# Proces powstawania nowego leku - badania kliniczne jako konieczny element rozwoju innowacyjnych terapii

Leki to stały element codzienności każdego z nas. Tabletka na ból głowy, syrop przeciwkaszlowy, maść uśmierzająca ból mięśni – wystarczy udać się do najbliższej apteki, sklepu spożywczego lub sięgnąć do domowej apteczki, by znaleźć remedium na najczęstsze dolegliwości. Powstanie każdego z tych leków, to jednak lata wytężonej pracy, zaangażowanie setek specjalistów z różnych dziedzin i ogromne koszty ponoszone przez firmy i instytucje chcące wprowadzić na rynek nowy produkt.

Światowa konsumpcja leków rośnie z każdym rokiem, podobnie jak kwoty przeznaczane na ich zakup. Szacuje się, że obecnie globalne wydatki związane z nabywaniem leków sięgają kwoty kilku bilionów złotych rocznie i najprawdopodobniej będą się zwiększały w ciągu najbliższych kilku lat. W Polsce ok. 1/3 osób powyżej 65 roku życia przyjmuje co najmniej 5 leków dziennie. Proces ich powstania i wprowadzenia na rynek jest nierozerwalnie połączony z badaniami klinicznymi, w których mogą wziąć udział chętni pacjenci.

## Od pomysłu do realizacji

Na rynku farmaceutycznym wyróżniamy leki innowacyjne, czyli nowe, które do tej pory nie były dostępne dla pacjentów oraz generyczne, tzw. odpowiedniki, powstające na bazie leków innowacyjnych. Bez wątpienia to pierwsze z nich – leki innowacyjne, wpływają na rozwój farmakoterapii i metod leczenia oraz dają szansę pacjentom, dla których dotychczasowe osiągnięcia medycyny nie pozwalały na skuteczną terapię. Początek prac nad stworzeniem nowego leku wiąże się z identyfikacją potrzeb pacjentów oraz szczegółowym poznaniem mechanizmu danej choroby. W oparciu o tę wiedzę, tworzy się cząsteczki, których właściwości mogą cofnąć lub zahamować rozwój choroby. Naukowcy w trakcie badań laboratoryjnych sprawdzają działanie tysięcy cząsteczek, aby spośród nich wybrać kilkaset o największym potencjalne terapeutycznym. Pozytywnie zweryfikowane cząsteczki trafiają do etapu badań przedklinicznych, podczas których podawane są zwierzętom. Jest to niezbędny element procesu badawczego, pozwalający określić m.in. ewentualne działania toksyczne. Obserwacje odziaływań cząsteczek na żywy organizm trwają ok. 5-8 lat i pozwalają na wyodrębnienie kilku, które w przyszłości mogą stać się lekami. Zanim jednak to się stanie, każda cząsteczka musi być szczegółowo sprawdzona pod kątem skuteczności i bezpieczeństwa stosowania u ludzi w trakcie badań klinicznych.

## Badania kliniczne jako kluczowy etap powstawania nowego leku

Badania kliniczne to najważniejszy etap związany z wprowadzeniem na rynek nowego leku. Jest to wieloletni, skomplikowany proces składający się z trzech głównych faz. Przed jego rozpoczęciem

niezbędne jest otrzymanie pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego, wydawanego przez Prezesa Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych oraz pozytywnej opinii Komisji Bioetycznej. Podczas pierwszej fazy oceniane jest bezpieczeństwo stosowania badanego produktu u zdrowych ochotników. Wyjątkiem są badania w obszarze onkologii, do których już w pierwszej fazie rekrutowani są pacjenci, cierpiący na konkretne choroby nowotworowe. Po określeniu potencjalnej toksyczności, dawki minimalnej, maksymalnej oraz cech farmakologicznych i w przypadku braku przeciwwskazań do kontynuacji badań, rozpoczyna się faza druga. Sprawdzana jest wówczas skuteczności i bezpieczeństwo stosowania produktu badanego z udziałem małej grupy pacjentów. Pozytywne rezultaty otrzymane na tym etapie pozwalają na rozpoczęcie fazy trzeciej, bezpośrednio poprzedzającej wydanie pozwolenia na dopuszczenie nowego leku do obrotu. W czasie jej trwania potwierdza się działanie przyszłego leku na dużej populacji pacjentów cierpiących na daną chorobę. Dokonuje się też wtedy ostatecznej weryfikacji bezpieczeństwa oraz skuteczności terapii w porównaniu z już dostępnymi lekami. Jeśli wszystkie dane uzyskane w trakcie wieloletnich badań wskazują, że badany produkt może być z powiedzeniem stosowany u ludzi, następuje jego rejestracja, kończąca się wprowadzeniem leku na rynek. Pacjenci mogą kupić nowy produkt w aptece dopiero, gdy właściwy organ, w Polsce - Prezes Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, wyda pozwolenie na dopuszczenie do obrotu. Rocznie chorzy otrzymują dostęp do kilkudziesięciu zupełnie nowych leków i terapii. Warto pamiętać, że również po dopuszczeniu leku do obrotu badania są kontynuowane. Podczas czwartej fazy, tzw. porejestracyjnej, weryfikowane jest bezpieczeństwo stosowania leku we wszystkich wskazaniach zalecanych przez producenta i dla wszystkich grup chorych.

## Czy mogę wziąć udział w badaniach?

Korzyści wynikające z wprowadzenia na rynek nowych leków są niezaprzeczalne i nikogo nie trzeba specjalnie przekonywać do słuszności prowadzenia prac związanych z rozwojem nowych metod terapeutycznych. Wielu pacjentów nie zdaje sobie jednak sprawy z możliwości jakie są związane z udziałem w badaniach, jeszcze zanim lek trafi do obrotu. Uczestnicy badań oprócz dostępu do bezpłatnej, ponadstandardowej opieki zdrowotnej i stałego kontaktu z najlepszymi specjalistami, mają często możliwość skorzystania z innowacyjnych terapii. Jest to szczególnie istotne z perspektywy chorych, dla których wyczerpały się dostępne możliwości terapeutyczne.

Artykuł powstał w ramach obecnie prowadzonej kampanii społecznej o charakterze informacyjno-promocyjnym dotyczącej realizowanych projektów B+R z dziedziny nauk medycznych, w tym z obszaru onkologii. Kampania społeczna jest realizowana przez Agencję Badań Medycznych oraz finansowana ze środków Ministra Zdrowia.