

# Badania fazy II

## Wprowadzenie

Badania fazy II rozpoczynają się po udanym zakończeniu Fazy I. W trakcie Fazy II badany produkt leczniczy jest testowany pod kątem skuteczności (i bezpieczeństwa). Badanie prowadzone w trakcie Fazy II to zazwyczaj terapeutyczne badania rozpoznawcze, których celem jest odkrycie, czy lek odpowiada zamierzonej chorobie lub stanowi. Jeśli badany produkt leczniczy nie przechodzi badań, zazwyczaj jest to spowodowane faktem, że w Badaniach Fazy II nie działa on w oczekiwany sposób lub ma nieprzewidziane skutki toksyczne u pacjentów.

## Kluczowe pytania badań Fazy II.

- Czy lek jest bezpieczny dla pacjentów? (Bezpieczeństwo stosowania)
- Jak lek działa w organizmie? (Farmakodynamika (PD))
- Czy lek wydaje się skuteczny u pacjentów? W jakiej dawce/dawkach? (Działanie)
- Jak powinny być zaprojektowane badania potwierdzające? (Punkty końcowe, populacja docelowa, inne przyjmowane leki (towarzyszące) itd.)

## Charakterystyka badań Fazy II

### Uczestnicy

Badania Fazy II są wykonywane na dużych grupach uczestników (zazwyczaj około 100–500 uczestników). W grupie badanej często jest więcej niż 30 uczestników. Uczestnicy wybierani są zazwyczaj przy zastosowaniu surowych kryteriów włączenia, co oznacza, że badana populacja jest stosunkowo jednolita. Jednolite populacje pomagają w interpretacji wyników badań.

## **Czas trwania**

Badania Fazy II są zazwyczaj dość krótkie i trwają zaledwie kilka tygodni lub miesięcy.

## **Badania skuteczności terapeutycznej. Badania dowodu koncepcji (Proof of Concept – POC)**

Badania Fazy II muszą dowodzić, że badany produkt leczniczy ma zamierzone wskazania w określonej populacji pacjentów. Nazywa się to „Dowodem koncepcji” (Proof of Concept – POC) Badania dowodu koncepcji muszą pokazywać wyraźną poprawę, co umożliwi określenie istnienia działania lub „reakcji”. Wyniki i rezultaty tych badań są brane pod uwagę przy decyzji dotyczącej przejścia / zablokowania przejścia do Fazy III opracowywania leku.

## **Określanie poziomów oraz harmonogramów dawkowania. Badania relacji dawka-reakcja**

Badania Fazy II muszą również gromadzić informacje na temat najlepszych poziomów i harmonogramów dawkowania. Dowód koncepcji jest zazwyczaj badany przy maksymalnej dawce tolerowanej (MTD) w celu zminimalizowania fałszywych negatywnych wyników, zapewnienia najlepszego testu hipotezy i zmaksymalizowania działania farmakodynamicznego (pharmacodynamic – PD).

Badania relacji dawka-reakcja mają za zadanie:

- Odkrycie minimalnej dawki skutecznej
  - Najmniejsza dawka, przy której obserwowane jest działanie

- Odkrycie dawki optymalnej
  - Dawka, przy której obserwowane jest optymalne działanie
  - Złagodzenie ryzyka wystąpienia braku tolerancji dla MTD

Badania relacji dawka-reakcja zazwyczaj korzystają z badań losowej grupy równoległej przy trzech lub więcej poziomach dawkowania, z których jeden może wynosić zero (placebo).

Dane dotyczące relacji dawka-reakcja są ważne i muszą być gromadzone nie tylko na bazie formalnych badań relacji dawka-reakcja, lecz również na podstawie innych możliwych źródeł w trakcie poprzednich badań badanego produktu leczniczego.

A2-5.03.3-V1.1