Fasen van geneesmiddelenonderzoek

Preklinische fase

* target finding: zoektocht naar het eiwit/gen dat de oorzaak is van de ziekte
* lead finding: zoektocht naar de biologisch actieve stof die heel gericht dit doeleiwit uitschakelt of juist aanzet tot activiteit
* lead optimization: aanpassen van het leadmolecuul zodat de gewenste werking optimaal is en de ongewenste bijwerkingen minimaal
* testen in het laboratorium op cellen en proefdieren (toxiciteit, werking)

Klinisch onderzoek

* Fase 1: kleine groep gezonde mensen (20-100) krijgen oplopende doseringen van de stof. Gekeken wordt naar veiligheid
* Fase 2: gemeten wordt het effect van het nieuwe geneesmiddel bij een kleine groep patiënten die een bepaalde ziekte of aandoening hebben waarvoor het geneesmiddel bedoeld is. In deze fase is het belangrijkste doel de optimale dosis, veiligheid en de effectiviteit van het geneesmiddel vast te stellen. Onderzoeken zijn gewoonlijk dubbelblind, dat wil zeggen dat patiënt en arts niet weten wie het werkzame middel krijgt en wie de placebo.
* Fase 3: grootschalig dubbelblind onderzoek (honderden tot duizenden patiënten) uitgevoerd in diverse ziekenhuizen/onderzoekscentra in verschillende landen. Deze onderzoeken worden uitgevoerd om verder  inzicht te krijgen in de effectiviteit, voordelen en bijwerkingen van het te onderzoeken middel. Hierbij wordt het nieuwe middel naast een vergelijking met placebo vaak ook vergeleken met het tot dan toe meest gebruikte geneesmiddel voor deze patiënten. Hiermee moet worden aangetoond dat het nieuwe geneesmiddel een verbetering is ten opzichte van de bestaande middelen.
* Registratie: de laatste stap bij het ontwikkelen van een nieuw geneesmiddel is de goedkeuring voor toelating op de markt. Om de patiënt te beschermen mogen geneesmiddelen alleen worden verkocht, nadat de bevoegde autoriteiten hiervoor toestemming hebben gegeven. In Nederland is dit het college ter beoordeling van geneesmiddelen (CBG), in Europa het EMEA en in de VS de FDA.
* Fase 4: wordt ook wel de post-marketing fase genoemd. Hierbij mag het middel worden voorgeschreven door artsen aan de patiënten met de indicatie waarvoor het geneesmiddel geregistreerd is. Belangrijk is dat de veiligheid van het geneesmiddel bewaakt blijft. In Nederland speelt het Lareb hierbij een rol.

