

# Обзор клинических исследований.

Кэтрин Вагнер  
19 июня 2015



# Клинические исследования – это?

- Исследования на добровольцах
- Тщательно проводимые исследования для того, чтобы в конечном счете, раскрыть лучшие способы лечения, профилактики, диагностики и понять заболевания человека.

# Типы исследований

- Обзорные исследования
  - Оценка состояния здоровья в группах участников
- Исследования естественной истории
  - Как болезнь прогрессирует
- Профилактические испытания
  - -Исследования способов по предотвращению болезни у людей, которые никогда не имели заболевание или предотвращения возвращения
- Исследования методов диагностики
  - Проверка лучшего способа обнаружения определенных болезней
- Диагностические испытания
  - -Определить лучшие тесты или процедуры для диагностики конкретного заболевания или состояние
- Испытания лечения (или интервенционная исследование)
  - Тесты новых методов лечения, новые комбинации препаратов или новых подходов к терапии
- Исследования качества жизни
  - Меры по улучшению качества жизни у людей с хроническими заболеваниями

# Клинические исследования

Фаза I: Оценка безопасности и переносимости лекарственных средств.

- Здоровые добровольцы из целевой группы населения
- Ограниченное количество людей
- Фармакокинетика (т.е. поглощение, обмен веществ, выведение)
- Повышение дозы
- 70% новых препаратов проходят этот этап

# Клинические исследования

Фаза II: оценка эффективности препарата (и дальнейшая оценка безопасности)

- Рандомизированное
- Контролируемое
- Суррогатные меры результата
- Короткий срок
- Небольшое количество участников
- 22% препаратов, которые входят в Фазу II продвигаются дальше

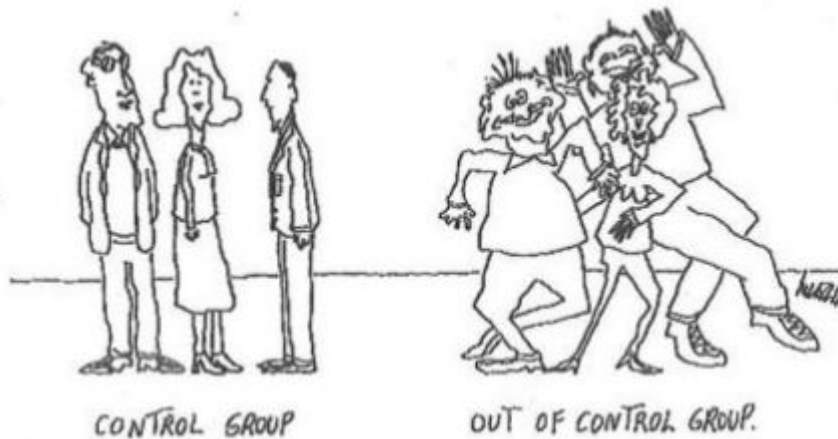
# Клинические исследования

Фаза III: Крупномасштабное исследование для подтверждения эффективности и безопасности у большой группы населения

- Сотни пациентов
- Рандомизированное, плацебо-контролируемое
- Длительный срок
- Оценка результатов (функция, качество жизни)
- Определяет содержание упаковки и маркетинг
- 55% лекарств, которые поступают в фазу III успешно ее проходят
- Поэтому ~ 8% лекарств, которые входят в фазу клинических испытаний одобрены FDA.

# Контроль

- Группа сравнения, которая получает плацебо, другое лечение, или лечение не на всех.
- Не должны быть в соотношении 1: 1 к группе лечения (и часто не является)





# Команда исследователей

- **Главный исследователь (PI).**
  - Обычно врач
  - Может иметь заместителей
  - В конечном счете ответственность за благополучие пациентов и сбор достоверных данных
- **Клинический координатор**
  - Может быть медсестрой, врачом или другим профессионалом
- **Клинические оценщики**
  - Физиотерапевт
  - Функциональные измерения
- **Медсестра**
  - Сбор анализов
  - Управляет лечением

# Скрининг

- Информированное согласие
- Право
- Критерии включения и исключения
- Возраст, пол, тип и стадия заболевания, предыдущая история лечение, другие медицинские условия, другие лекарства
- Воспроизводимость

# Меры

- Меры из обычной жизни пациентов, например, продолжительность или функция
- Другие известные меры, которые могут использоваться, например, шестиминутный тест.

# После исследования

- Изучение собранной информации
- Решение: идти вперед к следующей фазе
- Результаты часто публикуются в рецензируемых журналах
- Результаты характерные для личности
- Участники часто не делятся с участниками
- Постоянный доступ к препарату определяет часть успеха

# Почему участвовать?

- Играть активную роль в исследовании и улучшении терапии заболевания.
- Регулярное наблюдение
- Получить доступ к новым методам лечения до внедрения их в широкую практику.

# Исследования при миодистрофии Дюшенна

Drug Candidate	Sponsor	Preclinical	Phase I	Phase I/II	Phase II	Phase III
Translarna	PTC Therapeutics	→				
CAT-1004	Catabasis	→				
Catena	Santhera	→				
Drisapersen	Biomarin	→				
Eplerenone	Nationwide Children's	→				
Eteplirsen	Sarepta	→				
PF-06252616	Pfizer	→				
Follistatin/AAV	Nationwide Children's	→				→
HT-100	Akashi	→				
Isofen	PPMD Onlus	→				
Catena	Santhera	→				
BMN 044	Biomarin	→				
BMN 045	Biomarin	→				
BMN 053	Biomarin	→				
SRP-4045	Sarepta	→				
SRP-4053	Sarepta	→				
SMT C1100	Summit	→				
EGCg	Charite University, Berlin	→				
Tadalafil	Eli Lilly	→				

DFZ/PRED FOR-DMD

Переведено проектом МОЙМИо:

<http://mymio.org>

Оригинал:

[http://www.parentprojectmd.org/  
site/PageServer?pagename=Con  
nect\\_conference\\_presentations](http://www.parentprojectmd.org/site/PageServer?pagename=Connect_conference_presentations)

14