

Crearea unui medicament. Etapa 7: Faza II – Validarea conceptului

Introducere

Pentru ca un nou medicament să devină disponibil pentru pacienți, este nevoie, în medie, de 12 ani și de o investiție de peste 1 miliard de Euro pentru activitățile de cercetare și dezvoltare.

Dezvoltarea medicamentelor este o întreprindere riscantă. Majoritatea (cca 98%) substanțelor dezvoltate nu ajung pe piață ca medicamente noi. Principala cauză este aceea că analiza beneficiilor și riscurilor (efectele secundare negative) descoperite în timpul dezvoltării unui medicament nou va indica faptul că acesta este inferior medicamentelor aflate deja la dispoziția pacienților.

Dezvoltarea unui medicament nou poate fi împărțită în 10 etape. Articolul de mai jos abordează Etapa 7: Validarea conceptului – Studiile clinice din Faza II.

Etapa 7: Validarea conceptului – Studiile clinice din Faza II

Studiile asupra pacienților. Odată ce rezultatele studiului pe voluntari arată că o continuare a procesului prezintă siguranță, următorul pas constă în începerea studiilor clinice pe pacienți care suferă de boala tratată. Acestor studii li se aplică aceleași criterii și reglementări ca și studiilor din Faza I.

În studiile din Fazele II și III, există, în mod normal, două grupuri de tratament. Un grup primește medicamentul activ, iar celălalt primește cel mai eficient tratament existent sau un medicament fals, care nu are niciun efect asupra corpului (cunoscut sub numele de „placebo”). Aceste studii se desfășoară, în mod normal, în regim randomizat dublu-orb.

- **„Dublu-orb”** înseamnă că nici medicul, nici participantul nu știu cine primește medicamentul activ și cine primește cel mai eficient tratament existent sau placebo.
- **„Randomizat”** înseamnă că membrii grupurilor de tratament sunt selectați aleatoriu. Acest lucru este realizat, în mod normal, cu ajutorul unui computer care generează un cod aleatoriu. Acesta nu poate fi influențat de către medic sau oricine altcineva.
- **„Controlat cu placebo”** înseamnă că unii dintre participanți vor primi placebo, administrat în exact aceleași condiții ca și medicamentul activ. Acest lucru permite identificarea efectelor cauzate de medicament. De exemplu, dacă un participant la un studiu acuză dureri de cap, este important de știut dacă acest lucru este legat de medicamentul activ. Dacă același număr de participanți care primesc placebo acuză dureri de cap, acest lucru arată că durerile respective nu pot fi cauzate numai de medicamentul activ.

Toate detaliile studiului sunt descrise în Protocolul studiului, iar informațiile sunt colectate în Formularul de observații clinice (FOC). Rezultatele sunt apoi analizate prin intermediul unor teste statistice.

Aceste studii sunt efectuate, în mod normal, asupra unui număr de 100 până la 500 de pacienți. Studiile sunt concepute astfel încât să ofere informații privind efectul unui medicament asupra bolii respective („validarea conceptului”). De asemenea, în această etapă se utilizează doze diferite de medicament, pentru a se determina doza optimă. Această doză

este apoi utilizată pentru următoarea fază a studiilor clinice mai mari.

Cu cât se obțin mai multe informații despre efectul asupra pacienților în această etapă, cu atât se va decide mai ușor dacă dezvoltarea compusului candidat trebuie să continue. Studiile din Faza II sunt, însă, prea mici pentru a putea oferi suficiente informații privind eficacitatea și siguranța. Prin urmare, este importantă acumularea unui volum cât mai mare de informații privind efectele medicamentului asupra pacienților pentru a se reduce riscul de eșec în etapa următoare (Faza III sau Dezvoltarea în vederea punerii pe piață), care este cea mai complexă și mai costisitoare fază a dezvoltării.

Deoarece studiile din Faza II sunt efectuate asupra pacienților, acestea se desfășoară, în mod normal, în mai multe spitale și sunt realizate de către medici din aceste spitale – numiți investigatori – spre deosebire de studiile din Faza I, efectuate, în mod normal, în unități speciale.

Efectuarea simultană a studiilor în mai multe centre este mai complexă decât desfășurarea acestora într-un singur centru:

- Toți investigatorii și asistenții medicali din cadrul studiului trebuie instruiți pe baza unui protocol stabilit, astfel încât studiul să se desfășoare în exact același mod în toate centrele.
- Medicamentul trebuie exportat în diferite țări și depozitat corespunzător în diferite farmacii.
- Probele de sânge colectate de la pacienții din cadrul studiului clinic sunt trimise, în mod normal, la un singur laborator central.
- Trebuie înțelese și respectate toate regulile și reglementările aplicabile în fiecare dintre țările implicate.
- În mod normal, în fiecare țară sunt necesare opinia Comitetului de Etică și aprobarea Autorității naționale

competente (ANC).

Toate aceste activități trebuie coordonate de către echipa globală a studiului.

Rezumat: Etapele 1–7

La sfârșitul studiilor din Faza II, programul va fi:

- durat, în medie, 8,5 ani și
- va fi costat, în medie, 1 miliard de Euro.

Din fiecare 10 medicamente testate în Fazele I și II, numai două (în medie) vor continua cu faza următoare.

Referințe

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

Atașamente

- **Präsentation: Die grundlegenden Prinzipien der Arzneimittelerntdeckung und -entwicklung**
Size: 945,895 bytes, Format: .pptx
Die grundlegenden Prinzipien der Arzneimittelerntdeckung und -entwicklung. Es dauert über 12 Jahre und kostet mehr als eine Milliarde Euro, all die Forschungs- und Entwicklungsarbeiten durchzuführen, die erforderlich sind, bis ein neues Arzneimittel für die Behandlung von Patienten zur Verfügung steht. Diese Präsentation stellt die Details des Prozesses von der Entdeckung bis zur Markteinführung eines neuen Arzneimittels und darüber hinaus vor.

A2-1.02.6-v1.1