

# Studiile din Faza II

## Introducere

Studiile din Faza II încep după finalizarea cu succes a Fazei I. În Faza II, produsul medicamentos investigat este testat pentru a se determina eficacitatea (și siguranța) acestuia. Studiile efectuate în Faza II sunt, în mod normal, studii terapeutice exploratorii, care încearcă să descopere dacă medicamentul tratează boala sau afecțiunea țintă. Atunci când un produs medicamentos supus investigației eșuează, cauza este, de obicei, faptul că studiile din Faza II demonstrează că acesta nu funcționează conform așteptărilor sau are efecte toxice neprevăzute la pacienți.

## Întrebări cheie pentru studiile din Faza II

- Medicamentul prezintă siguranță pentru pacienți? (siguranța)
- Cum acționează medicamentul în corp? (farmacodinamica (FD))
- Medicamentul pare să funcționeze la pacienți? La ce doze? (efectul)
- Cum trebuie structurate studiile de confirmare? (punctele finale, populația țintă, alte medicamente administrate (concomitent) etc.)

## Caracteristicile studiilor din Faza II

### Participanții

Studiile din Faza II sunt efectuate pe grupuri mari de

participanți (în general, între 100 și 500). Deseori, fiecare grup de tratament are peste 30 de participanți. Participanții sunt selectați, în general, pe baza unor criterii stricte de includere, ceea ce înseamnă că populația studiului este relativ omogenă. O populație omogenă a studiului facilitează interpretarea rezultatelor acestuia.

### **Durata**

Studiile din Faza II sunt, în general, destul de scurte, cu o durată de numai câteva săptămâni sau luni.

## **Explorarea eficacității terapeutice: Studiile de validare a conceptului**

Studiile din Faza II trebuie să arate că produsul medicamentos investigat tratează indicația țintă într-o anumită populație de pacienți. Acest lucru poartă numele de „validare a conceptului”. Studiile de validare a conceptului trebuie să indice în mod clar îmbunătățiri clinice, astfel încât existența activității sau „răspunsului” să poată fi determinată. Rezultatele acestor studii sunt luate în considerare atunci când se ia decizia de a trece (sau nu) la Faza III de dezvoltare a medicamentului.

## **Estimarea nivelurilor de dozare și a intervalelor dintre doze: Studiile raportului doză-răspuns**

Studiile din Faza II trebuie să obțină, de asemenea, informații privind nivelurile de dozare optime și intervalele optime dintre doze. Validarea conceptului este testată, în mod normal, la doza maximă tolerată (DMT) pentru a se reduce la minimum rezultatele fals negative, a se asigura cea mai bună

testare a ipotezei și a se maximiza efectul farmacodinamic.

Studiile raportului doză-răspuns urmăresc să:

- Descopere doza eficientă minimă
  - Cea mai mică doză la care se observă un efect
- Descopere doza optimă
  - Doza la care se observă efectul optim (dorit)
  - Reducă riscul ca DMT să nu fie tolerată

În mod normal, studiile raportului doză-răspuns utilizează grupuri paralele randomizate și analizează trei sau mai multe niveluri de dozare, dintre care unul poate fi zero (placebo).

Datele privind raportul doză-răspuns sunt importante și trebuie colectate nu doar din studii formale ale acestui raport, ci din toate sursele posibile din cadrul studiilor anterioare ale produsului medicamentos investigat.

A2-5.03.3-V1.1