

Tytuł: Badania naukowe w medycynie i ich rola w rozwoju nowych leków / Medical scientific research and its role in new drug development

Słowa kluczowe: dzieci rozwój leków badania kliniczne

Keywords: children drug development clinical studies

Autorzy:

dr Antoni Jędrzejowski - Grupa ds. badań klinicznych w populacji pediatrycznej Stowarzyszenie na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce (www.gcppl.org.pl)

Beata Sobolewska-Wojciechowska - Grupa ds. badań klinicznych w populacji pediatrycznej Stowarzyszenie na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce (www.gcppl.org.pl)

dr hab. Marek Woynarowski - Grupa ds. badań klinicznych w populacji pediatrycznej Stowarzyszenie na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce (www.gcppl.org.pl)

Streszczenie:

Wprowadzenie. Wprowadzenie do użytku nowego leku poprzedzone jest długotrwałym procesem badania jego skuteczności i bezpieczeństwa, wymagającym również zaangażowania lekarzy praktyków. Cel pracy. Celem pracy jest opisanie procesu rozwoju nowych leków oraz przedstawienie różnych rodzajów badań klinicznych, jakie przeprowadza się w celu ustalenia skuteczności i bezpieczeństwa leków. Omówienie. Od identyfikacji substancji mogącej mieć właściwości lecznicze do jej zarejestrowania jako leku i wprowadzenia na rynek upływa zwykle 12–15 lat. W tym czasie wykonuje się badania podstawowe określające właściwości substancji, badania przedkliniczne na zwierzętach określające podstawową farmakokinetykę i toksyczność oraz podzielone na cztery fazy badań z udziałem ludzi, których celem jest sprawdzenie rzeczywistej skuteczności i bezpieczeństwa badanej substancji. W pracy omówiono różnice pomiędzy poszczególnymi fazami, a także różnice pomiędzy różnymi kategoriami badań klinicznych (badania interwencyjne i nieinterwencyjne, jedno- i wielośrodkowe, randomizowane i nierandomizowane, kontrolowane i otwarte, badania ze ślepą próbą itp.). Podsumowanie. Wiedza dotycząca procesu tworzenia leku oraz nomenklatury badań klinicznych jest niezbędna do prawidłowego zrozumienia metodyki oceny nowych leków oraz prawidłowej interpretacji doniesień piśmiennictwa medycznego.

Abstract:

Background. Long lasting safety and efficacy studies are necessary before the new medication is registered and become commercially available. These studies involve investigators – physicians and general practitioners. Aim of the study. The aim of the study is to describe the medication development process and to discuss different types of clinical trials conducted to assess efficacy and safety of drugs. Discussion. The time from the discovery of the substance with possible

therapeutic potency to its registration as a medication with proven safety and efficacy varies from 12 to 15 years. The medication development process includes: the basic studies which determine the substance characteristic; animal model preclinical studies which determine basic pharmacokinetics and toxicity and four phases of the human studies evaluating safety and efficacy. The paper describes the differences among particular phases and types of clinical studies. The following types of the studies were discussed: interventional and non-interventional, single center and multicenter studies, retrospective and prospective trials, randomized, controlled and open studies, blinded trials, cohort, cross-sectional, and case-control studies, etc. Conclusions. The knowledge about the medication development process and different types of clinical studies is necessary for proper understanding of medication evaluation methodology and for proper interpretation of the data published in medical literature.