

Pacjenci w badaniach

<https://www.pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/2495,Dlaczego-tak-ciezko-o-nowe-leki.html>
12.02.2025, 19:14

Dlaczego tak ciężko o nowe leki?

Innowacje w dziedzinie medycyny odgrywają kluczową rolę w rozwoju opieki zdrowotnej, przynosząc szereg korzyści całemu społeczeństwu. Nowoczesne leki, a także technologie medyczne rewolucjonizują podejście do leczenia, wydłużając tym samym nie tylko długość życia, poprzez umożliwienie leczenia chorób uprzednio uznanych za nieuleczalne, ale również poprawiając jego jakość. W efekcie czego średnia długość życia w Europie z 43 lat w 1900 roku wzrosła do 80 lat w czasach obecnych. Dlaczego więc nowe leki powstają stosunkowo rzadko?

Odkrywanie i opracowywanie nowych leków to długi, kosztowny i ryzykowny proces trwający 10 – 15 lat. Przejście od odkrycia potencjalnego leku do jego wprowadzenia do powszechnego użytku wiąże się z ogromnymi nakładami finansowymi, wynoszącymi średnio od 1 do 2 miliardów dolarów. Zakwalifikowanie potencjalnego leku do I fazy badań klinicznych, po rygorystycznych optymalizacjach fazy przedklinicznej, jest już znaczącym osiągnięciem dla firm farmaceutycznych czy instytucji akademickich. Zgodnie ze statystykami zaledwie jeden na dziesięć kandydatów na leki, które rozpoczynają badania kliniczne, z powodzeniem ukończy wszystkie fazy (I, II, III), uzyskując zatwierdzenie leku do użytku powszechnego. Oznacza to, że dziewięć na dziesięć potencjalnych leków kończy swoją drogę przed osiągnięciem etapu uznania go za bezpieczny i skuteczny. Warto zaznaczyć, że wspomniany wskaźnik dotyczy jedynie kandydatów na leki, które rozpoczęły I fazę badań klinicznych. W rzeczywistości, uwzględniając kandydatów na leki z fazy przedklinicznej, wskaźnik niepowodzeń przekroczyłby 90%.

Według analiz przeprowadzanych w latach 2010 – 2017 istnieją cztery możliwe przyczyny tak dużych niepowodzeń przy opracowywaniu nowych leków. Wśród nich wyróżniono: brak skuteczności klinicznej, stanowiący 40 – 50% przypadków, trudna do opanowania toksyczność (30%), słabe właściwości lekopodobne (10%-15%) oraz brak potrzeb komercyjnych i słabe planowanie strategiczne (10%). Opracowywanie nowych leków opiera się na klasycznym procesie obejmującym:

1. Walidację celów genomicznych i genetycznych,
2. Wysokoprzepustowe badania przesiewowe cząsteczek potencjalnych leków,
3. Rygorystyczną optymalizację leku pod kątem aktywności oraz właściwości lekopodobnych,
4. Przedkliniczne badania skuteczności i toksyczności,
5. Wybór pacjentów i optymalne projekty badań klinicznych oparte na biomarkerach.

W ciągu ostatni dekad każdy z powyższych etapów był rygorystycznie optymalizowany i walidowany, efektem czego było wdrożenie wielu skutecznych strategii, mających na celu wybieranie jak najlepszych kandydatów na leki do badań klinicznych.

Odkrycie leku jest bardzo drogie, czasochłonne i niestety nie gwarantuje opracowania nowego leku spełniającego zakładane oczekiwania. Jednakże, prace w tym kierunku są niezwykle ważne. Poza oczywistymi zaletami jakimi jest poprawa jakości i długości życia pacjentów, powstawanie innowacyjnych leków powoduje również obniżenie kosztów w innych sektorach opieki zdrowotnej. Badania przeprowadzone przez naukowców z Narodowego Biura Badań Ekonomicznych (z ang. National Bureau of Economic Research) na danych z lat 1980–1991 wskazują, że każdy dolar wydany na leki przekłada się na redukcję wydatków związanych z hospitalizacją, wynoszącą 3,65 USD, przy jednoczesnym wzroście wydatków na opiekę ambulatoryjną o 1,54 USD. Ostatecznie, prowadzi to do oszczędności 2,11 USD na każdy wydany dolar. Dlatego naukowcy dokładają wszelkich starań, aby proces powstawania nowych leków ulepszyć, tym samym poszerzając ich dostęp dla wielu pacjentów mierzących się z różnymi schorzeniami.

Bibliografia:

1. Sun, D., Gao, W., Hu, H., & Zhou, S. (2022). Why 90% of clinical drug development fails and how to improve it? In *Acta Pharmaceutica Sinica B* (Vol. 12, Issue 7, pp. 3049–3062).
2. Modern Drug Discovery: Why is the drug development pipeline full of expensive failures? – *Science in the News* (harvard.edu)
3. https://en.wikipedia.org/wiki/Life_expectancy
4. https://stat.gov.pl/kobiety-i-mezczyzni-w-europie/images/pdf/WomenMenEurope-DigitalPublication-2017_pl.pdf?lang=pl
5. <https://www.termedia.pl/Wartosc-lekow-innowacyjnych-w-medycynie,12,907,1,1.html>

Autorka: Urszula Imiełowska