

Роль клінічних досліджень у розвитку фармацевтичної науки

Г. В. Зайченко¹, С. П. Посохова²

¹Національний медичний університет імені О. О. Богомольця, м. Київ

²Одеський національний медичний університет

Мета дослідження: аналіз впливу сучасних клінічних досліджень (КД) на розвиток фармацевтичної науки для забезпечення пацієнтів ефективними та безпечними лікарськими засобами.

Матеріали та методи. Застосовано бібліосемантичний метод для аналізу стандартизації функцій міжнародних регуляторних органів, зокрема Food and Drug Administration та European Medicines Agency, які вимагають суворого дотримання принципів Good Clinical Practice та настанов International Council for Harmonisation, що гарантує етичність, достовірність і відтворюваність КД. Сучасна методологія КД ґрунтується на використанні рандомізації, подвійного сліпого контролю, визначенні контрольних груп і забезпеченні достатньої статистичної потужності. Такі підходи дають змогу мінімізувати систематичні похибки та забезпечити валідність результатів.

Результати. У статті наведено аналітичні дані щодо КД як базової складової фармацевтичної науки, що сприяє трансформації фундаментальних наукових ідей у практичні терапевтичні рішення, висвітлено сучасну методологію КД, охарактеризовано інноваційні процеси формування дизайну КД, зокрема адаптивні та цифрові підходи.

Висновки. КД відіграють центральну роль у розвитку сучасної фармацевтичної науки, забезпечуючи перехід від фундаментальних досліджень до створення ефективних і безпечних лікарських засобів. У сучасних умовах їх еволюція визначається впровадженням штучного інтелекту, персоналізованої медицини, децентралізованих підходів та цифрових технологій моніторингу. Інтеграція інноваційних методів, адаптивних дизайнів досліджень, а також забезпечення прозорості даних і дотримання високих етичних стандартів формують нову парадигму клінічних випробувань і сприяють сталому, технологічно орієнтованому розвитку фармацевтичної галузі.

Ключові слова: клінічні дослідження, фармацевтична наука, регуляторна гармонізація клінічних досліджень, децентралізація клінічних досліджень, етика, охорона здоров'я, репродуктивне здоров'я, нормативно-правове забезпечення, соціально-медичні проблеми.

The role of clinical trials in the development of pharmaceutical science

G. V. Zaychenko, S. P. Posohova

The objective: to analyze the impact of modern clinical trials (CTs) on the development of pharmaceutical science to provide patients with effective and safe medicines.

Materials and methods. The bibliosemantic method was used to standardize the functions of international regulatory institutions, in particular the Food and Drug Administration and European Medicines Agency, which require strict adherence to the principles of Good Clinical Practice and International Council for Harmonisation guidelines, which guarantees the ethics, reliability and reproducibility of CTs. Modern CT methodology is based on the use of randomization, double-blind control, the definition of control groups and ensuring sufficient statistical significance. Such approaches allow to minimize the systematic errors and ensure the validity of the results.

Results. The article presents analytical data on CTs as a basic component of pharmaceutical science, which contributes to the transformation of fundamental scientific ideas into practical therapeutic solutions. The modern methodology of CTs is highlighted, innovative processes for forming the design of CTs are shown, including adaptive and digital approaches.

Conclusions. CTs play a central role in the development of modern pharmaceutical science, facilitating the transition from basic research to the creation of effective and safe medicines. In modern conditions, their evolution is determined by the introduction of artificial intelligence, personalized medicine, decentralized approaches and digital monitoring technologies. The integration of innovative methods, adaptive research designs, as well as ensuring data transparency and adherence to high ethical standards form a new paradigm of clinical studies and contribute to the sustainable, technology-driven development of the pharmaceutical industry.

Keywords: clinical trials, pharmaceutical science, regulatory harmonization of clinical trials, decentralization of clinical trials, ethics, health care, reproductive health, regulatory and legal support, socio-medical issues.

Клінічні дослідження (КД) є базовою складовою фармацевтичної науки, що сприяє трансформації фундаментальних наукових ідей у практичні терапевтичні рішення. Вони забезпечують оцінку безпеки, ефективності та оптимальних режимів застосування лікарських засобів у реальному клінічному контексті, створюючи основу доказової медицини й фармакотерапії [1–3]. В умовах стрімкого розвитку технологій,

глобалізації регуляторних вимог та інтеграції математичних та обчислювальних підходів КД стають дедалі складнішим і багатограннішим процесом, що впливає на всі аспекти фармацевтичної науки [4–6].

Мета дослідження: аналіз впливу сучасних КД на розвиток фармацевтичної науки для забезпечення пацієнтів ефективними та безпечними лікарськими засобами.

МАТЕРІАЛИ ТА МЕТОДИ

Застосовано бібліосемантичний метод для аналізу стандартизації функцій міжнародних регуляторних органів, зокрема Управління з контролю за харчовими продуктами та лікарськими засобами США (Food and Drug Administration – FDA) та Європейського агентства з лікарських засобів (European Medicines Agency – EMA), які вимагають суворого дотримання принципів належної клінічної практики (Good Clinical Practice – GCP) та настанов Міжнародної ради з гармонізації (International Council for Harmonisation – ICH), що гарантує етичність, достовірність і відтворюваність КД. Сучасна методологія КД ґрунтується на використанні рандомізації, подвійного сліпого контролю, визначенні контрольних груп та забезпеченні достатньої статистичної потужності. Такі підходи дозволяють мінімізувати систематичні похибки й забезпечити валідність результатів.

РЕЗУЛЬТАТИ ДОСЛІДЖЕННЯ ТА ЇХ ОБГОВОРЕННЯ

На сьогодні КД мають важливе біологічне та практичне значення. Вони охоплюють увесь спектр випробувань лікарських засобів відповідно до встановлених так званих фаз КД, що дає змогу оцінити безпеку, фармакокінетику, терапевтичну активність і довгострокові ефекти нових препаратів [1, 2, 7].

I фаза спрямована на первинну оцінку безпеки, переносимості та визначення оптимального дозування лікарських засобів у здорових добровольців або обмежених групах пацієнтів [2, 8].

II фаза зосереджена на попередній оцінці ефективності та виявленні побічних реакцій у цільовій популяції [2, 3].

III фаза передбачає масштабне порівняння нового препарату зі стандартною терапією з метою підтвердження ефективності й безпеки [2, 9].

IV фаза охоплює постмаркетингові спостереження, фармаконагляд та оцінку ефективності в реальних умовах клінічної практики [2, 10].

Як відомо, результати КД формують доказову базу для регуляторних рішень і є ключовими для впровадження інноваційних лікарських засобів у повсякденну медичну практику [6, 11].

Міжнародні регуляторні органи, зокрема FDA – державний орган, відповідальний за регулювання лікарських засобів, вакцин, медичних виробів, біологічних препаратів, харчових продуктів і косметики у США, та EMA – регуляторний орган Європейського Союзу (ЄС), який оцінює, схвалює та контролює безпеку й ефективність препаратів для використання в ЄС, вимагають суворого дотримання принципів GCP – Міжнародного етичного та наукового стандарту планування, проведення, моніторингу, документування та звітування КД за участю людини, а також настанов ICH – Міжнародної ради з гармонізації технічних вимог до реєстрації лікарських засобів для людини, яка розробляє міжнародні настанови для узгодження вимог до якості, безпеки й ефективності лікарських засобів між ЄС, США, Японією та іншими країнами, що гарантує етичність, достовірність і відтворюваність

КД [6, 12]. Впровадження в ЄС Регламенту клінічних випробувань (Clinical Trials Regulation) та Інформаційної системи клінічних випробувань ЄС (Clinical Trials Information System) спрямоване на гармонізацію регуляторних процедур, підвищення прозорості та доступності інформації щодо КД [11, 13].

В основі методології сучасних КД лежать принципи рандомізації, подвійного сліпого контролю, визначення контрольних груп і забезпечення достатньої статистичної потужності [14, 15]. Такий підхід сприяє формуванню високої якості доказової бази, мінімізуючи вплив систематичних помилок і підтверджуючи валідність результатів [16, 17].

Інновації в дизайні КД включають, зокрема, адаптивні та цифрові підходи. Адаптивні дизайни дають змогу вносити зміни до протоколу дослідження на основі проміжного аналізу без втрати наукової достовірності, що сприяє підвищенню ефективності й зниженню витрат [18, 19]. Цифрові біомаркери, реальні клінічні дані та докази дедалі частіше інтегруються в дизайн клінічних випробувань [20, 21].

Перспективними є *in silico* клінічні випробування – вид досліджень, в яких ефективність і безпеку лікарських засобів, медичних виробів або методів лікування оцінюють за допомогою комп'ютерного моделювання та симуляцій, а не лише на реальних пацієнтах. Тобто замість того, щоб одразу тестувати лікарські засоби на людях чи тваринах, вчені створюють віртуальних пацієнтів і перевіряють, як препарат або метод лікування впливатиме на організм у комп'ютерній моделі. Під час проведення *in silico* випробувань використовують математичні моделі фізіології людини, біологічні та фармакологічні дані, штучний інтелект (ШІ) і машинне навчання, а також симуляції клітин, органів або цілих систем організму. Застосування цих технологій відбувається при розробці нових ліків, оптимізації дозування, прогнозуванні побічних ефектів, тестуванні медичних виробів (наприклад, імплантатів) і персоналізованій медицині. Їхніми перевагами є зменшення потреби в експериментах на тваринах, пришвидшення розробки препаратів, зниження вартості КД і підвищення безпеки перед випробуваннями на людях. Проте обмеженнями є залежність моделей від якості вихідних даних, неможливість повної заміни реальних клінічних випробувань, а також необхідність валідації регуляторними органами.

Регулятори, зокрема FDA та EMA, уже визнають *in silico* дослідження як допоміжний доказ, особливо для медичних виробів і ранніх етапів розробки лікарських засобів. *In silico* клінічні випробування, базуючись на комп'ютерному моделюванні, дозволяють прогнозувати результати терапії, оптимізувати дизайн досліджень і зменшувати потребу в реальних випробуваннях на ранніх етапах [22, 23]. Вони особливо перспективні для дослідження рідкісних захворювань та персоналізованої медицини [24, 25].

Інтеграція ШІ й машинного навчання як інноваційного напрямку КД дозволяє оптимізувати відбір пацієнтів, прогнозувати результати досліджень і підвищувати точність аналізу даних [17, 24, 26]. Це сприяє скороченню тривалості клінічних випробувань та підвищенню ймовірності їх успіху [27].

Етичні та регуляторні виклики КД визначаються тим, що їх проведення неможливе без дотримання етичних принципів, які передбачають захист прав, безпеки й гідності учасників [28]. Обов'язковими є інформована згода на участь у дослідженні, незалежна етична експертиза та постійний моніторинг ризиків [6, 12]. Проблема недостатньої репрезентативності вибірок, зокрема щодо статі, віку і етнічного походження, залишається актуальною та потребує вдосконалення дизайну досліджень [29, 30].

Щодо економічного впливу КД, необхідно врахувати, що клінічні випробування становлять найбільш витратну частину фармацевтичних досліджень і розробок. Витрати на проведення II–III фаз є визначальними для інвестиційних рішень та формування стратегій фармацевтичних компаній [10, 31]. Водночас оптимізація дизайну досліджень і використання інноваційних технологій дають змогу підвищити економічну ефективність розробки лікарських засобів [32].

Вплив КД на розвиток фармацевтичної науки виявляється в таких аспектах:

1. Формування доказової медицини й стандартів лікування: КД є основою формування клінічних настанов та стандартів лікування, зокрема у сфері онкології, нейродегенеративних і рідкісних захворювань [8, 33].

2. Освітній та професійний розвиток: результати клінічних випробувань активно використовуються у фармацевтичній освіті, сприяють розвитку клінічної фармації та підвищенню кваліфікації фахівців [5, 34].
3. Роль у системі охорони здоров'я: КД сприяють інтеграції національних систем охорони здоров'я у глобальний науковий простір, забезпечують доступ пацієнтів до інноваційних методів лікування і підвищують якість медичної допомоги [13, 35–39].

ВИСНОВКИ

КД відіграють центральну роль у розвитку сучасної фармацевтичної науки, забезпечуючи перехід від фундаментальних досліджень до створення ефективних і безпечних лікарських засобів. У сучасних умовах їх еволюція визначається впровадженням III, персоналізованої медицини, децентралізованих підходів та цифрових технологій моніторингу. Інтеграція інноваційних методів, адаптивних дизайнів досліджень, а також забезпечення прозорості даних і дотримання високих етичних стандартів формують нову парадигму клінічних випробувань та сприяють сталому, технологічно орієнтованому розвитку фармацевтичної галузі.

Відомості про авторів

Зайченко Ганна Володимирівна – Національний медичний університет імені О. О. Богомольця, м. Київ; тел.: (099) 124-32-20. *E-mail:* anna.zajchenko@gmail.com

ORCID: 0000-0002-3506-4800

Посохова Світлана Петрівна – Одеський національний медичний університет; тел.: (067) 748-12-48. *E-mail:* sposohova@ukr.net

ORCID: 0000-0003-2137-0900

Information about the authors

Zaychenko Ganna V. – Bogomolets National Medical University, Kyiv; tel.: (099) 124-32-20. *E-mail:* anna.zajchenko@gmail.com

ORCID: 0000-0002-3506-4800

Posohova Svitlana P. – Odesa National Medical University; tel.: (067) 748-12-48. *E-mail:* sposohova@ukr.net

ORCID: 0000-0003-2137-0900

ПОСИЛАННЯ

1. Samala VR, C Kiran K, Venkatesh P. Phases of clinical trials: A review. *Asian J Hosp Pharm.* 2022;2(1):9-13. doi: 10.38022/ajhp.v2i1.44.
2. Wang E. The phases of clinical pharmacological trials: Ensuring safety, efficacy and public health. *Adv Pharmacoevidiol Drug Saf.* 2024;13:366. doi: 10.35250/2167-1052.24.13.366.
3. Cracowski JL, Hulot JS, Laporte S, Charvériat M, Roustit M, Deplanque D, et al. Clinical pharmacology: Current innovations and future challenges. *Fundam Clin Pharmacol.* 2022;36(3):456-67. doi: 10.1111/fcp.12747.
4. Zhang J, Wu J, Li J, Liu M, Liu S, He R, et al. Trends in drug-drug interactions for new drug clinical trials in China over the past 10 years (2013–2022). *BMC Pharmacol Toxicol.* 2025;26(1):66. doi: 10.1186/s40360-025-00905-3.
5. Kruse M, Stankeviciute S, Perry S. Clinical pharmacology – how it shapes the drug development journey. *Eur J Clin Pharmacol.* 2025;81(4):597-604. doi: 10.1007/s00228-025-03811-z.
6. Liu Q, Ahadpour M, Rocca M, Huang SM. Clinical pharmacology regulatory sciences in drug development and precision medicine: Current status and emerging trends. *AAPS J.* 2021;23(3):54. doi: 10.1208/s12248-021-00563-3.
7. Tavana B, Chen A. Determination of drugs in clinical trials: Current status and outlook. *Sensors (Basel).* 2022;22(4):1592. doi: 10.3390/s22041592.
8. Shari C. Advancing medicine: The crucial role and phases of clinical trials. *Allied J Med Res.* 2024;8(5):251.
9. Cummings J, Zhou Y, Lee G, Zhong K, Fonseca J, Cheng F. Alzheimer's disease drug development pipeline: 2024. *Alzheimer's Dement (N Y).* 2024;10(2):e12465. doi: 10.1002/trc2.12465.
10. Zyoud SH. Global landscape of COVID-19 research: A visualization analysis of randomized clinical trials. *Clin Exp Med.* 2024;24(1):14. doi: 10.1007/s10238-023-01254-3.
11. Kandi V, Vadakedath S. Clinical trials and clinical research: A Comprehensive review. *Cureus.* 2023;15(2):e35077. doi: 10.7759/cureus.35077.
12. Rongen GA, Marquet P, van Gerwen JMA; EACPT research working group. The scientific basis of rational prescribing. A guide to precision clinical pharmacology based on the WHO 6-step method. *Eur J Clin Pharmacol.* 2021;77(5):677-83. doi: 10.1007/s00228-020-03044-2.
13. Bercu J, Dirat O, Dobo K, Jolly R, Kenyon M, Harvey J, et al. N-Nitrosamine drug substance related impurities (NDSRIs) – A proposal for the addition of subcategories to carcinogenic potency categorization approach categories 1 and 2 for NDSRIs with a molecular weight > 200 Da. *Regul Toxicol Pharmacol.* 2024;154:105704. doi: 10.1016/j.yrtph.2024.105704.
14. Cussen A, Littler K. Trial characteristics, methods and reported challenges of decentralised clinical trials: A scoping review. *BMJ Open.* 2025;15:e106823. doi: 10.1136/bmjopen-2025-106823.
15. Adaptive Platform Trials Coalition. Adaptive platform trials: definition, design, conduct and reporting considerations. *Nat Rev Drug Discov.* 2019;18(10):797-807. doi: 10.1038/s41573-019-0034-3.
16. Park JHH, Detry MA, Murthy S, Guyatt G, Mills EJ. How to use and interpret the results of a platform trial: Users' guide to the medical literature. *JAMA.* 2022;327(1):67-74. doi: 10.1001/jama.2021.22507.
17. Collet RJ, Ben AJ, Varga AN, van Leth F, El Alili M, Esser J, et al.

- Statistical methods to adjust for treatment switching in real-world clinical studies: A scoping review and descriptive comparison. *Clin Pharmacol Ther.* 2025;118(5):1022-36. doi: 10.1002/cpt.70013.
18. Ben-Eltriki M, Rafiq A, Paul A, Prabhu D, Afolabi MOS, Baslshaw R, et al. Adaptive designs in clinical trials: a systematic review-part I. *BMC Med Res Methodol.* 2024;24(1):229. doi: 10.1186/s12874-024-02272-9.
19. McGarry A, Kiebertz K. Adaptive clinical trials and master protocols. *Handb Clin Neurol.* 2023;193:313-23. doi: 10.1016/B978-0-323-85555-6.00005-9.
20. U.S. Food and Drug Administration. Framework for FDA's real-world evidence program [Internet]. Silver Spring (MD): FDA; 2024. Available from: <https://www.fda.gov/science-research/science-and-research-special-topics/real-world-evidence>.
21. Varnai P, Davé A, Farla K, Nooi-jen A, Petrosova L. The evidence reveal study: exploring the use of real-world evidence and complex clinical trial design by the European pharmaceutical industry. *Clin Pharmacol Ther.* 2021;110(5):1180-89. doi: 10.1002/cpt.2103.
22. Wang T, Liu M, Peng B, Song X, Zhang C, Sun X, et al. From bench to bedside: A review of clinical trials in drug discovery and development [preprint]. arXiv. 2024. doi: 10.48550/arXiv.2412.09378.
23. Zheng Y, Koh HY, Yang M, Li L, May LT, Webb GI, et al. Large language models in drug discovery and development: From disease mechanisms to clinical trials [preprint]. arXiv. 2024. doi: 10.48550/arXiv.2409.04481.
24. Olawade DB, Fidelis SC, Marinze S, Egbon E, Osunmakinde A, Osborne A, et al. Artificial intelligence in clinical trials: a comprehensive review of opportunities, challenges, and future directions. *Int J Med Inform.* 2025;206:106141. doi: 10.1016/j.ijmedinf.2025.106141.
25. Dash B, Shireen M, Pushendra, Kumar S, Goel A, Semwal P, et al. A comprehensive review: Pharmacogenomics and personalized medicine customizing drug therapy based on individual genetics profiles. *Zhongguo Ying Yong Sheng Li Xue Za Zhi.* 2024;40:e20240011. doi: 10.62958/j.cjap.2024.011.
26. Almuradova E, Izzo D, Gandini S, Gaeta A, Giordano E, Valenza C, et al. From Dose-Finding to Dose-Optimization in Early-Phase oncology clinical trials. *Cancer Treat Rev.* 2025;136:102906. doi: 10.1016/j.ctrv.2025.102906.
27. Zhou Y, Zhang Y, Xu H, Chen Z, Huang S, Li Y, et al. Dynamic clinical trial success rates for drugs in the 21st century. *Nat Commun.* 2025;16(1):9537. doi: 10.1038/s41467-025-64552-2.
28. Kaye DK. Navigating ethical challenges of conducting randomized clinical trials on COVID-19. *Philos Ethics Humanit Med.* 2022;17(1):2. doi: 10.1186/s13010-022-00115-3.
29. Sabesan S, Underhill C, Thota R, Sundquist S, Adewole T. Decentralising clinical trial access requires a culture of health equity. *Lancet.* 2025;405(10492):1816. doi: 10.1016/S0140-6736(25)00715-9.
30. Zozus MN, Kahn MG, Weiskopf NG. Data Quality in Clinical Research. In: Richesson, R.L., Andrews, J.E., Fultz Hollis, K. (eds). *Clinical Research Informatics. Health Informatics.* Springer, Cham; 2023. doi: 10.1007/978-3-031-27173-1_10.
31. Glick HA, Doshi JA, Sonnad SS. Economic Evaluation in Clinical Trials, 2 edn, *Handbooks in Health Economic Evaluation* [Internet]. Oxford Academic; 2014. 252 p.
32. Beaver JA, Tzou A, Blumenthal GM, McKee AE, Kim G, Pazdur R, et al. An FDA perspective on the regulatory implications of complex signatures to predict response to targeted therapies. *Clin Cancer Res.* 2017;23(6):1368-72. doi: 10.1158/1078-0432.CCR-16-1098.
33. *Clinical Trials* [Internet]. Thousand Oaks (CA): SAGE Publications. Available from: <https://journals.sagepub.com/home/ctj>.
34. Hanke S, Giannikopoulos D, Neumayer B, Vedenkannas T, Davey R, Mpaltodoros L, et al. Operationalizing decentralized clinical trials: Technology Insights from the Trials@Home RADIAL Proof-of-Concept Trial. *Clin Pharmacol Ther.* 2025;118(5):1090-99. doi: 10.1002/cpt.70070.
35. Nair B. Clinical Trial Designs. *Indian Dermatol Online J.* 2019;10(2):193-201. doi: 10.4103/idoj.IDOJ_475_18.
36. Rivera DR, Cutler TL, McShane L, Meeker-O'Connell A, Marston HD, Calliff RM, et al. Modernizing research and evidence consensus definitions: A food and drug administration-national institutes of health collaboration. *JAMA Netw Open.* 2025;8(6):e2516674. doi: 10.1001/jamanetworkopen.2025.16674.
37. Silva DJ, Nelson BE, Rodon J. Decentralized clinical trials in early drug development – a framework proposal. *J Immunother Precis Oncol.* 2024;7(3):190-200. doi: 10.36401/JIPO-23-33.
38. Tackney MS, Steele A, Newman J, Fritzsche MC, Lucivero F, Khadjesari Z, et al. Digital endpoints in clinical trials: emerging themes from a multi-stakeholder Knowledge Exchange event. *Trials.* 2024;25(1):521. doi: 10.1186/s13063-024-08356-7.
39. Chodankar D, Raval TK, Jeyaraj J. The role of remote data capture, wearables, and digital biomarkers in decentralized clinical trials. *Perspect Clin Res.* 2024;15(1):38-41. doi: 10.4103/picr.picr_219_22.

Стаття надійшла до редакції 23.02.2026. – Дата першого рішення 27.02.2026. – Стаття подана до друку 09.04.2026