

Randomizowane badania kliniczne

Badania kliniczne

- *Clinical trial, randomized clinical trial, randomized comparative trial*
- Porównanie proponowanej nowej metody leczenia z istniejącym standardem opieki
- Jeśli nie porównujemy ze standardem, porównujemy z placebo
- Placebo, czyli oddziaływanie neutralne
- Są to badania eksperymentalne, w których manipuluje się metodą terapeutyczną

Zaślepienie

- Wszędzie, gdzie możemy, staramy się **zaślepić** uczestników
- Wszędzie, gdzie możemy, staramy się **zaślepić** badaczy
- Gdy uda się to i to, mamy **podwójnie zaślepione badanie** (double-blind trial)
- Dlaczego?

Bias, bias, bias

- Badacz może (nawet nieświadomie) zachowywać się inaczej wobec osób w różnych warunkach eksperymentalnych (*experimenter bias, observer-expectancy effect, observer effect itd.*)
- Najczęściej działa to w stronę **potwierdzenia hipotezy** (*tak, mój wspaniały lek działa!*)
- To nazywa się *confirmation bias*
- Osoba badana może zachowywać się inaczej, gdy zdaje sobie sprawę z tego, że jest w konkretnej grupie

Fazy

- Prekliniczna
- Faza I
- Faza II
- Faza III
- Faza IV

Faza prekliniczna

- Badania na zwierzętach
- Przeprowadzają naukowcy (nie klinicyści)
- Konieczny **model zwierzęcy choroby** albo jakiegoś procesu

Faza I

- Pierwsze badania na ludziach
- Ocena bezpieczeństwa, efektów ubocznych, najlepszej dawki i detali farmakologicznych (sposób podania, konstrukcja preparatu)
- Niskie dawki
- U zdrowych ochotników (choć czasem np. u pacjentów z terminalną chorobą nowotworową)
- Najczęściej między 20-100 osób

Faza II

- Ocena skuteczności (czy lek w ogóle działa) i efektów ubocznych
- Dawki terapeutyczne
- 100-300 pacjentów
- Zakładamy, że lek w ogóle nie działa i próbujemy pokazać, że to nie prawda

Faza III

- Ocena skuteczności, efektywności i bezpieczeństwa
- Dawki terapeutyczne
- 300-3000 pacjentów
- Zakładamy, że lek działa i próbujemy sprawdzić, czy działa lepiej niż inne metody

Faza IV

- Po wprowadzeniu na rynek
- Długoterminowe efekty uboczne
- Raportowanie przez mechanizmy raportowania działań nieporządanych