

# Ocena wartości wyników badania klinicznego

## Wprowadzenie

Nie wszystkie badania kliniczne przeprowadza się w taki sam sposób. W trakcie podejmowania decyzji, jaką wagę nadać wynikom badania klinicznego, warto rozpatrzyć kilka kluczowych zagadnień.

## Jak dobrze badanie zostało zaprojektowane?

Nie ma jednego projektu, który pasuje do wszystkich badań klinicznych. Jest to bardziej kwestia tego, czy projekt badania odpowiada okolicznościom. Choć szeroko zakrojone badania są na ogół bardziej miarodajne niż te o mniejszym zakresie, oceny tego należy dokonywać zgodnie z zasadami zdrowego rozsądku. Na przykład badanie rzadkiego wrodzonego niedoboru aktywności enzymu nigdy nie obejmie 5000 pacjentów, w przeciwieństwie do często przeprowadzanych badań leczenia zawału serca. Podobnie, okres obserwacji po leczeniu trwający kilka tygodni jest całkowicie wystarczający w przypadku badań dotyczących zapalenia płuc, nie sprawdzi się jednak w przypadku badań leku antykoncepcyjnego. Stosowanie grupy placebo, bardzo pomocne w interpretacji wyników, w niektórych sytuacjach jest nieetyczne (np. badania chorób zagrażającym życiu, których skuteczne leczenie jest znane). Badania porównawcze są najlepszym sposobem oceny skuteczności, jednak szerzej zakrojone i dłużej trwające badania otwarte dają lepsze możliwości zbadania bezpieczeństwa leku w życiu codziennym.

Projekt każdego badania należy traktować z uwzględnieniem

kilku aspektów. „Czy był to najlepszy sposób wykonania badania w danych okolicznościach?”

## **Czy badana populacja pacjentów odpowiada tej, która mnie interesuje?**

Informacja pochodząca z badania przeprowadzonego wśród dorosłych w wieku od 18 do 65 lat może mieć ograniczone znaczenie dla pacjentów w bardzo podeszłym wieku i z pewnością nie będzie można jej wykorzystać do leczenia małych dzieci. Podobna sytuacja ma miejsce, gdy rozpatrujemy osoby z ostrym przebiegiem lub wysokim stopniem zaawansowania choroby, które mogą reagować inaczej niż osoby z łagodniejszymi objawami lub chorobą we wcześniejszym stadium.

## **Jakie znaczenie mają punkty końcowe?**

Niektóre choroby i objawy nadają się lepiej niż inne do prowadzenia badań klinicznych. Jeśli nowy lek przeciwnowotworowy zwiększa średnie przeżycie o rok, z całą pewnością jest to właściwy pomiar. Działanie nowego leku przeciwbólowego, którym leczeni są pacjenci, będzie trudniej ocenić, ponieważ nie ma jasno ustalonej standardowej skali bólu. Można jedynie ponownie sprawdzić, czy podejście jest odpowiednie do zaistniałych okoliczności.

## **Czy działanie leku ma wartość kliniczną?**

Im efekt działania leku większy, tym lepiej. Każdy lek związany jest zarówno z kosztami finansowymi, jak i występowaniem działań niepożądanych. Celem jest odnalezienie

możliwie największych korzyści pomimo poniesionych kosztów. Należy również pamiętać, że skromne rezultaty mogą być wynikiem znaczącej poprawy u niektórych pacjentów i braku jakiegokolwiek zmiany u innych. Jeśli dalsze badania pozwolą pomóc określić podgrupę reagującą wyjątkowo dobrze, nowy lek może dużo oferować tej części populacji.

## **Jak wyniki badania klinicznego odnoszą się do dotychczasowej wiedzy?**

Bardzo rzadko badania kliniczne są jedynym źródłem dostępnych informacji z danej dziedziny medycyny. W takim przypadku zazwyczaj reprezentują one pierwsze wykorzystanie radykalnie nowego spojrzenia na leczenie i wszystko, co można w takim przypadku uczynić, to z zainteresowaniem przyjąć wyniki oczekując, czy następne badania je potwierdzą. Najczęściej przeprowadzono już wcześniej badania nad tym samym lekiem lub lekiem tej samej klasy w leczeniu tej samej lub podobnej choroby. Wyniki badania klinicznego mogą być wtedy rozpatrywane w odniesieniu do wcześniej zdobytej wiedzy. Wnioski, które dobrze pasują do stanu obecnej wiedzy, łatwiej zaakceptować niż te, które są z nią sprzeczne. Ważne jest, aby zachować otwartość umysłu.

A2-4.34.3-v1.2