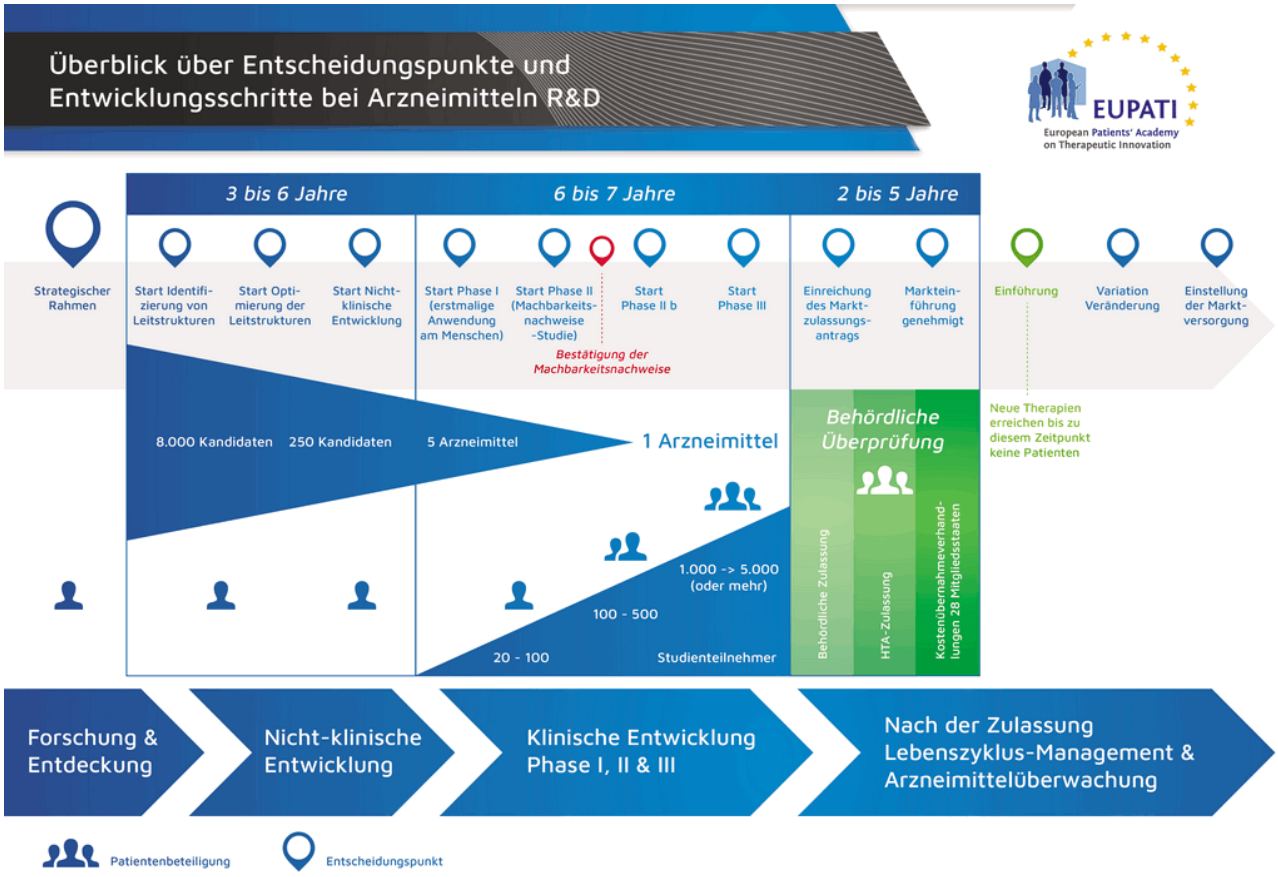
В среднем на все исследования и разработки, необходимые для того, чтобы новый лекарственный препарат был доступен для пациентов, уходит более 12 лет и более 1 миллиарда евро.

Разработка лекарственных препаратов — это рисковый бизнес. Большинство разрабатываемых соединений (около 98 %) так и не выходят на рынок. Так происходит потому, что при оценке преимуществ и рисков (негативных побочных эффектов), обнаруживаемых в ходе разработки, сложно сравнивать их с уже имеющимися на рынке препаратами.

Процесс разработки нового лекарственного препарата можно представить в 10 шагах. Следующая статья описывает 7-й шаг. Проверка правильности концепции — клинические исследования 2 фазы



С момента создания молекулы до момента начала продажи медицинского препарата проходит больше 10 лет, необходимых для тщательнейшего планирования и исследований.



Es benötigt mehr als 10 Jahre sorgfältiger Planung und Forschung, bis ein Arzneimittel sich vom Molekül zur marktfähigen Behandlung entwickelt hat.

Шаг 7: Проверка правильности концепции – клинические исследования 2 фазы

Исследования на пациентах. После того, как результаты исследований с участием волонтеров показали, что испытания можно продолжать далее, начинаются клинические исследования с участием пациентов с заболеванием, для которого предназначен препарат. При этом применяются те же правила и нормы, что при исследованиях 1 фазы.

В исследованиях 2 и 3 фазы обычно задействованы две группы участников. В одной группе участники получают активное вещество, а в другой – оптимальное известное на текущий момент

лечение или неактивное вещество, которое не оказывает никакого влияния на организм («плацебо»). Обычно эти исследования проводятся как «двойные слепые», «рандомизированные» исследования.

- **«Двойное слепое»** исследование означает, что ни врач, ни участник исследования не знают, кто получает активное вещество, а кто – оптимальное на текущий момент лечение или плацебо.
- **«Рандомизированное»** исследование означает, что распределение участников между группами лечения производится случайным образом. Обычно это делается с помощью компьютера, генерирующего случайные коды. Ни врач, ни кто-либо еще не могут повлиять на этот процесс.
- **«Плацебо-контролируемое»** исследование означает, что некоторые участники будут получать плацебо в таких же условиях, что и участники, получающие активное вещество. Это позволяет распознать эффекты препарата. Например, если участник исследования жалуется на головную боль, важно знать, имеет ли это связь с активным веществом. Если в группе плацебо такое же количество участников жалуются на головную боль, то она не может быть вызвана лишь активным веществом.

Все подробности исследования закрепляются в протоколе исследования, а данные фиксируются в индивидуальной регистрационной карте (CRF). Затем результаты оцениваются с использованием статистического анализа.

Эти исследования обычно проводятся с участием 100–500 пациентов. Цель – получить информацию об эффекте препарата непосредственно на заболевание («проверка правильности концепции»). Также именно на этом этапе используются различные дозы препарата с тем, чтобы понять, какая из доз подходит больше всего. Самая удачная доза затем используется на следующем этапе в рамках более масштабных клинических исследований.

Чем больше на этом этапе удается узнать о воздействии препарата на пациентов, тем проще принять решение, стоит ли продолжать исследования. Однако, масштаб исследований 2 фазы слишком мал, чтобы дать достаточный объем сведений об эффективности и безопасности. В этой связи очень важно обнаружить как можно больше данных о действии лекарственного препарата на организм пациентов во избежание рисков неудачи на следующем этапе (в 3 фазе, когда проводится разработка с целью выхода на рынок), который является самым сложным и дорогостоящим в процессе разработки препарата.

Так как исследования 2 фазы проводятся с участием пациентов, эти исследования обычно выполняются в нескольких больничных учреждениях врачами (исследователями), в то время как исследования 1 фазы выполняются в специальных отделениях.

Проводить исследование одновременно в нескольких центрах сложнее, чем в одном центре:

- Все исследователи и медицинский персонал должны быть обучены согласно утвержденному протоколу, благодаря чему исследование проводится аналогичным образом во всех центрах.
- Препарат необходимо экспортировать в различные страны и обеспечить его надлежащее хранение в различных аптечных учреждениях.
- Образцы крови, взятые у участников клинического исследования, обычно отправляются в единую центральную лабораторию.
- Необходимо понимать и выполнять все местные нормы и правила.
- В каждой стране обычно необходимо заключение комитета по этике и согласование со стороны национального компетентного органа.

Все эти действия должна координировать международная команда исследователей.

Резюме: Шаги 1-7

По состоянию на конец исследований 2 фазы программа разработки обычно потребует

- в среднем 8,5 лет **и**
- в среднем 1 миллиард евро.

Из десяти препаратов, испытанных в исследованиях 1 и 2 фазы, только два (в среднем) препарата перейдут на следующий этап.

Справочная литература

1. Edwards, L., Fox, A., & Stonier, P. (Eds.). (2010). *Principles and practice of pharmaceutical medicine* (3rd ed.). Oxford: Wiley-Blackwell.

Приложения

- Информационный бюллетень Проверка правильности концепции
  Size: 98,527 bytes, Format: .docx
  В этом информационном бюллетене описываются клинические исследования 2 фазы, или исследования с целью доказательства механизма действия. Такие исследования проводятся на небольшом количестве пациентов с определенным заболеванием для того, чтобы удостовериться, что исследуемое вещество подействует на это заболевание.