Crearea unui medicament. Etapa 8: Studiile de confirmare

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 8: Studiile de confirmare.

Etapa 8: Dezvoltarea în vederea punerii pe piață: Studiile clinice de Fază III – Studiile de confirmare

Studiile de Fază III (numite și studii de confirmare) reprezintă cea mai mare, mai complexă și mai costisitoare parte a procesului de dezvoltare a unui medicament. Scopul

acestora este de a confirma eficacitatea și siguranța compusului candidat pe o populație mare de pacienți.

Decizia de a trece la studiile de Fază III este luată numai dacă este susținută de toate informațiile din studiile anterioare, precum și de departamentele de producție și afaceri. Structura acestor studii este deosebit de importantă. Prin urmare, înainte de începerea studiilor de Fază III, au loc discuții pe larg cu experți externi, autoritățile de reglementare, grupurile de pacienți și alte părți interesate. Acest lucru asigură punerea în discuție a întrebărilor corecte și colectarea informațiilor necesare. Numărul de pacienți din cadrul studiului este, de asemenea, foarte important pentru interpretarea corectă a rezultatelor și satisfacerea cerințelor autorităților de reglementare.

Toate informațiile colectate în etapele anterioare sunt utilizate pentru adoptarea deciziilor importante precum:

- formula finală a medicamentului (modul în care substanța activă este combinată cu alte substanțe chimice),
- doza care va fi testată,
- pacienții care pot fi recrutați (criteriile de includere),
- pacienții care nu pot fi recrutați (criteriile de excludere),
- numărul necesar al pacienților,
- structura studiului,
- durata studiului,
- modul de măsurare a eficacității și siguranței,
- testele statistice care vor fi utilizate.

În această etapă, studiile pot implica mii de pacienți. Acest lucru depinde, însă, de boala pe care o tratează medicamentul („indicația”). De exemplu, studiile de Fază III pot fi efectuate pe populații mai restrânse dacă indicația constă într-o boală rară.

Studiile de Fază III pot implica mii de pacienți, sunt efectuate în numeroase țări și necesită un nivel enorm de experiență și competență pentru a se desfășura în mod eficient. Acestea sunt, prin urmare, foarte costisitoare atât în termeni financiari, cât și în termeni de timp. Acesta este, însă, singurul mod de a produce o imagine clară a raportului dintre eficacitatea medicamentului (dacă funcționează) și siguranța acestuia (dacă este bine tolerat), ceea ce este foarte important.

Studiile de Fază III reprezintă cea mai mare, mai complexă și mai costisitoare parte a procesului de dezvoltare a unui medicament. Peste 50% dintre medicamente eșuează în această etapă. Rata generală de eșec a proiectelor care încep din etapa de descoperire este de peste 97%. Veniturile obținute de pe urma celor câteva medicamente care ajung pe piață acoperă costurile tuturor proiectelor – atât ale celor reușite, cât și ale eșecurilor.

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 Arzneimittelentdeckung und -entwicklung
  Size: 945,895 bytes, Format: .pptx
  Die grundlegenden Prinzipien der Arzneimittelentdeckung 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.

A2-1.02.7-v1.1