

Como são desenvolvidos os Medicamentos

Visão geral

O processo de desenvolvimento de medicamentos leva anos para concluir suas várias etapas e é caro - US \$ 1 a 3 bilhões de dólares – para se ter uma ideia básica de pesquisa até os ensaios clínicos e a aprovação da FDA. A colaboração é essencial. Pesquisadores de todo o mundo na academia, governo, organizações sem fins lucrativos e indústria trabalham juntos para seguir o caminho do desenvolvimento de medicamentos da maneira mais rápida e eficiente possível.

Etapas no desenvolvimento de medicamentos

1. Descoberta

Pesquisa básica: Cientistas de todos os setores da pesquisa (governo, academia, organizações sem fins lucrativos e indústria) contribuem para a compreensão do processo da doença, levando os pesquisadores a identificar possíveis caminhos da doença como alvos de medicamentos. Esta etapa é concluída usando uma variedade de ferramentas experimentais, incluindo análise bioquímica de proteínas envolvidas na doença e desenvolvimento de modelos usando modelos de células e animais em laboratório.

Descoberta de medicamentos: Uma variedade de abordagens de tratamento está em desenvolvimento para a ELA, incluindo abordagens de pequenas moléculas, abordagens de terapia gênica e tecnologias anti-sentido.

Pesquisadores da indústria e da academia identificam entidades químicas apropriadas com base em caminhos que se acredita serem relevantes para a doença. Essas entidades químicas são selecionadas em telas grandes de milhares de moléculas. Aqueles que parecem interagir com o alvo de interesse e podem ser identificados por uma leitura apropriada são selecionados e otimizados ainda mais. Há uma variedade de propriedades químicas necessárias para que um medicamento seja desenvolvido em uma terapia. Para a ALS, é essencial que o composto seja capaz de penetrar na barreira hematoencefálica. Também é necessário o teste de toxicidade em modelos celulares e animais em laboratório. As parcerias acadêmicas e do setor são extremamente valiosas e devem ser incentivadas no início do processo de desenvolvimento para maximizar as habilidades e os conhecimentos adequados.

2. Pré-clínico

Os pesquisadores testam extensivamente a droga para determinar se ela é segura o suficiente para estudos em humanos, novamente usando modelos de células e animais.

3. Desenvolvimento Clínico

Inscrição em investigação sobre novos medicamentos (IND): As empresas farmacêuticas / biotecnológicas fornecem à Food and Drug Administration (FDA) um IND, que contém todos os resultados de testes pré-clínicos e planos para testes clínicos, para que o FDA possa determinar se o medicamento é suficientemente seguro para passar para ensaios em humanos.

4. Ensaio clínico

O medicamento candidato é avaliado quanto à segurança e eficácia em três fases dos ensaios clínicos, geralmente começando com testes em um pequeno grupo de voluntários saudáveis e depois passando para grupos maiores de pacientes.

Submissão de novo pedido de medicamento (NDA) / pedido de licença biológica (BLA): O patrocinador do medicamento (empresa) envia um NDA ou BLA ao FDA solicitando aprovação para comercializar o medicamento. Essas aplicações abrangentes contêm os resultados e a análise de dados de todo o programa de desenvolvimento clínico e testes pré-clínicos anteriores, bem como os planos de rotulagem e fabricação propostos para o novo medicamento.

Revisão da FDA: A FDA analisa a submissão de NDA ou BLA para determinar se o medicamento pode ser aprovado para uso dos pacientes. Eles podem solicitar a opinião de um comitê consultivo independente.

Aprovação da FDA: Após revisões abrangentes da segurança e eficácia do medicamento, o FDA aprovará o medicamento ou solicitará estudos adicionais. Se o medicamento for aprovado, a formulação, ampliação e fabricação do medicamento serão iniciadas.

5. Estudo em andamento da droga

Pesquisa e Monitoramento Pós-Aprovação: A empresa patrocinadora monitora o medicamento conforme ele é usado na população maior para capturar quaisquer efeitos colaterais graves inesperados. Eles também coletam dados adicionais, tanto através de estudos clínicos formais quanto da coleta de evidências do mundo real, que podem revelar maior potencial terapêutico em outras indicações, formulações, combinações, etc...

Por que isso importa?

Estudos em todo o mundo, estão em andamento para desenvolver tratamentos e curas eficazes para a ELA. Trazer uma terapia eficaz para as pessoas que vivem com ELA apresenta muitos desafios técnicos. O desenvolvimento de medicamentos pode levar pelo menos 10 anos, em média, a um custo de US \$ 1-3 bilhões. É fundamental a colaboração estratégica com o governo, organizações sem fins lucrativos, empresas farmacêuticas / de biotecnologia e a academia para avançar rapidamente em pesquisa, atendimento ao paciente e iniciativas de políticas públicas. As pessoas que vivem com ELA são merecem que façamos tudo para garantir que tratamentos mais eficazes sejam desenvolvidos.