

## **Þróun lyfja gegn Alzheimer sjúkdómi og þátttaka í lyfjarannsóknum**

Árangur lyfjarannsókna við Alzheimer sjúkdómi er sá lakasti sem dæmi eru um í læknisfræðinni. Af tæplega 150 lyfjum sem hafa verið rannsökuð á þessari öld hefur aðeins eitt komist á markað, *memantin* sem fékk markaðsleyfi í byrjun aldarinnar, sjá 8. pistil.

Í síðasta pistli var fjallað um amyloid tilgátuna og lyfjaþróun á grundvelli hennar. Enn er ekki búið að skrifa síðustu kaflana í þeirri sögu en hingað til hefur enginn árangur orðið. Aðrar tilgátur eru líka til skoðunar og því eru margar rannsóknir í gangi með þátttöku sjúklinga og/eða þeirra sem eru í áhættu. Alþjóðleg lyfjafyrirtæki hafa sýnt áhuga á samvinnu við rannsækendur hér á landi og því er við hæfi að fjalla lítillega um hvað felist í þátttöku í slíkum rannsóknum.

Lyfjarannsóknir skiptast í þrjú stig.

Á *fyrsta stigi* er tilgangurinn að rannsaka hugsanlegar aukaverkanir og þátttakendur eru fáir. Þessar rannsóknir taka skamman tíma, oftast fáeinir vikur. Á *öðru stigi* er hugsanlegur ávinningur metinn auk þess sem áfram er fylgst með hugsanlegum aukaverkunum. Þátttakendur eru fleiri og tíminn talinn í mánuðum, oft um hálf t. Eftir það ákveður fyrirtækið hvort það sé þess virði að hefja síðasta og stærsta áfangann eða *þriðja stigið* til að sýna á fram á virkni lyfsins. Að því loknu er sótt um markaðsleyfi. Þátttakendur skipta þá hundruðum og stundum þúsundum og tíminn er talinn í árum.

Líklega munu annars og þriðja stigs rannsóknir fara fram hér á landi og á mörgum stöðum erlendis samtímis.

Ferli í hverri lyfjarannsókn skiptist í þrjú hluta.

Byrjað er á skimun og gengið úr skugga um að skilyrði til þátttöku séu uppfyllt. Auk viðtala og fyrirlagnar verkefna eru ýmsar rannsóknir gerðar svo sem blóðprufur, myndatökur og stundum rannsókn á mænuvökva.

Þá tekur við lyfjarannsóknin sjálf þar sem þátttakendur eru metnir á 3-6 mánaða fresti og stundum oft. Metin er verkun lyfsins og hugsanlegar aukaverkanir, stundum teknar prufur og vitræn geta er metin með verkefnum.

Í kjölfar lyfjarannsóknarinnar er eftirfylgd og lokaheimsóknin er að jafnaði eftir nokkar vikur.

Í öllum lyfjarannsóknum er þátttakendum skipt í tvo hópa þar sem annar fær virka lyfið en hinn lyfleysu. Hvorki þátttakandi né rannsakandi veit hver fær hvað. Skiptingin er gerð miðlægt, slembiraðað með tölvukerfi og mjög fáir hafa aðgang að upplýsingunum.

Allar lyfjarannsóknir þurfa að fá leyfi þar til bærra yfirvalda.

Hér á landi eru þau Vísindasiðanefnd, Persónuvernd og Lyfjastofnun.

Þau meta áhættu og hugsanlegan ávinning af þátttöku og margvísleg skilyrði eru sett. Áhersla er lögð á góðar og ítarlegar upplýsingar og því er upplýsingatexti til þátttakenda langur og ítarlegur. Allir fá umhugsunartíma og rannsakendur mega hvorki beita þrýstingi af neinu tagi né veita sérstaka umbun fyrir þátttöku.

Það er réttur hvers og eins að hætta þátttöku hvenær sem er án þess að þurfa að gefa upp ástæðu. Engu að síður er það ekki léttvæg skuldbinding að ákveða þátttöku og mikilvægt er lesa upplýsingar vel.

Mörgum er mikilvægt að leggja sitt að mörkum til vísinda og eru þess vegna tilbúnir til að leggja þetta á sig.

Frekari upplýsingar verða gefnar á heimasíðu Alzheimer þegar það er tímabært.