

Framställa ett läkemedel. Steg 8: Bekräftande studier

Inledning

Det tar över 12 år och kostar i genomsnitt över 1 miljard euro att genomföra all nödvändig forskning och utveckling innan ett nytt läkemedel är tillgängligt för användning av patienter.

Läkemedelsutveckling är ett högriskprojekt. Majoriteten av de substanser (omkring 98 procent) som utvecklas lyckas inte nå marknaden som nya läkemedel. Detta beror främst på att granskningen av nyttan och riskerna (negativa biverkningar) som upptäcks under utvecklingen medför att de inte kan konkurrera med de läkemedel som redan finns tillgängliga för patienter.

Utvecklingen av ett nytt läkemedel kan delas in i tio olika steg. Följande artikel behandlar steg 8: Bekräftande studier.

Steg 8: Utveckling för lansering: Kliniska fas III-studier – bekräftande studier

Fas III-prövningar (kallas även bekräftande studier) är den största, mest komplicerade och mest kostsamma delen av utvecklingen av ett läkemedel. De syftar till att bekräfta effekten och säkerheten för kandidatföreningen i en stor patientpopulation.

Ett beslut om att fortsätta till fas III-prövningar fattas

bara om det stöds av all information från tidigare studier samt av tillverknings- och affärsenheterna. Utformningen av sådana prövningar är också mycket avgörande. Därför förs många diskussioner med externa experter, tillsynsmyndigheter, patientgrupper och andra innan fas III-prövningar påbörjas. Detta säkerställer att rätt frågor ställs och att rätt information samlas in. Antalet patienter i prövningen är också mycket viktigt så att resultaten kan tolkas korrekt och uppfyller kraven från tillsynsmyndigheterna.

All information som samlats in från tidigare stadier används för att fatta viktiga beslut, bland annat

- läkemedlets slutliga formulering (hur det aktiva läkemedlet kombineras med andra kemiska substanser)
- dosen som ska testas
- vilka patienter som får rekryteras (inklusionskriterier)
- vilka patienter som inte får ingå (exklusionskriterier)
- hur många patienter som krävs
- studiens utformning
- studiens längd
- hur effekt och säkerhet ska mätas
- vilka statistiska test som ska användas.

I det här stadiet kan prövningarna innefatta tusentals patienter. Detta beror dock på vad läkemedlet är avsett att behandla (indikationen). Fas III-prövningar kan till exempel utföras i mindre populationer om indikationen är en mindre vanlig sjukdom.

Fas III-studier kan innefatta tusentals patienter, genomförs i många länder och kräver väldigt mycket expertis för att kunna genomföras på ett effektivt sätt. De är därför mycket dyra och tidskrävande. Detta är dock det enda sättet att skapa en tydlig bild av förhållandet mellan läkemedlets effekt (om det fungerar) och säkerhet (om det tolereras väl), vilket är mycket viktigt.

Fas III-studier utgör den största, mest komplicerade och mest kostsamma delen av läkemedelsutvecklingsprocessen. Över 50 procent av läkemedlen misslyckas i det här steget. Totalt är misslyckandefrekvensen för projekt som startar i upptäcktsstadiet över 97 procent. Intäkterna från de få läkemedel som når marknaden täcker kostnaderna för alla projekt, både misslyckade och lyckade.

Referenser

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

Bilagor

A2-1.02.7-v1.1