

Criar um medicamento. Fase 8: Estudos confirmatórios

Introdução

Demora mais de 12 anos e custa, em média, mais de mil milhões de Euros para realizar toda a investigação e desenvolvimento necessária antes de um novo medicamento está disponível para utilização pelos doentes.

O desenvolvimento de medicamentos é um empreendimento de alto risco. A maioria das substâncias (cerca de 98 %) em desenvolvimento não chegam nunca ao mercado sob a forma de novos medicamentos. Isto é principalmente devido ao fato de que quando se analisam os benefícios e riscos (efeitos secundários negativos) obtidos durante o desenvolvimento, estes não são bem comparados com os medicamentos que já se encontram disponíveis para os doentes.

O desenvolvimento de um novo medicamento pode dividir-se em 10 fases diferentes. O artigo seguinte descreve a Fase 8: Estudos confirmatórios.

Fase 8: Desenvolvimento para o lançamento: Estudos clínicos de Fase III – Estudos confirmatórios

Os ensaios de Fase III (também denominados de estudos confirmatórios) constituem a parte mais longa, mais complicada e mais cara do desenvolvimento de um medicamento. O objetivo é confirmar a eficácia e a segurança do composto candidato numa grande população de doentes.

A decisão de avançar para ensaios de Fase III apenas é tomada se for suportada por toda a informação dos estudos anteriores, assim como das unidades de fabrico e comerciais. O desenho destes ensaios também é de fundamental importância. Como tal, antes do início dos ensaios de Fase III, são realizadas muitas reuniões para discutir a questão com especialistas externos, autoridades regulamentares, grupos de doentes e outros. Desta forma garante-se que estão a ser feitas as perguntas corretas e que se está a recolher a informação adequada. O número de doentes a incluir no ensaio também é muito importante de modo a permitir interpretar devidamente os resultados e cumprir os requisitos das autoridades regulamentares.

Toda a informação recolhida nas fases anteriores é utilizada para tomar decisões importantes como:

- a formulação final do medicamento (como a substância ativa é combinada com outras substâncias químicas);
- a dose a testar
- que doentes podem ser incluídos (critérios de inclusão)
- que doentes não podem ser incluídos (critérios de exclusão)
- o número de doentes necessário
- o desenho do estudo
- a duração do estudo
- a forma como a eficácia e a segurança serão medidas
- os testes estatísticos que serão utilizados

Nesta fase, os ensaios podem incluir milhares de doentes. No entanto, isto dependerá do que é que se pretende tratar com o medicamento (a "indicação"). Por exemplo, os ensaios de Fase III podem ser realizados com populações mais pequenas se a indicação for uma doença pouco frequente.

Os estudos de Fase III podem incluir milhares de doentes, são realizados em muitos países e requerem uma grande experiência para serem realizados de forma eficaz. Como tal, são muito caros e demoram muito tempo. No entanto, é a única forma de

obter uma imagem clara da relação entre a eficácia do medicamento (se funciona) e a sua segurança (se é bem tolerado), o que é muito importante.

Os ensaios de Fase III constituem a parte mais longa, mais complicada e mais cara do processo de desenvolvimento de um medicamento. Mais de 50% dos medicamentos não superam esta fase. De um modo geral, a taxa de insucesso dos projetos, desde a fase de descoberta, é superior a 97 %. O retorno gerado pelos escassos medicamentos que conseguem chegar ao mercado cobrirão os custos de todos os projetos, tanto dos que foram concluídos com êxito como dos que fracassaram.

Referências

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

Anexos

A2-1.02.7-v1.1