



Hoe loopt de weg naar een nieuw medicijn, en waarom duurt het zo lang?

Auteur: Margot Geerts MSc, verpleegkundig specialist Maastricht UMC+

De ontwikkeling van een nieuw medicijn of vaccin is een moeilijk, langdurig, intensief en kostbaar traject. Het duurt ruim 12 jaar en kost meer dan 1 miljard euro om al het benodigde onderzoeks- en ontwikkelingswerk te doen voordat een nieuw medicijn beschikbaar komt. Op het Spierziektecongres op 16 september vertelde Margot Geerts, verpleegkundig specialist bij Maastricht UMC+ hierover.

Medicijnontwikkeling is niet zo eenvoudig, de meeste stoffen (ongeveer 98%) die worden ontwikkeld, halen de markt niet als nieuw geneesmiddel. Dit komt voornamelijk doordat de voordelen niet opwegen tegen de risico's of negatieve bijwerkingen ten opzichte van de medicijnen die al verkrijgbaar zijn voor patiënten. Er zijn verschillende soorten onderzoek en voorafgaand aan medicijnonderzoek wordt eerst ontdekkingsonderzoek en onderzoek in het laboratorium verricht. Daarna volgt onderzoek met mensen. Het onderzoek met mensen bestaat uit 4 fasen en duurt gemiddeld 6 tot 7 jaar. Het doel hiervan is de werkzaamheid en veiligheid van medicijnen te onderzoeken. Het wordt meestal uitgevoerd in samenwerking met de farmaceutische industrie.

Onderzoek in fasen

Fase 1

Fase 1-onderzoek wordt meestal uitgevoerd op een klein aantal (20 tot 80) gezonde vrijwilligers en duurt ongeveer een jaar. Het doel is om te achterhalen wat veilige doses van de mogelijk werkzame stof zijn en welke bijwerkingen kunnen optreden.

Fase 2

Fase 2-onderzoek richt zich op het onderzoeken van het kandidaat-medicijn bij mensen met de aandoening waarvoor dit een mogelijke behandeloptie is. In dit onderzoek worden de veiligheid, de bijwerkingen en de mogelijke risico's onderzocht. Daarbij wordt de meest effectieve dosering bepaald en de meest geschikte methode van toediening onderzocht.

Fase 3

Fase 3-onderzoek zorgt voor meer kennis over effectiviteit, voordelen en eventuele bijwerkingen van het kandidaat-medicijn. Aan deze studie doen honderden tot duizenden mensen mee die de aandoening hebben waarvoor het medicijn wordt voorgeschreven. Net als in fase 2 wordt gewerkt met placebo (een middel zonder de werkzame stof) en controlegroepen die willekeurig worden samengesteld. Als dit onderzoek met succes is afgerond, kan het nieuwe geneesmiddel voor registratie worden aangeboden.

Fase 4

Na registratie volgt fase 4-onderzoek. In deze fase wordt onder de gebruikers gemonitord op bijwerkingen en effecten op de langere termijn. Hiermee wordt aanvullende informatie verzameld. Het onderzoek naar eventuele bijwerkingen blijft altijd doorgaan.

**HET DUURT ONGEVEER 10 TOT 16 JAAR VOORDAT EEN NIEUW
MEDICIJN OP DE MARKT KOMT**

Toezicht

Het doorlopen van deze fasen neemt behoorlijk wat tijd in beslag. Het duurt ongeveer 10 tot 16 jaar voordat een nieuw medicijn op de markt komt. De Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd houdt nationaal en internationaal toezicht op de uitvoering van medicijnonderzoek dat onder de Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen (WMO) valt. Het toezicht bestaat uit het onderzoeken van meldingen of signalen en inspectiebezoeken.

Naast de WMO is er ook nog andere (inter-)nationale wet- en regelgeving voor medicijnonderzoek met proefpersonen. De vereiste onderzoeksbevoegdheden van alle medewerkers voor een medicijnonderzoek met proefpersonen liggen vast. Deze bevoegdheden zijn gelijkgesteld aan de bevoegdheden van de professional, bijvoorbeeld van een verpleegkundige. De bevoegdheden staan in het Beroepsprofiel en in de Wet BIG: dat staat voor Wet op de beroepen in de individuele gezondheidszorg.

Biogenstudie

Ook in het Maastricht UMC+ zijn al enkele medicijnonderzoeken voor patiënten met DVN geweest. De Vertex- en Biogenstudie zijn medicijnonderzoeken waarbij medicijnen die nog niet op de markt verkrijgbaar zijn werden onderzocht. De resultaten van de Vertexstudie zijn niet verder bekend gemaakt en het medicijn is niet op de markt gebracht voor patiënten met DVN. De Biogenstudie betrof onderzoek naar een nieuwe natriumkanalblokker. Het doel van dit onderzoek was de veiligheid en effecten van het onderzoeksmiddel te onderzoeken. Het onderzoeksmiddel werd getest als behandeling van idiopathische DVN (waarvan de oorzaak onbekend is) of die verband houdt met diabetes mellitus.

Recent zijn de resultaten van de Biogenstudie gepubliceerd in een internationaal wetenschappelijk tijdschrift en kon geconcludeerd worden dat het onderzoeksmiddel Vixotrigine een veelbelovende behandelingsoptie is voor zenuwpijn.