

Wetenschappelijk nieuws over de Ziekte van Huntington. In eenvoudige taal. Geschreven door wetenschappers. Voor de hele ZvH gemeenschap.

HDBuzz voor beginners: klinisch onderzoek en de verschillende stadia



HDBuzz haalt hoop en hype uit mekaar bij klinisch onderzoek mededelingen
Geschreven door Dr Jeff Carroll en Melissa Christianson op 20 januari 2016
Bewerkt door Dr Jeff Carroll; Vertaald door Gerda De Coster
Origineel gepubliceerd op 9 oktober 2015

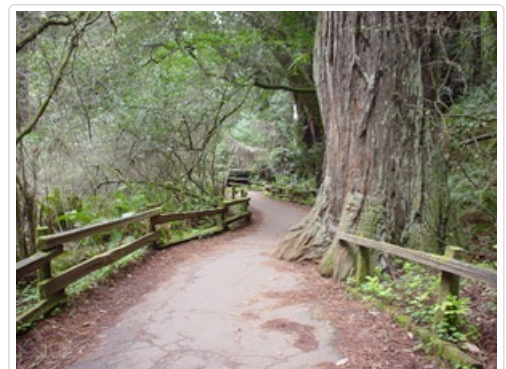
De afgelopen jaren zijn er veel mededelingen gedaan over de resultaten van klinische onderzoeken naar ZvH geneesmiddelen, maar het kan verrassend moeilijk zijn om te begrijpen wat deze resultaten eigenlijk betekenen. Wat een eenvoudige vraag lijkt, - werkt een geneesmiddel of niet, - blijkt ingewikkelder dan je zou verwachten. HDBuzz is er om ZvH families te helpen hoop te onderscheiden van hype als het gaat om aankondigingen met betrekking tot klinische onderzoeken.

De weg naar succes: hoe nieuwe geneesmiddelen worden goedgekeurd

Het leven van een geneesmiddel begint gemiddeld ongeveer twaalf *jaar* vooraleer het op de plank van de apotheek of in het kantoor van uw arts verschijnt. Wat gebeurt er dan precies tijdens al die jaren om een nieuw medicijn op de markt te brengen?

Omdat nieuwe geneesmiddelen onbewezen chemische stoffen bevatten die gevaarlijk kunnen zijn voor de mens, wordt veel van deze tijd besteed aan het testen ervan. Nieuwe geneesmiddelen moeten worden goedgekeurd als veilig en effectief, door regelgevende instanties van de overheid, voordat ze kunnen worden gebruikt in de kliniek. Dit goedkeuringsproces vraagt een enorme hoeveelheid werk en dus heel veel tijd.

Elk land heeft zijn eigen wettelijk voorgeschreven procedures ter goedkeuring van geneesmiddelen. In dit artikel focussen we ons op wat er gebeurt in de VS, maar vergelijkbare goedkeuringsprocedures bestaan over de hele wereld.



De weg naar goedkeuring van een geneesmiddel vereist rigoureuze testen om te bewijzen dat een kandidaat-geneesmiddel veilig en effectief is bij mensen.
Foto of beeldvorming: freeimages

In de Verenigde Staten is de Food and Drug Administration (FDA) verantwoordelijk voor de goedkeuring van nieuwe geneesmiddelen. Een bedrijf met een kandidaat medicijn dat bijvoorbeeld kan helpen bij de ziekte van Huntington, start het goedkeuringsproces bij de FDA

door drie soorten informatie te bezorgen : dieronderzoeken die bewijzen dat het product niet giftig is, productie informatie waaruit blijkt dat het op een degelijke manier wordt geproduceerd en een klinisch onderzoeksplan om het te testen bij mensen.

Na ontvangst van deze informatie kan de FDA het bedrijf groen licht geven om te beginnen met het testen van het kandidaat-geneesmiddel bij mensen. Verrassend genoeg moet het bedrijf, in dit vroege stadium, aan de FDA **niet bewijzen** dat hun kandidaat-geneesmiddel heilzaam is, enkel dat het veilig is bij mensen.

Zodra de FDA toestemming verleent aan een farmaceutisch bedrijf om haar kandidaat-geneesmiddel bij mensen te testen, begint het echte werk. Het bedrijf moet nu bewijzen dat het kandidaat-geneesmiddel veilig en effectief de ziekte bij de mens bestrijdt en dat gebeurt door klinische onderzoeken uit te voeren (waar we ons op richten in de rest van dit artikel). Pas na het succesvol afronden van een groot aantal klinische onderzoeken kunnen geneesmiddelen goedgekeurd worden voor menselijk gebruik.

Klinisch onderzoek: opzet

Klinische onderzoeken vormen de hoeksteen van het goedkeuringsproces van geneesmiddelen. Weten hoe deze onderzoeken worden gedaan is dus belangrijk. In dit gedeelte zullen we het hebben over een aantal belangrijke fundamentele zaken die van toepassing zijn op alle klinische onderzoeken - inclusief die voor ZvH geneesmiddelen.

Wat is klinisch onderzoek?

In wezen zijn klinische onderzoeken **zeer zorgvuldig geplande** experimenten, ontworpen om specifieke vragen te beantwoorden over de manier waarop een geneesmiddel mensen beïnvloedt. Klinische onderzoeken hebben meestal betrekking op een of beide van de volgende vragen: *is dit medicijn veilig en doet het zijn werk.*

Antwoord op de eerste vraag, is het geneesmiddel veilig, houdt in dat de mensen die het middel nemen, gecontroleerd worden op onverwachte, onaangename of gevaarlijke neveneffecten. De FDA wil geen gevaarlijke geneesmiddelen op de markt toelaten; farmaceutische bedrijven moeten dus zeer zorgvuldig naar deze bijwerkingen op zoek gaan. Omdat we de toekomst niet kunnen voorspellen weten we niet op voorhand welke soorten bijwerkingen een geneesmiddel zou kunnen hebben. Deelnemers aan klinische onderzoeken ondergaan daarom veel tests en worden veelvuldig bevraagd om een breed scala aan mogelijke medicijngerelateerde bijwerkingen op te sporen.

Het tweede type vragen die in klinische onderzoeken aan de orde zijn, is of een geneesmiddel bepaald aspecten van een ziekte verbetert. Het antwoord op deze vraag kan moeilijk zijn, omdat ziekten bij de mens - en hersenziekten in het bijzonder - ingewikkeld zijn. Alle ZvH families weten bijvoorbeeld dat de ziekte elk onderdeel van het leven van een persoon beïnvloedt: patiënten hebben stemmingsproblemen, denkproblemen, bewegingsproblemen en sterven uiteindelijk zeer jong. Een werkzaam ZvH geneesmiddel kan misschien **sommige** van

deze symptomen verbeteren. Daarom moeten farmaceutische bedrijven hun klinische onderzoeken zodanig ontwerpen dat medicijngerelateerde verbeteringen van de ziekte achterhaald kunnen worden.

Wanneer is een klinisch onderzoek

succesvol?

De FDA heeft een zeer duidelijke definitie van succes in een klinisch onderzoek. Deze definitie heeft te maken met het **primaire eindpunt** van het onderzoek.

Een primair eindpunt is de belangrijkste vraag in klinisch onderzoek, **de** vraag die het farmaceutisch bedrijf het meest beantwoord wil zien. In een onderzoek naar een ZvH geneesmiddel is het primaire eindpunt bijvoorbeeld of het geneesmiddel veilig is, de bewegingen vermindert, de denkproblemen beter maakt of zelfs het begin van de ziekte vertraagt. Je kan het primaire eindpunt van een onderzoek beschouwen als het specifieke einddoel van de behandeling, datgene dat we hopen dat het geneesmiddel zal doen.

De FDA schrijft voor dat farmaceutische bedrijven *op voorhand* hun primaire eindpunten bepalen evenals het aantal deelnemers die ze nodig hebben om deze eindpunten te toetsen. Deze eis voorkomt dat resultaten verkeerd of te veel geïnterpreteerd worden. Als een geneesmiddel zijn vooraf gedefinieerd doel bereikt (en dus werkt op de manier die het farmaceutisch bedrijf verwachtte), zeggen we dat het klinisch onderzoek “voldoet aan” haar primaire eindpunt.

Op basis van dit idee, definieert de FDA het succes van een klinisch onderzoek in zwart-wit termen: een onderzoek dat haar primaire eindpunt bereikt, is een succes. Anders is het een mislukking. Vanuit het perspectief van de FDA is **het primaire eindpunt van het onderzoek het enige resultaat dat van belang is** voor het succes van dat onderzoek.

Verder dan het primaire eindpunt

Natuurlijk zal een farmaceutisch bedrijf dat een klinisch onderzoek uitvoert meer vragen beantwoord willen zien dan alleen die van het primaire eindpunt. Deze andere vragen worden **secundaire eindpunten** genoemd.

Secundaire eindpunten zijn bedoeld om bedrijven te helpen om behandelde patiënten zo breed mogelijk te bekijken bij het bepalen van de effecten van een geneesmiddel. Wanneer bij een ZvH geneesmiddel bijvoorbeeld als primair eindpunt verwacht wordt dat bewegingssymptomen verbeteren, kan een secundaire eindpunt zijn of het geneesmiddel patiënten helpt om hun emoties beter te beheersen. Farmaceutische bedrijven kunnen zo veel secundaire eindpunten hebben als ze willen in een klinisch onderzoek - vaak zijn het er verschillende en soms ook tientallen.

“

Vanuit het perspectief van de FDA is het primaire eindpunt het enige resultaat dat telt om vast te stellen of een onderzoek succesvol is of gefaald heeft.

”

In tegenstelling tot primaire eindpunten zijn secundaire eindpunten niet allesbepalend voor de vraag of de FDA een proef succesvol noemt. **Zelfs als een secundair eindpunt bereikt wordt, is dat niet voldoende op zich om het onderzoek als succesvol te beschouwen.** Zoals reeds eerder gesteld hangt het succes van een klinisch onderzoek af van het *primaire* eindpunt ervan.

Toch geven secundaire eindpunten ons soms zeer belangrijke informatie. Ze laten ons mogelijk andere manieren zien waarop het middel de ziekte verbetert, waardoor we een beter inzicht krijgen in de manier waarop geneesmiddelen werken bij mensen. Secundaire eindpunten zijn dus informatief omdat ze ons iets vertellen over het soort effecten waarop we ons kunnen richten in toekomstige onderzoeken.

Omgaan met meerdere eindpunten

Als primaire eindpunten het enige is waar de FDA om geeft, waarom zouden we dan niet gewoon *elke* vraag, elk primair of secundair eindpunt, de hele mikmak, primair eindpunt noemen, zodat ze allemaal van belang zijn voor de FDA? Zou dit een geneesmiddel niet de beste kans van slagen geven?

Toch niet echt. Om het probleem van deze benadering te begrijpen, maken we gebruik van een analogie.

Stel je voor dat een leraar de wetten van de waarschijnlijkheid uitlegt aan een klas vol studenten, die elk een muntstuk hebben. Als de leraar één student de munt 5 keer laat opgooien, wat is dan de kans dat deze student 5 keer kop (of munt) zou krijgen? Eenvoudige wiskunde vertelt ons dat er 1 kans op 32 is dat er zoiets zou gebeuren. Als er dus maar een student dit “experiment” doet, is het vrij onwaarschijnlijk dat hij 5 keer kop na mekaar gooit.

Maar stel je voor dat de leraar alle 32 leerlingen in de klas dit experiment op hetzelfde moment laat doen. Wat dan? Met een 1 kans op 32 op succes, is er een vrij grote kans dat iemand het geluk heeft om 5 keer kop na mekaar te gooien.

Op precies dezelfde manier kan **ieder extra eindpunt in een klinisch onderzoek in principe beschouwd worden als het toevoegen van een leerling die zijn munt opgooit.** Meer eindpunten geven een experimenteel geneesmiddel meer kansen op “succes”, gewoon bij toeval.

Als wetenschappers resultaten van klinische proeven met veel eindpunten analyseren, moeten ze velen ervan met een korreltje zout nemen. Als we veel eindpunten meten, moeten we hogere normen hanteren om te bepalen hoe indrukwekkend het positieve effect is dat we zien.



Toevoeging van eindpunten aan een klinisch onderzoek maakt het eigenlijk moeilijker om te slagen voor dit onderzoek.
Foto of beeldvorming:
freeimages.com

Wetenschappers zijn voorzichtig bij de berekening van meerdere vergelijkingen wanneer ze de resultaten van klinische proeven aan wetenschappelijke tijdschriften of de FDA rapporteren. Maar ZvH wetenschappers zijn niet altijd zo voorzichtig in persberichten en nieuwsberichten die ook vaak de bron zijn van informatie voor patiënten en families.

Zijn meerdere vergelijkingen echt belangrijk?

Om je ervan te overtuigen dat het trekken van verkeerde conclusies op deze manier echt een probleem is, kijken we naar een voorbeeld van wat er mis kan gaan als we dit probleem van meerdere vergelijkingen negeren.

In 2005, hebben wetenschappers een geneesmiddel, ethyl-EPA genaamd, in een ZvH klinisch onderzoek getest. Ethyl-EPA stabiliseert de energiecentrales die de hersencellen voorzien van energie en verbeteren op die manier de gezondheid van de cel. Er was dus reden om te geloven dat het zou kunnen helpen in de ZvH. Het primaire eindpunt van dit onderzoek was de vraag of ethyl-EPA de motorische symptomen in ZvH patiënten kon verbeteren en de secundaire eindpunten waren gericht op veranderingen in andere symptomen en patiënten subgroepen.

Helaas heeft deze test haar primaire eindpunt niet bereikt: ethyl-EPA verbeterde de motorische symptomen in ZvH patiënten niet meer dan een placebo. Volgens de zwart-wit definitie van succes van de FDA, was de test mislukt.

Maar de wiskundigen hadden bij het analyseren van dit onderzoek iets opgemerkt. Hoewel het primaire eindpunt niet werd bereikt, werd wel voldaan aan een *secundair* eindpunt: ethyl-EPA verbeterde de motorische symptomen bij patiënten met relatief milde ZvH mutatie. Daarom leek het alsof ethyl-EPA zou kunnen werken, maar alleen voor patiënten in deze specifieke groep.

Vergeet echter niet dat de verbetering van de symptomen in deze subgroep van patiënten **niet** het primaire eindpunt van het onderzoek was en dat we een test niet als succesvol kunnen beschouwen vanuit een secundair eindpunt. Op deze manier lopen we blindelings in het probleem van meervoudige vergelijkingen. Dit onderzoek was niet *ontworpen* om meerdere eindpunten aan te pakken. Doen alsof dat wel zo was, bracht ons in een statistische risicozone,** waar onze conclusies verkeerd konden zijn.**

Niettemin werd op basis van het “succes” van dit secundaire eindpunt, een nieuw klinisch onderzoek opgezet om ethyl-EPA te testen in de ZvH. Deze keer vroeg het primaire eindpunt *specifiek* of ethyl-EPA motorische symptomen verbeterde bij patiënten met milde ZvH mutaties.



Negeren van meerdere vergelijkingen is gevaarlijk omdat het kan leiden tot verkeerde conclusies over het succes van een klinisch onderzoek.
Foto of beeldvorming: [freemages.com](https://www.freemages.com)

Helaas, net als in het oorspronkelijke onderzoek, verbeterde ethyl-EPA de motorische symptomen *zelfs niet* bij deze specifieke groep van patiënten.

Er schuilt dus gevaar in het negeren van meervoudige vergelijkingen en in het interpreteren van secundaire eindpunten zoals primaire eindpunten in klinische onderzoeken. Als we niet corrigeren voor meervoudige vergelijkingen zijn de conclusies die wij trekken uit een onderzoek dikwijls verkeerd. Zulke verkeerde conclusies verhogen onze hoop over het geneesmiddel, alleen om die hoop nadien de bodem in te slaan als de vervolgprouven falen.

Het komt er dus op neer dat, als een bedrijf, een onderzoeker of een nieuwsartikel bericht over resultaten van klinische onderzoeken, het belangrijk is om te weten of ze hebben gecorrigeerd voor meervoudige vergelijkingen. Als ze dat niet gedaan hebben, kan je hun conclusies beter met een korreltje zout nemen.

Klinisch onderzoek: stadia

Nu we de fundamenteën van de proefopzet van een klinisch onderzoek hebben besproken en het belang van een goed begrip van deze fundamenteën voor de interpretatie van testresultaten, kunnen we meer in detail uitleggen welke types van klinische proeven een kandidaat-geneesmiddel ondergaat op zijn weg naar FDA goedkeuring.

Je kan klinische onderzoeken beschouwen als een hordeloop die elk kandidaat-geneesmiddel moet afleggen voordat het wordt goedgekeurd voor menselijk gebruik. De horden maken de weg naar mogelijke behandelingen soms lang, maar ze zijn eigenlijk van cruciaal belang en beschermen mensen tegen blootstelling aan potentieel gevaarlijke of gewoon ineffectieve geneesmiddelen.

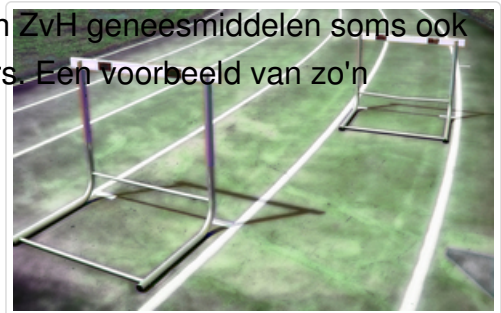
Fase 1: is dit geneesmiddel veilig?

De eerste horde die een kandidaat-geneesmiddel moet nemen, moet voor bewijs zorgen dat het veilig is voor mensen. Traditioneel wordt dit vastgesteld in een fase 1 klinisch onderzoek, waarbij een klein aantal gezonde vrijwilligers het geneesmiddel inneemt om te zien of zich geen onverwachte gevaren voordoen.

Omdat hun primaire eindpunt **veiligheid** is, zijn fase 1 onderzoeken succesvol als het nieuwe geneesmiddel geen onaanvaardbare neveneffecten heeft.

Mensen die deelnemen aan fase 1 klinisch onderzoeken, zijn vaak de eerste mensen die het nieuwe geneesmiddel te ontvangen krijgen. Daarom worden deze onderzoeken normaal gedaan bij (dappere!) gezonde vrijwilligers in plaats van bij kwetsbare patiënten. Maar bij sommige fase 1 onderzoeken zijn de risico's ethisch onaanvaardbaar voor gezonde individuen en wordt de veiligheid geëvalueerd bij patiënten. Zo zijn de fase 1 onderzoeken van chemotherapiemiddelen vaak gebeurt bij kankerpatiënten vanwege de ernstige toxiciteit en bijwerkingen van deze middelen.

Vanwege ethische bezwaren worden fase 1 onderzoeken van ZvH geneesmiddelen soms ook gedaan bij ZvH patiënten in plaats van bij gezonde vrijwilligers. Een voorbeeld van zo'n onderzoek is het 2015 Isis onderzoek, dat de veiligheid van een gen-uitschakelmedicijn bij ZvH patiënten moet beoordelen. Het zou onethisch zijn gezonde vrijwilligers te vragen de invasieve toedieningsprocedures van het onderzoek te ondergaan.



Klinische onderzoeken kunnen beschouwd worden als een hordeloop die elk kandidaat-geneesmiddel moet afleggen voordat het wordt goedgekeurd voor menselijk gebruik.
Foto of beeldvorming:
freeimages.com

Ongeacht wie de deelnemers zijn in fase 1 klinische onderzoeken, willen deze **alleen nagaan of een geneesmiddel toxisch is of niet**, *niet* of patiënten er daadwerkelijk voordeel bij hebben. Als je dus een nieuwsbericht leest over het 'overwinnen' van de fase 1 horde, vergeet dan niet dat het geneesmiddel nog veel meer hindernissen over moet voor we duidelijk weten of het zou kunnen helpen in de ZvH.

Fase 2: Is dit geneesmiddel nuttig?

Het einddoel van klinische onderzoeken is natuurlijk te bewijzen dat het nieuwe geneesmiddel daadwerkelijk helpt bij de ZvH. Op weg naar dit doel, kan een kandidaat-geneesmiddel dat de fase 1 veiligheid horde overwint, overgaan naar een fase 2 onderzoek dat **meer gericht is op de veiligheid en werkzaamheid ervan**. Fase 2 klinische onderzoeken hebben gewoonlijk een groter aantal patiënten dan fase 1 onderzoeken (van tientallen tot honderden) en worden voornamelijk gedaan bij mensen met de ziekte waarvoor het geneesmiddel bedoeld is.

Sommige fase 2 onderzoeken hebben verrassend genoeg "veiligheid" als primaire eindpunt net zoals in fase 1 onderzoeken. Bij de ZvH zijn bijvoorbeeld Prequel, Reach2HD, DIMOND, Omeros 'OMS824 onderzoek, en Pre-CREST op veiligheid gerichte fase 2 onderzoeken. De meeste van deze onderzoeken hadden ook een aantal secundaire eindpunten zoals het bekijken van ZvH symptomen bij behandelde patiënten, maar hun uiteindelijke succes of mislukking was *enkel* afhankelijk van de veiligheid van de geteste geneesmiddelen.

Als je hebt opgelet, wil je waarschijnlijk weten waarom farmaceutische bedrijven fase 2 proeven willen doen met veiligheid als primair eindpunt. Welk belang hebben zij bij het nemen van deze horde die ze al overwonnen hebben in het fase 1 onderzoek?

Net zoals veel dingen in het leven hangt het antwoord deels samen met geld. Klinische onderzoeken uitvoeren bij mensen is ongelooflijk duur. Veel bedrijven die ZvH onderzoek doen, hebben simpelweg niet de middelen om fase 2 onderzoeken te doen die gefocust zijn op de werkzaamheid van het middel. Een succesvol, op veiligheid gericht fase 2 onderzoek, kan echter fondsen binnenhalen voor de financiering van verdere onderzoeken om na te gaan of het geneesmiddel werkt. Verder hebben, zoals hierboven opgemerkt, op veiligheid gerichte fase 2 onderzoeken bijna altijd bijkomende *secundaire* eindpunten die gericht zijn op de werkzaamheid. Deze eindpunten bekijken de effecten van het geneesmiddel op een hele reeks van symptomen van de ziekte - zonder het risico te lopen dat het onderzoek mislukt als

sommige eindpunten niet gehaald worden. Deze informatie helpt bedrijven om nadien op werkzaamheid gefocuste onderzoeken te ontwerpen die gericht zijn op de juiste eindpunten en die een grotere kans van slagen hebben.

Sommige fase 2 onderzoeken bestuderen onmiddellijk de vraag of het geneesmiddel in het onderzoek de ziekte beïnvloedt zoals het bedoeld is. Fase 2 onderzoeken, gefocust op werkzaamheid, gebruiken maatstaven van de symptomen als hun primaire eindpunten. Bij de ZvH zijn zulke fase 2 onderzoeken bijvoorbeeld de Amaryllic, Legato en Pride-HD onderzoeken. Als je hoort dat een van deze onderzoeken voldoet aan haar primaire eindpunt, weet je dat het geneesmiddel dat wordt getest feitelijk effect heeft op de ZvH symptomen.

De boodschap is dus dat fase 2 klinische onderzoeken, zowel de veiligheidsonderzoeken als onderzoeken gefocust op werkzaamheid, potentieel nieuwe ZvH geneesmiddelen richting kliniek kunnen brengen. Vergeet echter niet dat je **een fase 2 onderzoek enkel geslaagd kunt noemen is als je weet wat het primaire eindpunt van dit onderzoek was**. Het maakt niet uit hoe spannend de resultaten zijn, een fase 2 onderzoek dat enkel gericht is op veiligheid, is niet voldoende om een geneesmiddel goedgekeurd te krijgen.

Fase 3: werkt dit geneesmiddel echt?

Kandidaat-geneesmiddelen die met succes hun fase 2 klinische onderzoeken doorlopen, kunnen nu op weg naar de laatste horde van de lange reis naar goedkeuring, namelijk de testen in fase 3 klinisch onderzoek.

Fase 3 klinische onderzoeken zijn zeer omvangrijke, dure en van nature lange onderzoeken die de effecten van een geneesmiddel op ziektesymptomen zorgvuldig bestuderen. Fase 3 onderzoeken hebben vaak honderden tot duizenden patiënten en kunnen jaren duren om te voltooien. Deze onderzoeken duren zo lang vanwege de vele deelnemers en omdat deze deelnemers gedurende lange periodes gevolgd dienen te worden om te bewijzen dat het geneesmiddel echt veilig en effectief is.

Fase 3 klinische onderzoeken hebben altijd **werkzaamheid** als primair eindpunt. Een succesvol fase 3 klinisch onderzoek laat ons met vertrouwen zeggen dat het geneesmiddel dat wordt getest een specifiek aspect van de ziekte in kwestie verbetert. Deze onderzoeken zijn dus degenen die ons echt enthousiast maken als we denken over ZvH behandelingen.

Tot op heden zijn een aantal fase 3 onderzoeken met ZvH geneesmiddelen uitgevoerd met inbegrip van 2Care, Crest-E, HART, MermaiHD en First-HD. In elk van deze onderzoeken was de hoop dat het onderzochte geneesmiddel zeker zou helpen tegen de ZvH symptomen. Slechts één recent ZvH fase 3 onderzoek, First-HD, slaagde erin te voldoen aan haar primaire eindpunt.



Denk eraan: zeggen dat een fase 2 onderzoek geslaagd is, is **alleen** zinvol als je weet wat het primaire eindpunt van dat onderzoek was.

Dit hoge percentage van fase 3 onderzoeksmislukkingen is niet ongewoon en is in lijn met wat er gebeurt in onderzoeken voor vele andere ziekten. Het betekent zeker niet dat toekomstige fase 3 klinische onderzoeken met ZvH geneesmiddelen gedoemd zijn te mislukken. In plaats daarvan herinnert het hoge percentage mislukkingen ons er aan dat het vinden van geneesmiddelen om de ZvH te behandelen een moeilijk probleem is, maar dat veel echt slimme en toegewijde mensen hard werken om dit op te lossen.

Te onthouden

Iedereen in de ZvH gemeenschap - onderzoekers, artsen en families - wil niets meer dan de ontwikkeling van effectieve therapieën voor de ziekte. Om dat te bereiken, hebben we succesvolle fase 3 onderzoeken van effectieve therapieën nodig.

Op weg naar dit doel moeten veel fase 1 en 2 onderzoeken worden gedaan. Een goede strategie om teleurstelling te vermijden is het hoofd koel houden als je leest over deze vroege proeven - en hun verbijsterende reeks van eindpunten. Vergeet niet, **het is het primaire eindpunt van het onderzoek dat echt telt**, dus weten wat dat eindpunt is zal je helpen om hoop van hype te onderscheiden in mededelingen van klinische onderzoeken.

Tot slot: veel nieuwe onderzoeken zijn gepland in de toekomst en de trend lijkt zeker te gaan in de richting van grotere en betere onderzoeken. Wij zijn dus hoopvol dat er in de nabije toekomst nieuwe resultaten van fase 1, 2 en 3 klinische onderzoeken te lezen zullen zijn op HDBuzz.

De originele versie van dit verhaal werd ten onrechte beschreven als de stand van fase 3 onderzoeken in de ZvH. Deze informatie is gecorrigeerd in de huidige versie.

De auteurs hebben geen belangenconflicten te verklaren. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie FAQ...

Verklarende woordenlijst

secundaire eindpunten bijkomende vragen in een klinisch onderzoek dat wetenschappers toelaat om de effecten van het geneesmiddel zo breed mogelijk te bekijken in behandelde patiënten

klinisch onderzoek zeer zorgvuldig geplande experimenten, ontworpen om specifieke vragen te beantwoorden omtrent het effect van een medicijn op mensen

primaire eindpunt de belangrijkste vraag in een klinisch onderzoek

placebo is een namaakmedicijn zonder actieve ingrediënten. Het placebo effect is een psychologisch effect waardoor mensen zich beter gaan voelen, zelfs als zij een pil nemen die niet werkt.

HDBuzz is geen bron van medisch advies. Voor meer informatie ga naar hdbuzz.net
Gegenereerd op 16 januari 2018 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/203>