NATIONALT VIDENSCENTER FOR DEMENS

Afprøvning af medicin mod demens

Man kan jævnligt læse i medierne, at nye lægemidler og immunterapier mod Alzheimers sygdom er ved at blive afprøvet og tilsyneladende er lige på trapperne. Men i praksis går der mange år før nye lægemidler kan tilbydes patienterne. Hvor lang er vejen egentlig fra laboratoriet til et nyt lægemiddel kan anvendes i praksis?

Lægemidler skal bestå af tre faser

Alle ny forsøgslægemidler gennemgår en klinisk afprøvning i flere faser. Det samlede forløb strækker sig normalt over mange år. Forud for dette er der en grundig præklinisk afprøvning i laboratoriet, der bl.a. omfatter afprøvning på forsøgsdyr. I Danmark skal alle medicinforsøg i hver af de tre faser i den kliniske afprøvning godkendes af Sundhedsstyrelsen.

- **Fase 1:** Første afprøvning af forsøgslægemidlet på mennesker – typisk en lille gruppe (ca. 20 til 80) personer. Nogle gange sker afprøvningen ved fase 1 på raske kontrolpersoner, og andre gange på personer med den sygdom, medicinen udvikles til. Formålet er primært at undersøge lægemidlets sikkerhed, eventuelle bivirkninger og dets optagelse, fordeling, omsætning og udskillelse i kroppen. Et andet mål er desuden at finde frem til den bedste dosis.
- **Fase 2:** Forsøgslægemidlet afprøves på en gruppe patienter med den sygdom, som medikamentet retter sig imod – typisk 100 til 300 patienter. Formålet er at undersøge behandlingseffekten ved forskellige doser og opnå yderligere viden om eventuelle bivirkninger. Ofte er der mange undersøgelser af hver deltager for at opnå dokumentation for medicinens virkning.
- **Fase 3:** Forsøgslægemidlet afprøves på en større gruppe – typisk 1.000 til 3.000 – patienter. Formålet er at opnå en endelig dokumentation for behandlingseffekten og sikkerheden. Det er forsøgene i fase 3, som skal dokumentere over for myndighederne, at medicinen virker.

Afhængigt af udfaldet af fase 3 kan et lægemiddel blive godkendt af myndighederne til anvendelse i klinisk praksis – det vil sige, at lægemidlet tilbydes patienterne i behandlingen af deres sygdom. Når et nyt medikament er kommet på markedet, vil man afprøve medicinen på andre måder. Det kan være i kombination med anden medicin eller ved andre sygdomme. Dette kaldes også fase 4.

Hvorfor er det svært at udvikle lægemidler mod Alzheimers sygdom?

Alzheimer er en kompleks sygdom, der involverer flere forskellige sygdomsprocesser. Den nuværende behandling med kolinesterasehæmmere retter sig kun mod et enkelt aspekt af sygdommen: manglen på signalstoffet acetylkolin. Flertallet af de immunterapier eller 'vacciner', der afprøves i disse år, retter sig mod et andet aspekt af sygdommen: ophobningen af en skadelig variant af proteinstoffet beta-amyloid i hjernen.

Men det vides endnu ikke, om en behandling, der alene retter sig mod beta-amyloid, i praksis vil have afgørende virkning på demenssymptomerne. Måske er det nødvendigt at udvikle behandlingsmetoder, der retter sig mod andre sygdomsmekanismer involveret i Alzheimer – cerebral amyloid angiopati, ophobning af fosforyleret tau-protein (tangles) inde i hjernecellerne, betændelsesreaktioner i hjernen, forstyrrelser i immunsystemet m.v.

NATIONALT
VIDENSCENTER
FOR DEMENS

[Læs mere om kliniske forsøg med lægemidler på Lægemiddelstyrelsens hjemmeside]

Senest opdateret: 29. september 2020