

# Pacjenci w badaniach

<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/2741,Adaptacyjne-badania-kliniczne.html>  
16.10.2024, 16:21

## Adaptacyjne badania kliniczne

Adaptacyjne [badania kliniczne](#) pozwalają na elastyczne dostosowanie różnych aspektów badania w trakcie jego realizacji, co może obejmować zmiany np. w wielkości próby, populacji pacjentów, ramionach leczenia, alokacji pacjentów oraz wyborze punktu końcowego. Oznacza to, że na podstawie bieżących wyników możliwe jest podejmowanie planowanych zmian, co zwiększa efektywność i precyzję badania.

Ogólnie rzecz biorąc, projekt, przeprowadzenie i analiza adaptacyjnego badania klinicznego, którego celem jest dostarczenie istotnych dowodów na skuteczność, powinno spełniać cztery kluczowe zasady:

### 1. *kontrolowanie ryzyka błędnych wniosków*

Ponieważ badania kliniczne odgrywają kluczową rolę w podejmowaniu decyzji przed wprowadzeniem na rynek, niezwykle istotna jest ocena prawdopodobieństwa, że jakikolwiek rozważany projekt badania doprowadzi do błędnych wniosków dotyczących bezpieczeństwa lub skuteczności, błędnych wniosków na temat braku bezpieczeństwa, skuteczności lub wprowadzających w błąd szacunków, które przyczyniają się do ogólnej oceny stosunku korzyści do ryzyka.

### 2. *szacowanie efektów leczenia*

Ważne jest, aby badania kliniczne dawały wystarczająco wiarygodne szacunki skutków leczenia, aby ułatwić ocenę stosunku korzyści do ryzyka i odpowiednie oznakowanie nowych leków, umożliwiając praktykę medycyny opartej na dowodach. Niektóre adaptacyjne cechy projektu mogą prowadzić do błędów statystycznego w szacowaniu efektów leczenia i powiązanych wielkości.

### 3. *planowanie prób*

Ogólnie rzecz biorąc, jak w przypadku każdego badania klinicznego, oczekuje się, że szczegóły projektu adaptacyjnego zostaną całkowicie określone przed rozpoczęciem badania i odpowiednio udokumentowane. Planowanie prospektywne powinno obejmować wstępne określenie przewidywanej liczby i harmonogramu analiz okresowych, rodzaju adaptacji, metod wnioskowania statystycznego, które należy zastosować, oraz konkretnego algorytmu regulującego decyzję o adaptacji.

### 4. *utrzymywanie postępowania i uczciwości podczas procesu próbnego*

Wiedza na temat gromadzonych danych może wpływać na przebieg i prowadzenie badania oraz zachowanie sponsora, [badaczy](#) a także uczestników w sposób trudny do przewidzenia i często

niemożliwy do skorygowania. Dlatego w przypadku wszystkich badań klinicznych (adaptacyjnych i nieadaptacyjnych) zdecydowanie zaleca się, aby dostęp do porównawczych wyników pośrednich był ograniczony do osób posiadających odpowiednią wiedzę specjalistyczną, które są niezależne od personelu zaangażowanego w prowadzenie lub zarządzanie badaniem.

Projekty adaptacyjne mogą zapewnić szereg korzyści w porównaniu z projektami nieadaptacyjnymi. Korzyści te wynikają z podstawowej właściwości badań klinicznych o planie adaptacyjnym: pozwalają na dostosowanie badania do informacji, które nie były dostępne na początku badania. Specyficzny charakter korzyści zależy od kontekstu naukowego oraz rodzaju lub typów rozważanych adaptacji, przy czym potencjalne korzyści można podzielić na główne kategorie:

- **Wydajność statystyczna:** w niektórych przypadkach projekt adaptacyjny może zapewnić większą szansę na wykrycie właściwego działania leku (tj. większą moc statystyczną) niż porównywalny projekt nieadaptacyjny. Projekt adaptacyjny może zapewnić tę samą moc statystyczną przy mniejszej oczekiwanej wielkości próby lub krótszy oczekiwany czas trwania niż porównywalny projekt nieadaptacyjny.
- **Względy etyczne:** istnieje wiele sposobów, dzięki którym projekt adaptacyjny może zapewnić przewagę etyczną w porównaniu z projektem nieadaptacyjnym. Na przykład możliwość wcześniejszego przerwania badania, jeśli okaże się, że jest mało prawdopodobne, aby badanie wykazało skuteczność, dzięki czemu można zmniejszyć liczbę pacjentów narażonych na niepotrzebne ryzyko nieskutecznego leczenia eksperymentalnego i zapewnić uczestnikom możliwość uczestniczenia w bardziej obiecujących alternatywnych terapiach.
- **Lepsze zrozumienie skutków leków:** projekt adaptacyjny może umożliwić udzielenie odpowiedzi na szersze pytania dotyczące badanego produktu leczniczego, niż w przypadku projektu nieadaptacyjnego. Dodatkowo, projekt adaptacyjny może również zapewnić lepsze zrozumienie skutków leczenia eksperymentalnego. Na przykład projekt z adaptacyjnym doborem dawki może dostarczyć lepszych szacunków zależności dawka-odpowieź, co może również prowadzić do bardziej wydajnych projektów badań.
- **Akceptowalność dla interesariuszy:** projekt adaptacyjny może zostać uznany za bardziej akceptowalny dla interesariuszy niż porównywalny projekt nieadaptacyjny ze względu na dodatkową elastyczność. Na przykład [sponsorzy](#) mogą być bardziej skłonni zaangażować się w badanie kliniczne, które umożliwia planowane modyfikacje projektu w oparciu o gromadzenie informacji. Z drugiej strony, pacjenci mogą chętniej brać udział w badaniach klinicznych, w których stosuje się randomizację dostosowującą się do wyników, ponieważ badania te mogą zwiększyć prawdopodobieństwo przypisania pacjentów do bardziej skutecznego leczenia.

#### Bibliografia:

- Adaptive Designs for Clinical Trials of Drugs and Biologics, U.S. Department of Health and Human Services Food and Drug Administration Center for Drug Evaluation and Research (CDER) Center for Biologics Evaluation and Research (CBER), November 2019

Autorka: Wiktoria Miśkiewicz

[Poprzedni Strona](#)

[Następny Strona](#)