

VÝSKUM A VÝVOJ NOVÉHO LIEKU A KLINICKÉ SKÚŠANIE

Tamara Milly

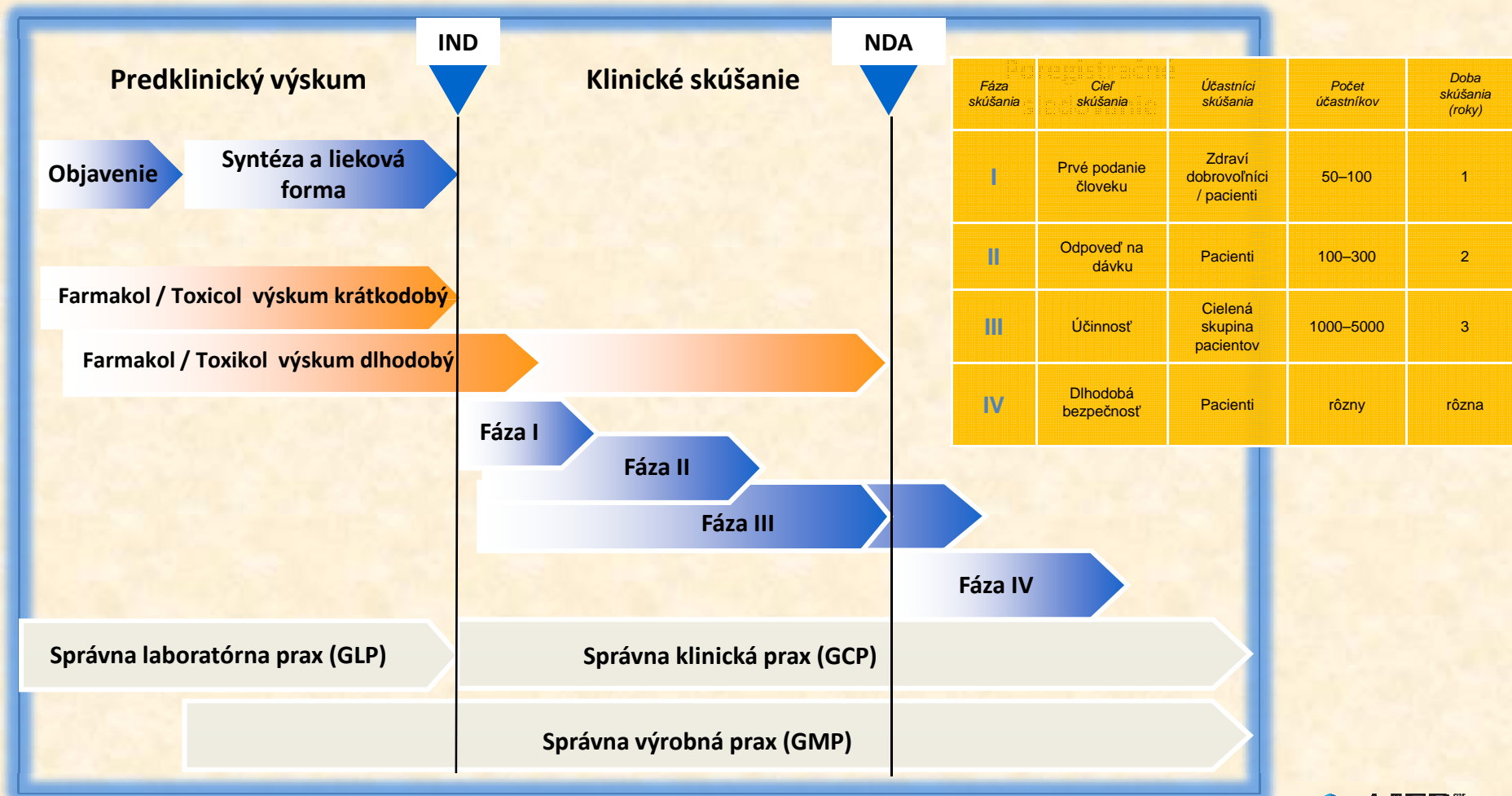
AIFP

pracovná skupina pre medicínsky výskum

Výskum a vývoj nového lieku

- Klinické skúšanie – proces a fázy
- Investície vo výskume a vývoji liekov
- Klinické skúšanie a inovácie
- Súčasné trendy a výzvy

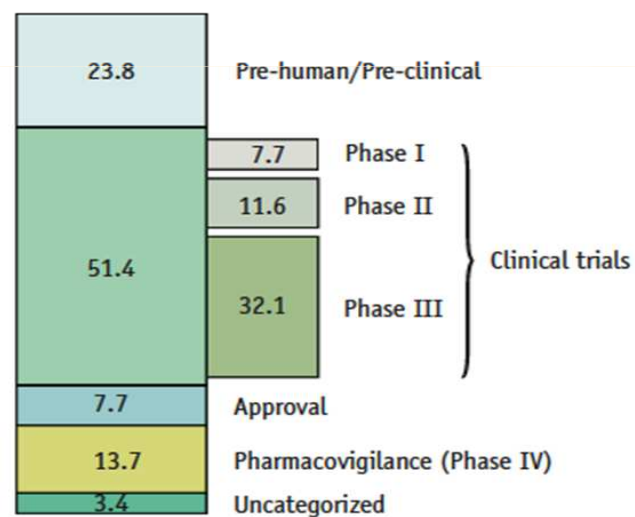
Proces vývoja lieku a fázy klinického skúšania



Investície do výskumu a vývoja liekov:

viac než 50% tvoria investície do klinických štúdií fázy I-III.

ALLOCATION OF R&D INVESTMENTS BY FUNCTION (%)

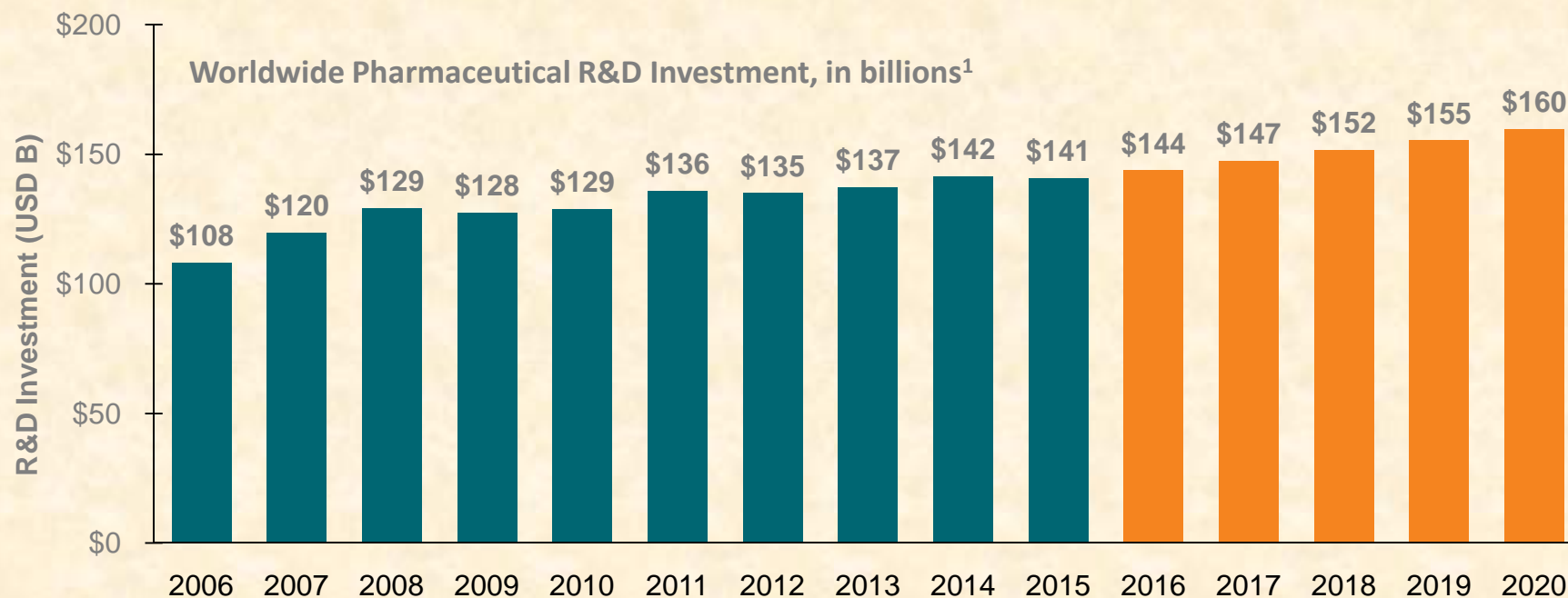


Source: PhRMA, Annual Membership Survey 2014 (percentages calculated from 2012 data)

Farmaceutické spoločnosti celosvetovo investujú významné prostriedky na výskum a vývoj, aby prinášali inovatívnu liečbu pre pacientov

Over \$1,100 billion invested in R&D since 2006

Another \$900 billion expected investment from 2015-2020



“Najväčšou výzvou pre globálny farmaceutický výskum je jeho vnímanie spoločnosťou ako legitímne, zodpovedné a pozitívne. Pravidlá vo výskume a vývoji (R&D) nie sú iba o investíciách a podpore výskumných tímov – je to aj o ubezpečení, že ich inovácie sú aj prakticky využiteľné, čo je odlišná výzva.” –

Domestic Corporation, UK (December 2013)²

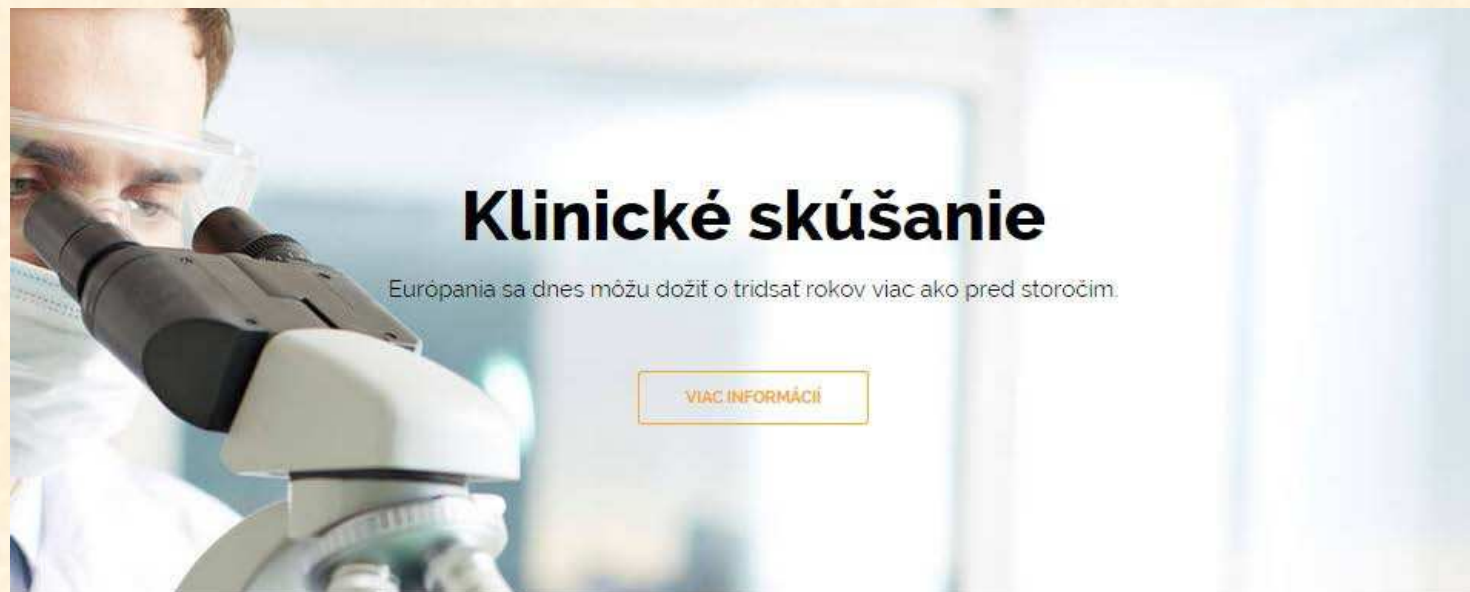
Farmaceutické odvetvie patrí medzi top investorov na výskum a vývoj

The Global Innovation 1000: Top 20 R&D Spenders 2005-2016 [help](#)

This chart contains the listing of the 20 publicly-traded companies worldwide that spent the most on R&D each of the past 12 years, ranked by the amount they spent on R&D.

Select countries								Select industries					
select all								select all					
								Automotive	Aerospace & Defense	Computing & Electronics	Healthcare	Industrials	Software & Internet
Ranking by R&D Spending	1	Roche	Roche	Volkswagen	Volkswagen	Volkswagen	Volkswagen	Volkswagen					
	2	Microsoft	Pfizer	Toyota	Samsung	Samsung	Samsung	Samsung					
	3	Nokia	Volkswagen	Novartis	Roche	Intel	Intel	Amazon					
	4	Pfizer	Novartis	Roche	Intel	Microsoft	Microsoft	Alphabet					
	5	Toyota	Microsoft	Pfizer	Microsoft	Roche	Roche	Intel					
	6	Volkswagen	Merck	Microsoft	Toyota	Novartis	Google	Microsoft					
	7	Novartis	Toyota	Samsung	Novartis	Toyota	Amazon	Roche					
	8	Johnson & Johnson	Samsung	Merck	Merck	Johnson & Johnson	Toyota	Novartis					
	9	Boeing	Nokia	Intel	Pfizer	Google	Novartis	Johnson & Johnson					
	10	GlaxoSmithKline	GM	GM	Johnson & Johnson	Merck	Johnson & Johnson	Toyota					
	11	Sanofi	GlaxoSmithKline	Nokia	GM	GM	Pfizer	Apple					
	12	Samsung	Johnson & Johnson	Johnson & Johnson	Google	Daimler	Daimler	Pfizer					
	13	Merck	Intel	Daimler	Honda	Pfizer	GM	GM					
	14	IBM	Panasonic	Sanofi	Daimler	Amazon	Merck	Merck					
	15	Intel	IBM	Panasonic	Sanofi	Ford	Ford	Ford					
	16	Siemens	Sanofi	Honda	IBM	Sanofi	Sanofi	Daimler					
	17	Cisco	Honda	GlaxoSmithKline	GlaxoSmithKline	Honda	Cisco	Cisco					
	18	Panasonic	Daimler	IBM	Nokia	IBM	Apple	AstraZeneca					
	19	Honda	AstraZeneca	Cisco	Panasonic	GlaxoSmithKline	GlaxoSmithKline	Bristol-Myers Squibb					
	20	Daimler	Cisco	AstraZeneca	Sony	Cisco	AstraZeneca	Oracle					
		2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016					

Klinické skúšanie – nevyhnutný krok na ceste k inováciám



Klinické skúšanie

Európania sa dnes môžu dožiť o tridsať rokov viac ako pred storočím.

[VIAC INFORMÁCIÍ](#)

Každý liek je prísne klinicky testovaný

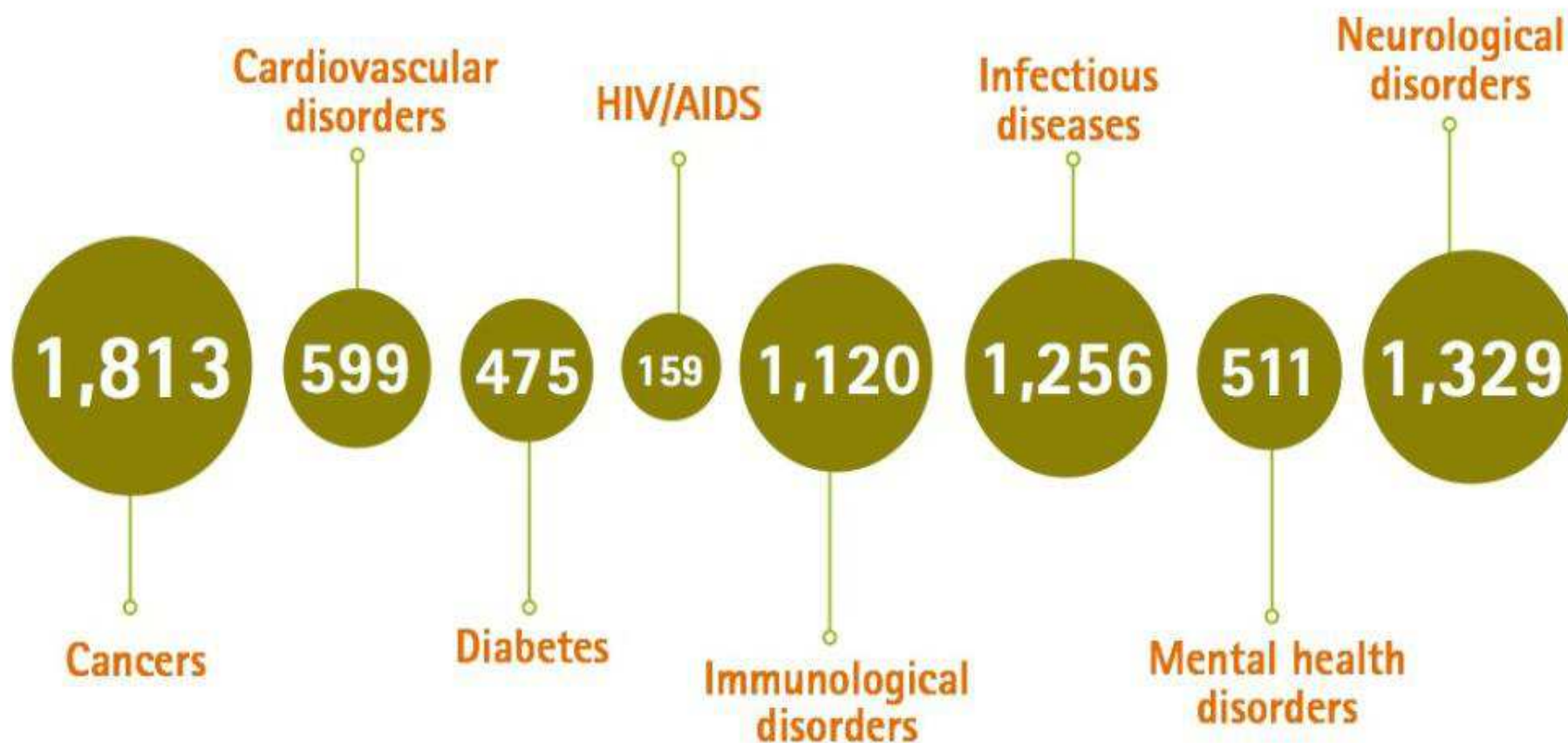
“ Z každých **25 000** látok, ktoré začínajú v laboratóriu, sa **iba 25** dostane do klinického testovania na ľuďoch. Na trh sa dostane **len päť z nich** a prostriedky investované do vývoja sa **vrátia iba z jedného**.

— Asociácia britského farmaceutického priemyslu (ABPI)



Više 7000 liekov vo vývoji

Nová vlna inovácií v medicíne zohráva kľúčovú úlohu pri hľadaní riešení pre pacientov a zdravotné systémy



Personalizovaná medicína predlžuje život pacienta

(increased patient survival)

Personalizovaná liečba **zlepšuje vyhliadky hematoonkologických pacientov v Európe**¹

Lepšie porozumenie ochorenia

Pred **60** rokmi

- “ochorenie krvi”

Pred **50** rokmi

- Leukémia
- Lymfóm

Pred **40** rokmi

- Chronická leukémia
- Akútna leukémia
- Pre-leukémia
- Indolentný lymfóm
- Aggresívny lymfóm

DNES

- ~40 typov Leukémie identifikovaných
- ~50 typov Lymfómov identifikovaných

230 molekúl* 2
vo vývoji hematologických
malignít v Európe

5-ročné prežívanie pri
Chronickej lymfocytárnej leukémii
stúplo na 70%³

5-ročné prežívanie pri
Hodgkin lymfóme
stúplo na 80%³

Vývoj nových liekov posúva paradigmu smerom k vyliečeniu a prevencii

Liečebné postupy a skrining kardiovaskulárnych ochorení a diabetu pomáhajú predísť vážnym komplikáciám



Kardiovaskulárne ochorenia (CVD)
spôsobujú viac ako polovicu úmrtí
v Európe.¹

Kombináciou liekov (napr.
aspirínu, beta blokátorov, diuretík
a statínov) je možné zabrániť
vážnym komplikáciám, a viesť k
75% redukcii infarktu myokardu u
vysoko rizikových pacientov^{1 2}



52 miliónov Európanov trpí na cukrovku.³
80% pacientov s diabetom zomiera na
kardiovaskulárne ochorenie.²

Farmakologická intervencia môže
predísť vývoju **cukrovky** u osôb s
porušenou glukózovou toleranciou *¹

Diabetická retinopatia je závažná príčina
straty zraku v Európe, dôsledným
skriningom a liečbou je možné predísť
slepote u vysokorizikových pacientov¹

MÍĽNIKY VO VÝVOJI MONOKLONÁLNYCH PROTILÁTK

- **Onkológia:** pri metastatickom karcinóme hrubého čreva a konečníka, pri HER-pozitívnom metastatickom karcinóme prsníka, pri metastatickom karcinóme pľúc, u lymfómov
- **Reumatológia:** pri strednej až ťažkej forme aktívnej reumatoidnej artritídy, pri aktívnej a progresívnej psoriatickej artritíde, pri rezistentnej ťažkej ankylozujúcej spondylitíde, pri aktívnej juvenilnej artritíde
- **Hematológia:** pri leukémii
- **Dermatológia:** pri psoriáze
- **Neurológia:** skleróza multiplex
- **Gastroenterológia:** pri Crohnovej chorobe, ulceróznej kolitíde
- **Osteológia:** pri osteoporóze
- **Kardiológia :** pri hypercholesterolémii

> 25 protilátok
schválených v EÚ
~ 500 vo vývoji

1. AGN. *Can Med Assoc J.* 1931;25:206.

2. Nobel Media AG. The Nobel Prize in Physiology or Medicine 1901.
Available at: www.nobelprize.org. Accessed November 7, 2011.

3. The Nobel Prize in Physiology or Medicine 1908—speed read. Available
at: www.nobelprize.org. November 7, 2011.

4. Zhou H, et al. *Annu Rev Pharmacol Toxicol.* 2011;51:359-372.

5. Edelman GM, et al. *Proc Natl Acad Sci U S A.* 1961;47:1751-1758.

6. The Nobel Prize in Physiology or Medicine 1972. Available at:
www.nobelprize.org. Accessed February 1, 2012.

7. Beck A, et al. *Nat Rev Immunol.* 2010;10:345-352.

Objaviteľom infliximabu bol Slováč

Prof. Jan Vilček

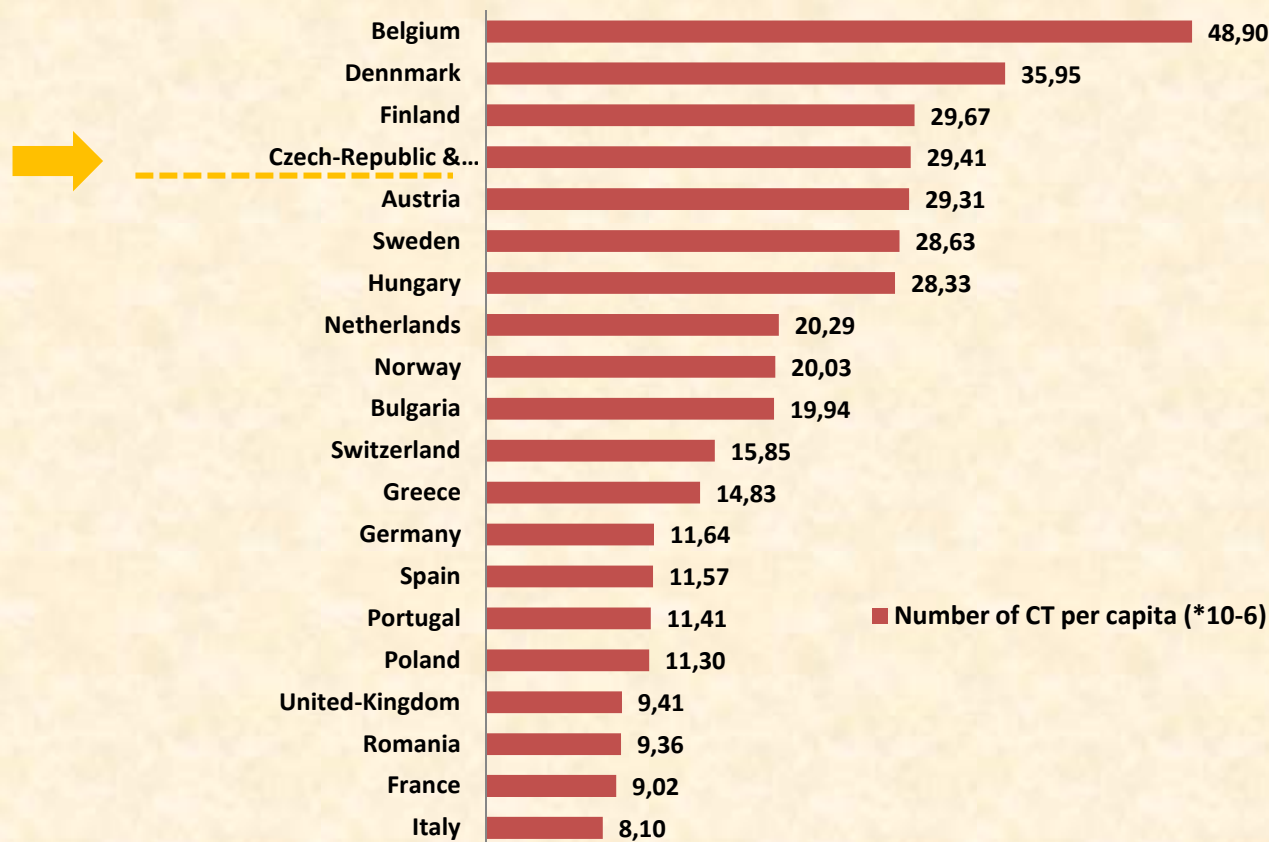


Kneight, DM, .. Vilcek, J et al: Construction and initial characterization of a mouse-human chimeric anti-TNF antibody. Mol Immunol, 1993

ZDROJ: http://www.nytimes.com/2013/07/23/science/defecting-to-great-scientific-success.html?pagewanted=all&_r=0

KRAJINY EÚ S NAJVYŠŠÍM POČTOM KLINICKÝCH ŠTÚDIÍ PER CAPITA

2172 studies



Source: WHO, Countries – statistics (Total population, 2013); EFPIA

POSLEDNÉ OBDOBIE KLESAJÚCI TREND KS V REGIÓNE

POKLES POČTU KS V CEE KRAJINÁCH V ROKOCH 2006-2012



Source: www.applieclinicaltrialsonline.co

NARIADENIE EÚ 536/2014 – PRÍLEŽITOSŤ AJ VÝZVA

EU CLINICAL TRIAL REGULATION 536/2014

- Podpora inovácií a klinického výskumu
- Zabezpečuje vysoký štandard bezpečnosti (zamedzenie duplikácií štúdií - neúspešných, nevhodných z hľadiska bezpečnosti)
- Zvýšenie transparentnosti od schválenia až po zverejnenie výsledkov (zrýchlenie)
- Konzistencia pravidiel klinických štúdií v celej EÚ (single portal, single dossier)
- Platí od mája 2014 (nahrádza nariadenie 2001/20/ES)
- Príležitosť pre všetky zainteresované strany na optimalizáciu procesov schvaľovania aj dohľadu
 - s cieľom naďalej vykonávať KS v SR a zvýšiť atraktivitu nášho regiónu

KLINICKÉ SKÚŠANIE A VÝVOJ NOVÝCH LIEKOV

Aktuálne stále aj u nás platí...:

- KS tvoria významnú súčasť výskumu v oblasti inovatívnych liekov
- KS znamenajú významné investície (>50% investícií je vo fáze I-III)
- Kvalita vykonávania, dát, podmienky & centrá, profesionalita
- V rámci EÚ popredné miesta v počte štúdií na počet obyvateľov
- Klesajúci trend v regióne
- Potrebné zladit' podmienky schvaľovania a dohľadu s EÚ

ĎAKUJEM ZA VAŠU POZORNOSŤ