



SANASTO

KLIINISEN TUTKIMUKSEN SANASTO
ENGLANTI-SUOMI



SISÄLLYS

A.....	4	L.....	40
B.....	8	M.....	41
C.....	12	N.....	26
D.....	19	O.....	48
E.....	24	P.....	51
F.....	28	Q.....	65
G.....	29	R.....	67
H.....	34	S.....	73
I.....	36	T.....	82
J		U.....	85
K		V.....	85
		W.....	86

EUPATI
Kliinisen tutkimuksen sanasto
Englanti-suomi
1. versio 2019

Suomennettu ja sovellettu alkuperäisestä EUPATI-sanastosta (www.eupati.eu/glossary-terms/)

Julkaisija: EUPATI Suomi / Suomen Syöpäpotilaat ry
Taitto: Milla Aura-Tolonen / Milart

Sanaston toteutusta on tukenut Orion Oyj



A

Absorption

In pharmacology and pharmacokinetics, absorption is the process whereby medicines are transported or taken up from the site of administration (by mouth, inhalation, intravenous or intramuscular injection, etc.) to the blood through capillary, osmotic, solvent, or chemical action in the cells. This could be through the intestinal wall, skin, or mucous membranes. In specific situations, such as intravenous (IV) therapy, absorption is straightforward and there is less variability, because the medicine goes directly in to the bloodstream. In the case of IV injection, the bioavailability of the compound is 100%. Absorption is a primary focus in medicines development, as a compound must first be absorbed before any medicinal effects can take place. Moreover, the medicine's pharmacokinetic profile can be significantly changed by factors that affect absorption.

Active molecule

In medicines R&D an active molecule is a chemical compound that has pharmacological or biological activity likely to be therapeutically useful.

Adaptive Design

The option to modify the design of an ongoing clinical trial is becoming increasingly common and is known as adaptive design. Data are evaluated before the trial is finished. This is known as interim analysis and might be carried out at several time points. Depending on the circumstances, this may lead to changes to the trial such as stopping one treatment arm or changing the number of participants in a group. The planned number of participants might be reduced if the interim analysis shows that a smaller sample size will still allow a valid result to be obtained. Alternatively, the sample size might be increased if that will allow a valid or reliable result to be obtained within a more acceptable period of time. Adaptive designs can save time and resources, and can reduce the exposure of study participants to the inferior treatment. Interim analyses and any anticipated changes to a trial should be described and justified in the study protocol.

Imeytyminen (absorptio)

Farmakologiassa ja farmakokinetiikassa imeytymiseksi kutsutaan prosessia, jossa lääkeaine siirtyy lääkkeen annostelupaikasta (esim. suun kautta, hengittämällä, suonensisäisesti tai lihaksensisäisesti annosteltuna) verenkiertoon solujen kapillaarisen, osmoottisen, liuottavan tai kemiallisen toiminnan seurauksena. Imeytyminen voi tapahtua suolen seinämän, ihon tai limakalvojen läpi. Joissakin tapauksissa, kuten laskimonsisäisesti (intravenöosisesti, IV) annostelluilla hoidoilla imeytyminen on hyvin suoraviivaista eikä siinä esiinny paljonkaan vaihtelua. Tämä siitä syystä, että lääkeaine annostellaan suoraan verenkiertoon. Kun lääkeainetta annetaan laskimonsisäisesti, sen hyötyosuus on 100%. Imeytyminen on ensisijaisen tärkeää lääkekehityksessä koska lääkkeen on imeydyttävä elimistöön ennen kuin sillä voi olla mitään vaikutusta. Lääkkeen farmakokineettinen profiili voi myös merkittävästi muuttua sellaisten tekijöiden vaikutuksesta, joilla on merkitystä imeytymisen kannalta.

Aktiivinen molekyyli

Lääkekehityksen yhteydessä aktiiviseksi molekyyliksi kutsutaan sellaista kemiallista yhdistettä, jolla on sen kaltaista farmakologista ja biologista aktiivisuutta, että molekyylistä voidaan ajatella olevan lääketieteellistä hyötyä.

Mukautuva suunnittelu

Nykyään yhä useammin kliiniset lääketutkimukset suunnitellaan siten, että suunnitelmia voidaan tutkimuksen kuluessa muuttaa siinä alati karttuvan tiedon pohjalta. Tätä kutsutaan mukautuvaksi suunnitteluksi. Tutkimuksessa kerättyä dataa analysoidaan näissä tutkimuksissa jo ennen tutkimuksen päättymistä. Tätä kutsutaan välianalyysiksi ja se voidaan suorittaa tutkimuksen aikana useampaankin kertaan. Tilanteesta riippuen välianalyysien perusteella voidaan esimerkiksi lopettaa tiettyjä tutkimuksen hoitoryhmiä tai muuttaa ryhmäkojoja. Koko tutkimukseen tarvittavaa potilasmäärää voidaan myös vähentää, mikäli välianalyysin tulokset antavat viitteitä siitä, että pienempikin otoskoko mahdollistaisi luotettavan tutkimustuloksen saamisen. Vastaavasti otoskokoa voidaan suurentaa. Mukautuva suunnittelu säästää aikaa ja resursseja, ja voi vähentää tutkittavien altistumista tehottomiin hoitoihin. Välianalyysit tulee kuvata ja perustella tutkimussuunnitelmassa, samoin kuin välianalyysien tulosten perusteella tehtävät mahdolliset suunnitelman muutokset.

Adherence

In medicine, adherence describes the degree to which a patient correctly follows medical advice. Poor adherence is often associated with patients not following prescribed medicines and treatment regimes. Non-adherence or poor adherence has been reported as a major problem in medical practice and can also affect the outcomes of a clinical trial. Poor adherence, or failure to follow treatment instructions, may be attributed to a number of reasons such as poor communication, forgetfulness, or unpleasant side-effects. Efforts to improve adherence in clinical practice have included simplifying medication packaging, providing medication reminders, improving patient education, and limiting the number of medications prescribed simultaneously. Various measures of adherence are used in clinical trials, for instance: the assessment of pharmacological response, electronic diaries, residual tablet count, devices to monitor tablet removal from containers, testing for medicine in blood or (...)

Adjuvant

An adjuvant is a substance (pharmacological and/or immunological) that modifies the effect of other substances or medicines. Immunological adjuvants may be added to vaccines to boost the immune response. Adjuvant therapy or care is therapy that is given in addition to the main or initial therapy to maximise its effectiveness. For example, radiotherapy is commonly given as adjuvant treatment after surgery for breast or other cancers.

Advanced therapy medicinal products

Advanced therapy medicinal products (ATMP) are new medical products for human use based on genes (gene therapy), cells (cell therapy), or tissues (tissue engineering). They have huge potential and open the way for new treatments of a number of diseases or injuries, such as skin in burns victims, Alzheimer's, cancer, or muscular dystrophy.

Adverse Drug Reaction

A response to a medicinal product which is harmful and unintended. Response in this context means that a causal relationship between the medicinal product and an adverse event is at least a reasonable possibility.

Hoitomyöntyvyys

Hoitomyöntyvydellä tarkoitetaan potilaan sitoutumista hänelle annettuihin hoito-ohjeisiin. Huono hoitomyöntyvyys tarkoittaa sitä, että potilas ei ota hänelle määrättyjä lääkkeitä ja/tai ei noudata muita hänelle annettuja hoito-ohjeita. Alhainen hoitomyöntyvyys on suuri ongelma potilaiden hoidossa ja sillä voi myös olla vaikutusta kliinisten lääketutkimusten tuloksiin. Huono hoitomyöntyvyys tai kyvyttömyys noudattaa annettuja hoito-ohjeita saattaa johtua monesta eri tekijästä kuten epäonnistuneesta kommunikaatiosta, unohtelusta tai epämiellyttävistä haittavaikutuksista. Hoitomyöntyvyyttä yritetään parantaa mm. yksinkertaistamalla lääkkeiden pakkauksia, erilaisilla muistutuksilla, lisäämällä potilaiden koulutusta, ja rajoittamalla samanaikaisesti käytettävien lääkkeiden määrää. Kliinisissä lääketutkimuksissa käytetään erilaisia hoitomyöntyvyyden mittareita, esimerkiksi farmakologisen vasteen arviointia, sähköisiä päiväkirjoja, jäljellä olevien tablettien laskemista, laitteita, jotka tunnistavat tabletin ottamisen purkista, lääkeaineen pitoisuuden mittaamista verenkierrosta jne.

Adjuvantti

Adjuvantti on yhdiste (farmakologinen ja/tai immunologinen) joka myötävaikuttaa toisen yhdisteen tai lääkkeen tehoon. Immunologisia adjuvantteja voidaan lisätä rokotteisiin lisäämään immuunivastetta. Adjuvanttihoito on sellaista hoitoa, joka annetaan varsinaisen pääasiallisen hoidon lisäksi maksimoimaan hoidon tehoa. Esimerkiksi rintasyövän tai muun syövän leikkaushoidon jälkeen annetaan usein sädehoitoa adjuvanttihoitona.

ATMP-valmiste (pitkälle kehitetty terapia)

ATMP-valmisteet ovat uusia lääkkeitä, jotka perustuvat ihmisen geeneihin (geeniterapia), soluihin (soluterapia) tai kudoksiin (kudosmuokkaustuotteet). Niillä katsotaan olevan hyvät mahdollisuudet kehittyä merkittäviksi hoidoiksi moniin sairauksiin, esimerkiksi palovammoihin, Alzheimerin tautiin, syöpiin tai lihassurkastumatauteihin.

Haittavaikutus

Lääkkeen aiheuttama haitallinen ja tahaton vaikutus. Haitallinen vaste on haittavaikutus silloin kun syy-yhteys lääkkeeseen on mahdollinen.

Adverse event

Any untoward (not favourable) medical occurrence in a patient, or clinical trial participant receiving a medicine, and which does not necessarily have a causal relationship with this treatment. Adverse events can therefore be: any unfavourable and unintended sign (e.g. an abnormal laboratory finding), symptom, or disease temporally associated with the use of a medicine, whether or not considered related to the medicine.

Allogeneic cells

Allogeneic cells are cells obtained from a donor, such as bone marrow or umbilical cord blood.

Anonymise, anonymous

The removal of personal information (such as names or addresses of clinical trial participants) so that people using trial data cannot identify the individuals who took part. Truly anonymised data contain no information that could reasonably be used, by anyone, to identify individuals – even by cross-checking the data against other sources of information. Anonymous data are data that have had personal information removed.

Antibody

An antibody (AB), also known as an immunoglobulin, is a protein produced by the body's immune system when it detects harmful substances (called antigens). Antigens can be molecules from microorganisms (bacteria, fungi, parasites, and viruses), or chemicals (insect venom). Antibodies recognise and latch onto antigens in order to neutralise them.

Haittatapahtuma

Lääkkeettä saaneella tai lääketutkimukseen osallistuvalla henkilöllä ilmenevä haitallinen tapahtuma, joka ei välttämättä johdu lääkkeestä. Haittatapahtumat voivat olla epätoivottuja signaaleja (esim. epänormaali tulos laboratoriomittauksessa), oireita tai sairauksia, joilla on ajallinen yhteys lääkkeen ottoon mutta joilla ei välttämättä ole syy-yhteyttä lääkkeeseen.

Allogeeniset solut

Allogeeniset solut ovat luovuttajalta saatuja soluja, esim. luuytimestä tai napanuoran verestä kerättyjä.

Anonymisointi, anonyymi

Toimenpide, jossa henkilötiedot (esimerkiksi tutkittavien nimet ja osoitteet) poistetaan tiedostoista niin, että tutkimusdatan parissa työskentelevät ihmiset eivät pysty tunnistamaan tutkimukseen osallistuneita henkilöitä. Todella anonymisoitu data ei sisällä mitään sellaisia elementtejä, joiden perusteella kukaan pystyisi tunnistamaan henkilöitä edes tekemällä vertailevia tarkistuksia muista tietolähteistä. Anonymismista datasta puuttuvat kaikki henkilötiedot.

Toim. huom. Vrt. Pseudonymisointi tarkoittaa sitä, että tiettyyn henkilöön yhdistettävissä olevat henkilötiedot korvataan esimerkiksi numerotunnisteilla tai muutetaan sellaiseen muotoon, ettei henkilö ole enää niistä suoraan tunnistettavissa. Vaikka tiedot olisi pseudonymisoitu, niiden avulla yksilö voidaan edelleen erottaa joukosta ja yhdistää eri tietoaaineistoissa. (Lähde: THL, Tietosuojavaltuutettu)

Vasta-aine

Vasta-aineita (antibody, AB) kutsutaan myös immunoglobuliineiksi ja ne ovat kehon immuunipuolustusjärjestelmän tuottamia proteiineja, jotka on suunnattu haitallisia yhdisteitä eli antigeenejä vastaan. Antigeenit voivat olla esimerkiksi mikro-organismeista (bakteereista, sienistä, loisista tai viruksista) peräisin olevia molekyyliä tai erilaisia kemikaaleja (esim. hyönteisten erittämät myrkyt). Vasta-aineet tarttuvat antigeeneihin ja neutraloivat ne.

Arm

In clinical research this refers to any of the treatment groups in a randomised trial. Many randomised trials have two 'arms' or groups, but some may have three or even more.

Attrition

Attrition is the loss of participants during a clinical trial; it is also known as the 'drop-out rate'. The opposite of attrition is 'retention'. Attrition can cause bias in study results if more participants drop out of one study arm than another, or if there is a difference between the participants who drop out and those who continue. Attrition can affect how applicable the results of a study are (external validity), or the statistical power of a study. Research suggests that using a combination of strategies can improve the retention of participants in trials. Many different methods may be appropriate, for example providing incentives for taking part, giving personal reminders of appointments, and involving patients and/or their carers throughout the trial-design process.

Audit

Audits (independent evaluations of activities, processes and product quality) are an element of quality management in industry, finance, commerce and public service. They are typically performed by an independent auditing service, but may also be conducted as an internal audit (self-inspection) by the company through a specific audit department usually directly reporting to the board. In medicines development, two audit types are routine and required: 1) Good Manufacturing Practice (GMP) audits (self-inspections) to monitor the implementation and compliance with good manufacturing practice principles (required as per Directive 2003/94/EC) and other quality standards like ICH Q10 and to propose necessary corrective measures. 2) Good Clinical Practice (GCP) audits, a systematic and independent examination of trial-related activities and documents to determine whether the evaluated trial-related activities were conducted, and the data was recorded, analysed and accurately reported according to the protocol, sponsor's standard operating procedures (SOPs) and Good Clinical Practice (GCP).

Hoitoryhmä, hoitohaara

Kliinisissä, satunnaistetuissa lääketutkimuksissa on yleisesti useampia hoitoryhmiä. Yleisimpiä ovat kahden hoitoryhmän tutkimukset mutta hoitoryhmiä voi olla myös kolme tai enemmänkin.

Poistuma, attritio

Poistumalla eli attritiolla (puhutaan myös aineiston hiertymisestä) tarkoitetaan kliinisestä lääketutkimuksesta puhuttaessa tutkittavien poistumista tutkimuksesta kesken tutkimuksen. Poistuma saattaa vääristää tutkimustuloksia, jos tutkittavia poistuu kesken tutkimuksen enemmän yhdestä ryhmästä kuin toisista, tai jos tutkimuksesta poistuvat tutkittavat ovat jollakin tapaa erilaisia kuin tutkimuksessa jatkavat. Poistuma saattaa vaikuttaa tutkimustulosten pätevyyteen tai tutkimuksen tilastolliseen voimaan. Tutkittavien pitämiseen mukana tutkimuksessa (engl. 'retention') voidaan suunnitella erilaisia strategioita ja tutkimustulokset puoltavat sellaisten käyttöä. Tutkittavia voidaan kannustaa pysymään tutkimuksissa esimerkiksi antamalla heille erilaisia pieniä kannustimia, lähettämällä henkilökohtaisia muistutuksia ja ottamalla tutkittavat ja/tai heidän omaisensa mukaan tutkimuksen suunnitteluun.

Tarkastus

Tarkastukset (engl. 'audit', riippumattoman tahon suorittamat tekemiseen, prosesseihin ja tuotteiden laatuun liittyvät tarkastukset) ovat osa yritysten, rahalaitosten ja kaupallisten ja julkisten palveluiden laadunvarmistusta. Ne ovat yleisimmin riippumattoman tarkastustahon suorittamia mutta yritykset voivat myös suorittaa niitä itse yrityksen sisäisen laadunvarmistusorganisaation toimesta, joka yleensä raportoi suoraan yrityksen hallitukselle. Lääkekehityksessä tehdään jatkuvasti kahdenlaisia tarkastuksia: 1) Lääkkeiden hyvän tuotantotavan (GMP, engl. 'Good Manufacturing Practice') sisäiset tarkastukset, joissa varmistetaan, että tuotannossa noudatetaan sekä hyvän tuotantotavan periaatteita Direktiivin 2003/94/EC mukaisesti että muita asiaankuuluvia laatustandardeja kuten ICH Q10, ja tarvittaessa ehdotetaan korjaavia toimenpiteitä. 2) Hyvän kliinisen tutkimustavan (GCP, engl. 'Good Clinical Practice') tarkastukset, jotka ovat järjestelmällisiä ja itsenäisiä kliinisten tutkimusten toimintojen ja dokumenttien tarkastuksia. Niissä varmistetaan, että tutkimus on suoritettu, dokumentoitu, analysoitu ja raportoitu tutkimussuunnitelman, toimeksiantajan toimintaohjeiden (SOP, engl. 'Standard Operating Procedures') ja hyvän kliinisen tutkimustavan mukaisesti.

Autologous

Autologous tissue or cells are tissue or cells derived from the same individual. For example, skin transferred from one part of the body to another is autologous tissue; in advanced therapies, stem cells are removed, stored, and later given back to the same person. Autologous transplants are used to treat a number of different blood cancers. Autologous stem cell transplantation is distinguished from allogeneic stem cell transplantation, where the donor and the recipient of the transplanted stem cells are different people.

Autologinen

Autologiset kudokset tai solut ovat samasta yksilöstä peräisin olevia kudoksia tai soluja. Esimerkiksi yhdestä ruumiinosasta toiseen siirretty iho on autologista kudosta; pitkälle kehitetyissä hoidoissa kantasolut kerätään, varastoidaan ja siirretään myöhemmin takaisin samalle henkilölle. Autologisia siirännäisiä käytetään monien verisyydöpien hoidossa. Autologinen kantasolusiirto tarkoittaa eri asiaa kuin allogeeninen kantasolusiirto koska jälkimmäisessä solujen luovuttaja on eri henkilö kuin vastaanottaja.

B

Baseline Data

Baseline data provide information about participants as they enter a trial and before they receive any treatment. Baseline data collection may take the form of interviews, questionnaires, physical examinations, laboratory tests, or other procedures. Baseline data include demographics (such as age, gender), patient characteristics (such as height, weight, blood pressure), and measurements specific to the study (such as disease characteristics or previous treatment).

Lähtötilanteen tiedot

Lähtötilanteen tiedot ovat tietoja, jotka kerätään tutkittavasta tutkimuksen alkamisen aikaan, ennen kuin he ovat saaneet mitään tutkimukseen liittyvää hoitoa. Lähtötilanteen tietoja voidaan kerätä haastattelemalla, kyselyillä, lääke-rintarkastuksen tai laboratoriotutkimusten avulla tai muilla keinoin. Lähtötilanteen tietoja ovat mm. demografiset tiedot (kuten ikä, sukupuoli), tutkittavan ominaisuudet (kuten pituus, paino, verenpaine) tai tutkimuskohtaiset tiedot (kuten tiedot tutkittavasta sairaudesta ja siihen saadusta hoidosta).

Benevolence

Benevolence is a concept in research ethics that states that researchers should have the welfare of the research participant as a goal in any clinical trial or other research study. In public health, benevolence implies acting in the best interest of the population or society as a whole. Medicines almost always carry risks as well as benefits, so practising benevolence in clinical trials is not straight forward. An analysis of the risks as well as the benefits is required in each case.

Hyvän tekeminen

Hyvän tekeminen tarkoittaa tutkimusetiikan kentässä sitä, että tutkijoilla tulee aina kliinisen tai muun tutkimuksen tavoitteena olla tutkittavien hyvinvointi. Kansanterveydessä hyvän tekemisellä tarkoitetaan sitä, että pyritään aina toimimaan yhteiskunnan jäsenten parhaaksi. Lääkkeiden käyttöön liittyy lähes aina sekä riskejä että hyötyjä ja tästä syystä hyvän tekeminen ei ole kliinisissä lääketutkimuksissa yksiselitteistä. Kaikissa tapauksissa tarvitaan riskien ja hyötyjen huolellista punnintaa.

Benefit

Benefit is a positive outcome (such as the relief of symptoms, cure, or prevention) from using a treatment or taking part in a study. The benefits of taking part in research may include helping others by participating in medical research, close monitoring by health professionals and

Hyöty

Hyödyllä tarkoitetaan tutkimusvalmisteen käytöstä tai tutkimukseen osallistumisesta koituvaa positiivista seuraamusta kuten oireiden helpottamista, parantumista tai sairauden ehkäisyä. Tutkimukseen osallistumisen hyödyksi voidaan katsoa myös muiden auttamisen tutkimukseen osallistumalla, ter-

Benefit

experts, or getting access to an effective treatment before it is made available to the wider patient population.

Hyöty

veydenhuollon ammattilaisten suorittaman tarkan terveydentilan seurannan sekä sen, että tutkittava pääsee uuden lääkehoidon piiriin jo ennen kuin se on yleisesti saatavilla.

Benefit-risk assessment

In medicines R&D, benefit-risk assessment is the continuous examination of the favourable and unfavourable results of a specific treatment to determine whether its benefits outweigh its risks in a -specific condition. It takes into account the evidence on safety and efficacy, as well as other factors like the nature and severity of the condition the medicine is intended to treat or prevent.

Hyöty-riskiarviointi

Lääkekehityksessä tehdään jatkuvasti hyöty-riskiarviointia, jossa valmisteen riskejä verrataan sen hyötyihin ja määritetään, ovatko hyödyt suuremmat kuin riskit tutkittavassa sairaudessa. Arvioinnissa otetaan huomioon saatu tieto niin tehon kuin turvallisuudenkin suhteen, samoin kuin mm. sen sairauden luonne ja vakavuus, jota tutkittavalla valmisteella aiotaan hoitaa.

Bias

In clinical trials, bias is the systematic deviation from true values of treatment effect through the intentional or unintentional adjustment of results. Bias can result from aspects of trial design, the way a trial is carried, or the way the results are analysed or evaluated. Bias can be 'operational' – when it arises because of the way a trial is carried out; or 'statistical' – when it arises because of trial design or the way results are analysed or evaluated. For example, poor trial design might mean that participants at lower risk of experiencing a symptom are placed in one treatment arm as opposed to another treatment arm. Excluding data from certain participants because of knowledge of their outcomes would also cause bias in a trial. The most important design techniques for avoiding bias in clinical trials are blinding and randomisation. The potential effect of bias should also be taken into account during statistical analysis of trial data.

Harha, systemaattinen virhe

Kliinisissä tutkimuksilla harhalla tai systemaattisella virheellä tarkoitetaan joko tarkoituksella tai tarkoituksittomasti tuloksia muokkaamalla aikaansaatu systemaattista poikkeamaa hoidon tehon todellisesta arvosta. Harha saattaa olla seurausta tutkimuksen suunnittelusta, toteutuksesta tai tulosten analysointitavasta. Se voi olla 'operatiivista' – silloin kun se on seurausta tutkimuksen toteuttamistavasta; tai 'tilastollista' – silloin kun se on seurausta tutkimuksen suunnittelusta tai tulosten analysointitavasta. Epäonnistunut tutkimuksen suunnittelu saattaa esimerkiksi johtaa siihen, että ne tutkittavat, joilla on matalampi riski saada oireita, sijoittuvat yhteen tutkimusryhmään. Harhaa seuraa myös siitä, jos tutkimuksen tietokannasta suljetaan pois sellaisia tutkittavia, joiden osalta tutkimuksen tulokset ovat tiedossa. Tärkeimmät harhaa ehkäisevät tutkimusten suunnittelussa käytettävät tekniikat ovat sokkoutus ja satunnais-taminen. Myös tutkimuksen tuloksia tilastollisesti analysoitaessa harhan mahdollisuus tulee ottaa huomioon.

Binary Endpoint

The endpoint of a clinical trial is the measurement (such as change in tumour size) used to decide whether there is a significant difference between different arms of the trial (for example, whether a medicine under study is having a positive effect). There are different types of endpoints. A binary endpoint is defined by whether an event has occurred or not (for example, the relief of symptoms, or occurrence of disease symptoms). It does not imply a certain magnitude of an effect. It is a Yes/No construct.

Kaksiarvoinen (binaarinen) päätetapahtuma

Kliinisessä tutkimuksessa päätetapahtumaksi kutsutaan sellaista mittaria (kuten esimerkiksi muutosta kasvaimen koossa), jonka perusteella päätellään, onko tutkimusryhmien välillä merkitsevää eroa (esimerkiksi tutkimuslääkkeen positiivinen vaikutus). Päätetapahtumat voivat olla erilaisia. Binaarinen päätetapahtuma on sellainen, joka joko tapahtuu tai on tapahtumatta (esimerkiksi oireiden helpottaminen tai taudin oireiden esiintyminen). Se ei sinänsä kerro mitään vaikutuksen suuruusluokasta vaan on 'kyllä tai ei' -tyyppinen päätetapahtuma.

Bioequivalence

Bioequivalence means that the identical active pharmaceutical ingredient of two medicines have the same rate and extent of absorption. The medicines produce the same effect at the required target. For example, a receptor in the brain can be a target for a medicine. Bioequivalence is often used to compare an original and generic version of a medicine, or two different formulations (for instance, tablet or oral suspension) of the same medicine.

Bioequivalence Study

A bioequivalence study is a study conducted to show that two medicines, or two different dosages of the same medicine, are equally absorbed after administration and produce the same effect at the required site. For generic medicinal products, the concept of bioequivalence is fundamental since the bioequivalence with the reference (original) medicinal product must be demonstrated for a generic to be approved. Regulatory authorities evaluate bioequivalence by considering two standards: the rate of absorption and the extent of absorption. If a medicine formulation differs in one or both parameters, the authorities would determine that this medicine is not bioequivalent to the original product.

Bioethics

Bioethics is the application of ethics to the fields of medicine, biomedical research and health policy. It has become an important area of enquiry as advances are made especially in genetic medicine and reproduction. The ethical aspects of research and policy are often included under the title 'ELSI', which stands for 'ethical, legal and social issues'.

Biologic Medicine

A biologic medicine is any medicinal product manufactured in, extracted from, or synthesised in part from biological sources. Biologics can be composed of sugars, proteins, or nucleic acids; they may be complex combinations of sugars, proteins, or nucleic acids; or they may be

Bioekvivalenssi

Bioekvivalenssilla tarkoitetaan sitä, että kahden eri lääkevalmisteen sisältämällä identtisillä aktiivisilla farmaseutisilla yhdisteillä on samanlaiset imeytymisominaisuudet. Valmisteilla on samanlainen vaikutus lääkeaineen kohteeseen. Esimerkiksi aivoissa sijaitseva reseptori voi olla lääkeaineen kohde. Bioekvivalenssia tutkitaan esimerkiksi silloin kun verrataan jotakin lääkeainetta sisältävää alkuperäistä ja geneeristä valmistetta toisiinsa, tai kun verrataan toisiinsa saman lääkeaineen kahta eri formulaatiota, vaikkapa tablettina ja liuksena annosteltavaa.

Bioekvivalenssitutkimus

Bioekvivalenssitutkimuksen tarkoituksena on osoittaa että kaksi lääkevalmistetta, tai kaksi eri annosta samaa lääkevalmistetta, imeytyvät annostelun jälkeen samanlaisesti ja saavat aikaan samat vaikutukset tutkittavassa kohteessa. Geneeristen lääkkeiden kehityksessä bioekvivalenssi on hyvin tärkeää koska sellaisen valmistajan täytyy osoittaa, että geneerinen lääkevalmiste on bioekvivalentti alkuperäisen lääkevalmisteen kanssa ennen kuin geneeriselle valmisteelle voidaan myöntää myyntilupa. Myyntilupaviranomaiset arvioivat bioekvivalenssia kahden standardin mukaan: imeytymisnopeus ja imeytymisteho. Mikäli geneerinen valmiste eroaa alkuperäisestä näistä toisenkin osalta, viranomaiset eivät pidä valmistetta bioekvivalenttina alkuperälääkkeen kanssa.

Bioetiikka

Bioetiikka on sellainen etiikan haara, joka keskittyy nimenomaan lääketieteeseen, biolääketieteelliseen tutkimukseen ja terveystieteeseen. Siitä on tullut hyvin merkittävää ja sen merkitys kasvaa koko ajan kun erityisesti geenilääketiede ja lisääntymislääketiede kehittyvät. Tutkimuksen ja terveystieteiden eettiset näkökulmat sisältyvät termiin 'ELSI', joka on lyhenne sanoista eettiset (engl. 'ethical'), lainmukaiset (engl. 'legal') ja sosiaaliset asiat (engl. 'social issues').

Biologinen lääkevalmiste

Biologinen lääkevalmiste on sellainen, joka valmistetaan, uutetaan tai syntetisoidaan osittain biologisista lähteistä. Biologiset ainesosat voivat muodostua sokereista, proteiineista tai nukleiinihapoista; ne voivat olla näiden monimutkaisia yhdistelmiä tai eläviä soluja tai kudok-

Biologic Medicine

living cells or tissues. Some of the oldest forms of biologics are extracted from the bodies of animals and other humans – such as whole blood and blood components. Some traditional biologics are now produced in the laboratory rather than from living tissue – for example, tissue for transplants, antibodies for passive immunisation, and insulin. Different from chemically synthesized pharmaceuticals, they include vaccines, blood or blood components, gene therapies, and living cells used in cell therapy.

Biomarker

A biological marker is something that can be measured which points to the presence of a disease, a physiological change, response to a treatment, or a psychological condition. For example, glucose levels are used as a biomarker in managing diabetes, and brain images can provide information about the progression of multiple sclerosis. Biomarkers are used in many scientific fields. They are used in different ways at different stages of medicines development, including in some cases as a surrogate endpoint to indicate and measure the effect of interventions, such as medicines, in trials. For example, haemoglobin levels have been used in Phase III trials to support development of therapies for Type 1 Gaucher disease (a rare disease that affects multiple organ systems and shortens life expectancy, but which can take years to show changes in clinical symptoms).

Biosimilar Medicine

A biosimilar medicine is a biological medicine which is similar to another biological medicine that has already been authorised for use. Biosimilar medicines are commonly known as biological generic medicines. The existing biological medicine is known as the 'reference medicinal product'. Biosimilars may only be marketed after the patent for the reference medicinal product has expired, although they may be developed earlier. A biosimilar medicine and its reference medicinal product are expected to have the same safety and efficacy profile. Biosimilar medicines are developed to have the same mechanism of action, and to treat the same diseases as the reference medicinal product. Standards of the EU Good Manufacturing Practice (GMP) apply to the manufacture of biosimilar medicines in the same way as for any other biological medicinal product. Biosimilar medicines may offer a less costly alternative to existing biological medicinal products that have lost their exclusivity rights.

Biologinen lääkevalmiste

sia. Jotkut vanhimmista biologisista lääkkeistä on uutettu eläinten tai ihmisten kudoksista – esimerkiksi kokoverestä tai verituotteista. Eräät perinteiset biologiset lääkkeet valmistetaan nykyisin laboratorioissa eikä enää elävistä kudoksista – esimerkiksi kudossiirännäiset ja vasta-aineet passiivista immunisaatiota varten. Ne poikkeavat kemiallisesti syntetisoiduista lääkeaineista ja tähän luokkaan kuuluvat mm. rokotteet, verituotteet, geeniterapiat ja soluterapiassa käytettävät elävät solut.

Biomarkkeri

Biologinen markkeri on jotakin sellaista, joka voidaan mitata ja joka viittaa sairauden olemassaoloon, fysiologiseen muutokseen, hoitovasteeseen tai psykologiseen tilaan. Esimerkiksi verensokerin tasoa käytetään biomarkkerina diabeteksen hoidossa ja aivokuvantamisessa tehtävät löydökset voivat kertoa multipeliskleroosin eli MS-taudin etenemisestä. Biomarkkereita käytetään monilla tieteen aloilla. Niitä käytetään eri tavoin lääkekehityksen eri vaiheissa ja ne voivat olla joissakin tapauksissa myös ns. sijaispäätetapahutumia (engl. 'surrogate endpoints'), joilla mitataan annetun hoidon, kuten lääkkeen, vaikutusta kliinisissä tutkimuksissa. Esimerkiksi hemoglobiinitasoa on käytetty surrogaattimarkkerina 3. vaiheen kliinisissä lääketutkimuksissa, kun on kehitetty hoitoja tyyppiin 1 Gaucherin tautiin. Gaucherin tauti on useisiin elimiin kohdistuva harvinaissairaus, joka lyhentää elinikää mutta jonka kliiniset oireet ilmaantuvat tyyppillisesti vasta vuosia sairauden alkamisen jälkeen.

Biosimilaari lääkevalmiste

Biosimilaari lääkevalmiste on biologinen lääke, joka on samanlainen toisen, jo markkinoilla olevan biologisen lääkkeen kanssa. Biosimilaarit lääkkeet ovat siis geneerisiä biologisia lääkkeitä. Myyntiluvallinen biologinen lääke toimii biosimilaarin lääkkeen vertailuvalmisteena. Biosimilaareja lääkkeitä voidaan markkinoida vasta kun vertailuvalmisteen patentti on rauennut vaikka ne voidaan kehittää jo aiemmin. Biosimilaarilla lääkkeellä ja vertailuvalmisteella odotetaan olevan samanlainen profiili mitä tulee turvallisuuteen ja tehoon. Biosimilaari lääke kehitetään siten, että sillä on sama toimintamekanismi kuin vertailuvalmisteella ja sillä hoidetaan samoja sairauksia. Hyvän tuotantotavan EU-standardit koskevat biosimilaareja lääkkeitä siinä missä muitakin biologisia lääkkeitä. Biosimilaarit lääkkeet saattavat tarjota edullisemman vaihtoehdon olemassa oleville biologisille lääkkeille siinä vaiheessa kun nämä ovat menettäneet yksinoikeutensa.

Blinding

Blinding is a way of making sure that the people involved in a research study, such as the participants in clinical trials, do not know which trial arm they are assigned to. For example, in a trial with one treatment arm and one placebo arm, blinding means that the participants do not know if they are receiving the treatment or the placebo. Blinding is used to remove bias that can be caused intentionally or unintentionally if participants or the research team are aware of which trial group participants are in. Sometimes the term 'single-blind' is used to describe studies where the participants are unaware of which arm they are in, but the research team does know. In a double-blind trial, both the research team and participants do not know which participant is assigned to which arm. A blind trial is the opposite of an open or open-label trial.

Branded Medicines

Branded medicines are medicines which have a name given to them by a company for the purpose of advertising. The names of branded medicines are different from the International Nonproprietary Name (INN), also known as the generic name. Branded medicines may be the original medicine developed by a company or several companies may make the same generic medicine, to which each company gives its own brand name.

Sokkoutus

Sokkoutuksella varmistetaan, että kliiniseen lääketutkimukseen eri rooleissa osallistuvat henkilöt eivät tiedä mihin hoitoryhmään kukin tutkittava kuuluu. Esimerkiksi tutkimuksessa, jossa on aktiivilääkettä saava ryhmä ja lumelääkettä saava ryhmä, osallistujat eivät tiedä kumpaa hoitoa he saavat. Sokkoutuksella pystytään vähentämään harhaa, joka saattaisi joko tietoisesti tai tiedostamatta seurata siitä, että tutkittavat ja tutkimusryhmän jäsenet tietäisivät mitä hoitoa kukin saa. Termillä 'yksinkertainen sokkoutus' (engl. 'single-blind') tarkoitetaan tilannetta, jossa tutkittavat eivät tiedä mihin ryhmään kuuluvat mutta tutkimusryhmä tietää. Kaksoissokkoutetussa (engl. 'double-blind') tutkimuksessa sen enempää tutkimusryhmä kuin tutkittavakaan eivät tiedä, kumpaan ryhmään tutkittava kuuluu. Sokkoutettu tutkimus on vastakohta avoimelle tutkimukselle (engl. 'open-label trial').

Kauppanimelliset lääkkeet

Lääketehtaat antavat valmistamilleen lääkkeille kauppanimiä markkinointitarkoituksiin. Lääkkeen kauppanimi on eri kuin sen geneerinen nimi, joka taas perustuu INN-standardiin (International Nonproprietary Name). Kauppanimelliset lääkkeet voivat olla joko lääkeyrityksen itse kehittämiä alkuperälääkkeitä tai niiden tuottamia geneerisiä lääkkeitä.

C

Carcinogenicity studies

Studies that use animal models to evaluate the carcinogenic potential of pharmaceuticals. They are also used to test chemicals and food additives. The objectives of carcinogenicity studies are to identify a tumorigenic potential in animals and to assess the relevant risk in humans. Any cause for concern derived from laboratory investigations, animal toxicology studies, and data in humans may lead to a need for carcinogenicity studies. The fundamental considerations in assessing the need

Karsinogeenisyystutkimukset

Karsinogeenisyystutkimukset ovat eläinmalleilla tehtäviä tutkimuksia, joilla tutkitaan lääkeaineen karsinogeenisiä eli syöpää aiheuttavia ominaisuuksia. Niitä käytetään myös kemikaalien ja elintarvikkeiden lisäaineiden testaamiseen. Näissä tutkimuksissa pyritään eläinmalleille hyväksikäyttämisen selvittämiseen yhdisteen mahdollista karsinogeenistä potentiaalia ihmisessä. Karsinogeenisyystutkimuksia täytyy tehdä silloin kun muut tutkimukset, esimerkiksi laboratoriotutkimukset, eläimillä tehtävät toksikologiset tutkimukset tai ih-

Carcinogenicity studies

for carcinogenicity studies are the maximum duration of patient treatment and any perceived cause for concern arising from other investigations.

Causal relationship

Is the relation between an event (the cause) and a second event (the effect), where the effect is a direct consequence of the cause.

Causation

The relationship between an event or situation and a possible reason or cause.

Centralised procedure

The centralised procedure is a process for obtaining marketing authorisation for a medicine in the EU. The European Medicines Agency (EMA) oversees the centralised authorisation procedure for human and veterinary medicines. This procedure results in a single marketing authorisation, granted by the European Commission, which allows a medicine to be marketed in all EEA (European Economic Area) countries (EU member states and the three EEA EFTA States: Iceland, Liechtenstein, and Norway).

Chemotherapy

Chemotherapy is a type of cancer treatment that uses medicines to destroy cancer cells. Chemotherapy is used along with surgery, radiation therapy, or biological therapy. It works by stopping or slowing the rapidly growing cancer cells. However, chemotherapy can also harm healthy cells that divide quickly, such as those that line the mouth and intestines. Due to the effect these medicines have on healthy cells, serious or severe side effects are common.

Clearance

Clearance is a term in pharmacokinetics which describes the volume of plasma that is completely cleared of a substance per unit time. The usual units are mL/min. The

Karsinogeenisyystutkimukset

misillä tehtävät kliiniset tutkimukset herättävät epäilyä siitä, että yhdisteellä saattaisi olla karsinogeenistä potentiaalia. Karsinogeenisyystutkimuksista päätettäessä merkittävä vaikutus on sillä, miten pitkään hoitoa potilaille on tarkoitus antaa ja sillä, mitä signaaleja muissa tutkimuksissa on saatu.

Syy-seuraussuhde

Syy-seuraussuhde on kahden asian, syyn ja siitä seuraavan vaikutuksen eli seurauksen välinen suhde silloin kun vaikutus on suoraa seurausta syystä.

Syy-yhteys

Syy-yhteys on tietyn tapahtuman tai tilanteen ja sen aiheuttaman tekijän välinen suhde.

Keskitetty menettely

Keskitetty menettely on eräs lääkkeen myyntiluvan hakemisen muoto EU:n alueella. Euroopan lääkevirasto EMA (European Medicines Agency) vastaa keskitetystä myyntilupamenettelystä sekä ihmis- että eläinlääkkeiden osalta. Tämän menettelyn seurauksena lääkeyritys saa yhden Euroopan Komission myöntämän myyntiluvan, jolla se saa markkinoida lääkevalmistetta kaikissa EEA:n (European Economic Area) maissa (kaikissa EU:n jäsenvaltioissa sekä kolmessa EEA EFTA -maassa: Islanti, Liechtenstein ja Norja).

Kemoterapia

Kemoterapia on syöpähoitoa, jossa syöpäsoluja tuhotaan lääkkeiden avulla. Kemoterapiaa käytetään yhdessä leikkaushoidon, sädehoidon ja/tai biologisten hoitojen kanssa. Sen teho perustuu nopeasti jakautuvien syöpäsolujen jakautumisen estämiseen tai hidastamiseen. Kemoterapia voi kuitenkin tuhota myös nopeasti jakautuvia terveitä soluja, esimerkiksi suun ja suoliston limakalvojen soluja. Näiden terveisiin soluihin kohdistuvien vaikutustensa takia kemoterapialla on yleisesti vakavia haittavaikutuksia.

Puhdistuma

Puhdistuma on farmakokinetiikan termi, jolla tarkoitetaan sitä plasman tilavuutta, joka puhdistuu täydellisesti tietyistä yhdisteistä annetussa aikayksikössä. Yleensä käytetään

Clearance

total body clearance will be equal to the renal (kidney) clearance + hepatic (liver) clearance + lung clearance although for many medicines the clearance is simply considered as the renal excretion ability.

Puhdistuma

yksikköä ml/min. Koko kehon puhdistuma on munuaisten puhdistuman, maksan puhdistuman ja keuhkojen puhdistuman summa vaikka monien lääkeaineiden tapauksessa puhdistumalla tarkoitetaan vain munuaisten kautta tahtuvaa puhdistumaa.

Clinical development

Clinical development is one step in the process of bringing new medicines or treatments to the market. Based on non-clinical research (microorganisms/animals), it refers to clinical trials, which are done in people. They follow different phases designated as Phase I, II, III (and IV after marketing authorisation).

Kliininen kehitys

Kliininen kehitys on yksi vaihe prosessissa, jonka tarkoituksena on tuoda uusia lääkeaineita markkinoille. Kliininen kehitys perustuu non-kliiniselle tutkimukselle (mikro-organismeilla tai eläimillä tehdyt tutkimukset) ja siihen kuuluu ihmisellä tehtäviä kliinisiä lääketutkimuksia. Kliiniset lääketutkimukset voidaan jakaa vaiheisiin 1, 2, 3 ja 4 (viimeiset tehdään myyntiluvan saamisen jälkeen).

Clinical effectiveness

As a component of a dossier submitted for HTA assessment, clinical effectiveness is a measure of how well a particular treatment works in the practice of medicine. It depends on the application of the best knowledge derived from research, clinical experience, and patient preferences.

Kliininen tehokkuus

Kliinisellä tehokkuudella (engl. 'effectiveness') kuvataan sitä miten hyvin tietty hoito toimii käytännön hoitotyössä. Se muodostaa yhden osan terveydenhuollon menetelmien arvioinnista (HTA, engl. Health Technology Assessment'). Arviointia tehtäessä huomioon otetaan tutkimuksista, kliinisestä käytöstä ja potilaiden kokemusten kautta kerätty tieto.

Clinical efficacy

In medicine, clinical efficacy indicates a positive therapeutic effect. If efficacy is established, an intervention is likely to be at least as good as other available interventions to which it will have been compared. When talking in terms of efficacy versus effectiveness, efficacy measures how well a treatment works in clinical trials or laboratory studies. Effectiveness, on the other hand, relates to how well a treatment works in the practice of medicine.

Kliininen teho

Kliinisellä teholla (engl. 'efficacy') tarkoitetaan positiivista terapeutista tehoa. Jos lääkkeellä on teho, sillä annettu hoito tehoaa ainakin yhtä hyvin kuin muut olemassa olevat hoitomuodot, joihin kyseistä lääkettä on verrattu. Kun puhutaan virallisista termeistä 'teho' ja 'tehokkuus', teholla tarkoitetaan sitä, miten hyvin lääke tai muu hoito on toiminut kliinisissä lääketutkimuksissa tai laboratoriotutkimuksissa. Tehokkuudella tarkoitetaan puolestaan sitä, että hoito toimii käytännön hoitotyössä.

Clinical pharmacology

In relation to clinical development, pharmacology deals with the effects of compounds (medicines in development) in healthy volunteers and in patients. It usually includes pharmacodynamics and pharmacokinetics. In the evaluation process the action and adverse effects of compounds can be measured and compared.

Kliininen farmakologia

Lääkekehityksen yhteydessä farmakologialla tarkoitetaan yhdisteen (eli kehitettävän lääkkeen) vaikutuksia terveisiin vapaaehtoisin ja potilaisiin. Se jaetaan yleensä farmakodynamiikkaan ja farmakokinetiikkaan. Arviointiprosessissa selvitetään ja vertaillaan valmisteen vaikutuksia ja haittavaikutuksia.

Clinical phase

The clinical phase of medicines development is the one involving humans, and is different from the 'non-clinical' or 'pre-clinical phase' in which studies are performed in labs or in animals (such as for pharmacology/toxicology analysis). Clinical studies are conducted in four steps, called 'phases' - each designed to answer separate research questions.

Clinical study

A clinical study is a scientific investigation in which participants receive a health-related intervention, such as a medicine, in order to learn about (discover or verify) how it works and interacts with the body (clinical, pharmacological, pharmacodynamic, and pharmacokinetic effects), or to identify any adverse reaction in order to understand the safety of and/or how well the medicine works (efficacy). Previously, the terms clinical study and clinical trial were used synonymously. Refer to Regulation 2014/536 for more information.

Clinical trial

A clinical trial is a clinical study in which participants are assigned according to a pre-defined therapeutic strategy or plan (protocol) to receive a health-related intervention, such as a medicine, in order to investigate its effects on health outcomes, usually compared to another (or sometimes no) treatment. Clinical trials are used to evaluate clinical practices that do not fall within the current practices of a country, or to evaluate a new medicine (investigational medicinal product). Clinical trials are used to generate data on the safety and efficacy of the intervention. Clinical trials are conducted only after a regulatory authority approval and ethics committee review. Clinical trials are often characterised in Phases from I (first-in-human), II (exploratory), III (confirmatory) to IV (post approval). Previously, the terms clinical study and clinical trial were used synonymously. Refer to Regulation 2014/536 for more information.

Kliininen vaihe (tai faasi)

Lääkekehityksen kliininen vaihe on se kehitystyön osa, jossa tutkimukset kohdistuvat ihmisiin. Tätä edeltää non-kliininen tai prekliininen vaihe, jossa tutkimukset suoritetaan laboratorioissa tai koe-eläimillä (kuten farmakologiset tai toksikologiset analyysit). Kliiniset tutkimukset eritellään neljään eri vaiheeseen, niin kutsuttuihin faaseihin – jokaisessa vaiheessa tutkimukset suunnitellaan vastaamaan tiettyihin kysymyksiin.

Kliininen tutkimus

Kliininen tutkimus on tieteellinen tutkimus jossa tutkittaville annetaan jotakin terveyteen liittyvää hoitoa, esimerkiksi lääkettä, ja jossa selvitetään tämän hoidon vaikutuksia elimistössä (kliinisiä, farmakologisia, farmakodynaamisia ja farmakokineettisiä vaikutuksia), tai jossa tutkitaan hoidon aiheuttamia haittavaikutuksia ja tätä kautta tutkitaan hoidon turvallisuutta ja tehoa. Aiemmin englanninkieliset termit 'clinical study' ja 'clinical trial' tarkoittivat samaa asiaa mutta uusi EU:n lääketutkimusasetus (2014/536) on antanut termeille toisistaan poikkeavat määritelmät.

Kliininen lääketutkimus

Kliininen lääketutkimus on sellainen kliininen tutkimus, jossa tutkittaville annetaan lääkehoitoa ennalta kirjatun tutkimussuunnitelman mukaisesti. Kliinisessä lääketutkimuksessa tutkitaan annetun lääkkeen vaikutuksia tutkittavan terveyteen ja useimmiten sitä verrataan toiseen lääkkeeseen tai lumevalmisteeseen. Kliinisissä lääketutkimuksissa tutkitaan joko kokonaan uusia lääkkeitä tai siten niiden avulla voidaan tutkia olemassa olevia lääkkeitä uusiin tarkoituksiin. Kliinisten lääketutkimuksen tarkoituksena on määrittää tutkittavan hoidon tehoa ja turvallisuutta. Kliinisen lääketutkimuksen saa aloittaa vasta kun viranomaiset ja eettinen toimikunta ovat todenneet sen hyväksyttäväksi. Kliiniset lääketutkimukset jaetaan usein vaiheisiin (faaseihin): faasin 1 tutkimuksissa lääkettä annetaan ihmiselle (terveille vapaaehtoisille tai joissakin tapauksissa potilaille) ensimmäisen kerran, faasissa 2 tehdään kokeellisia tutkimuksia yleensä potilailla, faasissa 3 aiemmat tulokset varmistetaan suuremmalla otoksella ja faasin 4 tutkimukset tehdään myyntiluvan saamisen jälkeen. Aiemmin englanninkieliset termit 'clinical study' ja 'clinical trial' tarkoittivat samaa asiaa mutta uusi EU:n lääketutkimusasetus (2014/536) on antanut termeille toisistaan poikkeavat määritelmät.

Clinical trial authorisation

Before a clinical trial can start, the sponsor must apply for and be given clinical trial authorisation (CTA). Each European country has its own regulatory authority that assesses applications for clinical trial authorisations. For clinical trials that will take place in more than one European country, there is a 'Voluntary Harmonisation Procedure' which allows one application to be submitted to the authorities in all the relevant countries. As well as clinical trial authorisation, a positive opinion from an ethics committee (or institutional review board) is needed before a clinical trial can go ahead.

ClinicalTrials.gov

ClinicalTrials.gov is an online resource that provides information about clinical studies on a wide range of diseases. It includes information on whether the studies are recruiting patients, and a summary of the results of studies once they have finished. The resource can be found at <https://clinicaltrials.gov> (address correct April, 2019). Studies can be searched for by disease or by country. Although it is funded by the US government, it includes studies based around the world. The resource is aimed at patients and their families, healthcare professionals, researchers and the public. The website is maintained by the National Library of Medicine (NLM) at the National Institutes of Health (NIH).

Cohort Studies

Cohort studies are used to study how common diseases are, their causes, and their prognoses. Cohorts are groups of people who are selected on the basis of certain characteristics. For example, if exposure to a risk factor such as cigarette smoke is suspected to cause a disease, a cohort can be selected in which one group has been exposed and another group has not. Both groups are then studied for signs or symptoms of disease. Cohort studies can be prospective (cohorts are identified before any signs of disease and are followed up over time) or retrospective (data is used that has already been collected, possibly over a long period of time). Cohort studies are a kind of observational study, in which the researcher does not perform any intervention (such as administering a medicine). Cohort studies are useful when it would be unethical to carry out

Kliinisen lääketutkimuksen viranomaislupa

Ennen kuin kliininen lääketutkimus voi alkaa, tutkimuksen toimeksiantajan täytyy hankkia sille asianomaisen viranomaisen hyväksyntä. Jokaisella Euroopan maalla on oma viranomaisensa, joka myöntää luvat kyseisessä maassa toteutettaville kliinisille lääketutkimuksille. Jos sama tutkimus toteutetaan useassa EU-maassa, voidaan käyttää 'Voluntary Harmonisation Procedure' -nimistä prosessia, jonka avulla voidaan saada samaan aikaan viranomaislupa kaikkiin maihin. Viranomaisluvan lisäksi kliinisen lääketutkimuksen täytyy saada puoltava lausunto eettiseltä toimikunnalta ennen kuin se voi alkaa.

ClinicalTrials.gov

ClinicalTrials.gov on internetistä löytyvä tietokanta, josta löytyy tietoa useimmista meneillään olevista kliinisistä lääketutkimuksista. Sieltä löytyy tiedot mm. siitä, rekrytoidaanko tutkimukseen parhaillaan potilaita ja usein myös tutkimuksen päätulokset tutkimuksen päättyttyä. Tietokanta löytyy osoitteesta <https://clinicaltrials.gov> (huhtikuussa 2019). Tutkimuksia voidaan etsiä tietokannasta esimerkiksi maan tai sairauden mukaan. Tietokanta on USA:n viranomaisten ylläpitämä mutta sieltä löytyy tietoa myös monista USA:n ulkopuolella tehtävistä tutkimuksista. Tietokanta on tarkoitettu niin potilaille ja heidän omaisilleen kuin terveydenhuollon ammattilaisille ja tutkijoillekin. Tietokantaa ylläpitää National Institute of Health'n (NIH) alainen National Library of Medicine (NLM).

Kohorttitutkimukset

Kohorttitutkimusten avulla tutkitaan sairauksien yleisyyttä, syitä ja paranemisennustetta. Kohortit ovat tutkittavien ryhmiä, joihin tutkittavat valitaan tiettyjen ominaisuuksien perusteella. Jos halutaan selvittää jonkinlaisen altistuksen, esimerkiksi tupakoinnin, vaikutusta tietyn sairauden syntyy, kohortin yhteen ryhmään valitaan tupakoivia henkilöitä ja toiseen tupakoimattomia. Tutkittavan sairauden oireiden ilmaantumista seurataan tämän jälkeen molemmissa ryhmissä. Kohorttitutkimukset voivat olla prospektiivisiä (kohortit valitaan ennen sairauden oireiden ilmestymistä) tai retrospektiivisiä (hyödynnetään jo aiemmin mahdollisesti pitkältikin ajalta kerättyä dataa). Kohorttitutkimukset ovat havainnollisia tutkimuksia, joissa tutkittaviin ei kohdisteta mitään interventioita (kuten anneta tiettyä lääkettä). Kohorttitutkimukset ovat hyödyllisiä erityisesti silloin kun

Cohort Studies

a randomised controlled trial (RCT). For example, deliberately exposing people to cigarette smoke or asbestos would be (...)

Combined advanced-therapy medicines

Combined advanced-therapy medicines are medical products based on the combination of genes (gene therapy), cell therapy (cell therapy) or tissues (tissue engineering) with one or more medical devices as an integral part of the medicine.

Compassionate use

Method of providing an unlicensed medicine prior to final approval by a regulatory (competent) authority for use in humans. This procedure is used with very sick individuals who have no other treatment options. Often, case-by-case approval must be obtained for compassionate use of a medicine or therapy.

Compound

Two or more elements or molecules which are chemically bound to each other. The term 'compound' is often used to refer to a medicine which is being developed.

Concomitant

Something that exists or occurs at the same time as something else. It can be a natural event, but in medicine is used when referring to: Concomitant medication: two or more medicines are given at the same time when treating diseases, or Concomitant disease: a second disease (or more) is present at the same time as the primary disease (or secondary symptoms occur with a main symptom).

Confirmatory studies

These are studies conducted in Phase III of the clinical development of a medicine. They aim to confirm the efficacy and safety in a large patient population. They can involve thousands of patients, can be run in many countries,

Kohorttitutkimukset

satunnaistettujen, kontrolloitujen tutkimusten tekeminen olisi epäeettistä. Esimerkiksi ihmisten tahallinen altistaminen tupakansavulle tai asbestille ei tulisi kysymykseen.

Pitkälle kehitetyt yhdistelmä-lääkkeet

Pitkälle kehitetyt yhdistelmä-lääkkeet (tai ATMP-yhdistelmävalmisteet) ovat lääkevalmisteita joissa geenin-, solu- tai kudoshoidon yhdistetty yhteen tai useampaan lääketieteelliseen laitteeseen oleellisena osana hoitoa.

Erityislupaa edellyttävä käyttö

Menettely, jossa vielä myyntiluvatonta lääkevalmistetta käytetään potilaan hoidossa. Tällaista menettelyä voidaan joskus noudattaa hyvin sairaiden potilaiden kohdalla, joilla ei ole enää muita hoitovaihtoehtoja. Useimmissa maissa kuten Suomessa tällainen käyttö vaatii tapauskohtaisen viranomaisluvan.

Yhdiste

Yhdisteen muodostavat kaksi tai useampia toisiinsa kemiallisesti sidoksissa olevaa elementtiä tai molekyyliä. Termiä 'yhdiste' käytetään usein kun puhutaan kehitysvaiheessa olevasta lääkemolekyylistä.

Samanaikainen

Lääketutkimusten yhteydessä usein käytetyllä englanninkielisellä termillä 'concomitant' tarkoitetaan samanaikaisesti tapahtuvia asioita. Lääkekehityksestä puhuttaessa sitä käytetään kun viitataan samanaikaisesti otettavaan lääkkeeseen (concomitant medication) tai samaan aikaan esiintyvä toinen sairaus (concomitant disease).

Varmistavat tutkimukset

Vaiheen 3 kliinisiä lääketutkimuksia kutsutaan joskus varmistaviksi tutkimuksiksi. Niiden avulla pyritään varmistamaan aiemmissa tutkimuksissa saadut, lääkkeen tehoon ja turvallisuuteen liittyvät tulokset isossa potilaspopula-

Confirmatory studies

require a huge amount of expertise to be run effectively, and are therefore resource intense and very time consuming. They are the largest, most complicated, and most expensive part of the development of a medicine.

Continuous endpoint

A measurement, often expressed in numbers, collected in a clinical trial that represents a specific variable. Unlike binary endpoints which are expressed by 'yes' or 'no' (e.g. 'survived' against 'dead'), continuous endpoints are expressed by measurement on a continuum of possible values over time (e.g. blood pressure or months of survival).

Contract research organisation

A contract research organisation (CRO) is an independent organisation that provides support into the medicines development process. Typically, a CRO will organise and conduct clinical trials to test an investigational medicinal product in humans.

Cost effectiveness

In the context of pharmacoeconomics, cost effectiveness is studied by looking at the results of different interventions by measuring a single outcome, usually in 'natural' units (for example, life-years gained, deaths avoided, heart attacks avoided, or cases detected). Alternative interventions are then compared in terms of cost per (natural) unit of effectiveness in order to assess how it provides value for money. This economic evaluation helps decision-makers to determine where to allocate limited healthcare resources. Cost effectiveness, however, is only one of a number of criteria that should be used to determine whether or not interventions are made available. Other issues, such as equity, needs, and priorities should also be part of the decision-making process.

Varmistavat tutkimukset

tiossa. Näissä tutkimuksissa voi olla mukana tuhansia tutkittavia, ne toteutetaan yleensä monissa maissa ja ne vaativat tekijöiltään paljon osaamista ja kokemusta. Nämä tutkimukset vaativat paljon resursseja ja aikaa. Vaiheen 3 tutkimukset ovat lääkekehitysohjelmien suurimpia, monimutkaisimpia ja kalleimpia osuuksia.

Jatkuva päätetapahtuma

Useinmiten numeerinen kliinisessä tutkimuksessa seurattava mittaustulos, joka kuvaa jotakin tiettyä muuttujaa. Toisin kuin binaarinen päätetapahtuma, jotka ilmaistaan 'kyllä' tai 'ei' -tyyppisillä vastauksilla, jatkuva muuttuja voi saada minkä tahansa kyseisen mittausasteikon numeerisen arvon (esim. verenpaine).

Contract Research Organisation (CRO)

CRO on itsenäinen tutkimusyrietyys, joka tarjoaa lääkekehitystyön käytännön toteutukseen liittyviä palveluja. Tyypillisesti CRO:n palveluja käytetään kliinisten lääketutkimusten toteutuksessa, tai CRO voi toteuttaa koko tutkimuksen toimeksiantajan puolesta.

Kustannustehokkuus

Terveystaloustieteestä puhuttaessa hoidon kustannustehokkuutta arvioidaan tutkimalla tietyn hoidon vaikutusta johonkin tiettyyn muuttuajaan (esimerkiksi jäljellä olevien elinvuosien määrään, vältettyihin kuolemiin, vältettyihin sydänkohtauksiin). Eri hoitoja voidaan sitten verrata toisiinsa hoidon ja mitattavan muuttujan kustannusten osalta ja näin arvioida kustakin hoidosta saatava vastine rahalle. Tämän kaltainen taloudellinen arviointi auttaa päätöksentekijöitä sen määrittämisessä, mihin hoitoihin rajalliset terveydenhuoltoresurssit kohdistetaan. Kustannustehokkuus on kuitenkin vain yksi hoidon myöntämisen kriteeri ja sen lisäksi tulee huomioida muita tekijöitä kuten tasapuolisuus, erilaiset tarpeet ja erilaiset prioriteetit.

Criteria for 'go/no-go' decisions

Compounds under investigation as potential new medicines must meet certain criteria, at each stage of development, in order to progress further. These criteria need to be agreed upon by the medicines developers. A 'go' decision means that the compound meets the criteria, and will be advanced to the next development step. Failure to meet the criteria will lead to a 'no-go' decision and the medicine development will stop.

Cross-Sectional Study

A cross-sectional study is one type of observational study, in which the researcher does not perform any intervention (such as administering a medicine). Cross-sectional studies are primarily used to find out how many cases of a disease are present in a population at a given point in time (called 'prevalence'). They are used to assess the health needs of a population and are useful in planning and allocating health resources. Cross-sectional studies are generally performed by survey/questionnaire or interview.

Kriteerit 'go/no-go' -päätöksille

Lääkekehityksen aikana tutkittavana olevan molekyylin on täytettävä tietyt kriteerit jokaisessa kehitysvaiheessa, jotta kehitystyö voi jatkua. Lääkekehitystyötä tekevä yritys määrittää nämä kriteerit. 'Go'- päätös tarkoittaa sitä, että kehitystyö jatkuu aina seuraavaan päätöksentekopisteseen saakka. 'No-go' -päätös tarkoittaa sitä, että tutkittava molekyyli ei täytä asetettuja kriteereitä ja lääkkeen kehittäminen loppuu.

Poikittaistutkimus

Poikkittais- tai poikkileikkaustutkimukset ovat eräänlaisia havainnoivia tutkimuksia, joissa ei suoriteta minkäänlaisia interventiota (kuten annostella lääkettä). Poikkileikkaustutkimusten avulla selvitetään useimmin sairauksien yleisyyttä väestössä tiettyinä ajankohtana, niin sanottua prevalenssia. Niiden avulla arvioidaan väestön terveyteen liittyviä tarpeita ja niiden tuloksia käytetään apuna suunniteltaessa terveydenhuollon resurssien käyttöä. Poikkittaiset tutkimukset tehdään yleensä erilaisia kyselyjä ja haastatteluja apuna käyttäen.

D

DART

Developmental and reproductive toxicity (DART) is studied in animals to test chemical substances or medicines that might interfere with normal reproduction. This includes adverse effects on sexual function and fertility in adult males and females, as well as developmental toxicity in the offspring (child).

Data and Safety Monitoring Board

A Data and Safety Monitoring Board (DSMB) is an independent group of experts set up to protect patient safety during a clinical trial. This board periodically reviews clin-

Kehitys- ja lisääntymistoksisuus

Kemikaalien ja lääkeaineiden kehitys- ja lisääntymistoksisuutta tutkitaan eläimillä silloin kun on syytä epäillä niiden vaikuttavan lisääntymiseen. Käsite pitää sisällään sekä hedelmällisyyteen ja lisääntymistoimintoihin liittyvät haitat kuin jälkeläisten kehitykseen liittyvän toksisuuden.

Tietojen ja turvallisuuden seurantalautakunta

Tietojen ja turvallisuuden seurantalautakunta, josta yleisesti käytetään lyhennettä DSMB, on itsenäinen, eri alojen asiantuntijoista koostuva ryhmä, joka seuraa tutkitta-

Data and Safety Monitoring Board

ical study data (and they have access to unblinded data in case of blinded studies), incidental event reporting, and clinical study performance. The DSMB provides independent advice to ensure participants are not exposed to undue risks, and make recommendations concerning the continuation, modification, or termination of a trial.

Data exclusivity

Data exclusivity refers to the period during which the data of the original marketing authorisation holder is protected. It is the time during which another company cannot use the originator's data in support of another marketing authorisation application, i.e.: generics, hybrids, biosimilars. Therefore, competent authorities may not accept such an application during this period of time. In Europe, this protection period lasts for a minimum of eight years and is intended to incentivise innovation.

Decentralised procedure

The decentralised procedure is a process for authorising medicines in more than one European Union member state at the same time.

Degradants

Chemical products formed from the breakdown of a medicine due to for example light, temperature, water, reaction with non-active substances, or container and closure systems, etc.

Delivery device

A device used for the delivery of a medicine or therapeutic agent via a specific route of administration (e.g. inhaler, dermal patch or infusion pump).

Delivery system

Medicine delivery systems encompass four main related aspects: Routes of delivery (ways in which the medications can be taken, such as orally, by injection, by inhalation,

Tietojen ja turvallisuuden seurantalautakunta

vien turvallisuutta kliinisen lääketutkimuksen ajan. Tämä ryhmä tarkastelee säännöllisin määräajoin tutkimuksen dataa (heillä on sokkoutetuissa tutkimuksissa pääsy myös sokkouttamattomaan dataan), haittatapahtumaraportointia ja tutkimuksen suoritusta. DSMB:n tehtävä on antaa itsenäisesti neuvoa tutkimuksen toimeksiantajalle niin että tutkittavia ei altisteta tarpeettomasti riskeille. DSMB voi antaa myös suosituksia tutkimuksen jatkamiseksi, muuttamiseksi tai lopettamiseksi.

Yksinoikeus tietoihin

Alkuperäisellä lääkkeen myyntiluvan haltijalla on tietyn ajanjakson ajan suojattu yksinoikeus lääkkeen tietoihin. Tänä aikana muut yritykset eivät voi käyttää alkuperälääkkeen kehittäjän tutkimustietoja oman esim. geneeriselle, hybridilääkkeelle tai biosimilaarille lääkkeelle haettavan myyntilupansa tukemiseen. Myyntilupaviranomaiset eivät voi tänä ajanjaksona hyväksyä muita myyntilupahakemuksia. Euroopassa suoja-aika on vähintään kahdeksan vuotta ja sen tarkoituksena on kannustaa yrityksiä innovatiivisuuteen.

Hajautettu myyntilupamenettely

Hajautetussa myyntilupamenettelyssä myyntilupa myönnetään useaan Euroopan maahan samanaikaisesti.

Hajoamistuote

Lääkeaineen hajoamisen yhteydessä muodostuva kemiallinen yhdiste, jonka syntymiseen voivat myötävaikuttaa valo, lämpötila, veden tai joidenkin muiden yhdisteiden kanssa kosketukseen joutuminen, säilytysastia tai sen sulkemismekanismi ym.

Annostelulaite

Laite, jota käytetään apuna lääkeaineen annostelussa tietyn annostelureitin kautta (esim. inhaloitilaite, laastari tai infuusiopumppu).

Annostelumekanismi

Lääkkeen annostelumekanismiin kuuluu neljä erilaista kokonaisuutta: antoreitti (se reitti, jota pitkin lääkeaine viedään elimistöön, esim. suun kautta, injektoimalla, inhaloimalla

Delivery system

etc.). Delivery vehicles (dosage forms such as pills or slow-release granules). Chemical/biological properties of the active substance of the medicine (the cargo). Targeting strategies (delivery methods that deliver medicines to specific organs, tissues, tumours or structures inside of cells).

Directive

An EU Directive is a form of legislation that is 'directed' at the member states of the EU. Directives set out a goal or policy which needs to be achieved by the member states. A directive shall be binding upon each member state to which it is addressed, but shall leave to the national authorities the choice of form and methods. The member states are required to make the appropriate changes to their national legislation to implement the Directive. Normally this must be done within two years. A wide range of issues is dealt with by directives, including some aspects of health and social policy.

Disease burden

Also known as 'unmet need' or 'therapeutic need'. It may be a measure of the number of people affected by a particular disease for whom current treatments are inadequate. It may include the number of new diagnoses of a disease, or the costs to society or a government representing those affected. It may also include more qualitative aspects about the burden of disease and current treatments available to patients.

Dosage

Dosage is a measured and specific amount of a medicine, with number, and frequency of doses over a specified period of time or prescribed intervals.

Dosage forms

Dosage forms of a medicine are the means (or the form) by which drug molecules are delivered to sites of action within the body. There are several types of dosage form, depending on the method/route of delivery of the medicine. These include for instance pills, capsules, syrups, suppositories and solutions for injection. Typically this involves a mixture of the active substance(s) and non-active substances (excipients).

Annostelumekanismi

jne.); annostelumuoto (kuten tabletti, kapseli tai hitaasti vaikuttavat rakeet jne.); vaikuttavan aineen kemialliset ja biologiset ominaisuudet; lääkeaineen kohdentaminen (menetelmät, joilla lääkeaine saadaan toimitettua vain tiettyihin elimiin, kudoksiin, kasvaimiin tai solunsisäisiin rakenteisiin).

Direktiivi, asetus

EU-direktiivi on kaikkia EU-maita koskevaa ohjeistavaa lainsäädäntöä. Ne asettavat tietyt tavoitteet ja periaatteet jotka täytyy saavuttaa kaikissa jäsenmaissa. Direktiivit sitovat jäsenmaita tavoitteen osalta mutta jättävät niille vapauden valita millä tavoin ne tähän tavoitteeseen pääsevät. Jäsenmaiden on tarvittaessa muutettava lainsäädäntöään niin, että direktiivissä asetetut tavoitteet ja periaatteet toteutuvat. Yleensä tämä täytyy tehdä kahden vuoden kuluessa. Direktiivejä säädetään monelta eri alalta, myös terveydenhuollon alalta.

Täyttymättämät tarpeet lääkehoidon osalta

Tämä voidaan tulkita sen mittarina, miten moni ihminen kärsii tietystä sairaudesta ilman että olemassa olevat lääkehoidot ovat hänelle riittäviä. Sitä voivat kuvata uusien diagnoosien määrä tai sairauden hoidon kustannukset yhteiskunnalle. Siihen voi liittyä myös laadullisempia mittareita sairauden aiheuttamasta rasitteesta ja tarjolla olevista hoidoista.

Annostelu

Annostelulla tarkoitetaan tiettyä mitattavissa olevaa määrää lääkettä (annoksen koko ja annosten tiheys), joka annetaan potilaalle tietyn ajan kuluessa tai tietyn väliajoin.

Annostelumuoto

Annostelumuodolla tarkoitetaan sitä muotoa tai tapaa, jolla lääke viedään ihmisen elimistöön. Annostelumuodot voivat olla hyvinkin erilaisia riippuen siitä, mitä reittiä pitkin lääkeaine annostellaan. Esimerkkejä erilaisista annostelumuodoista ovat pillerit, kapselit, siirapit, peräpuikot ja injektionesteet. Yleensä annostelumuoto koostuu vaikuttavan lääkeaineen ja erilaisten apuaineiden seoksesta.

Dosage regimen

The dosage regimen is the schedule of doses of a medicine, including the time between doses, the duration of treatment and the amount to be taken each time. Dosage regimens also include how a medicine is to be taken, and in what formulation (dosage form).

Dose

A dose is a single, measured amount of a medicine to be taken at one time. This can be expressed as the forms (e.g. 1 capsule, 1 suppository), weight (e.g. 250 mg), volume (e.g. 10 mL, 2 drops), or some other quantity (e.g. 2 puffs).

Dose-ranging study

In a dose-ranging study different doses of a medicine are tested against each other to establish which dose works best and/or is least harmful.

Double blind

Double blinding is a method used in clinical trials to reduce the risk of bias, which can be caused intentionally or unintentionally when trial participants and/or researchers are aware of which participants are receiving which treatment (or placebo). For example, in a trial with one treatment group and one placebo group, blinding means that the participants do not know which group they have been assigned to. In a double blind trial, neither the research team nor the participants know which participant is assigned to which group. Sometimes the term 'single blind' is used to describe studies in which the participants are unaware of which group they are in but the research time is aware.

Drug candidate

In medicines development, the drug candidate is the molecule among several that has been shown to have sufficient target selectivity and potency, and favourable medicine-like properties and justifies further development. It will then be subjected to a new series of tests, and non-clinical studies and clinical trials. At this stage it is not yet a medicine.

Annostusohjelma ("lääkekuuri")

Annostusohjelma on lääkkeen annosteluajataulu, johon kuuluu annosten välinen aika, hoidon kokonaiskesto ja kunkin annoksen koko. Annostusohjelmassa määritellään myös lääkkeen antoreitti ja annostelumuoto.

Annos

Annoksella tarkoitetaan yhdellä kerralla annosteltavaa määrää lääkettä. Annos voidaan määrittellä annostelumuodon yksikköinä (esim. 1 kapseli, 1 peräpuikko), painoyksikkönä (esim. 250 mg), tilavuutena (esim. 10 ml, 2 tippaa) tai jonakin muuna määränä (esim. 2 suihkautusta tai painallusta).

Annoksenhakututkimus

Annoksenhakututkimuksessa saman lääkevalmisteen eri annoksia verrataan toisiinsa, jotta pystytään löytämään se annos, joka toimii parhaiten ilman että sillä on kohtuuttomia haittoja.

Kaksoissokko

Kaksoissokkoutus on kliinisissä lääketutkimuksissa käytävä menetelmä, joka vähentää sellaisen harhan riskiä, jota voisi ilmetä joko tarkoituksellisesti tai tarkoittamatta siinä tapauksessa, että tutkittavat itse ja tutkimushenkilökunta tietäisivät, mitä lääkettä (tai lumelääkettä) kukin tutkittava saa. Esimerkiksi lumekontrolloiduissa, sokkoutetussa tutkimuksessa tutkittavat eivät tiedä kumpaa hoitoa saavat. Kaksoissokkoutetussa tutkimuksessa sekä tutkittavat itse että tutkimushenkilökunta ovat tietämättömiä kunkin saamasta hoidosta. Joskus käytetään termiä yksinkertainen sokkoutus (engl. 'single-blind') sellaisten tutkimusten yhteydessä, joissa tutkittavat eivät tiedä omaa hoitoaan mutta tutkimushenkilökunta tietää.

Lääkekandidaatti

Lääkekehityksen yhteydessä nimitystä lääkekandidaatti käytetään sellaisesta monien molekyylien joukosta valikoidusta molekyylisestä, jolla on lupaavaa potentiaalia, jonka vaikutus kohdistuu nimenomaan haluttuun kohteeseen ja jolla on muutenkin kehitettäväksi lääkkeeksi sopivat ominaisuudet. Tämän valinnan jälkeen molekyylillä tehdään suuri määrä laboratoriokeita ja sekä non-kliinisiä että kliinisiä tutkimuksia. Tutkimusvaiheessa molekyyliä ei vielä kutsuta lääkkeeksi.

Drug development

Drug development is the process of bringing a new medicine to the market once a drug candidate (lead compound) has been identified in drug discovery. It includes non-clinical tests on microorganisms and animals, application to the regulatory authority to initiate clinical trials on humans, and may include the step of obtaining regulatory approval with a Marketing Authorisation Application to market the drug. It is also known as medicines development. EUPATI uses the term medicines development throughout its texts.

Drug distribution

The process by which a medicine is distributed from one location to another within the body. See also pharmacokinetics.

Drug substance

An ingredient intended to exert pharmacologic action or other direct effect in the diagnosis, cure, mitigation, or prevention of disease or to affect any function of the body. Along with other ingredients (excipients,) it is used to formulate a medicinal product.

Drug tolerance

Tolerance of a medicine may be considered as the ability of the body to endure a certain dose of a medicine. In contrast, drug tolerance refers to a decreasing response to repeated constant doses of a medicine, or the need for increasing doses to maintain a constant response. Drug tolerance can lead to physical (physiological) or emotional dependence, which is an adaptive state associated with a withdrawal syndrome on cessation of repeated exposure to a medicine.

Lääkekehitys

Lääkekehitykseksi kutsutaan sitä prosessia, jonka aikana lääkekandidaatista kehitetään myyntiluvallinen lääke. Siihen kuuluu non-kliinisiä tutkimuksia eläimillä ja mikrobeilla, kliinisiä lääketutkimuksia niihin liittyvine lupaprosesseineen sekä mahdollisesti varsinainen myyntiluvan hakuprosessi lääkkeen saattamiseksi markkinoille.

Lääkkeen jakautuminen elimistössä

Prosessi, jossa lääkeaine jakautuu elimistön eri osiin. Kts. myös farmakokinetiikka.

Lääkeaine

Aine, jolla on farmakologista vaikutusta tai muunlaista suoraa vaikutusta liittyen tietyn sairauden diagnosointiin, parantamiseen, oireiden helpottamiseen tai ennaltaehkäisyyn. Yhdessä apuaineiden kanssa se muodostaa lääkevalmisteen.

Läketoleranssi

Toleranssi lääkettä kohtaan voidaan käsittää elimistön kykyä sietää tiettyä määrää lääkettä. Läketoleranssilla tarkoitetaan puolestaan sitä, että elimistön vaste tietylle, toistuvalla lääkeannoksella laskee, jolloin saman vasteen ylläpitämiseen tarvitaan jatkuvasti suurempia lääkeannoksia. Läketoleranssi saattaa johtaa fyysiseen (fysiologiseen) tai emotionaaliseen lääkeriippuvuuteen, joka on elimistön sopeutumista vallitsevan tilanteeseen. Kun lääkkeen käyttö lopetetaan tässä tilassa, lopettamisesta seuraa vieroitusoireita.

E

Effectiveness

The capability of a medicine to produce a desired or expected effect in the real world clinical setting. When talking in terms of efficacy vs. effectiveness, effectiveness relates to how well a treatment works in the practice of medicine, as opposed to efficacy, which measures how well a treatment works in clinical trials or laboratory studies.

Efficacy

Efficacy refers to the ability of a medicine to provide a beneficial effect (a positive benefit/risk ratio) when studied in a clinical trial. When talking in terms of efficacy vs. effectiveness, effectiveness relates to how well a treatment works in the real world practice of medicine, as opposed to efficacy, which measures how well a treatment works in clinical trials or laboratory studies.

Efficiency

In the context of health economics, efficiency of a medicine is a measure of its ability to provide a beneficial effect against its costs to individuals or society. The most efficacious treatment may not be the most efficient (cost-effective) option, for example making it unaffordable for the patients or the health system to implement.

Eligibility

Eligibility in medicines development usually refers to the requirements that participants must meet in order for them to have the possibility of being selected to participate in a clinical trial. The requirements (criteria) will typically contain not only elements which allow participation (inclusion criteria) but also details of what will prevent someone from participating (exclusion criteria).

Endpoint

The endpoint of a clinical trial is a pre-defined event: for instance, the occurrence of a disease, the occurrence of a symptom, or a particular laboratory result. Once some-

Tehokkuus

Lääkkeen kyky saada aikaan toivottu tai odotettu vaikutus käytännön hoitotyössä. Kun puhutaan termeistä tehokkuus ja teho, tehokkuudella tarkoitetaan nimenomaan sitä, miten lääke toimii käytännössä ja teholla puolestaan sitä, miten hyvin se toimii kliinisissä lääketutkimuksissa ja laboratoriokeissa.

Teho

Teholla tarkoitetaan lääkkeen kykyä saada aikaan positiivinen vaikutus kun sitä tutkitaan kliinisessä lääketutkimuksessa. Kun puhutaan termeistä tehokkuus ja teho, tehokkuudella tarkoitetaan nimenomaan sitä, miten lääke toimii käytännössä ja teholla puolestaan sitä, miten hyvin se toimii kliinisissä lääketutkimuksissa ja laboratoriokeissa.

Kustannustehokkuus

Terveystaloustieteessä termi kustannustehokkuus viittaa lääkkeen kykyyn tuottaa hyötyä yksilöille ja yhteiskunnalle suhteessa sen aiheuttamiin kustannuksiin. Kaikkein tehokkain hoito ei ole välttämättä kustannustehokkainta jos se on esimerkiksi liian kallista jotta yksilö tai yhteiskunta voisi ottaa sen käyttöönsä.

Soveltuvuus

Soveltuvuuskaatit ovat kliinisen lääketutkimuksen tutkimussuunnitelmassa asetettuja vaatimuksia, jotka tutkittavan on täytettävä (tai oltava täyttämättä), jotta hän voi osallistua lääketutkimukseen. Kriteerit voidaan jakaa kahteen osaan: sisäänottokriteerit, jotka tutkittavan on täytettävä osallistuakseen; ja poissulkukriteerit, joita tutkittava ei saa täyttää.

Päätetapahtuma

Kliinisen lääketutkimuksen päätetapahtuma on etukäteen määritelty tapahtuma, esimerkiksi sairauden tai oireen ilmaantuminen tai tietty laboratoriotulos. Kun tutkitta-

one reaches the endpoint, they are generally excluded from further research in the trial. Endpoints can be hard (objective) or soft (subjective). In some cases they can be replaced by surrogate endpoints. The endpoints used in a trial must be defined and documented as part of the trial protocol.

EPAR

A European Public Assessment Report (EPAR) is an assessment produced for all medicines where marketing authorisation is sought through the centralised procedure at the European Medicines Agency (EMA). It is a series of documents, and includes: a lay summary, details about the marketing authorisation holder, product information (such as the package leaflet and summary of product characteristics), details about the assessment carried out at EMA. EPARs are published on the EMA's website once the European Commission has issued a decision regarding a marketing authorisation.

Epigenetics

Epigenetics is the study of changes in gene activity (expression) that do not involve changes in the underlying DNA sequence (genotype). Epigenetic changes are a regular and natural occurrence, but they can also be influenced by several factors – including age, environment/lifestyle, and disease state – through mechanisms that switch genes on or off.

Epigenomics

Epigenomics is the study of the complete set of epigenetic modifications on the genetic material of a cell, known as the epigenome. The epigenome marks the genome in two main ways, both of which play a role in turning genes on or off. In epigenomics, researchers try to chart the locations and understand the functions of all the chemical tags that mark the genome. Epigenomic maps may someday help doctors make diagnoses and tailor a patient's response to therapies.

Equity considerations

An assessment of how adoption of the new therapy might impact measures of fairness within the health system. For

va saavuttaa päätetapahtuman, tutkimus yleensä loppuu hänen osaltaan siihen. Päätetapahtumat voivat olla 'kovia' eli objektiivisia tai 'pehmeitä' eli subjektiivisia. Jossain tapauksissa ne voidaan korvata sijaispäättötapahtumilla (engl. 'surrogate endpoint'). Tutkimuksessa käytettävät päätetapahtumat täytyy määritellä ja dokumentoida etukäteen tutkimussuunnitelmassa.

EPAR (European Public Assessment Report)

EPAR on arviointiraportti, joka on saatavilla kaikille sellaisille lääkkeille, jotka on hyväksytty Euroopan lääkeviraston (EMA, European Medicines Agency) keskitetyllä myyntilupa-hakemusmenettelyllä. Se on dokumenttipaketti, joka sisältää yleiskielisen yhteenvedon, tiedot myyntiluvan haltijasta, tuoteinformaation (kuten pakkausselosteen ja valmisteyhteenvedon) sekä EMAn arvion yksityiskohdat. EPAR-raportit ovat löydettävissä EMAn verkkosivuilta sen jälkeen kun EMA on tehnyt lääkkeen myyntilupaa koskevan päätöksensä.

Epigenetiikka

Epigenetiikka tutkii sellaisia muutoksia geenien aktiivisuudessa (ekspressiossa), joihin ei sinänsä sisälly muutoksia geenin DNA-sekvenssissä (genotyypissä). Epigeneettistä vaihtelua tapahtuu luonnostaan mutta siihen voivat vaikuttaa myös monet tekijät kuten ikä, ympäristö, elintavat ja sairauden tila. Nämä tekijät voivat ikään kuin aiheuttaa geeniekspression menemisen 'päälle' tai 'päältä pois'.

Epigenomiikka

Epigenomiikka tutkii solun koko geneettisen materiaalin epigeneettisiä muutoksia eli epigenomia. Epigenomi vaikuttaa genomiin pääasiassa kahdella erilaisella mekanismilla ja molemmat mekanismit aikaan saavat geenien menemistä 'päälle' ja 'pois päältä'. Epigenomiikan tutkijat yrittävät kartoittaa genomissa olevia kemiallisia epigeneettisiä "markkereita" ja kartoittaa niiden sijaintia. Epigenomikartat voivat joskus tulevaisuudessa auttaa lääkäreitä diagnoosin tekemisessä ja oikean hoidon löytämisessä.

Yhdenvertaisuusarviointi

Sen arviointia, miten uuden hoidon käyttöönotto saattaa vaikuttaa ihmisten tasapuoliseen kohteluun terveyden-

Equity considerations

example, will the therapy lead to more benefits for people who are socially or economically disadvantaged?

Ethical Principles

Ethical principles exist both to protect the research participants and to ensure the integrity of the research. There are various codes and regulations which guide ethical research today, including the Declaration of Helsinki, although a number of common principles exist. The World Medical Association (WMA) developed the Declaration of Helsinki as a statement of ethical principles specifically for medical research involving human subjects. It emphasises the procedures required to ensure subject safety in clinical trials including informed consent and review by research ethics committees.

Ethics Committee

An Ethics Committee is an independent body made up of a range of individuals including medical or scientific professionals and non-medical or non-scientific members (e.g. patients or lay members). An Ethics Committee may operate within an institution, or it may be national, or supranational or private. Ethics committees have a responsibility to ensure the protection of the rights, safety and wellbeing of research participants, as well as assuring the public of that protection. It operates, among other things, expressing an opinion on the clinical trial protocol, the suitability of the investigators involved in the trial, the adequacy of facilities, and on the methods and documents to be used to inform trial participants and obtain their informed consent. A trial should only begin when a favourable opinion by an Ethics Committee has been given. Ethics Committees may also monitor studies once they have begun and once they are complete.

EU Regulation

A regulation is a written rule or law. European regulations are binding legislative acts. They must be applied in their entirety across the EU simultaneously from the date agreed. Regulations can be distinguished from European directives which are legislative acts that set out a goal that all EU countries must achieve. However, it is up to the individual countries to devise their own laws on how to reach these goals. Directives need to be 'converted' into national law before they are enforceable.

Yhdenvertaisuusarviointi

huollon alalla. Esimerkkinä: aiheuttaako uusi hoito enemmän hyötyä sellaisille ihmisille, jotka ovat sosiaalisesti tai taloudellisesti epäedullisessa asemassa?

Eettiset periaatteet

Eettisten periaatteiden tarkoituksena on sekä suojella tutkittavia että taata tutkimustulosten luotettavuus. Tutkimuseettisiä ohjeistoja on nykyään useampia, näistä tärkeimpänä mainittakoon Helsingin julistus, jonka Maailman lääkäriiliitto (World Medical Association, WMA) on kehittänyt suojelemaan lääketieteellisessä tutkimuksessa mukana olevia tutkittavia. Helsingin julistus korostaa mm. sellaisia tutkittavien suojelun kannalta keskeisiä elementtejä kuin tietoinen suostumus ja tutkimuseettisen toimikunnan puoltava lausunto.

Eettinen toimikunta

Eettinen toimikunta on itsenäinen toimikunta, joka koostuu usean eri tieteenalan asiantuntijoista sekä maallikkoedustajista (esim. potilasedustaja tai muu maallikkojäsen). Eettinen toimikunta voi olla tietyn instituutin sisäinen, kansallinen, ylikansallinen tai yksityinen. Eettisen toimikunnan vastuulla on sen varmistaminen, että tutkittavien oikeudet ja turvallisuus taataan tutkimuksen aikana. Eettinen toimikunta mm. katselee tutkimussuunnitelmat, tutkijalääkäreiden soveltuvuuden tutkimukseen, tutkimukseen käytettävien tilojen asianmukaisuuden sekä materiaalin, jota käytetään tietoisuuden suostumuksen hankkimiseen tutkittavilta. Lääketutkimus voi alkaa vasta kun eettinen toimikunta on antanut sille puoltavan lausunnon. Eettiset toimikunnat voivat myös seurata tutkimuksen edistymistä sen aikana.

EU-asetus (engl. 'regulation')

Asetus on kirjoitettu ohje tai laki. EU:n asetukset ovat sitovaa lainsäädäntöä, jota on noudatettava koko EU:n alueella sovitusta päivämäärästä lähtien. Asetukset eroavat direktiiveistä siinä, että direktiivit asettavat yhteiset tavoitteet, joiden saavuttamiseksi jokainen jäsenmaa luo oman lainsäädäntönsä. Direktiivit siis ikään kuin muokataan kansalliseksi lainsäädännöksi ennen voimaantuloa.

EUnetHTA

The European network for Health Technology Assessment was established to create a network for HTA across Europe, developing a framework (HTA Core Model®) by which a technology (for example a new medicine) can be assessed. It facilitates efficient use of resources, creating a sustainable system of knowledge, and promoting good practice in HTA methods and processes. The network connects public national HTA bodies, research institutions and health ministries, to exchange information and to support policy decisions by member states.

Evidence-based Medicine

Evidence-based medicine (EBM) applies the scientific method to medical practice, using techniques from science, engineering, and statistics - such as the meta-analysis of scientific literature, benefit-risk analysis, and randomised controlled trials. One of the goals of evidence-based medicine is that healthcare professionals should make 'conscientious, explicit, and judicious use of current best evidence' in their everyday practice.

Excipient

Pharmaceutical excipients are natural or synthetic substances combined with the active substance in a dosage form. Excipients assist the drug or active substances to be better metabolised or administered. They protect, support or enhance stability or facilitate absorption of the medicine in the body. They may also assist in product identification (e.g. by colour of a tablet/capsule).

Exclusion Criteria

Exclusion criteria are characteristics that exclude people from taking part in a trial. For example, depending on the requirements of the trial, exclusion criteria might include age, gender, type or stage of disease, and the presence or absence of other medical conditions. Exclusion criteria (and inclusion criteria) are an important part of a trial protocol. If they are properly defined, exclusion and inclusion criteria will increase the chances of a trial producing reliable results. They also protect participants from harm and help avoid exploitation of vulnerable people (such as those unable to provide informed consent).

EUnetHTA

Terveystieteiden menetelmien arviointiin (HTA, engl. 'Health Technology Assessment') keskittyvä eurooppalainen verkosto, joka luo puitteet (HTA Core Model®) uusien teknologioiden (esim. uusi lääke) arviointiin. Se edesauttaa resurssien tehokasta käyttöä, jäsentää tietoa ja edistää hyvin toimintatapojen käyttöä HTA-arvioinneissa. Verkosto tuo yhteen julkiset, kansalliset HTA-arviointitahot, tutkimuslaitokset ja terveysviranomaiset jakamaan keskenään tietoa ja tukemaan päätöksentekoa EU:n jäsenmaissa.

Näyttöön perustuva lääketiede

Näyttöön perustuvassa lääketieteessä tieteellistä menetelmää – kuten tieteellisen kirjallisuuden meta-analyysiä, hyöty-riskianalyysiä tai satunnaistettuja, kontrolloituja tutkimuksia – sovelletaan käytännön hoitotyöhön. Näyttöön perustuvan lääketieteen tavoitteena on tilanne, jossa terveydenhuollon ammattilaiset hyödyntävät viimeisimpään näyttöön perustuvaa yksityiskohtaista ja mielekästä tietoa jokapäiväisessä hoitotyössään.

Apuaine

Apuaineet ovat luontaisia tai synteettisiä aineita, jotka yhdistetään lääkevalmisteissa aktiiviseen aineeseen. Apuaineiden tehtävänä voi olla esimerkiksi helpottaa lääkkeen annostelua tai myötävaikuttaa aktiivisen aineen metaboliaan. Ne voivat suojata, tukea tai lisätä lääkkeen stabiilisuutta tai parantaa lääkkeen imeytyvyyttä. Niitä voidaan myös käyttää tekemään lääke helpommin tunnistettavaksi (esim. tabletin tai kapselin väriaineet).

Poissulkukriteerit

Poissulkukriteerit ovat sellaisia ominaisuuksia, joiden perusteella tutkimuksesta karsitaan osallistujia. Tutkimuksen vaatimuksista riippuen poissulkukriteerit voivat liittyä esimerkiksi ikään, sukupuoleen, sairauden tyyppiin tai vaiheeseen tai muiden sairauksien olemassaoloon tai puuttumiseen. Poissulkukriteerit (samoin kuin sisäänottokriteerit) ovat tutkimussuunnitelman tärkeä osa. Oikein määriteltynä ne lisäävät tutkimuksen todennäköisyyttä tuottaa luotettavia tuloksia. Niiden tarkoituksena on myös suojata tutkittavia haitoilta sekä suojella erityisen suojelun tarpeessa olevia ihmisiä (esimerkiksi sellaisia, jotka eivät pysty antamaan tietoista suostumusta).

Exploratory trials

Exploratory trials are developed to select compounds or targeted medicines or approaches based on human data rather than animal data. They are conducted early in Phase I of the clinical development process, which involve limited human exposure, have no therapeutic intent, and are not intended to define a maximum tolerated dose.

Eksploratoriset (kokeelliset) tutkimukset

Eksploratoriset tutkimukset ovat varhaisessa lääkekehitysvaiheessa tehtäviä tutkimuksia, joissa selvitetään lääkemolekyylien käyttäytymistä ihmisessä. Ne tehdään usein pienellä tutkittavien määrällä eikä niiden tarkoituksena ole vielä varsinaisesti antaa hoitoa. Niiden tarkoituksena ei ole myöskään löytää suurinta siedettyä annosta.

F

Formulation

A formulation is a mixture of different chemical substances prepared according to a specific method to create a medicinal product.

Formulaatio

Formulaatiolla tarkoitetaan erilaisten kemiallisten yhdisteiden seosta, jotka yhdessä muodostavat lääkevalmisteen.

Futility

Futility is the inability of a clinical trial to achieve its objectives. Problems such as difficulty recruiting enough patients can mean that a trial will not give a result that can be properly statistically analysed. If such problems are discovered during the trial, it may be appropriate to stop the trial early. This kind of calculation is known as a futility assessment, and is one kind of interim analysis. Stopping a trial early because it is unlikely to achieve a statistically reliable result is ethically appropriate because it prevents exposure of patients unnecessarily to treatments or other interventions. It can also save time and therefore costs.

Futiliteetti (hyödyttömyys)

Futiliteetilla tarkoitetaan kliinisen lääketutkimuksen yhteydessä tilannetta, jossa tutkimus ei saavuta tavoitteitaan. Esimerkiksi ongelmat tutkittavien rekrytoinnissa saattavat johtaa tilanteeseen, jossa tutkimuksesta ei voida saada sellaista tietoa, joka on tilastollisesti analysoitavissa. Jos tutkimuksen aikana käy ilmi, että tutkimuksesta ei voida saada luotettavaa tulosta, voi olla tarpeen keskeyttää tutkimus. Tällaista analyysiä kutsutaan futiliteettianalyysiksi. Se on erään tyyppinen välianalyysi. Tutkimuksen lopettaminen siitä syystä, että sillä ei suurella todennäköisellä saavutettaisi tilastollisesti luotettavaa tulosta on myös eettisesti perusteltua koska tällöin ei turhaan altisteta tutkittavia tutkimusvalmisteelle. Sen avulla voidaan myös säästää aikaa ja rahaa.

G

Gamete

A cell that fuses with another cell during conception in organisms that reproduce sexually. In species that produce two morphologically distinct types of gametes, and in which each individual produces only one type, a female gamete is called an ovum (or egg), and a male gamete is called a sperm.

Gameetti

Solu, joka yhdistyy toisen solun kanssa hedelmöityksessä suvullisesti lisääntyvillä eliöillä. Lajeilla, joilla esiintyy kahden erilaista gameettia ja jossa kukin yksilö tuottaa vain yhdentyypisiä gameetteja, naaraspuolista gameettia kutsutaan munasoluksi ja urospuolista siittiöksi.

GCP

Good Clinical Practice (GCP) is an international ethical and scientific quality standard for designing, conducting, recording and reporting clinical trials that involve human participants. The International Conference on Harmonisation (ICH) has issued a guideline with the objective to provide a unified standard to facilitate the mutual acceptance of clinical data by the regulatory authorities in the jurisdictions pertaining to the ICH.

Hyvä kliininen tutkimustapa (GCP)

GCP on kansainvälinen eettinen ja tieteellinen standardi, jonka mukaan ihmisillä tehtävät kliiniset lääketutkimukset suunnitellaan, toteutetaan, dokumentoidaan ja raportoidaan. GCP:n on luonut ICH (International Conference of Harmonisation) siinä tarkoituksessa, että yhdenmukaisesti tuotettu data on helpommin hyväksyttävissä eri ICH:n piiriin kuuluvien maantieteellisten alueiden viranomaisten toimesta.

GDP

Good Distribution Practice (GDP) is a standard ensuring that the quality of a medicine is maintained throughout the distribution network, so that authorised medicines are distributed to retail pharmacists and others selling medicines to the general public without any alteration of their properties.

Hyvä jakelutapa, GDP

GDP on standardi, joka varmistaa lääkkeen laadun läpi jakeluketjun. GDP:n mukaisesti jaellut myyntiluvalliset lääkkeet pysyvät samanlaisina matkalla valmistajalta apteekkiin tai muihin jakelupisteisiin, joista lääkkeet toimitetaan väestölle.

Gene Mutation

A gene mutation is a permanent alteration in the DNA sequence that makes up a gene. Mutations range in size, affecting from a single DNA building block (base pair) to a large segment of a chromosome with multiple genes. Gene mutations can be classified in two ways: Germ-line mutations are inherited from a parent and are present throughout a person's life in every cell in the body. These mutations are present in the parent's egg or sperm cells, and are transmitted as hereditary mutations. Somatic mutations occur at some point during a person's life only in certain cells, not in every cell in the body. These

Geenimutaatio

Geenimutaatio on geenin DNA-sekvenssissä tapahtuva pysyvä muutos. Mutaatiot voivat olla erikokoisia aina yhden emäksen vaihtumisesta toiseen suuriin, usean geenin alueelle ulottuviin muutoksiin. Geenimutaatioita luokitellaan kahdella tapaa: sukusolujen mutaatiot periytyvät vanhemmalta jälkeläiselle ja pysyvät heidän kaikissa soluissaan muuttumattomina koko elämän ajan. Nämä mutaatiot esiintyvät vanhemman muna- tai siittiösolussa. Somaattiset mutaatiot ilmestyvät yksilön elämän aikana joihinkin tiettyihin soluihin, eivät elimistön kaikkiin soluihin. Mutaatioita voivat aiheuttaa ympäristötekijät

Gene Mutation

changes can be caused by environmental factors such as ultraviolet radiation from the sun, or can occur if a mistake is made as DNA copies itself during cell division. These acquired mutations cannot be passed on to the next generation.

Gene Therapy

Gene therapy is an experimental technique that replaces a faulty gene in a cell, or adds a new gene to cure or prevent disease. In the future, this technique may allow doctors to treat a disorder instead of using medicines or surgery. Researchers are testing several approaches to gene therapy, including replacing a mutated gene that causes disease, deactivating a mutated gene that is not properly functioning, or introducing a new gene into the body to help fight a disease. Although gene therapy is a promising treatment option for a number of diseases, the technique is still under study to make sure that it will be safe and effective. Gene therapy is currently only being tested for the treatment of diseases that have no other cures.

Generic Medicine

A generic medicine is a medicine that is developed to be the same as a medicine that has already been authorised, called the 'reference medicine'. A generic medicine contains the same active substances as the reference medicine, and it is used at the same doses to treat the same diseases. However, a generic medicine's inactive ingredients, name, appearance, and packaging can be different from the reference medicine's. Generic medicines are manufactured according to the same quality standards as all other medicines. A company can only develop a generic medicine for marketing once the period of exclusivity on the reference medicine has expired. This is usually 10 years from the date of first authorisation. Each medicine has an approved name called the generic name. A group of medicines that have similar actions often have similar-sounding generic names. For example, phenoxymethylpenicillin, ampicillin, amoxicillin, and flucloxacillin are in the same group of antibiotics.

Geenimutaatio

kuten auringon ultraviolettisäteily, tai ne voivat tapahtua geenin kopioitumisen aikana spontaanisti. Tällaiset mutaatiot eivät siirry jälkeläisiin.

Geeniterapia

Geeniterapia on kokeellinen tekniikka, jolla voidaan korjata geneeissä olevia virheitä tai jonka avulla soluun voidaan lisätä uusi geeni sairauden hoitamiseksi tai ennalta ehkäisemiseksi. Tulevaisuudessa geeniterapialla saadaan pystyä korvaamaan joitakin lääke- tai leikkaushoitoja. Geeniterapian tuomia mahdollisuuksia tutkitaan aktiivisesti, esimerkiksi sairautta aiheuttavan mutatoituneen geenin korvaamista normaalilla geenillä tai mutatoituneen, toiminnaltaan heikentyneen geenin deaktivoimista. Myös uuden geenin siirtämistä elimistöön kokeillaan. Vaikka geeniterapia voi olla lupaava hoito moneen eri sairauteen, tekniikka vaatii vielä paljon tutkimusta, jotta voidaan olla varmoja sen tehosta ja turvallisuudesta. Geeniterapiaa kokeillaan tällä hetkellä vain sellaisiin sairauksiin, joihin ei ole olemassa muuta hoitoa.

Geneerinen lääke

Geneerinen lääke on sellainen lääke, joka on kehitetty ominaisuuksiltaan samanlaiseksi jonkin jo myyntiluvallisen lääkkeen (ns. vertailulääke) kanssa. Geneerisessä lääkkeessä on samat aktiiviset ainesosat kuin vertailulääkkeessä ja sitä käytetään samoina annoksina. Geneerisen lääkkeen apuaineet, nimi, ulkonäkö ja pakkaus voivat olla erilaiset kuin vertailulääkkeen. Geneeriset lääkkeet valmistetaan samojen laatustandardien mukaisesti kuin muutkin lääkkeet. Lääkeyritys voi tuoda markkinoille geneerisen lääkkeen vasta siinä vaiheessa kun alkuperävalmisteen kehittäjän yksinoikeus lääkkeen markkinointiin on mennyt umpeen. Tämä on yleensä 10 vuotta ensimmäisen myyntiluvan saamisesta. Jokaisella lääkkeellä on hyväksytty nimi, jota kutsutaan geneeriseksi nimeksi. Lääkevalmisteilla, joilla on samanlainen vaikutus, on usein hiukan samalta kuulostavat nimet. Esimerkiksi fenoksimetyylipenisilliini, ampisilliini, amoksisilliini ja flukloksasilliini ovat kaikki samaan ryhmään kuuluvia antibiootteja.

Genetically Modified Organism

A genetically modified organism (GMO) is an organism whose genetic material has been altered in the laboratory. Genetic modifications are made to produce certain traits (such as disease resistance in crops) or to cause the organism to produce specific biological products (for example, bacteria have been altered in order to produce insulin for diabetes treatment, and plants have been altered to make antibodies and blood-clotting factors). GMOs are used in the production of medicines, and in new forms of medicines such as gene therapy. Genetic modification is also a useful tool for scientists in many areas of research, including those who study the mechanisms of human and other diseases.

Genome

The genome is an organism's complete set of genetic instructions. Each genome contains all of the information needed to build that organism and allow it to grow and develop. The genome includes both the genes and the non-coding sequences of the DNA/RNA. The human genome contains about 35,000 genes. The Human Genome Project, completed in 2003, was an international effort to identify all the genes in human DNA, and to determine the sequences of the 3 billion base pairs of DNA. It took 13 years. Genome research has helped diagnose diseases and find genetic markers for certain diseases.

Genomic technologies

Genomic technologies are those new methods, technologies, and instruments used to study and manipulate the genome.

Genomics

Genomics is the branch of biology that studies the entire genome of an organism by sequencing, assembling, and analysing the function and structure of its DNA. Advances in genomics have allowed great progress to be made in understanding diverse illnesses. Genomics research can develop more effective therapeutic strategies, and better decision-making tools for patients and healthcare providers.

Geneettisesti muunneltu organismi

Geneettisesti muunneltu organismi (GMO, engl. 'genetically modified organism') on sellainen organismi, jonka perimä on muokattu laboratorioissa. Geneettistä muuntelua tehdään tietyn ominaisuuden – kuten viljelykasvin taudinkestävyyden - aikaansaamiseksi tai sen aikaansaamiseksi, että organismi tuottaa tiettyä biologista tuotetta. Esimerkiksi bakteereita voidaan muokata siten, että ne tuottavat diabeteksen hoidossa käytettävää insuliinia tai kasveja voidaan muokata siten, että ne tuottavat vasta-aineita tai veren hyytymistekijöitä. GMO:ita voidaan käyttää tiettyjen lääkkeiden tuottamiseen tai geeniterapian kehittämiseen. Geneettistä muuntelua käytetään myös työkaluna monilla tutkimuksen aloilla, esimerkiksi sairauksien syntymekanismeja tutkittaessa.

Genomi

Genomilla tarkoitetaan organismin koko geneettistä materiaalia. Genomissa on kaikki se informaatio, joka tarvitaan kyseisen organismin kehitykseen ja kasvuun. Genomiin kuuluvat sekä geenit että ei-koodaava osa DNA:ta/RNA:ta. Ihmisen genomissa arvioidaan olevan noin 35 000 geeniä. Ihmisen geenikartoitus, The Human Genome Project, saatiin valmiiksi vuonna 2003 ja se oli kansainvälinen hanke, jossa ihmisen genomi kartoitettiin tarkasti ja kaikki ihmisen genomien 3 miljardia emäsparia sekvenoitettiin. Hanke kesti 13 vuotta. Genomikartoitus on auttanut diagnosoimaan sairauksia ja sen avulla on löydetty tiettyjen sairauksien geneettisiä markkereita.

Genomitekniikka

Genomitekniikoiksi kutsutaan niitä uusia menetelmiä, tekniikoita ja instrumentteja, joita käytetään genomien tutkimiseen ja manipulointiin.

Genomiikka

Genomiikka on biologian haara, joka tutkii tietyn organismin koko genomia sekvenoimalla, yhdistelemällä ja analysoimalla sitä. Genomiikka on edesauttanut suuresti monien sairauksien ymmärtämistä. Genomitutkimus voi edesauttaa uusien, entistä tehokkaampien hoitojen kehittämistä, samoin se voi tuoda terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden ulottuville uutta, päätöksentekoa helpottavaa tietoa.

Genotoxicity Study

A genotoxicity study is designed to detect compounds that cause genetic damage either directly or indirectly in cells exposed to the toxic substrates. Genotoxicity studies may be performed in vitro or in vivo. Compounds which are positive in tests that detect such damage have the potential to cause cancer and/or heritable defects. No single test is capable of detecting all relevant genotoxic agents; therefore, the usual approach is to carry out a battery of tests that are complementary rather than representing different levels of hierarchy. A standard study battery has the following tests: A test for gene mutation in bacteria, An in vitro test with cytogenetic (concerned with the study of the structure and function of the cell) evaluation of chromosomal damage with mammalian cells, An in vivo test for chromosomal damage using rodent haematopoietic (blood or blood cell forming) cells.

Genotoxin

A chemical or other agent that provokes a harmful change in a person's genetic material regardless of the mechanism by which the change is induced. A genotoxin can cause mutations in DNA (a mutagen), it can trigger cancer (a carcinogen), or it can cause a birth defect (a teratogen).

Genotype

The genotype is an individual's collection of genes, including which genetic variants they have. It is the entire complex of genes inherited from both parents. The genotype determines the hereditary characteristics of an individual. A genotype can be determined by sequencing an individual's genome.

Genotyping

Genotyping is the process of determining differences in the genetic make-up or genotype of an individual by examining their individual DNA sequence. This can be done by comparing one person's genotype to another individual's sequence, or against a reference sequence.

Genotoksisuustutkimus

Genotoksisuustutkimuksen tarkoituksena on tunnistaa yhdisteitä, jotka joko suoraan tai epäsuorasti aiheuttavat geneettisiä vaurioita niille altistetuissa soluissa. Genotoksisuustutkimuksia voidaan tehdä in vivo tai in vitro. Yhdisteet, jotka antavat genotoksisuustutkimuksessa positiivisen tuloksen, saattavat aiheuttaa syöpää ja/tai periytyviä sairauksia. Mikään yksittäinen testi ei tunnista kaikkia genotoksisia yhdisteitä; tämän takia testejä suoritetaan yleensä sellainen sarja, jossa eri testit täydentävät toisiaan. Yleisesti käytetty sarja sisältää seuraavat testit: bakteereilla tehtävä geenimutaatiotesti, nisäkässoluilla tehtävä kromosomaalista vauriota mittaava sytogeneettinen (eli solun rakenteeseen ja toimintaan liittyvä) in vitro -testi, jyrsijöiden hematopoeettisilla soluilla (eli verisoluja tuottavilla soluilla) tehtävä kromosomaalista vauriota mittaava in vivo -testi.

Genotoksiini

Kemiallinen tai muu yhdiste, joka aiheuttaa haitallisia muutoksia henkilön geneettisessä materiaalissa, riippumatta haitan aiheuttavasta mekanismista. Genotoksiini voi aiheuttaa mutaatioita DNA:ssa (mutageeni), se voi aiheuttaa syöpää (karsinogeeni) tai se voi aiheuttaa synnynäisen vaurion (teratogeeni).

Genotyyppi

Genotyyppi on tietyn yksilön geenistö, mukaan lukien kaikki hänen geneettiset varianttinsa. Genotyypillä tarkoitetaan sitä geenikonaisuutta, jonka yksilö perii vanhemmiltaan. Genotyyppi määrittää yksilön periytyvät ominaisuudet. Genotyyppi voidaan määrittää sekvenoimalla yksilön genomi.

Genotyypaus

Genotyypauksella tarkoitetaan sitä prosessia, jossa tietyn yksilön genotyypin eroavaisuuksia tutkitaan DNA-sekvenoinnin avulla. Siinä voidaan verrata kahden yksilön genotyyppiä toisiinsa tai sitten voidaan käyttää vertailusekvenssinä jonkinlaista standardisekvenssiä.

GLP

The principles of Good Laboratory Practice (GLP) are a quality standard concerned with the organisational process and the conditions under which non-clinical health and environmental safety studies are planned, performed, monitored, recorded, reported and archived. GLP serves to ensure that the results of such studies are credible and that an experiment can be reproduced at any time.

GMP

The purpose of Good Manufacturing Practice (GMP) is to ensure that products are consistently produced according to the appropriate quality standards. The reliability of the quality of products is guaranteed by controlling the five critical parameters: manpower, environment, equipment, methods, materials.

Gold Standard

In medicines development, the gold standard often refers to the best available therapy/product/treatment. Depending on the context, the gold standard may also mean different things. In clinical design, a double-blind, randomised trial is seen by many as the gold standard. The gold standard may change over time as new methods/treatments/medicines become available. For example, the gold standard test for the diagnosis of aortic dissection (a tear inside the aorta) used to be the aortogram, which had a sensitivity as low as 83% and a specificity as low as 87%. Now, the magnetic resonance angiogram (MRA) is seen by many as the new gold standard test for aortic dissection, with a sensitivity and a specificity both over 90%.

GVP

Good Pharmacovigilance Practice (GVP) is a quality standard for monitoring the safety of medicines and if necessary, taking action to reduce the risks and increase the benefits of medicines. It ensures the detection, collection, assessment, understanding, and prevention of adverse effects with medicinal products.

GLP

GLP (Good Laboratory Practice) on non-kliinisten tutkimusten ja ympäristöturvallisuutta koskevien tutkimusten suunnittelua, suoritusta, monitorointia, dokumentointia, raportointia ja arkistointia määrittävä laatustandardi. GLP:tä noudattamalla varmistetaan, että tällaisten tutkimusten tulokset ovat luotettavia ja että tutkimus voidaan toistaa täsmälleen samanlaisena milloin tahansa.

Lääkkeiden hyvä tuotantapa (GMP)

GMP-standardin (Good Manufacturing Practice) tarkoituksena on varmistaa, että tuotteet valmistetaan luotettavasti asianmukaisten laatustandardien mukaan. Tuotteen laadun luotettavuus taataan viittä eri muuttujaa kontrolloimalla: ihmistyövoima, ympäristö, laitteisto, menetelmät ja materiaalit.

Kultainen standardi

Lääkekehityksestä puhuttaessa kultaisella standardilla tarkoitetaan yleensä parasta saatavilla olevaa terapiaa/lääkettä/hoittoa. Asiyhteydestä riippuen sillä voidaan tarkoittaa myös muita asioita. Kliinisen tutkimuksen suunnittelusta puhuttaessa kultaiseksi standardiksi voidaan kutsua kaksoissokkoutettua, satunnaistettua tutkimusta. Kultainen standardi voi muuttua ajan myötä kun uusia menetelmiä/hoitaja/lääkkeitä tulee saataville. Esimerkiksi aortan haavauman diagnosoinnin kultainen standardi oli aikaisemmin aortogrammi, jonka herkkyys on 83% ja spesifisyys 87%. Nykyisin tähän diagnostiikkaan käytetään magneettiresonanssi-angiogrammia (MRA), jolla sekä herkkyys että spesifisyys on yli 90%. Se on nykyään aortan haavauman diagnosoinnin kultainen standardi.

GVP

GVP (Good Pharmacovigilance Practice) on lääkkeiden turvallisuuseurantaan liittyvä laatustandardi, jonka tavoitteena on lääkkeen käyttöön liittyvien riskien vähentäminen ja hyötyjen lisääminen. Se takaa lääkkeiden käyttöön liittyvien haittavaikutusten tunnistamisen, tiedonkeruun, arvioinnin, ymmärtämisen ja ennaltaehkäisyn.

H

Half life

The time required for half the amount of a medicine to be eliminated from the body.

Hard Endpoint

The endpoint of a clinical trial is a pre-defined event: for instance, the occurrence of a disease, the occurrence of a symptom, or a particular laboratory result. Once someone reaches the endpoint, they are generally excluded from further research in the trial. A hard endpoint is an endpoint that is well defined and can be measured objectively. For example, in cancer research, the endpoint in a trial might be related to response to treatment (such as shrinkage of a tumour). Endpoints related to a response are typical in Phase II clinical trials for cancer treatments. Endpoints relating to the survival of patients are common in Phase III cancer trials. 'Progress free survival' and 'disease free survival' measure the length of time patients are alive without their disease worsening. In contrast to hard endpoints, soft endpoints are subjective measures. Quality of life measures, for example, are soft endpoints. It is common to use quality of life measures as endpoints in(...)

Hazard ratio

A hazard ratio is a measure of how often a particular event happens in a defined period of time in one group compared to how often it happens in another group.

Health event

A health event can be positive or negative. An example of a health event is the development of a disease, an injury, or responding to a medicine.

Puoliintumisaika

Aika, joka vaaditaan siihen, että elimistöön annostellusta lääkeaineesta puolet on poistunut elimistöstä.

Kova päätetapahtuma

Kliinisen lääketutkimuksen päätetapahtumaksi kutsutaan ennalta määriteltyä tapahtumaa, esimerkiksi sairauden tai oireen ilmaantumista tai tiettyä laboratoriotulosta. Kun tutkittava saavuttaa päätetapahtuman, tutkimus päättyy yleensä hänen osaltaan siihen. Kovaksi päätetapahtumaksi kutsutaan päätetapahtumaa, joka on hyvin määritelty ja joka pystytään mittaamaan objektiivisesti. Esimerkiksi syöpätutkimuksessa päätetapahtuma voi liittyä hoidon vasteeseen (kuten kasvaimen pientyminen). Hoidon vasteeseen liittyvät päätetapahtumat ovat yleisiä syöpähoitojen vaiheen 2 tutkimuksissa kun taas vaiheen 3 tutkimuksissa päätetapahtumat liittyvät usein tutkittavien elossa pysymiseen. 'Progress free survival' (eläminen ilman taudin etenemistä) ja 'disease free survival' (eläminen ilman sairautta) mittaavat sitä aikaa, jonka tutkittava elää ilman että hänen sairautensa menee huonompaan suuntaan. Kovien päätetapahtumien vastakohtana ovat pehmeät päätetapahtumat, jotka ovat subjektiivisia mitta-reita. Esimerkkejä tällaisista ovat esimerkiksi elämän laatua (engl. 'quality of life') mittaavat kyselyt.

Riskitiheyksien suhde

Riskitiheyksien suhde on tilastotieteen termi, jolla mitataan sitä, miten usein tietty tapahtuma on tapahtunut tietyssä ajanjaksona yhdessä ryhmässä verrattuna siihen, miten usein se on tapahtunut toisessa ryhmässä.

Terveystapahtuma

Terveystapahtuma on tapahtuma, joka voi olla positiivinen tai negatiivinen. Esimerkiksi sairauden kehittyminen, loukkaantuminen tai lääkehoitoon saatava vaste.

Health Technology Assessment

Health technology assessment (HTA) aims to inform decision making by health care policy makers. It is a systematic process that considers health technologies (such as medicines) and can involve a review of: clinical evidence compared to existing models of care, cost effectiveness, social and ethical impacts on the health care system and the lives of patients. The process advises whether or not a health technology should be used, and if so, how it is best used and which patients are most likely to benefit from it. Assessments vary, but most look at the health benefits and risks of using the technology. They can also look at costs and any other wider impacts that the technology may have on a population or on a society. They can also look at the relationship between costs and benefits and risks, and make determinations about value for money.

Health-Related Quality of Life (HRQoL)

Health-Related Quality of Life considers many different aspects related to a person's perception of quality of life affected by health status. These include physical, psychological, functional, and social aspects.

Hypothesis

A hypothesis is an assumption, or set of assumptions, made on the basis of limited evidence that either: a) asserts something as a starting point for further investigation; or b) confirms something as highly probable in light of established facts. For a hypothesis to be a scientific hypothesis, it is required that one can test it. A working hypothesis is a provisionally accepted hypothesis proposed for further research. For the purposes of medicines development, the interest is in the hypothesis that asserts something – for example that a new treatment for a disease is better than the existing standard of care treatment.

Terveydenhuollon menetelmien arviointi (HTA)

HTA on terveydenhuoltoa koskevien päätösten tekemiseen liittyvä systemaattinen prosessi, jossa terveydenhuollon menetelmiä (mm. lääkkeitä) arvioidaan esimerkiksi seuraavien mittarein: kliininen näyttö verrattuna olemassa oleviin hoitomenetelmiin, kustannustehokkuus, terveydenhuoltoon ja potilaiden elämään vaikuttavat sosiaaliset ja eettiset tekijät. Prosessin tuloksena voidaan saada suositus siitä, pitäisikö uusi menetelmä ottaa käyttöön vai ei ja sikäli kun pitäisi, miten sitä tulisi käyttää ja millaiset potilaat hyötyisivät siitä eniten. Arviointimenetelmät voivat vaihdella, mutta yleensä tarkastellaan menetelmän hyötyjä ja riskejä. Myös yhteiskunnalle koituvia kustannuksia tai muita laajempia vaikutuksia voidaan arvioida. Kustannusten suhdetta hyötyihin ja haittoihin voidaan niin ikään tarkastella, ja tällä tavoin arvioida rahalle saatavaa vastinetta.

Terveystien liittyvä elämänlaatu

Terveystien liittyvän elämänlaadun arviointiin sisältyy erilaisia näkökulmia siihen, miten yksilö kokee terveystilanteensa vaikuttavan hänen elämänlaatuunsa. Nämä voivat olla fyysisiä, psykologisia, toiminnallisia tai sosiaalisia vaikutuksia.

Hypoteesi

Hypoteesiksi kutsutaan rajallisen näytön perusteella tehtyä oletusta tai oletusten joukkoa joka joko a) toimii lisätutkimusten lähtökohtana tai b) vahvistaa jonkin seikan olevan hyvin todennäköinen osoitettujen tosiasioiden valossa. Jotta hypoteesi olisi tieteellinen, sen on oltava sellainen, joka voidaan testata. Työhypoteesi on tilapäisesti hyväksytty hypoteesi, jonka perusteella jatkotutkimuksia tehdään. Lääkekehityksen yhteydessä johonkin tiettyyn asiaan viittaavat hypoteesit ovat merkityksellisimpiä – esimerkiksi siihen, että uusi lääkehoito on parempi kuin jo olemassa olevat.

ICH

Formerly the International Conference on Harmonisation. The International Council on Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use (ICH) produces harmonised guidelines for global pharmaceutical development, and their regulation. It brings together the regulatory authorities and the pharmaceutical industry from five regions (Europe, Japan, USA, Canada and Switzerland). ICH has been established in order to reduce the duplication of clinical trials and create a more streamlined regulatory assessment process for new applications. As such, ICH has developed four sets of guidelines provided for specific topics including quality, safety, efficacy and multidisciplinary (e.g. ICH medical terminology (MedDRA), or the Common Technical Document (CTD)) which are implemented by the regulatory authorities of its membership.

ICH (International Council on Harmonisation, aiemmin International Conference on Harmonisation)

ICH on kansainvälinen elin, joka tuottaa maailmanlaajuisesti hyväksytyjä ohjeistoja lääkekehitykseen ja lääkekehityksen viranomaissääntelyyn. ICH:ssa on edustettuna viiden alueen – EU:n, Japanin, USAn, Kanadan ja Sveitsin – lääkeviranomaisten edustajia. ICH on perustettu vähentämään kliinisten lääketutkimusten toistamisen tarvetta eri alueilla sekä luomaan virtaviivaisempi viranomaishyväksyntäprosessi uusien lääkkeiden myyntilupahakemuksille. ICH on luonut neljään eri aihealueeseen keskittyvät ohjeistokokoelmat: laatu, turvallisuus, teho ja moniteollinen ohjeisto (esim. ICH:n lääketieteellinen sanasto MedDRA). Lisäksi se on luonut CTD-ohjeiston (Common Technical Document), jonka jäsenvaltioiden lääkevalvontaviranomaiset ovat implementoineet.

Identified risk

An adverse event for which there is adequate evidence of an association with the use of the medicinal product of interest.

Tunnistettu riski

Haittatapahtuma, jonka yhteys kyseessä olevan lääkkeen käyttöön on asianmukaisesti osoitettu.

Immunotoxicity

Immunotoxicity is harm occurring to the immune system caused by exposure to chemical substances. Testing for immunotoxicity is a standard part of developing substances as potential new medicines. Symptoms of immunotoxicity can include increased rates or severity of infectious diseases or cancer. Toxic agents can also cause autoimmune diseases, in which healthy tissue is attacked by the body's own immune system. Allergy is another form of immunotoxicity, and many chemicals are known to induce allergic reactions in some people.

Immunotoksisuus

Immunotoksisuudeksi kutsutaan tietyn kemikaalialtistuksen aiheuttamaa haittaa kehon puolustusjärjestelmälle. Immunotoksisuuden testaus on rutiinista tehtävä toimenpide uutta lääkettä kehitettäessä. Immunotoksisuuden merkinä voi olla esimerkiksi tulehduksellisten sairauksien lisääntyminen tai vakavuusasteen lisääntyminen tai syövän kehittyminen. Myrkylliset yhdisteet saattavat myös aiheuttaa autoimmuunisairauksia, joissa kehon puolustusjärjestelmä hyökkää sen omia, terveitä kudoksia vastaan. Allergia on myös yksi immunotoksisuuden muoto ja monien kemikaalien tiedetäänkin aiheuttavan ihmiselle allergisia reaktioita.

Incidence

The number of new cases of a health event (such as development of a disease, or reaction to a medicine) that occur during a specific time period, usually a year, in a specified population. Incidence is therefore also a measure of the risk of experiencing the health event during a certain period of time.

Esiintymistiheys

Uusien terveyteen liittyvien tapahtumien (kuten jonkin sairauden kehittyminen tai lääkkeen aiheuttama reaktio) lukumäärä tietyn ajanjakson, tavallisesti vuoden, aikana tietyssä populaatiossa. Esiintymistiheys kertoo siis myös riskistä kokea tietty terveyteen liittyvä tapahtuma tietyn ajanjakson kuluessa.

Inclusion Criteria

Inclusion criteria are the characteristics that potential participants must have in order to be considered for participation in a trial. They describe the patient population and patient selection criteria. Inclusion criteria should specify the type of testing used to make the patients' diagnosis, as well as specific disease requirements (for example, how severe the disease is, failure or success with previous treatments, plus any other factors that might affect prognosis such as age, sex, or ethnicity). The inclusion criteria (and exclusion criteria) are important parts of a trial protocol. If they are properly defined, inclusion and exclusion criteria will increase the chances that the trial produces reliable results. They also protect participants from harm and minimise the risks.

Sisäänottokriteerit

Sisäänottokriteerit ovat sellaisia ominaisuuksia, jotka tutkittavalla tulee olla jotta hän voi osallistua tutkimukseen. Ne määrittävät tutkittavan potilaspopulaation. Sisäänottokriteerit yleensä määräävät, millä tavoin potilaan diagnoosi täytyy tehdä sekä asettavat selkeitä vaatimuksia tutkittavan sairauden mukaan (esimerkiksi sairauden vakavuus, hoitovaste aiemmin annettuihin hoitoihin sekä muita tekijöitä, jotka saattavat vaikuttaa tutkimukseen osallistumiseen, esim. ikä, sukupuoli, etnisuus). Sisäänottokriteerit (samoin kuin poissulkukriteerit) ovat tärkeä osa kliinisen tutkimuksen tutkimussuunnitelmaa. Jos ne on huolellisesti määritetty, nämä kriteerit lisäävät tutkimuksen todennäköisyyttä saavuttaa luotettava tulos. Ne myös suojaavat tutkittavia haitoilta ja minimoivat riskejä.

Indication

In medicine, indication refers to a health condition (therapeutic area) for which a specific intervention (medicinal product, medical device, treatment, procedure) is developed to cure, relieve symptoms, prevent or diagnose. The indication, as specified in the 'Summary of Product Characteristics' (SmPC) document, determines the boundaries of lawful use of such medicinal product.

Käyttöaihe (indikaatio)

Lääketieteessä käyttöaiheella eli indikaatiolla tarkoitetaan terveydentilaa (terapia-alue) johon kehitetään tiettyä hoitoa (lääkevalmiste, lääkinnällinen laite, hoito tai menetelmä) joko parantamis-, oireenhelpottamis-ennaltaehkäisy- tai diagnoosimielessä. Käyttöaihe, joka on määritetty lääkevalmisteen yhteenvedodokumentissa (engl. 'Summary of Product Characteristics') määrittää lääkevalmisteen lainmukaisen käytön rajat.

Informed Consent

Informed consent is a person's voluntary agreement, based on an understanding of the relevant information, to participate in research or a clinical trial, or to undergo a particular medical intervention. Before any research may be carried out, participants must be informed about all aspects of the study and/or intervention, including the aims, methods, anticipated benefits, and potential risks. Participants must also be made aware that they can withdraw from the research at any stage without any negative consequences to their ongoing care or treatment. This

Tietoinen suostumus

Tietoinen suostumus on henkilön vapaaehtoisesti tekemä sopimus, jossa hän ilmaisee halunsa osallistua tutkimukseen – tai johonkin muuhun lääketieteelliseen toimenpiteeseen – sen jälkeen kun hänelle on annettu ymmärrettävässä muodossa asianmukaista tietoa tutkimuksesta tai toimenpiteestä. Ennen tutkimuksen aloittamista jokaiselle tutkittavalle on annettava laajasti tietoa tutkimuksesta tai toimenpiteestä, mukaan lukien tiedot sen tavoitteesta, menetelmästä, odotettavissa olevista hyödyistä ja mahdollisista haitoista. Tutkittaville on kerrottava, että he voivat

Informed Consent

information must be given in an accessible and understandable way (for instance via a participant information sheet), and individuals should be given the opportunity to ask questions about the research. Informed consent is usually documented in writing with a signed and dated consent form. However, informed consent should be an ongoing process throughout a study, and researchers should ensure that participants are made (...)

INN

An International Non-proprietary Name (INN) is an official generic name given to a pharmaceutical compound. INNs facilitate communication by providing a standard name for each substance in the market with more than one brand name. Each INN is a unique name that is globally recognised and is public property. A Non-proprietary Name is also known as a generic name. Examples of INNs are: ibuprofen, mefloquine, and diazepam.

Intention-to-treat analysis

Intention-to-treat (ITT) is an analysis of the participants taking part in a clinical trial, based on the group to which they were initially assigned, and not on the treatment eventually received. It does not matter if they drop out, whether they fully adhere to the treatment, or even if they switch to an alternative treatment. Intention-to-treat analyses are often used to assess the effectiveness of a new treatment because they are seen to reflect real life: not everyone adheres to the treatment they are given, and doctors often change treatments depending on how their patient's condition changes.

Interim analysis

In clinical trials and other scientific studies, an interim analysis is an analysis of the current data from an ongoing trial, in which the primary research question is addressed. It has the potential to modify the conduct of the study. Depending on the results, an interim analysis may lead to changes, such as stopping one treatment arm or changing the number of participants in a group, or stopping the trial altogether.

Tietoinen suostumus

keskeyttää tutkimuksen milloin tahansa ilman että se vaikuttaa heidän saamaansa jatkohoitoon. Tämä tieto täytyy antaa selkeässä ja ymmärrettävässä muodossa (esimerkiksi tutkittavan tiedotteessa) ja tutkittaville täytyy antaa mahdollisuus kysyä kysymyksiä tutkimuksesta. Tietoinen suostumus dokumentoidaan yleisimmin allekirjoittamalla ja päiväämällä suostumuslomake.

INN

INN (International Non-proprietary Name) on farmaseutiselle yhdisteelle annettu virallinen, geneerinen nimi. INN helpottaa kommunikaatiota koska sen perusteella voidaan tunnistaa samaa vaikuttavaa ainetta sisältävät, eri kaupanimillä myytävät valmisteet. Kukin INN on ainutkertainen, globaalisti käytettävä ja julkista omaisuutta. INN tunnetaan myös geneerisenä nimenä. Esimerkkejä ovat ibuprofeeni, meflokiini ja diatsepaami.

Hoitoaikeen mukainen analyysi

Hoitoaikeen mukainen analyysi on tilastollinen analyysi, johon otetaan mukaan kaikki kliiniseen lääketutkimukseen osallistuneet tutkittavat ja heidät luokitellaan siihen ryhmään kuuluvaksi, johon heidät alun perin määrättiin riippumatta siitä, saivatko he lopulta tutkimusvalmistetta vai eivät. Ei ole merkitystä, lopettivatko he tutkimuksen kesken, ottivatko he todellisuudessa tutkimusvalmistetta lainkaan tai siirtyivätkö he kesken tutkimuksen toisen hoidon piiriin. ITT-analyysiä käytetään usein uuden hoidon tehon arviointiin koska sen ajatellaan heijastavan todellista elämää: kaikki potilaat eivät sitoudu saamaansa hoitoon ja lääkärit voivat usein vaihtaa potilaiden hoitoa sen mukaisesti miten heidän vointinsa muuttuu.

Välialalyysi

Kliinisissä lääketutkimuksissa kuten muissakin tieteellisissä tutkimuksissa välialalyysiksi kutsutaan olemassa olevan datan analysoimista tilanteessa, jossa tutkimus on edelleen kesken. Välialalyysi keskittyy yleensä tutkimuksen ensisijaiseksi muuttujaksi valitun parametrin tarkasteluun ja sen perusteella tutkimusta voidaan muuttaa. Tuloksista riippuen välialalyysin perusteella voidaan tehdä muutoksia – kuten lopettaa tutkimus yhden tutkimusryhmän osalta tai muuttaa tutkittavien määrää – tai tutkimus voidaan lopettaa kokonaan.

Intermediate endpoint

In clinical trials, intermediate endpoints are measures that may be associated with disease status or progression toward a primary endpoint (such as mortality or morbidity). It may be a measure of a body function or disease symptoms (e.g. measures of lung function in chronic obstructive pulmonary disease (COPD)) that is expected to correlate with changes observed on primary endpoints. Clinical trials are often designed to measure changes of an intermediate endpoint and evaluate the effects of an intervention on clinical outcomes.

Intervention

In medicine, intervention is an action which changes the outcome or course of a condition or disease so as to prevent harm or improve health through the use of treatments, medicinal products, medical devices or procedures/surgery.

Interventional Study

An interventional study is one in which the participants receive some kind of intervention, such as a new medicine, in order to evaluate it. In the medicines development process, medicines are evaluated through interventional studies known as clinical trials. There are many variations in how clinical trials are designed, but they are commonly randomised (participants are allocated to different arms in the study randomly) and controlled (the study medicine is given to one arm, and the outcomes are compared with an alternative treatment or placebo given to another arm). These are called randomised controlled trials, or RCTs.

Intravenous

Intravenous means 'within the vein'. It is the infusion of liquid directly into a vein using a syringe or intravenous catheter (tube). Compared with other routes of administration, the intravenous route is the fastest way to deliver fluids and medicines into the blood stream (the systemic circulation). In intravenous therapy, the bioavailability of the medication is 100%.

Välittävä päätetapahtuma

Kliinisissä tutkimuksissa välittäviksi päätetapahtumiksi kutsutaan sellaisia mittareita, jotka voivat olla yhteydessä sairauden tilaan tai etenemiseen kohti ensisijaista eli primaarista päätetapahtumaa. Se voi olla johonkin elintoimintoon sai sairauden oireeseen liittyvä mittari (esim. hengitysfunktiosta kertovat mittaustulokset kroonisessa keuhkohtaumataudissa), jonka ajatellaan olevan syy-seuraussuhteessa primaarisessa päätetapahtumassa havaittuihin muutoksiin. Kliiniset lääketutkimukset on usein suunniteltu siten, että ne mittaavat muutoksia välittävisä päätetapahtumissa ja niiden avulla voidaan arvioida hoidon vaikutuksia kliinisiin muuttujiin.

Interventio

Lääketieteessä interventioksi kutsutaan toimenpidettä, joka joko haittoja ehkäisevästi tai terveyttä lisäävästi vaikuttaa sairauden etenemiseen. Interventio voi olla lääkeellinen tai lääkkeetön hoito, terveydenhuollon laitteen käyttö tai toimenpide/leikkaus.

Interventiotutkimus

Interventiotutkimus on tutkimus, jossa tutkittaville suoritetaan jonkinlainen interventio, esimerkiksi annetaan lääkettä, sen arvioimista varten. Lääkekehitysprosessin aikana lääkkeitä tutkitaan interventiotutkimusten avulla ja näitä tutkimuksia kutsutaan kliiniseksi lääketutkimukseksi. Kliiniset lääketutkimukset voidaan suunnitella monin eri tavoin mutta ne ovat yleensä satunnaistettuja (tutkittavat jaetaan tutkimusryhmiin satunnaisesti järjestyksessä) ja kontrolloituja (yhdele hoitoryhmälle annetaan tutkittavaa lääkevalmistetta ja sitä verrataan toiseen hoitoryhmään, joka voi saada joko aktiivista vertailuvalmistetta tai lumelääkettä). Näitä kutsutaan satunnaistetuiksi, kontrolloituiksi lääketutkimuksiksi (engl. 'randomized, controlled trial' tai 'RCT').

Laskimonsisäinen, intravenööri

Nestettä voidaan annostella suoraan laskimoon joko ruis-kun tai laskimonsisäisen katettrin avulla. Muihin lääkkeen antotapoihin verrattuna laskimonsisäinen annostelu on nopein tapa saada lääkeaine verenkiertoon. Kun lääkettä annostellaan laskimonsisäisesti, sen hyötyosuus on 100%.

Investigational Medicinal Product

An investigational medicinal product is an active ingredient or placebo that has been pharmaceutically formulated (prepared) for human use which is being tested, or used as a comparator, in a clinical trial. Typically IMPs have not yet received marketing authorisation, however in some circumstances they may be products that have been authorised: when they have been made using a different formulation than that which is authorised (e.g. different dose), when the authorised product is to be used as the test substance or comparator in a clinical trial, when used for an unapproved indication (off-label), or when used to gain further information about an approved use.

Investigator

A clinical trial investigator is responsible for the conduct of the trial at a trial site. If a trial is conducted by a team of individuals at a trial site, the investigator is the leader responsible for the team, and is called the principal investigator.

Tutkimuslääke

Tutkimuslääke on joko aktiivinen, tutkimusvaiheessa oleva lääke tai lumetta sisältävä farmaseuttinen tuote, jota testataan tai käytetään vertailuvalmisteena kliinisessä lääketutkimuksessa. Sillä ei yleensä ole vielä myyntilupaa vaikka joskus näin voi ollakin, esimerkiksi jos sillä on eri formulaatio kuin myyntiluvallisella valmisteella (esim. eri annos), jos sitä käytetään kliinisen lääketutkimuksen vertailuvalmisteena, jos sitä käytetään eri indikaatioon kuin mihin myyntilupa on saatu (ns. off-label use), tai jos sitä käytetään hyväksytyyn indikaatioon liittyvän uuden tiedon saamiseen.

Tutkija

Kliinisessä lääketutkimuksessa tutkijaksi kutsutaan lääkärinä, joka on vastuussa tutkimuksen suorittamisesta tietyssä tutkimuskeskuksessa. Jos tutkimukseen osallistuu useampia lääkäreitä samasta keskuksista, yksi heistä nimitään päävastuulliseksi tutkijaksi eli päätutkijaksi.

L

Legally Authorised Representative Laillisesti nimetty edustaja

A legally authorised representative (LAR) is an individual authorised (for example by a court) to make decisions on behalf of another person. In circumstances where a patient is unable to give informed consent themselves (for instance, patients in critical care units), sometimes a legally authorised representative can give consent or permission on their behalf, including about medical treatments.

Laillisesti nimetty edustaja on henkilö, jolla on laillinen oikeus (esimerkiksi oikeusistuimen antama) tehdä päätöksiä toisen henkilön puolesta. Tilanteissa, joissa potilas on kyvyttöön antamaan tietoista suostumusta itse (esimerkiksi tehohoidossa olevat potilaat), laillisesti nimetty edustaja voi antaa suostumuksen tämän puolesta, myös silloin kun suostumus koskee lääkehoidon antamista.

Life Years Gained

Life years (LY) gained is a measure in health economics. It expresses the additional number of years of life that a person lives as a result of receiving a treatment.

Life years gained (epävirallinen käännös: saavutetut elinvuodet)

'Life years gained' on terveystaloustieteen termi. Sillä kuvataan niitä lisäelinvuosia, jotka henkilö saa hoidon seurauksena.

Lifetime prevalence

Lifetime prevalence is the proportion of a population that, at some point in their life, has experienced a particular health event, risk factor or disease. For example, in a survey, you might be asked if you have ever smoked. Lifetime prevalence is calculated by comparing the number of people found to have experienced the health event with the total number of people studied.

Elinaikainen esiintyvyys

Se osa populaatiota, jolla on ollut tietty sairaus, riski tai muu terveyteen liittyvä tapahtuma jossain vaiheessa heidän elämänsä. Terveyskyselyssä voidaan esimerkiksi kysyä, onko vastaaja ikinä tupakoinut. Tupakoinnin elinikäinen esiintyvyys lasketaan aineistosta vertaamalla kysymykseen positiivisesti vastanneiden määrää kaikkiin vastanneisiin.

M

MA

Marketing authorisation (MA) refers to the approval for a medicine to be marketed. A system of marketing authorisation was put in place to protect public health. Marketing authorisations are granted only when a competent authority (or 'regulatory authority') has conducted a scientific evaluation, and is satisfied that a medicine is sufficiently safe and effective, and of high enough quality. Different procedures exist to obtain a MA. The EMA (the 'Agency') is responsible for the 'centralised procedure'. A single application is submitted to the EMA for evaluation by the Agency's Scientific committees. If the assessment is positive, a single marketing authorisation is issued by the European Commission. The Marketing Authorisation Holder can then legally begin to market the medicine in all EEA (European Economic Area) countries (EU member states and the three EEA EFTA States (Iceland, Liechtenstein, and Norway).

Myyntilupa

Myyntilupa on lääkevalvontaviranomaisen antama lupa tietyn lääkkeen myymisen aloittamiseen. Myyntilupamenettelyn tarkoituksena on suojella kansanterveyttä. Myyntilupa myönnetään vain tilanteissa, jossa lääkevalvontaviranomainen on suorittanut myyntilupamateriaalille tieteellisen arvioinnin ja on sitä mieltä, että näyttö lääkkeen turvallisuudesta ja tehosta on riittävä ja laadukas. Myyntilupa voidaan saada useaa eri reittiä. Euroopan Lääkevirasto EMA (European Medicines Agency) vastaa keskitetystä myyntilupamenettelystä. Siinä yksi myyntilupahakemus lähetetään EMAn tieteellisten toimikuntien arvioitavaksi. Jos arvioinnin tulos on positiivinen, Euroopan Komissio myöntää yhden yleisen myyntiluvan tuotteelle. Myyntiluvan haltija voi tämän jälkeen tuoda lääkkeen kaikkien EEA-maiden (European Economic Area, joka sisältää EU-maiden lisäksi Islannin, Liechtensteinin ja Norjan) markkinoille.

MABEL

The Minimal Anticipated Biological Effect Level (MABEL) is the anticipated dose needed to result in a biological effect in participants of a clinical trial. It is a safety window based on pharmacological threshold. The minimal anticipated biological effect level is recommended as a useful approach to calculate the Safe Starting Dose, as it is the lowest dose that is active.

MABEL (engl. 'Minimal Anticipated Biological Effect Level')

MABEL on pienin lääkeannos jonka ajatellaan tuottavan jonkin biologisen vasteen tutkittaviin kliinisessä lääketutkimuksessa. Se on farmakologiseen aktiivisuuteen perustuva turvallisuusmäärä. MABELia suositellaan käytettäväksi turvallisen aloitusannoksen laskemiseen koska se on matalin tunnettu aktiivinen annos.

Malignant

A tumour is malignant if it is able to invade tissue other than where it originally grew (the primary site). Malignant tumours may spread (metastasise) to nearby tissues, or via the blood stream to other parts of the body quite distant from the primary site. New tumours can then form at those new sites. Benign tumours are not cancerous: their cells do not spread to other parts of the body.

MAMS

Multi-Arm Multi-Stage (MAMS) trials have a specific design that allows for several different treatments to be evaluated simultaneously against the standard treatment in a single trial.

Market exclusivity

The 10-year period after the marketing authorisation of an orphan medicine, during which similar medicines for the same indication cannot be placed on the market. Market exclusivity should not be confused with market protection or data exclusivity, market exclusivity refers only to orphan medicines. In this period, the EMA (the 'Agency') and the member states shall not accept another application for a marketing authorisation, or grant a marketing authorisation or accept an application to extend an existing marketing authorisation, for the same therapeutic indication, in respect of a similar medicinal product. This protects the original marketing authorisation holder from market competition with similar medicines with similar indications once they are approved and is intended to encourage the development of medicines for rare diseases. The period of market exclusivity is extended by two years for medicines that also have complied with an agreed paediatric investigation plan (PIP).

Marketing Authorisation Holder

A Marketing Authorisation Holder (MAH) is a company, firm or non-profit organisation that has been granted a marketing authorisation. The marketing authorisation allows the holder to market a specific medicinal product, in one or more EU member states. Once a medicinal product is marketed and in use by patients, the MAH continues to

Pahanlaatuinen (maligni)

Kasvainta kutsutaan pahanlaatuiseksi silloin kun se kykenee tunkeutumaan toisenlaiseen kudostyyppiin kuin siihen, missä se alun perin syntyi. Pahanlaatuiset kasvaimet voivat levitä eli muodostaa etäpesäkkeitä läheisiin kudoksiin, tai joskus ne voivat levitä verenkierron mukana kehon eri osiin kauaskin alkuperäisestä syntypaikastaan. Näihin uusiin paikkoihin voi kehittyä uusia kasvaimia. Hyvänlaatuiset kasvaimet eivät ole syöpiä: niiden solut eivät leviä kehon muihin osiin.

MAMS-tutkimukset

MAMS-tutkimukset (engl. 'Multi-Arm Multi-Stage') eli moniryhmäiset ja -vaiheiset tutkimukset ovat sellaisia tutkimuksia, joissa useita eri hoitomahdollisuuksia verrataan samanaikaisesti vakiintuneeseen hoitoon yhdessä ja samassa tutkimuksessa.

Markkinoinnin yksinoikeus

10 vuoden ajanjakso sen jälkeen kun harvinaislääke on saanut myyntiluvan, jona aikana kukaan ei voi tuoda markkinoille samanlaista lääkettä samaan sairauteen. Markkinoinnin yksinoikeutta ei pidä sekoittaa markkinasuojaan tai dataan perustuvaan yksinoikeuteen. Markkinoinnin yksinoikeus koskee vain harvinaislääkkeitä. Markkinoinnin yksinoikeuden aikana Euroopan Lääkevirasto EMA tai mikään EU:n jäsenvaltio ei hyväksy muita myyntilupahakemuksia, myönnä myyntilupia tai hyväksy olemassa olevalle myyntiluvulle pidennyksiä silloin kun kyseessä on samaan sairauteen tarkoitettu samanlainen lääkevalmiste. Tämä suojaa alkuperäistä myyntiluvan haltijaa kilpailulta samanlaisilla tuotteilla samaan sairauteen ja sen tarkoituksena on kannustaa lääkkeiden kehittämistä harvinaissairauksiin. Markkinoinnin yksinoikeutta jatketaan kahdella vuodella sellaisten lääkkeiden kohdalla, jotka on kehitetty myös lapsille suunnattuun käyttöön tehdyn suunnitelman mukaisesti.

Myyntiluvan haltija

Myyntiluvan haltija on yritys tai voittoa tavoittelematon organisaatio, jolle on myönnetty myyntilupa. Myyntilupa oikeuttaa sen haltijan myymään tiettyä lääkettä yhdessä tai useammassa EU-maassa. Lääkeen ollessa markkinoilla myyntiluvan haltija on edelleen velvollinen seuraamaan lääkkeen turvallisuutta (pharmacovigilance). Kaikki epäil-

Marketing Authorisation Holder

be responsible for monitoring safety (pharmacovigilance). Any suspected adverse reactions must be reported to the body which granted the marketing authorisation, in the form of a periodic safety update report (PSUR).

Maximum Tolerated Dose

The maximum tolerated dose (MTD) is the highest dose of a medicine or treatment that will produce the desired effect without resulting in unacceptable side effects. It is determined in clinical trials by testing increasing doses on different groups of people until the highest dose with acceptable side effects is found. Establishing the maximum tolerated dose is the main objective of Phase I clinical trials.

'Me too' medicines

'Me too' medicines are products which have more or less identical clinical outcomes to existing medicines. They are compounds structurally very similar to already known medicines that have an identical mechanism of action with only minor pharmacological differences. They can present some benefits, like providing more therapeutic options and in a few cases lead to price reductions, but also involve disadvantages, like diminishing innovation in pioneering treatments.

Medical device

A medical device is an instrument, apparatus, implant, software or related article used to diagnose, prevent, or treat disease or other conditions. It must not achieve its primary intended action in or on the human body through pharmacological, immunological or metabolic means, but may be assisted in its function by such means. Medical devices vary greatly in complexity and application. They are intended by the manufacturer to be used for: Diagnosis, prevention, monitoring, treatment, or alleviation of disease. Diagnosis, monitoring, treatment, alleviation of, or compensation for an injury or handicap. Investigation, replacement, or modification of the anatomy or of a physiological process. Birth control.

Myyntiluvan haltija

lyt haittavaikutukset tulee raportoida sille viranomaiselle, joka on myyntiluvan myöntänyt vuosittaisen turvallisuusraportin muodossa (PSUR eli periodic safety update report).

Suurin siedetty annos (MTD)

MTD on suurin annos tiettyä lääkettä tai hoitoa, joka tuottaa toivotut vaikutukset ilman epätoivottuja sivuvaikutuksia. MTD määritetään kliinisissä lääketutkimuksissa antamalla kasvavaa lääkennosta eri tutkittavien ryhmille kunnes saavutetaan taso, jossa alkaa ilmetä epätoivottuja sivuvaikutuksia. Suurimman siedetyn annoksen määrittäminen on yksi faasi 1-tutkimusten tärkeimpiä tavoitteita.

'Me too' -lääkkeet

'Me too' -lääkkeet ('minä myös' -lääkkeet) ovat lääkkeitä, jotka ovat vaikutuksiltaan melko identtisiä jo olemassa olevien lääkkeiden kanssa. Ne ovat rakenteellisesti hyvin samankaltaisia jo tunnettujen lääkkeiden kanssa ja niiden vaikutusmekanismi on identtinen joitakin pieniä farmakologisia eroavaisuuksia lukuun ottamatta. Niillä voi olla joitakin suopeita vaikutuksia, kuten useamman hoitovaihtoehdon tarjoaminen tai joissakin tapauksissa hinnan aleneminen, mutta niiden kehittämisessä on myös huonot puolensa kuten se, että niiden kehittäminen vähentää oikeasti uudenlaisten hoitojen kehittämistä.

Lääkkeellinen laite

Lääkkeellinen laite on instrumentti, kone, implantti, tietokoneohjelma tai jokin muu tuote jota käytetään sairauden (tai muun tilan) diagnosointiin, ennaltaehkäisyyn tai hoitoon. Se ei saa aikaansaada ensisijaista vaikutustaan farmakologisella, immunologisella tai metabolisella mekanismilla mutta sen vaikutusta voidaan edesauttaa tällaisilla keinoilla. Lääkkeelliset laitteet voivat olla keskenään hyvin erilaisia. Valmistaja on tarkoittanut ne sairauden diagnosointiin, ennaltaehkäisyyn, seurantaan, hoitoon tai lieventämiseen; vaurion tai vamman diagnosointiin, seurantaan, hoitoon, lieventämiseen tai korvaamiseen; anatomisen tai fysiologisen mekanismin tutkimiseen, korvaamiseen tai muuntamiseen; syntyvyyden säännöstelyyn.

Medicines regulation

Medicines regulation is a system that promotes and protects public health. It applies scientific knowledge and is based on national and international laws, to prevent the use of medicines that do not work, are of poor quality, and/or that may be harmful. Systems vary around the world but generally medicines regulation aims to: Assess the safety, efficacy and quality of medicines, and issue marketing authorisations. License and monitor manufacturers and dispensers of medicines. Monitor the quality of medicines. Monitor the safety of medicines under development and in general use including collecting and analysing adverse reaction reports. Provide independent information on medicines to professionals and the public.

Meta-analysis

Meta-analysis refers to methods used to compare and combine results from different, completed (reported or published), independent studies. It aims to identify patterns, to verify results, and to identify relevant relationships arising from multiple studies. Meta-analysis can be thought of as 'conducting research about previous research'. In its simplest form, meta-analysis is done by identifying a common statistical measure that is shared between studies, and calculating an average of that common measure. The reason for doing a meta-analysis is to achieve a higher statistical power, as opposed to a less precise measure calculated from a single study. In performing a meta-analysis, an investigator must make many choices which can affect the results. Such choices may include, for example, how to search for studies, how to select or exclude studies, how to deal with incomplete data, and how best to analyse the data.

Metabolome

The metabolome is the complete set of small molecule chemicals found in a specific cell, organ, or organism at a given time. The metabolome may include small molecule chemicals naturally produced by an organism (some sugars, vitamins, and pigments for example) as well as those not naturally produced by an organism (for example medicines, environmental contaminants, and food additives). The metabolome can change over a period of just seconds or minutes, and changes can be caused by a huge number of things. For example, the metabolome might change as a result of changes in the organism's environment, or

Lääkesäätely

Lääkesäätelyn tarkoituksena on edistää ja suojella kansanterveyttä. Se perustuu tieteelliseen näyttöön ja paikallisiin sekä kansainvälisiin lakeihin, ja sen keskeisenä tehtävänä on estää sellaisten lääkkeiden pääsy käyttöön, jotka ovat tehottomia, huonolaatuisia ja/tai jopa haitallisia. Lääkesäätelyjärjestelmät ovat hiukan erilaisia eri puolilla maailmaa mutta yleisesti ottaen niiden päämäärinä on lääkkeiden turvallisuuden, tehon ja laadun arviointi sekä myyntilupien myöntäminen; lääkevalmistajien ja -jakelijoiden lisensointi ja seuranta; lääkkeiden laadun seuranta; kehitysvaiheissa ja markkinoilla olevien lääkkeiden turvallisuusseuranta, mukaan lukien haittavaikutusraporttien kerääminen ja analysointi; terveydenhuollon ammattilaisten ja suuren yleisön riippumaton informointi lääkevalmisteista.

Meta-analyysi

Meta-analyysillä tarkoitetaan menetelmää, jossa yhdistellään ja vertaillaan aineistoa useasta jo loppuun saateutusta (raportoidusta tai julkaistusta) tutkimuksesta. Sen tarkoituksena on tunnistaa malleja, varmistaa tuloksia, ja etsiä erilaisia syy-yhteyksiä ison tutkimusaineiston avulla. Meta-analyysiä voidaan pitää tutkimuksen tekemisenä aiemmista tutkimuksista. Yksinkertaisimmillaan meta-analyysi voi olla sitä, että tutkimuksista haetaan yhteinen tilastotieteellinen mittari ja lasketaan sen keskiarvo kaikkien tutkimusten aineistoista. Syy meta-analyysin tekemiseen on se, että suurempia aineistoja yhdistämällä tuloksiin saadaan suurempi tilastollinen voima kuin vain yhden tutkimuksen tuloksia tarkastelemalla. Meta-analyysiä suoritettaessa on tehtävä paljon sellaisia valintoja, jotka saattavat vaikuttaa tulokseen. Nämä valinnat voivat olla esimerkiksi tutkimusten valintaan, puuttuvan datan korvaamiseen tai analyysimenetelmiin liittyviä.

Metabolomi

Metabolomi muodostuu kaikista solun, elimen tai eliön tietyllä hetkellä sisältämistä pienmolekyyleistä. Metabolomiin voi sisältyä sekä eliön itsensä tuottamia pienmolekyylejä (esimerkiksi sokereita, vitamiineja tai pigmenttejä) että sellaisia pienmolekyylejä, jotka eivät ole eliön tuottamia (esimerkiksi lääkkeitä, ympäristöstä tulevia kemikaaleja tai ruuan lisäaineita). Metabolomi voi muuttua jopa sekunneissa tai minuuteissa ja muutokset voivat aiheutua monenlaisista tekijöistä. Se voi esimerkiksi muuttua eliön ympäristön muututtua, ravinnon nauttimisen seurauksena tai eliön aktiivisuustason muutoksen myötä. Metabolomin

Metabolome

after taking in food or changing activity levels. Metabolomics is the scientific study of the metabolome.

Metastasis

Metastasis is the spread of tumour cells from the original site (the primary site) to another part of the body. Tumours can metastasise by invading nearby tissue, or by spreading through the circulation (blood and lymphatic system).

Molecular biomarker

A biological marker, or biomarker, is something that can be measured, which points to the presence of a disease, a physiological change, response to a treatment, or a psychological condition. A molecular biomarker is a molecule that can be used in this way; for example, glucose levels are used as a biomarker in managing diabetes. Non-molecular biomarkers include medical images (for example, MRI brain images can provide information about the progression of multiple sclerosis). Biomarkers are used in many scientific fields. They are used in different ways at different stages of medicines development, including in some cases as a surrogate endpoint to indicate and measure the effect of medicines in trials.

Mutual recognition procedure

The mutual recognition procedure is the system for medicines authorisation by individual member states (Concerned Member States) recognising the authorisation of another member state (the Reference Member State) which has evaluated and authorised a new medicine.

Metabolomi

tutkimusta kutsutaan metabolomiikaksi.

Etäpesäke

Etäpesäke muodostuu, kun kasvainsoluja leviää toiseen osaan elimistöä, pois kasvaimen alkuperäisestä muodostumispaikasta. Kasvaimet voivat muodostaa etäpesäkkeitä joko tunkeutumalla läheiseen kudokseen tai leviämällä verenkierron mukana.

Molekyläärinen biomarkkeri

Biologinen markkeri, tai biomarkkeri, on jotakin sellaista mikä voidaan mitata ja mikä viittaa sairauden olemassaoloon, fysiologiseen muutokseen, hoitovasteeseen tai psykologiseen tilaan. Molekyläärinen biomarkkeri on tietty molekyyli, jota voidaan käyttää tähän tarkoitukseen. Esimerkiksi verensokeripitoisuutta voidaan käyttää hyväksi diabeteksen hallinnassa. Ei-molekyläärinen biomarkkeri voi olla vaikkapa kuvantamisen avulla tuotettu – esimerkiksi MRI-aivokuva voi kertoa multippeliskleroosin etenemisestä. Biomarkkereita käytetään monilla tieteenaloilla. Niitä voidaan käyttää apuna lääkekehityksessä, joissain tapauksissa sijaispäätetapahtumina, jotka viittaavat lääkkeen vaikutukseen tutkimuksessa tai mittaavat sitä.

Tunnustamismenettely

Tunnustamismenettely on EU:n jäsenmaiden lääkeviranomaisten lääkkeen myyntiluvan myöntämiseen liittyvä menettely, jossa jäsenvaltio tunnustaa toisen jäsenvaltion (viitemaa) myöntämän myyntiluvan.

N

National Competent Authority

A National Competent Authority – or regulatory authority – has the power to grant marketing authorisations for medicinal products in its territory. National competent authorities are organisations that have the legally delegated or invested authority, or power to perform a designated function, normally monitoring compliance with the national statutes and regulations.

Kansallinen lääkevalvontaviranomainen

Kunkin maan kansallisella lääkevalvontaviranomaisella on valta myöntää lääketuotteille myyntilupia omalla alueellaan. Lääkevalvontaviranomaisilla on laillinen oikeus toimintaansa ja ne valvovat kansallisten säädösten ja asetusten noudattamista.

No Observed Adverse Effect Level

The no observed adverse effect level (NOAEL) is the highest tested dose of a medicine at which there is no increase in the frequency of any adverse effects (biological or statistically significant) when compared to its control. Although the NOAEL approach involves some consideration of pharmacokinetics and pharmacodynamics properties, its focus is on the estimation of the highest 'safe' dose, looking for a safety window based on toxicological threshold.

NOAEL (lääkeannos, jolla ei voida havaita olevan haittavaikutuksia)

NOAEL on korkein lääketutkimuksessa testattu lääkeannos, jonka käyttöön ei liity biologisesti tai tilastotieteellisesti merkitsevää haittavaikutusten määrän nousua kun sitä verrataan vertailuvalmisteeseen. Vaikka NOAELiin saattavat vaikuttaa lääkkeen farmakokineettiset ja farmakodynaamiset ominaisuudet, sen määrittämisen päätarkoituksena on saada arvio korkeimmasta turvallisesta annoksesta eli määrittää lääkeaineen turvallisuusikkuna.

Non-clinical testing

Non-clinical testing is conducted at a stage of medicines development that uses animals and/or cells or tissues. It does not involve testing in humans. The main goal of non-clinical tests is to determine the safety of a medicine. Non-clinical testing will investigate any harmful effects of the medicine on the body due to the medicine's pharmacology, such as: Toxic effects - for example, on the reproductive system if the medicine causes genetic changes or whether they might cause cancerous growth. Toxicity will be measured in relation to different doses, or length of use of the medicine. The reversibility of any toxicity will also be studied. Information from non-clinical testing is used in planning clinical trials in humans. It is used to decide what the starting dose should be, and the range of doses to be tested. It also suggests what clinical signs should be looked for in order to detect any adverse effects.

Non-kliininen testaus

Non-kliinisellä testauksella tarkoitetaan eläimillä, soluilla ja kudoksilla tehtävää uuden lääkeaineen testausta. Ihmisillä tehtävät tutkimukset eivät kuulu tämän käsitteen piiriin. Näiden tutkimusten päätavoitteena on määrittää tutkittavan lääkemolekyylin turvallisuus. Non-kliinisellä testauksella tutkitaan lääkeaineen elimistölle aiheuttamia, lääkeaineen farmakologiaan liittyviä haitallisia vaikutuksia. Esimerkiksi lisääntymistoksikologisilla tutkimuksilla selvitetään, aiheuttaako lääkeaine periytyviä geneettisiä muutoksia. Myös aineen syöpää aiheuttavia ominaisuuksia tutkitaan. Toksisuutta tutkitaan eri lääkeannoksilla sekä eri pituisilla hoitokajoilla. Myös sitä selvitetään, palautuuko elimistön toiminta normaaliksi altistuksen lopettamisen jälkeen. Non-kliinisistä tutkimuksista saatua tietoa käytetään hyväksi ensimmäisiä ihmisillä tehtäviä tutkimuksia suunniteltaessa. Niiden avulla määritetään annos, jolla tutkimus aloitetaan. Niistä voidaan saada myös vihiä siitä, minkä tyyppisiä vaikutuksia elimistöön on tarpeen erityisen tarkasti seurata.

Non-maleficence

Non-maleficence means to do no harm. Traditionally, this is at the heart of medical ethics and is part of the Hippocratic Oath (an oath that new doctors take in many countries). An example of a non-maleficent action would be stopping a medication known to be harmful or refusing to give a medication to a patient if it has not been proven to be effective. However, ethical dilemmas often occur. In many medical situations, non-maleficence must be balanced with the principle of beneficence (an action done for the benefit of others). For example, many beneficial medications may also have serious side effects and so the risks and benefits must be carefully considered by doctors and patients. Ultimately, the patient must decide whether the benefits outweigh the risks before consenting to a treatment.

Non-randomised trial

In a non-randomised clinical trial, participants are allocated to different treatment (or placebo) arms using a non-random method. Allocation is decided and managed by the investigator. Non-random allocation can lead to bias in the results of a trial. In the description above, the non-randomised trial is controlled (arms receiving an intervention are compared with arms that are receiving different interventions or placebo). There are several other trial designs that are non-random, but controlled. These include prospective observational studies.

Null hypothesis

The word 'null' can be thought of as 'no change'. A null hypothesis is typically the standard assumption and is defined as the prediction that there is no interaction between variables. For example, the null hypothesis states that there is no causal relationship between a new treatment and a reduction in disease symptoms. In other words, this means that a new treatment does not offer an improvement over the standard of care treatment – and that any observations of improvement are the result of chance. Such a statement can be tested by a scientific study such as a clinical trial and the application of appropriate statistical tests. If a clinical trial finds that in fact there is a relationship, and the new treatment causes an improvement, the null hypothesis is disproved and can be rejected. In this case the alternative or research hypothesis can be adopted – in this example, this means that the new treatment is better than the standard of care treatment.

Vahingon välttäminen

Vahingon välttämisellä tarkoitetaan bioetiikassa sitä, että ei aiheuteta haittaa. Perinteisesti tämä käsite on lääketieteen etiikan ytimessä ja se on myös osa Hippokrateen valaa, jonka vastavalmistuneet lääkärit vannovat monessa maassa. Esimerkkinä voi toimia vaikka haitallisen lääkityksen lopettaminen tai kieltäytyminen antamasta lääkettä, jonka tehoa ei ole pystytty osoittamaan. Lääketieteessä esiintyy kuitenkin usein eettisiä ristiriitoja. Usein vahingon välttämistä joudutaan punnitsemaan hyötyä vastaan. Esimerkiksi monilla hyödyllisillä lääkkeillä on myös vakavia haittavaikutuksia ja riski/hyötyarvonninta täytyy tehdä huolellisesti. Viime kädessä potilaan itsensä täytyy päättää, ylittävätkö odotettavissa olevat hyödyt mahdolliset haitat ja suostuuko hän näin ollen tarjottuun lääkehoitoon.

Satunnaistamaton tutkimus

Satunnaistamattomassa tutkimuksessa tutkittavat jaetaan eri tutkimusryhmiin ilman satunnaistamista. Niissä tutkija päättää, kuka tutkittava menee mihinkin tutkimusryhmään. Satunnaistamisen puute saattaa johtaa vääriin tutkimustuloksiin tutkimusharhan takia. Yllä mainitussa esimerkissä kyseessä olisi satunnaistamaton, kontrolloitu tutkimus (tutkittavaa lääkettä saavaa ryhmää verrataan toiseen tutkimusryhmään, joka saa joko toista hoitoa tai lumelääkettä). Myös muut satunnaistamattomat tutkimusasetelmat ovat mahdollisia, esimerkiksi havainnoivat tutkimukset.

Nollahypoteesi

Tässä käsitteessä 'nollalla' tarkoitetaan muuttumatonta tilaa. Nollahypoteesi on yleensä vakio-olettamus ja se määritellään siten, että nollahypoteesin mukaan tutkittavien muuttujien välillä ei ole yhteyttä. Esimerkiksi nollahypoteesi voi olla sellainen, että uuden hoidon ja sairauden oireiden vähenemisellä ei ole syy-seuraussuhdetta. Toisin sanoen nollahypoteesin mukaan uusi hoito ei ole sairauden hoitoon sen parempi kuin olemassa olevakaan ja kaikki mahdolliset havainnot paremmuudesta ovat puhtasta sattumaa. Nollahypoteesi testataan sitten tieteellisellä tutkimuksella, esimerkiksi kliinisellä lääketutkimuksella, ja asianmukaisella tilastotieteellisellä testillä. Jos tutkimuksen perusteella uudella hoidolla ja oireiden vähenemisellä onkin syy-seuraussuhde ja uusi hoito todella parantaa sairauden oireita, nollahypoteesi hylätään. Tällöin voidaan hyväksyä vaihtoehtoinen hypoteesi eli tässä tapauksessa voidaan päätyä siihen, että uusi hoito on vanhaa parempi.

Number-needed-to-treat

The number-needed-to-treat (NNT) is a measure used to describe the effectiveness of an intervention, such as treatment with a medicine. The NNT is the number of participants who will need to be treated in order for one person to recover, or show symptom reduction, or whatever outcome is being measured in the trial. A 'perfect' result would be that every patient has a good outcome, and this would give an NNT of 1. A large NNT means that the treatment is only effective in a small number of people: An NNT of 100 means that of 100 people treated, only 1 will have a favourable outcome. One advantage of NNTs is that they can be easily compared for different medicines or interventions.

NNT-luku

NNT (number-needed-to-treat) on tunnusluku, jolla kuvataan toimenpiteen, esimerkiksi lääkehoidon, tehokkuutta. NNT on se määrä henkilöitä, jotka täytyy hoitaa, jotta löytyy yksi henkilö, joka toipuu tai jonka oireet vähenevät tai mikä tahansa mittari sitten onkaan määritelty tutkimuksessa seurattavaksi. 'Täydellinen' tulos olisi se, että jokaisella hoidetulla potilaalla nähdään positiivinen vaikutus ja tällöin NNT olisi 1. Suuri NNT tarkoittaa sitä, että hoito tehoaa vain pienelle osalle ihmisiä: esimerkiksi jos NNT on 100 niin vain yksi hoidettu hyötyy hoidosta sataa hoitoa saanutta kohti. Yksi NNT-lukujen hyöty on se, että niiden avulla on mahdollista verrata erilaisten lääkkeiden tai hoitojen tehoa.

O

Observational Study

In epidemiology and statistics, an observational study draws conclusions about the possible effect of a treatment on participants, where the assignment of participants into a treatment group versus a control group is outside the control of the investigator. However, in some cases observational studies are the most appropriate design for example if the condition being studied is rare. Additionally, non-interventional observational studies are sometimes the only ethical approach. For example, if the effect of an environmental risk factor (such as asbestos) is being studied, it is unethical to deliberately expose participants to that risk factor. In a non-interventional observational study, no additional diagnostic or monitoring procedures are applied to the participants, and epidemiological methods are used for the analysis of collected data (as per Article 2(c) of 2001/20/EC). A non-interventional observational study is not a randomised, controlled trial (RCT).

Havainnoiva tutkimus

Epidemiologian ja tilastotieteen käsitteistössä havainnoiva tutkimus on sellainen, jossa tehdään johtopäätöksiä hoidon mahdollisista vaikutuksista asetelmassa, jossa tutkittavien jako eri tutkimusryhmiin ei ole tutkijan kontrolloitavissa. Joissakin tapauksissa, esimerkiksi hyvin harvinaisia sairauksia tutkittaessa, havainnoivat tutkimukset saattavat olla parhaita mahdollisia tutkimusasetelmia. Lisäksi ei-interventionaaliset, havainnoivat tutkimukset voivat joskus olla ainoita eettisesti hyväksyttäviä tutkimuksia. Esimerkiksi jos halutaan tutkia jonkin ympäristötekijän (vaikka asbestin) vaikutuksia ihmisten terveyteen, ei ole mahdollista tahallaan altistaa ihmisiä asbestille. Ei-interventionaalisissa, havainnoivissa tutkimuksissa tutkittaville ei suoriteta mitään diagnostisia tai muita toimenpiteitä vaan tietoja kerätään epidemiologisin keinoin. Ei-interventionaalinen, havainnoiva tutkimus ei ole satunnaistettu, kontrolloitu tutkimus.

Observer Bias

Observer bias (also called ascertainment or detection bias) is caused when the actions of an investigator affect the results of a trial. Observer bias can be unintentional and could arise from the investigator's hopes or expectations of the trial. It is most likely to occur when: the

Havaittajaharha

Havaittajaharha syntyy kun tutkijan toimet vaikuttavat tutkimuksen tuloksiin. Havaittajaharha voi olla tiedostamatonta ja se voi heijastaa tutkijan tutkimukseen kohdistamia toiveita ja odotuksia. Se tapahtuu todennäköisimmin silloin kun tutkijan henkilökohtaista arviota

Observer Bias

investigator's personal judgement is used to measure subjective trial outcomes, and the investigator knows which group each person is allocated to (for example treatment or placebo). The most important design technique for avoiding observer bias in clinical trials is blinding. The potential effect of bias should also be taken into account during statistical analysis of trial data.

Havaittajaharha

käytetään mittaamaan tutkimuksen subjektiivista mittaria ja tutkija tietää mihin ryhmään kukin tutkittava kuuluu (esimerkiksi aktiivista lääkettä tai lumelääkettä saavien ryhmään). Tärkein kliinisissä lääketutkimuksissa käytetty havaittajaharhaa vähentävä tekniikka on sokkoutus. Mahdollinen harhan vaikutus tulee myös huomioida tutkimuksen tietoja tilastollisesti analysoitaessa.

Observer-reported outcome

A measurement based on an observation by someone other than the patient or a health professional such as a parent, or other non-clinical caregiver who regularly observes the patient in daily life and is in a position to report on a specific aspect of the patient's health. This type of measure or observer report is without medical judgment or interpretation, and includes events or behaviours that can be observed in patients who cannot communicate themselves (e.g. infants or cognitively impaired).

Havainnoijan raportoima tulos

Mittaus, joka perustuu jonkun muun kuin potilaan itsensä tai terveydenhuollon ammattilaisen tekemään havaintoon. Tällainen havainnoija voi olla esimerkiksi vanhempi tai omaishoitaja, joka säännöllisesti tekee havaintoja potilaan päivittäisestä elämästä ja on asemassa, jossa pystyy raportoimaan potilaan terveyteen liittyviä tietoja. Tällaiseen havaintoon ei liity lääketieteellistä arviota tai tulkin-ta ja se saattaa liittyä potilasiin jotka eivät itse pysty kommunikoimaan (esimerkiksi vauvat tai muistisairaajat).

Off label use

Off-label use refers to situations where a medicinal product is intentionally used for a medical purpose other than what is stated in the authorised product information, i.e. the Summary of Product Characteristics (SmPC). Examples of off-label use include non-authorised: indication, age group, dosage, or route of administration.

Alkuperäistarkoituksesta poikkeava lääkkeen käyttö

Tilanne, jossa lääkeainetta tarkoituksellisesti käytetään eri tarkoitukseen kuin mihin myyntilupa on myönnetty, ts. muuhun kuin lääkkeen tuoteyhteenvedossa kuvattuun tarkoitukseen. Tällaista käyttöä voi olla esimerkiksi myyntilupaan sisältymättömien indikaatioiden tai ikäryhmien hoitaminen tai lääkkeen annoksen tai antoreitin muuttaminen toiseksi kuin mitä myyntiluvassa on mainittu.

Official Medicines Control Laboratory

An Official Medicines Control Laboratory (OMCL) is a public institution which performs laboratory testing on medicines once they are on the market. They are an essential part of the European system of controlling the quality of medicines. OMCLs are appointed by national competent authorities. OMCLs carry out testing for their competent authority, independently from the manufacturer of the medicine. OMCLs in Europe collaborate with each other in order to pool resources and share best practice.

Virallinen lääkevalvontalaboratorio

Virallinen lääkevalvontalaboratorio on julkinen institutio, joka suorittaa markkinoilla olevien lääkevalmisteiden laboratoriovalvontaa. Tällaiset laboratoriot ovat oleellinen osa Euroopassa markkinoitavien lääkkeiden laadunvalvontaa. Kansallinen lääkevalvontaviranomainen nimeää nämä laboratoriot ja ne suorittavat lääkkeillä laboratoriotestejä lääkevalvontaviranomaisen lukuun, lääkkeen valmistajasta riippumattomana tahona. Eri Euroopan maiden viralliset lääkevalvontalaboratoriot tekevät yhteistyötä keskenään resurssien riittävyyden takaamiseksi ja parhaiden toimintatapojen varmistamiseksi.

Omics technologies

The 'Omics technologies are relatively recent fields of study such as genomics, proteomics, or metabolomics. They deal with large amounts of data because they assess entire genomes, proteomes, or metabolomes. Information technology (IT) is therefore a crucial element in 'omics research.

Oncogene

An oncogene is a mutated gene that contributes to the development of a cancer. In their normal, non-mutated state, oncogenes are called proto-oncogenes, and they are important in the regulation of cell growth. When altered, an oncogene can either promote or allow the uncontrolled growth of cancer. Alterations can be inherited or caused by exposure to carcinogens (cancer-causing substances).

Orphan designation

Orphan designation is a special status for a medicine used to treat a rare disease or condition. An orphan designation is adopted by the Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) of the European Medicines Agency (EMA) and confirmed by the European Commission (EC) before the granting of marketing authorisation. To qualify for orphan designation, a medicine must meet a number of criteria: (1) It must be intended for the treatment, prevention or diagnosis of a disease that is life-threatening or chronically debilitating. (2) The condition must affect no more than 5 in 10,000 people in the EU, or it must be unlikely that sales of the medicine will be sufficient to justify the investment needed for its development. (3) No satisfactory method of diagnosis, prevention or treatment of the condition exists, or, if it does, the medicine in question must provide a significant benefit to those affected by the condition.

Orphan medication

An orphan medicine is a medicine that has been developed specifically to treat a rare condition (an 'orphan disease'). Orphan medicines generally follow the same regulatory development path as any other medicine, however, some incentives are provided to encourage a manufacturer to invest in developing them. An orphan designation is adopted by the Committee for Orphan Medicinal Products

'Omics'-teknologiat

Melko uusista tieteenhaaroista genomiikasta, proteomiikasta ja metabolomiikasta käytetään joskus yhteisnimitystä 'omics-teknologiat'. Niissä tutkitaan suuria määriä dataa koska niiden avulla kartoitetaan kokonaisia genomeja, proteomeja ja metabolomeja. Informaatiotekniikalla (IT) on tämän takia merkittävä rooli näissä tieteenaloissa.

Onkogeeni

Onkogeeni on mutatoitunut geeni joka edesauttaa syövän kehittymistä. Silloin kun ne ovat vielä normaalissa, ei-mutatoituneessa muodossaan, näitä soluja kutsutaan proto-onkogeeneiksi ja ne ovat merkittäviä tekijöitä solujen kasvun säätelyssä. Kun ne muuttuvat onkogeeneiksi, ne voivat sallia syövän kontrolloimattoman kasvun tai jopa edesauttaa sitä. Nämä muutokset voivat olla joko perittyjä tai karsinogeenialtistuksen aikaansaamia.

Harvinaislääkestatus

Harvinaislääkestatus voidaan myöntää lääkkeelle, jota käytetään harvinaissairauden hoitoon. Euroopan lääkeviraston harvinaislääkkeisiin erikoistunut toimikunta Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) hyväksyy harvinaislääkestatus ja Euroopan Komissio vahvistaa sen ennen myyntiluvan myöntämistä. Jotta lääke voi saada harvinaislääkestatus, sen täytyy täyttää useita kriteereitä: (1) sen tulee olla tarkoitettu sellaisen sairauden hoitoon, ennaltaehkäisyyn tai diagnosointiin, joka on henkeä uhkaava tai kroonisesti terveydentilaa heikentävä. (2) Sairaus saa esiintyä korkeintaan viidellä ihmisellä 10 000:sta EU:n alueella tai tulee olla epätodennäköistä, että lääkkeen myynnistä tulevat tuotot riittävät kattamaan sen kehittämiseen käytetyt varat. (3) Kyseisen sairauden hoitoon, ennaltaehkäisyyn tai diagnosointiin ei ole olemassa riittävää hoitoa tai jos on, uusi lääke merkittävästi hyödyntää harvinaissairautta sairastavia potilaita.

Harvinaislääke

Harvinaislääke on sellainen lääke, joka on erityisesti kehitetty harvinaissairauden hoitoon. Harvinaislääkkeet käyvät yleensä läpi saman viranomaiskäsitelystä kuin muutkin lääkkeet mutta niiden kehittäjille tarjotaan joitakin etuja, jotka rohkaisevat lääkeyrityksiä harvinaislääkkeiden kehittämiseen. Euroopan lääkeviraston harvinaislääkkeisiin erikoistunut toimikunta Committee for Orphan Medicinal

Orphan medication

(COMP) of the European Medicines Agency (EMA) and confirmed by the European Commission (EC) before the granting of marketing authorisation.

Harvinaislääke

Products (COMP) hyväksyy harvinaislääkestatus ja Euroopan Komissio vahvistaa sen ennen myyntiluvan myöntämistä.

P

P-value

A p-value, which stands for probability value, is a statistical measure between 0 and 1. It is used for hypothesis testing. In clinical trials it is used to give an indication of whether a result observed may be due to chance, or not. A significance level should be set before data collection begins, and is usually set to 5% (or 0.05), although other levels may be used depending on the study. A result is then said to be statistically significant (and allows us to reject the null hypothesis) if it has a p-value equal to or less than the significance level. This is generally written as $p \leq 0.05$. In calculating the p-value, we first assume that there really is no true difference between the two tested treatments, e.g. new versus standard treatment (the null hypothesis). We then calculate the likelihood (probability) that the difference we have observed is just due to chance if our supposition is true (that is, if there is really no true difference). This is the p-value.

Package Leaflet

In the EU, medicinal products must be accompanied by outer and/or immediate packaging information (labelling) and a Package Leaflet (PL). The PL should be written in language understandable by the patient and must undergo readability testing. It contains: What medicine X is and what it is used for (identification of the medicinal product). What you need to know before you take/use X (contraindications and warnings and precautions for use: in children and adolescents; with other medicines; with food, drink, or alcohol; in case of pregnancy, breastfeeding, driving, and using machines; and any excipient warnings, if applicable.) How to take/use X (dosage and method/route(s) of administration; use in children and adolescents; frequency of administration; duration of treatment; information in case of overdose and/or

P-arvo

P-arvon nimi tulee englanninkielen sanasta 'probability' (todennäköisyys), ja sillä tarkoitetaan lukujen 0 ja 1 väliin jäävää tilastotieteellistä suuretta. Sitä käytetään hypoteesien eli oletusten testaamiseen. Kliinisissä lääketutkimuksissa sitä käytetään sen kuvaamiseen, onko tutkimuksesta saatu tulos mahdollisesti seurausta sattumasta vai todellinen. P-arvon merkitsevyytaso tulee asettaa ennen tiedonkeruun aloittamista ja yleensä se asetetaan tasolle 5% (tai 0.05). Myös muita tasoja voidaan käyttää, tutkimuksesta riippuen. Kun tutkimuksen tulos saadaan, sen sanotaan olevan tilastollisesti merkitsevän (eli toisin sanoen nollahypoteesi voidaan hylätä) silloin kun sen P-arvo on yhtä suuri tai pienempi kuin merkitsevyytaso. Tämä ilmaistaan yleensä muodossa $p \leq 0.05$. Kun P-arvoa laskeaan, ensimmäinen oletus on se, että tutkittavien hoitojen välillä ei ole todellista eroa (nollahypoteesi). Kun laskeaan sen todennäköisyys, että havaittu ero todella on seurausta sattumasta, saadaan tulokseksi P-arvo.

Pakkauseloste

EU:n alueella myytävissä lääkepakkauksissa tulee olla mukana erillinen pakkauseloste (engl. EU:n alueella 'package leaflet', Yhdysvalloissa vastaavaa dokumenttia kutsutaan nimellä 'package insert'). Pakkauselosteen tulee olla kirjoitettu sellaisella kielellä, jota käyttäjä ymmärtää ja sen täytyy läpäistä luettavuustesti. Pakkauseloste on tiukasti viranomaismääräyksiin säädely ja sisältää tietoa mm. seuraavista asioista: mikä lääke on kyseessä ja mihin sitä käytetään (lääketuotteen identifiointi); mitä käyttäjän tulee tietää ennen lääkkeen ottamista (vasta-aiheet ja käyttöön liittyvät varoitukset: käyttö lapsilla ja nuorilla; käyttö yhdessä muiden lääkeaineiden kanssa; käyttö samanaikaisesti ruuan, juoman tai alkoholin kanssa; käyttö raskauden tai imetyksen aikana; käyttö autolla ajamisen tai koneen käytämisen aikana; mahdolliset apuaineisiin liittyvät varoitukset

Package Leaflet

missing a dose; and any withdrawal effects if applicable). Possible side effects of X How to store X (storage conditions; expiry date.

Paediatric Investigation Plan

A paediatric investigation plan (PIP) is a medicines development plan to support the authorisation of a medicine for children. It aims to ensure that the necessary data is obtained through studies in children, when it is safe to do so. Pharmaceutical companies submit proposals for PIPs to the European Medicine Agency's (EMA) Paediatric Committee (PDCO). This Committee is responsible for agreeing to or refusing the plan. The normal development of a medicine requires that various studies be performed to ensure its quality, safety, and efficacy. In addition to this, PIPs include a description of the studies and of the measures to adapt the medicine's formulation to make its use more acceptable in children, such as the use of a liquid formulation rather than large tablets; and cover the needs of all age groups of children, from birth to adolescence.

Parenteral

Medicines administered via any route other than the gastrointestinal tract (oesophagus, stomach, and small and large intestines). The most frequent are subcutaneous, intravenous and intramuscular injections, but medicines that are topically administered to the eye, ear, and skin or even inhaled may be broadly considered as parenteral.

Passive Surveillance

Passive surveillance is the use of local healthcare services to collect data on disease incidence or adverse effects of medicines. It relies on staff and services, who are part of a reporting network, collecting data and generating reports. There is no active search for cases. For example, passive surveillance is the most common method used to monitor the incidence of vaccine-preventable diseases so that national and international bodies can identify possible outbreaks and organise vaccine provisions.

Pakkausseloste

set); miten lääkettä käytetään (annostelu ja antoreitti, myös lapsilla ja nuorilla; annostiheys; hoidon kesto; ohjeet ylläpidon ja/tai väliin jääneen lääkeannoksen varalta; mahdolliset vieroitusoireet); mahdolliset haittavaikutukset; lääkkeen säilytys (säilytysolosuhteet; vanhenemisajankohta).

Pediatrinen tutkimussuunnitelma

Pediatrinen tutkimussuunnitelma (pediatric investigation plan, PIP) on lääkekehitysohjelman kuuluva suunnitelma, jonka tarkoituksena on tukea myyntilupahakemusta pediatriin käyttöön eli lääkkeen käyttöön lapsipotilaille. Sen tarkoituksena on varmistaa, että silloin kun lääkettä on turvallista tutkia lapsilla, tarvittavat tiedot kerätään lapsilla tehtävissä tutkimuksissa. Lääkeyritykset toimittavat PIP-ehdotuksensa Euroopan Lääkeviraston pediatrialle toimikunnalle (PDCO). Toimikunnan velvollisuus on tämän jälkeen joko hyväksyä suunnitelma tai hylätä se. Normaalin lääkekehityksen aikana tehdään erilaisia tutkimuksia varmistamaan lääkkeen laatu, turvallisuus ja teho. Tämän lisäksi PIP-ohjelmissa on kuvaus lapsilla tehtäväksi suunnitelluista tutkimuksista sekä siitä, miten lääkkeen formulaatio tehdään lapsille sopivaksi, esimerkiksi liuoksen käyttö isojen tablettien sijaan. Sen tulee myös sisältää kaikki ikäryhmät aina vastasyntyneistä vauvoista teini-ikäisiin nuoriin.

Parenteraalinen

Parenteraaliseksi antoreitiksi kutsutaan kaikkia sellaisia antoreittejä, joissa lääke ei päädy elimistöön ruuansulatuskanavan kautta (ruokatorvi, maha ja suolisto). Yleisimpiä parenteraalisia antoreittejä ovat ihonalainen, laskimonsisäinen ja lihaksensisäinen antoreitti mutta myös silmän, korvan, ihon tai jopa keuhkojen kautta annosteltavia lääkkeitä voidaan laajasti kutsua parenteraaliksi.

Passiivinen valvonta

Passiivisella valvonnalla tarkoitetaan tilannetta, jossa paikallisista terveydenhuoltojärjestelmistä kerättyä dataa käytetään sairauden yleisyyden tai lääkkeiden haittavaikutusten arvioimiseen. Siinä terveydenhuoltohenkilökunta vastaa tiedonkeruusta ja raportoinnista eikä siinä aktiivisesti etsitä tietoa tietyistä tapauksista. Esimerkkinä passiivisesta valvonnasta voi toimia rokotuksen estettävissä olevien sairauksien seuranta niin että kansalliset ja kansainväliset päätöksentekijät voivat helpommin tunnistaa mahdollisia vaaratilanteita ja tarpeen tullen järjestää joukkorokotuksia.

Patient Years

The patient year (or person year) statistic is used in many clinical studies and statistical assessments of risk. Patient years are calculated as follows: If 15 patients participated in a study on heart attacks for 20 years, the study would have involved 300 patient years (15 x 20). This number can be divided by the number of patients who have been affected by a certain condition or event. For example, if six of the patients had heart attacks, that would be equal to one heart attack for every 50 patient years in the study (300 / 6 = 50). Looking at data in this way can reveal trends and allows researchers to communicate levels of risk. Many studies on new medicines express their findings using patient years. For example, if one serious side effect is experienced for every 1,000 patient years of a study, this might be considered an acceptable level of risk.

Patient-reported outcome

A patient-reported outcome (PRO) is a measure of the experience or view of a participant in a clinical study. It is not a clinical measure, or an assessment made by anyone else involved in the study. PROs are commonly collected by asking patients to fill in questionnaires, or by interviewing patients. Questionnaires or interview guides used as part of clinical studies should undergo extensive testing to ensure they are reliable and valid. PROs can be used to assess, for example, symptoms as experienced by the patient, disability, quality of life, and other health perceptions. There are many published PRO questionnaires dealing with aspects of quality of life. Some have been developed for specific conditions or treatments. Some are designed to be general, such as the 'EuroQoL' or 'EQ-5D', which has been translated into many languages and used extensively in clinical trials.

Period of Exclusivity

A period of exclusivity refers to a time after a medicine is authorised during which no other similar medicines with the same indications (intended uses) may be authorised. This protects the medicine from competition during the period of exclusivity. There can be several separate market exclusivities relating to designated conditions. The period of market exclusivity is extended by two years for medicines that have also complied with an agreed paediatric investigation plan (PIP).

Potilasvuosi

Potilasvuotta käytetään usein mittarina kliinisissä lääketutkimuksissa sekä riskin tilastollisessa arvioinnissa. Potilasvuosi lasketaan seuraavasti: jos 15 potilasta osallistuu sydänkohtauksia koskevaan tutkimukseen 20 vuoden ajan, tutkimuksessa on mukana yhteensä 300 potilasvuotta (15 x 20). Luku voidaan jakaa niiden potilaiden määrällä, joilla on tutkimuksen aikana esiintynyt tietty ennalta määritelty tapahtuma. Jos esimerkiksi 6 potilaalla on ollut tutkimuksen aikana sydänkohtaus, se vastaa yhtä sydänkohtausta kutakin 50 potilasvuotta kohti (300/6=50). Kun tutkimusdataa katsotaan tällaisesta näkökulmasta, sen avulla voidaan arvioida trendejä ja riskitasoja. Esimerkiksi jos lääketutkimuksessa on 1000 potilasvuotta kohti yksi vakava haittavaikutus, riskitasoa voidaan pitää hyväksyttävänä.

Potilaan raportoitu tulos

Kliinisissä tutkimuksissa potilaita voidaan pyytää raportimaan tiettyjä tutkimukseen liittyviä suureita omasta näkökulmastaan. Tällöin puhutaan potilaan raportoimista tuloksista. Kyseessä ei tällöin ole kliininen suure eikä kenenkään muun henkilön tekemä arviointi. Näitä suureita kerätään potilailta usein erilaisten kyselyiden tai haastattelujen muodossa. Tällaiset kyselyt ja haastattelut tulee validoida huolellisesti ennen niiden käyttämistä. Potilaan raportoitujen tulosten avulla voidaan arvioida esimerkiksi potilaan kokemia oireita, haittoja, elämänlaatua tai muita terveyteen liittyviä havaintoja. Erityisesti elämänlaadun mittaamiseen on kehitetty useita erilaisia potilaalle suunnattuja kyselyitä, joista osa on kehitetty nimenomaan tiettyyn sairauteen tai hoitoon ja osa on yleisempiä. Esimerkiksi yleiseen käyttöön tarkoitettujen 'EuroQoL'- ja 'EQ-5D'-kyselyt on käännetty lukuisille kielille ja niitä käytetään paljon kliinisissä lääketutkimuksissa.

Yksinoikeusjakso

Yksinoikeusjaksoksi kutsutaan sitä ajanjaksoa lääkkeen myyntiluvan myöntämisen jälkeen jona kukaan muu valmistaja ei voi saada myyntilupaa samanlaiselle tuotteelle samaan käyttöaiheeseen. Tämä suojaa lääkettä kilpailulta tämän ajanjakson aikana. Myyntiluvan haltijalla voi olla useita erillisiä markkinayksinoikeuksia samaan aikaan. Markkinayksinoikeutta lisätään kahdella vuodella siinä tapauksessa, että lääkkeelle on tehty pediatrinen tutkimussuunnitelma (Pediatric Investigational Plan, PIP).

Personalised Medicine

Personalised medicine (PM) is a medical model that proposes to customise medical decisions, practices, and treatments for the individual patient. It uses targeted medicines aimed at specific molecules that are involved in the patient's disease and takes genetic, clinical, environmental, and lifestyle information about the patient into account. The aim is to select the best therapies for the individual patient to ensure the best outcome and reduce the risk of side effects. Progress in understanding the link between genomics (and other molecular factors) and disease is an important part of the development of personalised medicine. Pharmaceutical companies are already producing some targeted medicines as a result.

Pharmaceutical form

Pharmaceutical form is the physical characteristics of the combination of active substance and excipients (non-active ingredients) forming a medicinal product (tablet, liquid, capsule, gel, cream, sprays, etc.).

Pharmacodynamics

Pharmacodynamics is the branch of pharmacology that studies what the medicine does to the body. Pharmacodynamics looks at the biological and physiological effects of a medicine, and their mechanisms of action at organ and cellular level.

Pharmacoepidemiology

Pharmacoepidemiology is the study of the uses and effects of medicines in large numbers of people. It provides an estimate of the probability of beneficial effects of a medicine in a population and the probability of adverse effects. It involves continual monitoring of a population for unwanted effects and other safety concerns.

Pharmacogenetics

Pharmacogenetics is the study of individual genetic differences to understand how genes affect a person's response to medicines. Understanding how different genetics affect how a medicine is processed can help doctors to more accurately determine which medicine and which dose is best

Yksilöllistetty terveydenhoito

Yksilöllistetyksi terveydenhoidoksi kutsutaan sellaista lääketieteen mallia, jossa lääketieteelliset päätökset, käytännöt ja hoidot räätälöidään nimenomaan tietyille potilaalle sopiviksi. Siihen voi liittyä tarkkaan kohdistettuja lääkkeitä, joiden vaikutus kohdistuu juuri kyseisen potilaan tautityyppiin ja ottaa huomioon potilaan yksilölliset geneettiset ja kliiniset ominaisuudet, samoin kuin ympäristökijät ja elintavat. Tavoitteena on löytää juuri tietyille potilaalle parhaiten sopiva hoito, jolla saavutetaan parhaat hoitotulokset mahdollisimman vähillä haitoilla. Yksilöllistetyn terveydenhoidon kehityksessä genomien ja sairauden välisen kytköksen ymmärtäminen on avainasemassa. Lääkeyritykset kehittävät jo tällaisia tarkkaan kohdistettuja lääkkeitä joihinkin sairauksiin.

Farmaseuttinen muoto

Farmaseuttisella muodolla tarkoitetaan aktiivisen aineen ja apuaineiden muodostaman kokonaisuuden fyysistä olemuotoa (tabletti, neste, kapseli, geeli, voide, suihke ym.).

Farmakodynamiikka

Farmakodynamiikka on farmakologian haara, joka tutkii sitä, mitä lääkeaine tekee elimistölle. Farmakodynamiikka selvittää lääkeaineen aiheuttamia biologisia ja fysiologisia vaikutusmekanismeja sekä elin- että solutasolla.

Farmakoepidemiologia

Farmakoepidemiologia tutkii lääkkeiden käyttöä ja tehoa suurissa ihmispopulaatioissa. Sen avulla voidaan arvioida lääkkeen positiivisten vaikutusten ja haittavaikutusten todennäköisyyttä isossa väestössä. Farmakoepidemiologiasa tutkittavaa väestöä seurataan jatkuvasti ei-toivottujen haittavaikutusten ja muiden mahdollisten lääketurvallisuuden liittyvien havaintojen osalta.

Farmakogenetiikka

Farmakogenetiikka tutkii yksilötason geneettisiä eroja ja näiden erojen vaikutusta yksilön vasteeseen tiettyyn lääkehoitoon. Genetiikan ja lääkehoidon välisten yhteyksien ymmärtäminen helpottaa oikean lääkkeen ja annostason löytämistä tietyille potilaalle. Farmakogene-

Pharmacogenetics

for each patient according to their response. Pharmacogenetics also helps doctors identify the medicine that best treats a disease and is least likely to cause side effects.

Pharmacogenomics

Pharmacogenomics is the study of entire genomes, across groups of individuals, to identify the genetic factors that influence responses to a medicine. Pharmacogenomics combines traditional pharmaceutical sciences, such as biochemistry, with an understanding of common DNA variations in the human genome.

Pharmacokinetic Study

A pharmacokinetic study is a study of how a medicine is handled by the body, usually measuring the concentration of the medicine in blood, urine, or tissues over time. Pharmacokinetic studies are used to characterise the absorption, distribution, metabolism, and excretion (ADME) of a compound, either in blood or in other locations, and are often employed at the discovery or candidate-selection stages of a medicine development program.

Pharmacokinetics

Pharmacokinetics is the study of what the body does to medicine. It studies the absorption, distribution, metabolism, and excretion of the medicine (ADME), as well as bioavailability. These pharmacokinetic processes, often referred to as ADME, determine concentration of the medicine in the body, and the onset, duration, and intensity of a medicine's effect.

Pharmacology

Pharmacology is the study of medicines, including their characteristics, interactions, and uses, and the biochemical or physiological effect they have on the cell, tissue, organ, or organism.

Pharmacopoeia

A pharmacopoeia is a collection of official standards for pharmaceutical substances and medicinal products. It in-

Farmakogenetiikka

tiikka auttaa lääkäreitä myös tunnistaman lääkkeen, jolla tautia voidaan hoitaa parhaiten ilman vakavia haittavaikutuksia.

Farmakogenomiikka

Farmakogenomiikka tutkii lääkevasteeseen vaikuttavia geneettisiä tekijöitä kokonaisten genomien ja isojen ihmisryhmien avulla. Farmakogenomiikka yhdistää perinteiset farmaseuttiset tieteet kuten biokemian moderniin genetiikkaan, jonka tavoitteena on ymmärtää ihmisen genomien vaihtelua.

Farmakokineettinen tutkimus

Farmakokineettisen tutkimuksen avulla pyritään selvittämään sitä, mitä lääkeaineelle tapahtuu elimistössä. Yleisimmin siinä mitataan lääkeaineen pitoisuutta veressä, virtsassa tai kudoksissa ajan funktiona. Farmakokineettisten tutkimusten avulla määritetään lääkeaineen imeytymistä, jakaantumista, metaboliaa ja erittymistä (ns. ADME) joko veressä tai muissa elimistön osissa. Näitä tutkimuksia tehdään lääkekehityksen eri vaiheissa.

Farmakokinetiikka

Farmakokinetiikka on ala, jonka tehtävänä on selvittää, mitä elimistö tekee lääkeaineelle. Siinä tutkitaan lääkeaineen imeytymistä, jakaantumista, metaboliaa ja erittymistä sekä hyötyosuutta (engl. 'bioavailability'). Nämä farmakokineettiset parametrit (ns. ADME) kuvaavat lääkkeen pitoisuutta elimistössä sekä lääkkeen vaikutusten alkamista, kestoa ja intensiteettiä.

Farmakologia

Farmakologialla tarkoitetaan lääkeaineiden tutkimusta ja siihen sisältyy mm. lääkeaineen ominaisuuksien, yhteisvaikutusten ja käytön tutkimus, sekä lääkeaineen aiheuttamat soluun, kudokseen, elimeen tai kokonaiseen organismiin kohdistuvat biokemialliset tai fysiologiset vaikutukset.

Farmakopea

Farmakopea on lääkeaineiden ja lääkevalmisteiden virallisten määritelmien luettelo. Se sisältää ohjeet lääkkeiden

Pharmacopoeia

cludes directions for the quality control tests to be carried out on medicines and the raw materials used in production. It is a vital reference for individuals and organisations involved in research, development, manufacture, and quality control of medicines. In most countries there is an official pharmacopoeia and all producers of medicines and/or substances for pharmaceutical use must comply with its quality/safety standards. In Europe, the European Pharmacopoeia provides the legal and scientific basis for quality control during development, production and marketing of medicines in European member states.

Pharmacovigilance

Pharmacovigilance is the practice of detecting, assessing, understanding and preventing the adverse effects of medicines. Pharmacovigilance enhances patient safety and public health by providing reliable information on the risks and benefits of medicines.

Phase 0 Trials

Phase 0 trials are conducted with sub-therapeutic doses to see if a medicine behaves in the body in the way that earlier laboratory studies (non-clinical trials) predicted.

Phase I Trials

Normally, the first studies in humans with a new medicine are Phase I trials. Phase I trials are usually conducted in a small number of healthy volunteers (although some trials recruit patients). The aim of Phase I trials is to find out the safe dose range, and to look for any side effects. The initial dose given will be very small, and gradually increased if no or only mild side effects are observed. A new medicine has to meet certain pre-set requirements before it can continue to Phase II trials. Phase I, II, and III trials are commonly known together as 'clinical development'.

Farmakopea

ja niiden valmistuksessa käytettävien raaka-aineiden laadunvarmistustestien tekemiseksi. Se on olennainen tiedonlähde lääketutkimuksessa, -tuotekehityksessä, -valmistuksessa ja lääkkeiden laadunvarmistuksessa työskenteleville henkilöille ja organisaatioille. Useimmissa maissa on virallinen farmakopea ja kaikkien lääkkeiden ja/tai lääkeaineiden valmistajien tulee noudattaa sen laatu- ja turvallisuusvaatimuksia. Euroopassa Eurooppalainen Farmakopea muodostaa laillisen ja tieteellisen pohjan laadunvarmistukselle lääkkeiden tuotekehityksessä, valmistuksessa ja markkinoinnissa Euroopan unionin jäsenmaissa.

Lääketurvatoiminta

Lääketurvatoiminta tarkoittaa toimintaa, jolla havaitaan, arvioidaan, ymmärretään ja estetään lääkkeiden haittavaikutuksia. Lääketurvatoiminta edistää potilaitten turvallisuutta ja yleistä terveyttä tuomalla heidän ulottuvilleen luotettavaa tietoa lääkkeiden riskeistä ja eduista.

O-vaiheen (-faasin) tutkimukset

O-vaiheen tutkimukset tehdään terapeuttisia annoksia alhaisemmillä annoksilla, jotta nähtäisiin käyttäytykö lääke elimistössä samoin kuin aiemmissa laboratoriotutkimuksissa (non-kliinisissä tutkimuksissa) on ennustettu.

I-vaiheen (-faasin) tutkimukset

Normaalisti ensimmäiset ihmisillä tehtävät tutkimukset uudella lääkkeellä ovat I-vaiheen tutkimuksia. I-vaiheen tutkimukset tehdään tavallisesti pienellä määrällä terveitä vapaaehtoisia henkilöitä (tosin joihinkin tutkimuksiin otetaan potilaita). I-vaiheen tutkimusten tarkoituksena on löytää turvallinen vaihteluväli lääkeannokselle, ja havainnoida lääkkeen haittavaikutuksia. Annettava lähtöannos on hyvin alhainen ja sitä nostetaan vähitellen jos havaitaan vain lieviä tai ei ollenkaan haittavaikutuksia. Uuden lääkkeen tulee vastata tiettyjä ennakkoon asetettuja vaatimuksia ennen kuin se voi edetä II-vaiheen tutkimuksiin. I-, II- ja III-vaiheen tutkimuksia kutsutaan yhteisellä nimellä 'kliiniseksi tuotekehitykseksi'.

Phase II Trials

Phase II trials are generally the first studies with a new medicine in patients. They are usually conducted in a small number of patients who are monitored closely. These trials are often larger than Phase I trials. Phase II studies are designed to find out if the medicine has a beneficial effect on the disease in question: They might compare the new medicine to an existing treatment or to a placebo. They also set out to determine the best dose range and how often the medicine should be given, and investigate the best way to manage any side effects. A new medicine has to meet certain pre-set requirements before it can continue to Phase III trials. Phase I, II, and III trials are commonly known as 'clinical development'.

Phase III Trials

Phase III trials are generally large (comprising thousands of patients) and involve several study sites, sometimes in different countries. They compare the new medicine to existing treatments or a placebo, in order to show the safety and efficacy of the new medicine. Most Phase III trials are randomised. Phase I, II, and III trials are commonly known as 'clinical development'. Phase III studies are critical to applications for marketing authorisation

Phase IV Trials

Phase IV trials are usually conducted after marketing authorisation is granted and the medicine is in general use. Phase IV studies are also known as post-authorisation safety studies (PASS) and may be voluntary or imposed by the regulatory authorities. The possibility also exists of requesting the marketing authorisation holder to conduct post-authorisation efficacy studies (PAESs) in order to complement efficacy data that are available at the time of the initial authorisation. Phase IV studies collect additional information about side-effects and safety, long-term risks and benefits, and/or how well the medicine works when used widely.

II-vaiheen (-faasin) tutkimukset

II-vaiheen tutkimukset ovat yleensä ensimmäisiä lääkkeellä tehtäviä tutkimuksia potilailla. Ne tehdään yleensä pienellä määrällä potilaita, joita seurataan tarkasti. Nämä tutkimukset ovat yleensä suurempia kuin I-vaiheen tutkimukset. II-vaiheen tutkimukset on suunniteltu saamaan selville, onko lääkkeellä suotuisa vaikutus kyseiseen sairauteen. Niissä voidaan verrata uutta lääkettä olemassa olevaan hoitoon tai lumelääkkeeseen. Ne suunnitellaan myös saamaan selville paras annoksen vaihteluväli ja kuinka usein lääkettä tulee antaa sekä selvittämään, miten parhaiten hallita mahdolliset haittavaikutukset. Uuden lääkkeen tulee vastata tiettyjä ennakkoon asetettuja vaatimuksia ennen kuin se voi edetä III-vaiheen tutkimuksiin. I-, II- ja III-vaiheen tutkimuksia kutsutaan yhteisellä nimellä 'kliiniseksi tuotekehitykseksi'.

III-vaiheen (-faasin) tutkimukset

II-vaiheen tutkimukset ovat yleensä suuria (käsittävät tuhansia potilaita) ja niissä on mukana useita tutkimuskeskuksia, joskus monissa maissa. Ne vertaavat uutta lääkettä olemassa olevaan hoitoon tai lumelääkkeeseen, jotta voidaan osoittaa uuden lääkkeen turvallisuus ja teho. Useimmat III-vaiheen tutkimukset ovat satunnaistettuja. I-, II- ja III-vaiheen tutkimuksia kutsutaan yhteisellä nimellä 'kliiniseksi tuotekehitykseksi'. III-vaiheen tutkimukset ovat erittäin tärkeitä myyntilupahakemuksissa.

IV-vaiheen (-faasin) tutkimukset

IV-vaiheen tutkimukset tehdään yleensä myyntiluvan myöntämisen jälkeen kun lääke on yleisessä käytössä. IV-vaiheen tutkimukset tunnetaan myös nimellä Myyntiluvan myöntämisen jälkeiset turvallisuustutkimukset (PASS-tutkimukset) ja ne voivat olla vapaaehtoisesti tehtäviä tutkimuksia tai viranomaisten edellyttämiä tutkimuksia. On myös mahdollista vaatia myyntiluvan haltijaa tekemään Myyntiluvan myöntämisen jälkeisiä tehotutkimuksia (PAES-tutkimukset) täydentämään tietoja tehosta, joka on ollut saatavilla alkuperäisen myyntiluvan myöntämishetkellä. IV-vaiheen tutkimuksissa kerätään lisätietoa sivuvaikutuksista ja turvallisuudesta, pitkäaikaisista riskeistä ja eduista, ja/tai kuinka hyvin lääke toimii laajassa käytössä.

Pivotal Study

A pivotal study is normally a Phase III study of a new intervention which is designed to provide the necessary data for a decision by a regulatory agency. For example, the European Medicines Agency (EMA) requires specific safety and efficacy information about new medicines before it can issue a marketing authorisation. A pivotal study will be conducted to Good Clinical Practice standards. It will generally be randomised and controlled (an RCT). It will be of adequate size and, whenever possible, double-blind.

Placebo

In clinical trials, a placebo is a medicine that contains no active ingredients. Placebos have no known medical effects. The 'placebo effect' is a benefit or side effect perceived by patients taking a placebo, despite the fact that no medicine is involved.

Placebo-controlled

A placebo-controlled trial is one in which a new medicine is tested against a placebo - a medicine that contains no active ingredients. In placebo-controlled trials, people are assigned to a group (treatment arm) that receives the medicine, or a group that receives the placebo. This is one way to improve the chances that any benefit experienced by the treatment group receiving the medicine is due to the active ingredient in that medicine rather than some other factor.

Plasma

Plasma is the fluid part of blood. It contains cells, gases, proteins, enzymes, etc. Unlike blood, plasma is yellow.

Population

A population is a group of people who share a common trait. For example, they might have a certain disease of interest to researchers, have the same educational background or type of job, or they might live in a particular region.

Pivotaalitutkimus

Pivotaalitutkimus on yleensä uuden intervention (lääkehoidon) III-vaiheen tutkimus, joka on suunniteltu tuottamaan tietoa, jota lääkevalvontaviranomainen tarvitsee päätöksentekoaan varten. Esimerkiksi Euroopan lääkevirasto (EMA) edellyttää tiettyjä turvallisuus- ja tehotietoja uudesta lääkkeestä ennen kuin se voi antaa myyntiluvan. Pivotaalitutkimus tehdään noudattaen hyvää kliinistä tutkimustapaa (GCP). Se on yleensä satunnaistettu ja kontrolloitu (nk. RCT-tutkimus). Sen tulee olla riittävän kokoinen ja, jos mahdollista, kaksoissokkoutettu.

Lumelääke

Kliinisessä lääketutkimuksessa lumelääke on lääke, joka ei sisällä vaikuttavaa ainetta. Lumelääkkeillä ei ole tunnettuja lääkinnällisiä vaikutuksia. 'Lumevaikutus' on joko etu tai haittavaikutus, jonka lumelääkettä käyttävä potilas tuntee siitä huolimatta, ettei mitään vaikuttavaa ainetta ole mukana.

Lumelääkekontrolloitu

Lumelääkekontrolloitu tutkimus on tutkimus, jossa uutta lääkettä verrataan lumelääkkeeseen – lääkkeeseen ilman vaikuttavaa ainetta. Lumelääkekontrolloidussa tutkimuksessa henkilöt jaetaan ryhmään, joka saa lääkettä tai ryhmään, joka saa lumelääkettä. Tällä pyritään parantamaan mahdollisuuksia havainnoida aktiivista lääkettä saavien henkilöitten kokemia etuja, jotka aiheutuvat lääkkeestä itsestään eivätkä jostain muusta syystä.

Verineste (plasma)

Verineste on veren nestemäinen osa. Se muodostuu soluista, kaasusta, valkuaisaineista, entsyymeistä jne. Toisin kuin veri, verineste on keltaista.

Kanta (populaatio)

Kanta eli populaatio on ryhmä ihmisiä, jotka jakavat jonkun yhteisen piirteen. Esimerkiksi heillä voi olla tietty sairaus, joka kiinnostaa tutkijoita, sama koulutustausta tai ammatti tai he voivat asua samalla alueella.

Population pharmacokinetics

Population pharmacokinetics is the study of variability in the Absorption, Distribution, Metabolism, and Excretion (ADME) of a medicine between individuals (healthy volunteers or patients). In order to understand how individuals from a population differ from one another, it is necessary to perform population pharmacokinetic analysis.

Post Authorisation Safety Study (PASS)

A post authorisation safety study is a study carried out after a medicine has been given a marketing authorisation. Its purpose is to obtain further safety information or to assess how well risk-management measures are working. The information from a post authorisation safety study is used in regulatory decision making. A post authorisation safety study might be a clinical trial or a non-interventional study, and can be created voluntarily by the MAH, or can be required by the regulator ('imposed'). The Pharmacovigilance Risk Assessment Committee (PRAC) at the European Medicines Agency (EMA) is responsible for assessing the protocols of imposed studies and for assessing the studies' results. The EMA publishes the protocols and abstracts of the final study reports online.

Post marketing

Post marketing refers to the period after a medicine has been granted marketing authorisation and is available for general use.

Post-authorisation efficacy study (PAES)

A post-authorisation efficacy study may be voluntary or imposed by regulatory authorities. Post-authorisation efficacy studies take place after marketing authorisation is granted and the medicine is in general use. They are Phase IV studies, intended to complement efficacy data that are available at the time of the initial authorisation, and gather long-term data about how well the medicine works when used widely.

Populaatiofarmakokinetiikka

Populaatiofarmakokinetiikka on lääkkeen imeytymisen, jakautumisen, hajoamisen ja erittymisen vaihtelun tutkimista yksilöissä (terveet vapaaehtoiset tai potilaat). Sen ymmärtämiseksi, miten yksilöt tietyssä ryhmässä eroavat toisistaan, on tarpeellista suorittaa populaatiofarmakokineettisiä analyysejä.

Myyntiluvan myöntämisen jälkeinen turvallisuustutkimus (PASS)

Myyntiluvan jälkeinen turvallisuustutkimus on tutkimus, joka tehdään sen jälkeen, kun lääkkeelle on myönnetty myyntilupa. Sen tarkoituksena on kerätä lisää turvallisuustietoa tai arvioida kuinka hyvin riskinhallinnan mittaukset toimivat. Myyntiluvan jälkeisestä turvallisuustutkimuksesta saatavaa tietoa käytetään apuna viranomaisten päätöksenteossa. Myyntiluvan jälkeinen turvallisuustutkimus voi olla kliininen lääketutkimus tai ei-interventiotutkimus, ja sen voi teettää myyntiluvan haltija vapaaehtoisesti tai viranomaisen voi edellyttää sen tehtäväksi ('vaatimus'). Euroopan lääkintäviranomaisen Lääketurvallisuuden riskinarviointi komitea (PRAC) on vastuussa arvioimaan tutkimussuunnitelmat säädetyille tutkimuksille ja arvioimaan tutkimusten tulokset. Euroopan lääkintäviranomaisen julkaisee tutkimussuunnitelmat ja tutkimusraporttien yhteenvedot ajantasaisesti.

Myyntiluvan jälkeinen

Myyntiluvan jälkeinen viittaa aikaan, jolloin lääkkeelle on myönnetty myyntilupa ja se on yleisesti käytössä.

Myyntiluvan myöntämisen jälkeinen tehotutkimus (PAES)

Myyntiluvan myöntämisen jälkeinen tehotutkimus voi olla joko vapaaehtoinen tai viranomaisten edellyttämä. Myyntiluvan myöntämisen jälkeinen tehotutkimus tehdään, kun myyntilupa on myönnetty ja kun lääke on yleisesti käytössä. Tutkimukset ovat IV-vaiheen tutkimuksia, täydentämään tietoja lääkkeen tehosta, joka on ollut saatavilla alkuperäisen myyntiluvan myöntämishetkellä ja keräämään pitkäaikais-tietoa siitä kuinka hyvin lääke toimii laajassa käytössä.

Post-marketing surveillance study

A post-marketing surveillance study (PMS study), also known as a Phase IV study, may be voluntary or imposed by the regulatory authorities. They are conducted after marketing authorisation is granted and the medicine is in general use. Post-marketing surveillance studies collect additional information about side-effects and safety, long-term risks and benefits, and/or how well the medicine works when it is used widely.

Potential risk

An unexpected event for which there is suspicion of an association with a medicinal product, but where this association has not been confirmed. Some examples are: toxicological findings seen in non-clinical safety studies which have not been observed in clinical studies; adverse events observed in clinical trials or epidemiological studies for which the difference compared with the control group raises a suspicion of an association, but is not large enough to suggest a causal relationship; a signal arising from a spontaneous adverse reaction reporting system; an event associated with other active substances within the same class or which could be expected to occur based on the similar properties of the medicinal product.

Predictive genetic test

A predictive genetic test is a genetic test in a person without symptoms to predict future risk of disease. This testing allows early identification of individuals at risk of a specific condition, which can lead to reduced risk through targeted screening and prevention. For example, a woman who is found to have a BRCA1 or BRCA2 gene is at increased risk of breast cancer. She might be offered regular breast screening, or even preventative surgery, to help reduce her risk. The value of a predictive test depends on the nature of the disease for which testing is being carried out, how effective treatment is, and the cost and efficacy of screening and surveillance measures.

Myyntiluvan myöntämisen jälkeinen tarkkailututkimus

Myyntiluvan myöntämisen jälkeinen tarkkailututkimus (PMS-tutkimus), joka myös tunnetaan nimellä IV-vaiheen tutkimus, voi olla vapaaehtoinen tai viranomaisten edellyttämä. Ne tehdään kun myyntilupa on myönnetty, ja kun lääke on yleisesti käytössä. Myyntiluvan myöntämisen jälkeiset tarkkailututkimuksissa kerätään lisätietoja sivuvaikutuksista ja turvallisuudesta, pitkäaikaiskäytön riskeistä ja eduista ja siitä, kuinka hyvin lääke toimii laajassa käytössä.

Mahdollinen (potentiaalinen) riski

Odottamaton tapahtuma, jonka voidaan epäillä olevan yhteydessä lääkevalmisteeseen, mutta tätä yhteyttä ei ole varmistettu. Joitain esimerkkejä: toksikologiset löydökset, jotka on havaittu non-kliinisissä turvallisuustutkimuksissa, mutta joita ei ole havaittu kliinisissä tutkimuksissa; kliinisissä tai epidemiologisissa tutkimuksissa havaitut haittatapahtumat, joiden esiintyvyys verrattuna vertailuryhmään herättää epäilyn mahdollisesta yhteydestä lääkevalmisteeseen, mutta joiden esiintyvyys ei ole riittävän suuri vahvistamaan tämän yhteyden; haittatapahtumien raportointijärjestelmästä nouseva signaali; saman lääkeriikkeen lääkkeeseen liittyvä tapahtuma tai tapahtuma, jonka voidaan arvella tapahtuvaksi perustuen lääkevalmisteen samankaltaisiin ominaisuuksiin.

Ennustava geenitesti

Ennustava geenitesti on geenitesti henkilöllä, jolla ei ole sellaisia oireita, jotka voisivat ennustaa tulevaisuuden riskiä sairastua tiettyyn sairauteen. Tämän testauksen avulla riskihenkilöt voidaan tunnistaa aikaisessa vaiheessa ja suunnatulla seulonnalla ja estotoimilla voidaan alentaa heidän sairastumisriskiään. Esimerkiksi naisella, jonka todetaan kantavan BRCA1- tai BRCA2-geeniä, on suurentunut riski sairastua rintasyöpään. Hänelle voidaan tarjota säännöllistä rintojen seulontatutkimusta tai jopa ennaltaehkäisevää leikkausta vähentämään hänen sairastumisriskiään. Ennustavien testien merkitys riippuu testattavan sairauden laadusta, siitä miten tehokasta hoito on sekä seulonnan että tarkastusten hinnasta ja tehosta.

Predictive Medicine

Predictive medicine is a field of medicine that predicts the probability of disease. When an individual is predicted to have a high risk of a disease, preventive measures can be started in order to either prevent the disease altogether or significantly decrease its impact upon the patient. Preventive measures might be lifestyle modifications and/or increased monitoring by healthcare professionals. Predictive medicine changes medicine from being reactive to being proactive, and has the potential to extend healthy lifetimes and to prevent disease. As yet it is not possible to predict with 100% certainty that a specific disease will occur. Predictive genetic testing is one of the key approaches in predictive medicine.

Predisposed

Someone who is predisposed to a disease is more likely than other people to develop the disease in the future. For example, someone who is genetically predisposed to develop Alzheimer's has a genetic makeup that increases their risk of developing this disease. A predisposition will not in itself cause the disease, but the disease may eventually be triggered by particular environmental or lifestyle factors, such as tobacco smoking or diet. Genetic testing is able to identify individuals who are genetically predisposed to certain diseases.

Prevalence

Prevalence is the proportion of a population found to have a condition (typically a disease or a risk factor such as smoking). It is calculated by comparing the number of people found to have the condition with the total number of people studied, and is usually expressed as a fraction (for example, $1/3$), as a percentage (%) or as the number of cases per 10,000 or 100,000 people. Prevalence can be measured at a particular point in time (point prevalence), or over a specified period such as a year (period prevalence).

Probability

Probability is the measure of the likelihood that a particular event will occur. Probability is quantified as a number between 0 and 1 (where 0 indicates impossibility and 1 indicates certainty). The higher the probability of an event, the more certain we are that the event will occur. A

Ennustava lääketiede

Ennustava lääketiede on lääketieteen ala, joka ennustaa sairauksien todennäköisyyttä. Kun henkilöllä on ennustettu olevan suuri riski sairastua tiettyyn sairauteen, estotoimet voidaan aloittaa joko estämään sairastuminen tai merkittävästi alentamaan sairauden vaikutuksia potilaalle. Estotoimet voivat olla elämäntapamuutoksia ja/tai lisättyä terveydenhuoltohenkilökunnan tekemää seuranta. Ennustava lääketiede muuttaa hoidon reagoivasta ennakkoivaksi ja sillä on mahdollista kasvattaa terveitä elinvuolia ja ehkäistä sairauksia. Vielä ei ole täysin mahdollista ennustaa 100% todennäköisyydellä tietyn taudin puhkeamista. Ennustava geenitesti on yksi olennainen ennustavan lääketieteen toimintatavoista.

Alttius

Henkilön, jolla on alttius jollekin sairaudelle, on todennäköisempää kuin muiden saada tulevaisuudessa kyseinen sairaus. Esimerkiksi, jos henkilöllä on geneettinen alttius saada Alzheimerin tauti, hänellä on sellainen geneettinen rakenne, joka lisää hänen riskiään saada kyseinen sairaus. Alttius ei itsessään aiheuta sairastumista, mutta sairaus voi lopulta puhjeta tiettyjen ympäristötekijöiden vaikutuksesta, kuten tupakoinnin tai tietyn ruokavalion aiheuttamana. Geenitestauksella voidaan tunnistaa henkilöt, joilla on geneettinen alttius saada joku tietty sairaus.

Esiintyvyys

Esiintyvyys tarkoittaa sitä osuutta jostakin ryhmästä (populaatiosta), jolla on tietty tila (tyypillisesti sairaus tai jokin riskitekijä kuten tupakointi). Se lasketaan vertaamalla niitten henkilöitten määrää, joilla on kyseinen tila kaikkien tutkittujen henkilöitten määrään ja esitetään yleensä murtolukuna (esimerkiksi $1/3$), prosenttilukuna (%) tai tapausten määränä 10 000 tai 100 000 henkilöä kohti. Esiintyvyys voidaan mitata tietyn ajanjaksona (ajankoh-taesiintyvyys) tai tietyn ajanjakson aikana kuten vuodessa (ajanjaksoesiintyvyys).

Todennäköisyys

Tilastotieteessä todennäköisyys on numero välillä 0 ja 1 (jossa 0 tarkoittaa mahdotonta ja 1 ehdottomasti tapahtuvaa). Mitä korkeampi tapahtuman todennäköisyys on sitä varmempi olemme siitä, että se oikeasti tapahtuu. Yksinkertainen esimerkki on kolikon heitto. Koska molem-

Probability

simple example is the toss of a fair (unbiased) coin. Since the two outcomes are equally probable, the probability of 'heads' is equal to the probability of 'tails'. Therefore, the probability of either 'heads' or 'tails' is $1/2$ (or 50%).

Proof of concept

A proof of concept (POC) trial is one type of trial carried out early in the clinical development phase of a medicine (in humans). Phase II trials usually begin with a proof of concept trial, which aims to show that the medicine interacts with its intended target and affects the disease in question.

Proportion

A part, share, or number considered in comparative relation to a whole, expressed as a fraction (ratio) or percentage. For example, in epidemiology, the number of people who have a disease compared with the total number of people studied.

Prospective Cohort Study

In a prospective cohort study, groups of people are identified before they show any signs of disease and are followed up over time. Alternatively, in retrospective cohort studies, data is used that has already been collected (possibly over a long period of time) for other purposes. Cohort studies are one type of observational study, in which the researcher does not perform any intervention (such as administering a medicine). Cohort studies are useful when it would be unethical to carry out a randomised controlled trial (RCT). For example, it would be unethical to deliberately expose people to cigarette smoke or asbestos.

Prospective meta-analysis

A prospective meta-analysis uses only trials that have been identified and selected before their results are known. This avoids some of the problems of meta-analyses. Usually, meta-analyses are performed when individual trials have finished. However, collecting studies after their completion can lead to statistical problems. For example,

Todennäköisyys

mat kaksi lopputulosta ovat yhtä todennäköisiä, todennäköisyys että tulee 'kruuna' on yhtä todennäköinen kuin että tulee 'klaava'. Niinpä todennäköisyys sekä 'kruunalle' että 'klaavalle' on $1/2$ (tai 50%).

Periaatteen toimivuuden osoittaminen

Periaatteen toimivuuden osoittava tutkimus (POC) on yhdentyyppinen alkuvaiheen kliinisen lääkekehityksen aikana tehtävä tutkimus (ihmisillä). II-vaiheen tutkimukset yleensä alkavat periaatteen toimivuuden osoittavalla tutkimuksella, jonka tarkoituksena on osoittaa, että lääke vaikuttaa ajateltuun kohteeseensa ja kyseessä olevaan sairauteen.

Osuus

Osa tai määrä, joka on verrannollisessa suhteessa kokonaisuuteen ja joka esitetään murtolukuna (suhdelukuna) tai prosenttina. Esimerkiksi epidemiologiassa se määrä henkilöitä, joilla on tietty sairaus verrattuna kaikkien tutkittujen henkilöitten määrään.

Ennakoivat kohorttitutkimukset

Ennakoivassa kohorttitutkimuksessa henkilöryhmät (kohortit) valitaan ennen sairauden oireiden ilmestymistä ja henkilöitä seurataan määrätty ajanjakso. Vaihtoehtoisesti takautuvissa (retrospektiivisissä) kohorttitutkimuksissa käytetään tietoja, joita on jo kerätty (mahdollisesti pitkän ajan kuluessa) muihin tarkoituksiin. Kohorttitutkimukset ovat yhden tyyppisiä havainnoivia tutkimuksia, joissa ei tehdä mitään interventiota (kuten anneta tiettyä lääketä). Kohorttitutkimukset ovat hyödyllisiä silloin, kun olisi epäeettistä tehdä satunnaistettu kontrolloitu tutkimus. Esimerkiksi olisi epäeettistä altistaa henkilöitä tupakan savulle tai asbestille.

Ennakoiva meta-analyysi

Ennakoivassa meta-analyysissä käytetään vain tutkimuksia, jotka on tunnistettu ja valittu jo ennen kuin niiden tulokset ovat selvillä. Tällä vältetään joitain meta-analyysien tyyppisiä ongelmia. Yleensä meta-analyysit tehdään tuloksista, jotka ovat peräisin jo loppuun saatetuista tutkimuksista. Kuitenkin tällaisten tutkimusten tulosten yhdis-

Prospective meta-analysis

if a meta-analysis is carried out because of knowledge of a particular positive trial result, this can influence how other studies are chosen for the meta-analysis and cause bias in the analysis. This is why prospective meta-analyses are performed.

Proteome

The word 'proteome' is derived from 'Proteins expressed by a genome'. It refers to the entire set of proteins expressed and modified by a specific cell, tissue, or organism at a certain time, under defined conditions. The proteome changes constantly in response to intra- and extracellular environmental signals; health or disease; stage of cell development; and effects of medicinal treatments. Thus, the human body may contain more than 2 million different proteins, each having different functions such as cell reproduction, growth, development, and defence against disease. In addition, each protein can undergo a variety of modifications that further influence its shape and function. Researchers are working on developing a map of the human proteome – much like that of the human genome – that identifies novel protein families and interactions.

Proteomic Marker

A proteomic marker is one type of biological marker, or biomarker. The term is often used interchangeably with 'protein marker' and is a protein, or set of proteins, used as a biomarker.

Proteomics

Proteomics is a branch of biotechnology that applies the techniques of molecular biology, biochemistry, and genetics to study proteins, how they are modified, their structure, function, and interactions with one another. The goal of proteomics is to obtain a more global and integrated view of biology by studying all the proteins of a cell or tissue rather than each protein individually. Study methods include looking at protein-protein interaction, protein modifications, protein function, and protein localisation.

Ennakoiva meta-analyysi

täminen tutkimusten päättymisen jälkeen voi aiheuttaa tilastollisia ongelmia. Esimerkiksi jos meta-analyysi tehdään, koska tietyn tutkimuksen tulos on ollut positiivinen, tämä voi vaikuttaa siihen, mitä muita tutkimuksia meta-analyysiin valitaan ja tämä voi vääristää tulosten tulkintaa. Tämän estämiseksi tehdään ennustavia meta-analyysijä.

Proteomi

Sana 'proteomi' on johdettu englanninkielien sanoista 'proteins expressed by a genome', genomien säätelemä proteiinien ilmentyminen. Tämä viittaa kokonaiseen joukkoon proteiineja, joiden ilmentymistä ja säätelyä ohjaavat tietyt solut, kudokset tai organismit tietyssä ajassa olosuhteissa. Proteomi muuttuu jatkuvasti vasteena solun sisäisiin ja ulkoisiin ympäristön signaaleihin; terveyteen tai sairauteen; solun kehitysasteeseen ja lääketoimenpiteiden vaikutuksiin. Ihmisen keho voi käsittää yli kaksi miljoonaa erilaista proteiinia, joilla jokaisella on erilainen tehtävä, kuten esimerkiksi solun lisääntyminen, kasvu, kehittyminen ja taudin vastustuskyky. Lisäksi kukin proteiini voi käydä läpi lukuisia muutoksia, jotka edelleen vaikuttavat sen muotoon ja toimintaan. Tutkijat työskentelevät ihmisen proteomikartan kehittämisen parissa – vastaavanlaisen kuin geenikartta – joka yksilöi uusia proteeiniperheitä ja niiden välisiä yhteyksiä.

Proteomimarkkeri

Proteomimarkkeri on erään tyyppinen biologinen markkeri, tai biomarkkeri. Termiä käytetään usein vastaamaan proteiinimarkkeria ja se on biomarkkerina käytetty proteiini tai joukko proteiineja.

Proteomiikka

Proteomiikka on joukko biotekniikoita, joita sovelletaan molekyylibiologiassa, biokemiassa ja genetiikassa tutkittaessa proteiineja, sitä miten niitä on muokattu, niiden rakennetta, toimintaa ja niiden vuorovaikutusta toistensa kanssa. Proteomiikan tavoitteena on hankkia laajempaa ja kokonaisvaltaisempaa kuvaa biologiasta tutkimalla solun tai kudoksen kaikkia proteiineja sen sijaan, että tutkitaisiin yksittäisiä proteiineja. Tutkimuksessa käytettävät menetelmät käsittävät proteiinien vuorovaikutusten, muunnosten, toiminnan ja sijainnin tutkimista.

Protocol

The protocol of a clinical trial is a document that contains: The objectives (aims) of the trial The trial design, including: How participants will be selected; How many participants are needed; What measurements and end-points will be used; and How bias will be minimised How the safety of people taking part, and the privacy of their data, will be ensured How the data will be analysed How the study will be reported. The protocol is of critical importance to the conduct of a clinical trial; it is referred to frequently throughout the trial and the medicines development process as a whole.

PSUR

A Periodic Safety Update Report (PSUR) is EU terminology for a Periodic Benefit Risk Evaluation Report (PBRER). It is produced by the marketing authorisation holder (the individual or business that is granted authorisation to market a medicine) at defined time points after a medicine has been given marketing authorisation. The purpose of the report is to provide comprehensive and up to date information about the safety of a medicine. The report should summarise any new evidence on safety, efficacy and effectiveness that might affect the balance of risks and benefits. The PSUR communicates about risk to regulatory authorities and identifies where risk management initiatives may be required.

Psychotropic

Psychotropic substances affect brain function and alter mood, behaviour, consciousness or perception.

Public health impact

An examination of how a health intervention (e.g. treatment, procedure, policy, etc.) might have broader implications for the health of a population. For example, a new therapy to treat HIV/AIDS may reduce the rate of HIV transmission within a community.

Tutkimussuunnitelma

Kliinisen lääketutkimuksen tutkimussuunnitelma sisältää tutkimuksen tavoitteet, kuvauksen tutkimuksesta mukaan lukien sen, miten tutkittavat valitaan tutkimukseen; kuinka monta osallistujaa tutkimukseen tarvitaan; mitä mittauksia ja päätetapahtumia käytetään ja kuinka vääristymiä minimoidaan, miten tutkimukseen osallistuvien turvallisuudesta ja heidän tietosuojastaan huolehditaan, miten tutkimustulokset analysoidaan ja miten tutkimustulokset raportoidaan. Tutkimussuunnitelma on ensisijaisen tärkeä osa tutkimuksen suorittamista. Siihen viitataan koko tutkimuksen ja koko lääkekehityksen suorittamisen ajan.

Määräaikainen turvallisuuskatsaus (PSUR)

Määräaikainen turvallisuuskatsaus (PSUR) on EU:n käsitteistössä sama asia kuin Jaksottainen hyöty-riski-arviointi raportti (PBRER). Sen laatii lääkkeen myyntiluvan haltija (yksityishenkilö tai yritys, jolle on myönnetty lääkkeen myyntilupa) tiettyinä ajankohtina lääkkeen myyntiluvan myöntämisestä lähtien. Raportin tarkoituksena on antaa kokonaisvaltainen ja päivitetty tieto lääkkeen turvallisuudesta. Raportissa vedetään yhteen kaikki uusi osoitus lääkkeen turvallisuudesta, tehosta ja vaikuttavuudesta, jotka voivat vaikuttaa riskien ja hyötyjen tasapainoon. PSUR antaa viranomaisille tietoa lääkkeen riskeistä ja yksilöi sen, missä riskinhallintaa saatetaan tarvita.

Psykotrooppinen

Psykotrooppiset aineet vaikuttavat aivotointoihin ja muuttavat mielialaa, käyttäytymistä, tajuntaa ja hahmotuskykyä.

Kansanterveydellinen vaikutus

Sen tutkiminen, miten terveysinterventiolla (esimerkiksi hoidolla, toimenpiteellä, toimintatavalla jne) voi olla laajempia vaikutuksia populaation terveyteen. Esimerkiksi uusi HIV/AIDSin hoitamisessa käytettävä lääke voi vähentää HIV-tartuntoja yhteisössä.

Publication Bias

Publication bias occurs when one type of study result is more likely to be published than another. For example, publishing results of studies that show a new treatment provides significant benefits, but not always publishing studies that show less or no benefit, will lead to publication bias. The effect is to exaggerate the benefit of the new treatment. Methods exist to help address publication bias. For example, there are public databases where clinical trials can be registered before they begin. Thus, all the registered trials are known, including those that eventually demonstrate no significant benefit from the study treatment. Researchers are encouraged to register their trials because, for example, certain high-profile medical journals insist that they will only publish trials previously registered on a public database.

Julkaisuharha

Julkaisuharha tapahtuu kun yhden tyyppisiä tutkimustuloksia julkaistaan todennäköisemmin kuin toisia. Esimerkiksi voidaan julkaista tutkimustuloksia, joissa uusi lääkehoito tuottaa merkittäviä hyötyjä, mutta olla julkaisematta tuloksia, joissa havaitaan vähemmän tai ei ollenkaan hyötyjä; tämä johtaa julkaisuharhaan ja saa aikaan uuden lääkehoidon hyötyjen liioittelun. On olemassa menetelmiä, joilla julkaisuharhaa voidaan hallita. On olemassa esimerkiksi julkisia tietokantoja, joihin kliiniset lääketutkimukset rekisteröidään ennen kuin ne alkavat. Siten kaikki rekisteröidyt tutkimukset ovat yleisessä tiedossa, mukaan lukien ne, joissa ei lopulta saada osoitetuksi merkittävää hyötyä tutkimuslääkkeestä. Tutkijoita kannustetaan rekisteröimään tutkimuksensa koska esimerkiksi tietyt arvostetut lääketieteelliset julkaisut edellyttävät, että niissä julkaistut tutkimukset on rekisteröity julkiseen tietokantaan.

Q

QALY

The quality-adjusted life year (QALY) is a measure in health economics. It expresses the additional number of years which a person lives as a result of receiving a treatment, and takes into account the quality of life of those years. It does this by measuring how important various factors are to patients, such as symptoms, pain, and psychological health. The calculation of QALYs is a common approach used by health technology assessment (HTA) bodies, which advise about the 'usefulness' of treatments and, in some countries, about whether treatments should be funded by (for example) government health departments.

Quality Control (QC)

Quality Control (QC) is part of the system of ensuring high standards during research, trials and production for medicines. Each step of medicines development and production is managed under a Quality Management (QM) system. The standards required are known as the Quality Assurance (QA) system, whereas QC is the method used to ensure the standards are met at each step. Quality ma-

Laatupainotteinen elinvuosi (QALY)

Laatupainotteinen elinvuosi (QALY) on terveystaloustieteen termi. Se kuvaa lisäelinvuosien määrää, jotka henkilö elää hänelle annetun hoidon ansiosta, ottaen huomioon noiden elinvuosien elämänlaadun. Tämä tehdään mittaamalla sitä, miten merkityksellisenä henkilö pitää erilaisia tekijöitä, esimerkiksi oireita, kipua ja henkistä terveydentilaa. Terveystieteiden menetelmien arvioinnin (HTA) runkona käytetään yleisesti laatupainotteista elinvuosien laskentaa. Tällä ohjataan hoitojen 'hyödyllisyyttä' ja joissakin maissa sitä tulisiko esimerkiksi julkisen terveydenhuollon huolehtia hoidon kustannuksista.

Laadunvalvonta (QC)

Laadunvalvonta on osa järjestelmää, jolla pyritään varmistamaan lääkkeisiin liittyvän tutkimuksen ja tuotannon korkeat standardit (tasot). Jokaista lääkekehityksen ja -tuotannon vaihetta hallinnoidaan laadunvalvontajärjestelmän alaisuudessa. Tarvittavat standardit tunnetaan nimellä laadunvarmistusjärjestelmä (QA), kun taas laadunvalvonta on menetelmä, jota käytetään varmistamaan,

Quality Control (QC)

Management for clinical research is known as Good Clinical Practice (GCP).

Laadunvalvonta (QC)

että standardeja on noudatettu joka vaiheessa. Kliinisissä lääketutkimuksissa käytetty laadunvalvontajärjestelmä on hyvä kliininen tutkimustapa (GCP).

Quality of Life (QoL)

Quality of Life (QoL) is a measure in health economics. It expresses the effect of factors such as symptoms, pain, psychological health, and wellbeing on people's lives. Health-related quality of life (HRQoL) measures are used to calculate the likely impact of treatments on the lives of patients.

Elämänlaatu

Elämänlaatu on terveystaloustieteen termi. Sitä käytetään kuvaamaan erilaisten tekijöiden, esimerkiksi oireiden, kivun, henkisen terveydentilan ja hyvinvoinnin vaikutusta henkilöiden elämään. Terveysriippuvaiseen elämänlaatuun liittyviä mittareita käytetään usein laskettaessa hoitojen todennäköistä vaikutusta potilaiden elämään.

Qualitative Study

Qualitative studies are based on collecting information that describes people's perspectives and motivations. Unlike quantitative studies, they do not try to quantify anything or use statistics. A qualitative study might use focus groups, or interviews or observation, or a combination of methods. Sample sizes (the number of people recruited to take part) are more difficult to predict, and are often smaller than in quantitative studies. Qualitative researchers will often analyse their data as they go along, and stop looking for new people to take part when no new insights are being found. Qualitative researchers do not assume that they know what the important issues are. Often it is not until the research is underway that the real issues are identified. Therefore, qualitative methods are general designed to give participants the freedom to raise issues that are important to them.

Laadullinen (kvalitatiivinen) tutkimus

Laadulliset tutkimukset perustuvat henkilöiden näkemyksistä ja motivaatioista kertovien tietojen keräämiseen. Toisin kuin kvantitatiivisissa (määrää mittavissa) tutkimuksissa, niissä ei pyritä mittaamaan mitään tai käytetään tilastollisia menetelmiä. Laadullisissa tutkimuksissa käytetään kohdennettuja ryhmiä tai kyselyjä tai havainnointia, tai näiden yhdistelmiä. Otokokoja (tutkimukseen osallistuvien henkilöiden lukumäärä) on vaikeampi ennakoita ja määrät ovat usein pienempiä kuin kvalitatiivisissa tutkimuksissa. Laadulliset tutkijat analysoivat usein tuloksia jo tutkimuksen kuluessa ja lopettavat uusien henkilöiden seurannan kun uutta tietoa ei enää löydy. Laadulliset tutkijat eivät oletta tietävänsä, mitkä asiat ovat tutkittaville tärkeitä. Usein vasta tutkimuksen kuluessa merkitykselliset asiat selviävät. Siksi laatua mittavat menetelmät on yleensä suunniteltu siten, että osallistujilla on mahdollisuus nostaa esiin heidän mielestään tärkeät asiat.

Quantitative Study

A quantitative study aims to measure and quantify, and uses statistical methods to analyse data. Unlike qualitative studies, they do not collect information about people's perspectives and motivations.

Määrällinen (kvantitatiivinen) tutkimus

Määrällinen tutkimus tähtää mittaamaan ja kvantitoimaan ja käyttää tulosten analysoinnissa tilastollisia menetelmiä. Toisin kuin kvalitatiivisissa tutkimuksissa, niissä ei kerätä tietoja henkilöitten näkemyksistä ja motivaatioista.

Quasi-randomised trial

A quasi-randomised trial is one in which participants are allocated to different arms of the trial (to receive the study medicine, or placebo, for example) using a method of allocation that is not truly random. Allocation might be based on date of birth, medical record number, or the order in which people were recruited (for example, every other person might be allocated to the placebo group). With quasi-randomisation there is a greater risk that the investigator will be aware of which participant is in which group. There is therefore a risk of selection bias.

Näennäissatunnaistettu tutkimus

Näennäissatunnaistettu tutkimus on tutkimus, jossa osallistujat jaetaan eri ryhmiin (esimerkiksi saamaan tutkimusvalmistetta tai lumelääkettä) käyttämällä ryhmittelyn perusteena menetelmää, joka ei ole puhtaasti satunnainen. Ryhmittely voi perustua syntymäaikaan, terveystietojen numeron, tai siihen, missä järjestyksessä henkilöt tulevat mukaan tutkimukseen (esimerkiksi joka toinen henkilö ryhmitellään lumelääkeryhmään). Näennäissatunnaistamisella on suurempi riski siihen, että tutkija tietää missä ryhmässä kukakin osallistuja on. Tämän takia valintatarhaan on suuri riski.

R

Randomisation

Randomisation is a method of allocating or selecting without using any system. It is purely random. In clinical trials, participants are generally allocated to different arms of the trial (for example, to receive the study medicine or the placebo) randomly. This is a key part of the randomised controlled trial (RCT). Randomisation in clinical trials means that each participant has an equal chance of being in any of the arms of the trial. It is an important method to reduce the risk of bias in the outcomes of the trial.

Satunnaistaminen

Satunnaistaminen on menetelmä, jossa ryhmittely tai valinta tehdään ilman mitään järjestelmää. Se on puhtaasti satunnainen. Kliinisissä lääketutkimuksissa osallistujat ryhmitellään yleensä saamaan tiettyä hoitoa (esimerkiksi tutkittavaa lääkevalmistetta tai lumelääkettä) satunnaistetusti. Tämä on tärkeä osa satunnaistettua, kontrolloitua tutkimusta. Satunnaistetussa tutkimuksessa jokaisella tutkittavalla on sama todennäköisyys päätyä mihin tahansa tutkimusryhmään. Satunnaistaminen on tärkeä menetelmä tulosten harhan riskin välttämiseksi.

Randomised clinical trial

A randomised clinical trial is one that uses randomisation when allocating people to different arms of the study. For example, in a trial comparing a new medicine with a placebo, each person has an equal chance of being allocated to the medicine or to the placebo group.

Satunnaistettu kliininen lääketutkimus

Satunnaistettu kliininen lääketutkimus on tutkimus, joka käyttää satunnaistamista tutkittavien tutkimuksen eri hoitoryhmiin ryhmiteltäessä. Esimerkiksi tutkimuksessa, jossa verrataan uutta lääkettä lumelääkkeeseen, jokaisella henkilöllä on samanlainen mahdollisuus tulla ryhmitellyksi lääke- tai lumelääkeryhmään.

Randomised controlled trial

A randomised controlled trial (RTC) is a trial in which people are allocated at random (by chance alone) to receive one of several clinical interventions such as a new medicine. One of these interventions is the control group, for example a placebo may be given, no intervention at all, or the current best treatment available. This study is one of the simplest and most powerful tools in clinical research.

Randomised participants

Participants in a trial who have been randomly (by chance) assigned to one intervention arm or another of that trial. Practical considerations, such as missing data over time, may lead to some participants not being included in the final analysis.

Rare disease

A rare disease, also referred to as an orphan disease, is any disease that affects a small percentage of the population. Rare disease are commonly defined as life-threatening or chronically debilitating diseases which are of such low prevalence (fewer than 1 in 2,000 people) that special combined efforts are needed to address them. Diseases that are statistically rare, but not also life-threatening, chronically debilitating, or inadequately treated, are excluded from this definition. A disease may be considered rare in one part of the world, or in a particular group of people, but still be common in another. Most rare diseases are genetic so that most people show symptoms from childhood (although some rare diseases only become apparent later in life).

Recombinant DNA

Recombinant DNA, often shortened to rDNA, is an artificially made DNA strand that is formed by the combination of two or more gene sequences from different species. Recombinant DNA is engineered specifically for a purpose. For example, recombinant DNA can be used to change the genetic makeup of a bacterial cell in order to make it produce insulin. Recombinant genes, and the recombinant proteins they produce, have become widely used in medicine. They offer a novel method of managing some health conditions, such as the use of recombinant insulin in diabetes.

Satunnaistettu kontrolloitu tutkimus

Satunnaistettu kontrolloitu tutkimus on tutkimus, jossa henkilöt ryhmitellään satunnaisesti (sattumanvaraisesti) saamaan jotain hoitoa, kuten uutta lääkettä. Yksi tutkittavista ryhmistä on kontrolliryhmä, esimerkiksi lumelääkettä saava ryhmä, ei mitään hoitoa saava ryhmä tai parasta sillä hetkellä saatavilla olevaa hoitoa saava ryhmä. Tällainen tutkimus on eräs yksinkertaisimmista ja tilastollisesti voimakkaimmista tutkimusasetelmista kliinisen tutkimuksen kentässä.

Satunnaistetut osallistujat

Osallistujat, jotka on satunnaistetusti (sattumanvaraisesti) valittu saamaan jotakin tutkimuksen hoidoista. Käytännön seikat, kuten esimerkiksi puuttuvat tiedot seurannan aikana, voivat johtaa siihen, ettei joitakin tutkittavia oteta mukaan lopulliseen tulosten analysointiin.

Harvinaissairaus

Harvinaissairaus on mikä tahansa sairaus, joka koskettaa vain pientä osaa ihmisistä. Harvinaissairaus määritellään usein henkeä-uhkaavaksi, kroonisesti heikentäväksi sairaudeksi, joilla on niin alhainen esiintyvyyys (sitä esiintyy harvemmalla kuin yhdellä 2000 ihmisestä), että tarvitaan erityistoimia sen havainnoimiseksi. Sairaudet, jotka ovat tilastollisesti harvinaisia, mutta jotka eivät ole henkeä uhkaavia tai kroonisesti heikentäviä tai vajavaisesti hoidettuja, on suljettu pois tästä määritelmästä. Sairaus voi olla harvinainen jossain päin maailmaa tai jossain ihmisryhmässä mutta silti yleinen jossain muualla. Suurin osa harvinaissairauksista on perinnöllisiä siten, että niiden oireet näkyvät jo lapsuudessa. Tosin jotkin harvinaissairaudet ilmenevät vasta myöhemmässä elämänvaiheessa.

Yhdistelmä-DNA

Yhdistelmä-DNA (rDNA) on keinotekoinen DNA-ketju, joka on tehty yhdistämällä kaksi tai useampia eri lajin geenisekvenssejä. Yhdistelmä-DNA rakennetaan nimenomaan tiettyä käyttötarkoitusta varten. Esimerkiksi yhdistelmä-DNA:ta voidaan käyttää muuttamaan bakteerisolun geenirakennetta siten, että se saadaan tuottamaan insuliinia. Yhdistelmägeenit ja niiden tuottamat proteiinit ovat nykyään yleisesti käytettyjä lääketieteessä. Ne mahdollistavat uuden tavan hoitaa joitakin sairauksia, kuten esimerkiksi diabeteksen hoito bakteerien avulla tuotetulla insuliinilla.

Recombinant Gene

A recombinant gene is one which has been changed by the addition and/or removal of some of its sequence. This can happen naturally or may be done artificially in the laboratory. Natural recombination happens when the chromosomes in parents interact and exchange genetic material so that their offspring inherit combinations that are different to both parents. Recombination is one of the important causes of genetic diversity between generations and individuals.

Recruitment

Recruitment is the process used by investigators to enroll people (participants) into a clinical study. Recruitment is based on the inclusion and exclusion criteria that are documented in the study protocol.

Recurrence

Recurrence is the return of a sign, symptom, or disease after some time when the signs or symptoms could not be detected. It is applied to the return of symptoms of an incurable disease. For example, the reappearance of cancer cells at the same site as the original tumour, or in another location. The risk of a recurrence depends on many factors, including the type of illness and type and/or time of treatment.

Reference medicine

When talking about biosimilar and generic medicines, a reference medicine is the existing medicine already on the market that biosimilar and generic medicines are developed to be similar to or copies of, respectively.

Regulatory affairs

Regulatory affairs is a relatively new profession which developed from the desire of governments to protect public health by controlling the safety and efficacy of products in areas including human medicines, veterinary medicines, medical devices, pesticides, agrochemicals, cosmetics and complementary medicines. The Regulatory Affairs departments of pharmaceutical companies ensure that their companies comply with the regulations and laws governing medicinal products or medical devices. They are the key interface between the company and the regulatory authorities.

Yhdistelmägeeni

Yhdistelmägeeni on geeni, jota on muutettu lisäämällä ja/tai poistamalla siitä joitain osia. Tämä voi tapahtua luonnollisella tavalla tai keinotekoisesti laboratorioissa. Luonnollinen uudelleenjärjestäytyminen tapahtuu, kun vanhempien kromosomit yhdistyvät ja vaihtavat perintöainesta siten, että syntyvät yhdistelmät ovat erilaisia kuin kummallakaan vanhemmalla. Uudelleenjärjestäytyminen on yksi tärkeimpiä syitä perimän monimuotoisuuteen sukupolvien ja yksilöiden välillä.

Rekrytointi

Rekrytointi on prosessi, jossa tutkijat valitsevat henkilöitä (osallistujia) kliiniseen lääketutkimukseen. Rekrytointi perustuu sisäänotto- ja poissulkukriteereihin, jotka on dokumentoitu tutkimussuunnitelmassa.

Uusiutuminen

Uusiutuminen on sairauden tai sen merkkien tai oireiden palaaminen jonkin ajan kuluttua. Se yhdistetään oireiden palaamiseen parantumattomassa sairaudessa. Esimerkiksi syöpäsolujen uudelleen ilmaantuminen samaan tai eri paikkaan kuin missä alkuperäinen kasvain oli. Uusiutumisen riski riippuu monesta tekijästä, mukaan lukien sairauden tyyppi ja/tai hoidon kesto.

Verrokkilääke

Kun puhutaan biosimilaareista tai geneerisistä lääkkeistä, verrokkilääke on markkinoilla jo olemassa oleva lääke, jonka kaltaiseksi tai kopioksi biosimilaari tai geneerinen lääke on valmistettu.

Rekisteröintitoimi

Rekisteröintitoimi on verrattain uusi ala, joka kehittyi maiden hallitusten halusta suojella kansalaistensa terveyttä kontrolloimalla tuotteiden turvallisuutta ja tehoa eri aloilla, kuten ihmislääkkeet, eläinlääkkeet, lääkkeelliset laitteet, torjunta-aineet, maatalouskemikaalit, kosmetiikkavalmisteet ja vaihtoehtoiset lääkkeet. Lääkeyritysten rekisteröintiosastot varmistavat, että yritykset toimivat kaikkien lääkkeisiin tai lääkinnällisiin laitteisiin liittyvien ohjeistojen ja lakien mukaisesti. Rekisteröintiosastot toimivat yleensä viranomaistahojen kanssa kommuikoivana yrityksen toimintona.

Reimbursement

In clinical research, is the economic compensation for legitimate expenses incurred by a participant taking part in a specific research project.

Relative clinical effectiveness

It can be defined as the extent to which an intervention does more good than harm compared to one or more alternative interventions for achieving the desired results, when provided under the usual circumstances of health care practice.

Relative efficacy

It is the extent to which an intervention does more good than harm compared to one or more alternative interventions, when provided under ideal circumstances.

Reliability

The reliability of a measurement or tool is how consistent it is. A reliable measurement or tool will give the same result when repeated at random in the same patient or sample. In clinical trials, reliability is an important consideration in the choice of primary outcome measures (such as an improvement in certain symptoms). The reliability of measures should be formally assessed during the design of clinical trials. Reliability is different to validity, which is the extent to which a measurement measures what it is supposed to.

Remission

Remission is a temporary end (or significant reduction) in the signs and symptoms of an incurable disease. A disease is said to be incurable if there is always a chance that the patient will become ill again, no matter how long they have been in remission. In cancer, the term 'in remission' is often used. Partial remission means the cancer is still detectable, but tumours are smaller, or – as in leukaemia – when there is less cancer throughout the body. Complete remission means that cancer cannot be detected using tests or scans – but because there is always the chance

Korvaus

Kliinisissä lääketutkimuksissa korvauksella tarkoitetaan taloudellista kompensaatiota, jolla voidaan korvata tutkimukseen osallistuneelle tutkimukseen osallistumisesta aiheutuneet kustannukset.

Suhteellinen kliininen tehokkuus

Suhteellinen kliininen tehokkuus voidaan määritellä seuraavasti: se, missä määrin hoito saa aikaan enemmän etua kuin haittaa verrattuna yhteen tai useampaan vaihtoehtoiseen hoitoon, kun hoitoa annetaan tavallisissa terveydenhuollon olosuhteissa.

Suhteellinen teho

Suhteellinen teho voidaan määritellä seuraavasti: se, missä määrin hoito saa aikaan enemmän etua kuin haittaa verrattuna yhteen tai useampaan vaihtoehtoiseen hoitoon, kun hoitoa annetaan parhaissa mahdollisissa olosuhteissa.

Luotettavuus

Mittauksen tai menetelmän luotettavuus riippuu siitä miten toistettava se on. Luotettava mittaustapa tai menetelmä antaa saman tuloksen toistettaessa mittaustapa sattumanvaraisesti samassa potilaassa tai näytteessä. Kliinisissä lääketutkimuksissa luotettavuus on tärkeä huomioida päätettäessä valittaessa (kuten esimerkiksi tietyn oireen parantumista). Mittauksen luotettavuus tulee asianmukaisesti arvioida kliinisen lääketutkimuksen tutkimusasetelmalla suunniteltaessa. Luotettavuus on eri asia kuin validiteetti, jolla kuvataan siitä, missä määrin menetelmä todella mittaa sitä mitä on tarkoitus mitata.

Elpymävaihe (Remissio)

Elpymävaihe (remissio) on väliaikainen taudin oireiden päättyminen (tai merkittävä vähentyminen) parantumattomassa sairaudessa. Sairauden sanotaan olevan parantumaton, jos aina on olemassa mahdollisuus, että henkilö sairastuu siihen taas, oli remissio kuinka pitkä tahansa. Syövässä remissio-terminä käytetään usein. Osittainen remissio tarkoittaa, että syöpä on vielä todettavissa, mutta kasvaimet ovat pienempiä tai – kuten leukemiassa – kun syöpäsoluja on koko elimistössä vähemmän. Täydellinen remissio tarkoittaa, ettei syöpää voida testein tai skannaten havaita – mutta koska on aina

Remission

that cancer cells are still present, patients are said to be in remission rather than cured.

Reproductive Toxicology

Reproductive toxicology investigates the negative effects of a medicine that interfere with normal sexual function and fertility in adult males and females. Such negative effects include adverse effects on sexual function and fertility in adult males and females, as well as developmental toxicity in the offspring.

Risk

Risk is the probability of harm or injury occurring as a result of using a treatment in clinical practice or as part of a research study. The harm or injury may be physical, but can also be psychological, social, or economic. Risks may include experiencing side effects of the treatment, or taking a medication that is not as effective as the standard treatment (during a trial). In a trial, a new treatment may have side effects or risks that researchers do not expect. This is more likely in the early stages of clinical trials. No clinical trial is risk free. Participants should be aware of both the benefits and the risks before they make a decision about whether or not to take part (see informed consent).

Risk assessment

Risk assessment is one of the three pillars of risk management (together with safety specifications and the risk minimisation plan). It contains both routine and additional pharmacovigilance activities to characterise the safety profile of the medicinal product including what is known and not known. It does NOT include actions intended to reduce, prevent or mitigate risks.

Risk management

Risk management is a process for identifying, assessing, prioritising, and taking the appropriate action to mitigate a risk. The objective of risk management is to continuously try to ensure that the benefits of a particular medicinal product (or a series of medicinal products) exceed the risks by the greatest achievable margin for the individual patient and for the target population as a whole.

Elpymävaihe (Remissio)

mahdollista, että potilaassa on vielä syöpäsoluja, puhutaan potilaan olemisesta remissiossa eikä parantuneen.

Lisääntymistoksikologia

Lisääntymistoksikologiassa tutkitaan lisääntymistoimintoihin tai hedelmällisyyteen vaikuttavan lääkeaineen negatiivisia vaikutuksia aikuisiin naaraisiin ja uroksiin. Tällaisia negatiivisia vaikutuksia voivat olla suorat haitalliset vaikutukset näihin toimintoihin tai jälkeläisten kehityshäiriöt.

Riski

Riski on se todennäköisyys, jolla haitta tai vahinko aiheutuu käytettäessä tiettyä hoitoa (esim. lääkettä) osana potilaan kokonaisuhoitoa tai osana tutkimusta. Haitta tai vahinko voi olla fyysinen, mutta myös psykologinen, sosiaalinen tai taloudellinen. Riskinä voi olla hoidon aiheuttamien sivuvaikutusten kokeminen, tai sellaisen lääkkeen ottaminen, joka ei ole yhtä tehokas kuin yleisesti käytössä oleva lääke (tutkimuksen aikana). Tutkimuksessa uudella hoidolla voi olla sivuvaikutuksia tai riskejä, joita tutkijat eivät osaa odottaa. Tämä on todennäköisempää varhaisen vaiheen tutkimuksissa. Mikään tutkimus ei ole riskitöntä. Osallistujien tulee olla tietoisia sekä hyödyistä että riskeistä ennen kuin he tekevät päätöksensä tutkimukseen osallistumisesta (katso myös suostumus-kohta).

Riskin arviointi

Riskin arviointi on yksi kolmesta riskinhallinnan tukijalasta (yhdessä turvallisuusmäärittelyjen ja riskin minimointisuunnitelman kanssa). Se käsittää sekä rutiinista tehtävät että erilliset lääketurvatoimenpiteet lääkevalmisteen turvallisuusprofiilin karakterisoinniseksi mukaan lukien sen, mikä tiedetään, että sen, mitä ei tiedetä. Se ei pidä sisällään toimenpiteitä joilla pyritään vähentämään, estämään tai lieventämään riskejä.

Riskienhallinta

Riskienhallinnan avulla tunnistetaan, arvioidaan, priorisoidaan ja tehdään tarvittavat toimenpiteet riskien lieventämiseksi. Riskienhallinnan tavoitteena on jatkuvasti pyrkiä varmistamaan se, että tietyn lääkevalmisteen (tai lääkevalmistejoukon) hyödyt ovat suuremmat kuin riskit suurimmalla mahdollisella turvarajalla yksittäiselle potilaalle ja koko kohdejoukolle.

Risk Management Plan

A risk management plan provides a detailed description of the activities and interventions in place to prevent or minimise risks of using a medicine. Risk management plans outline how more knowledge about the safety and efficacy of a medicine will be generated, what are the risk factors for developing side effects, and how risk-minimisation measures will be monitored. Risk management plans must be submitted by companies at the same time they apply for marketing authorisation in the European Union, although they must be continually updated and revised throughout the medicine's lifetime. Risk management plans can also be requested by the EMA at other times, or whenever there is concern that a risk may be affecting the balance of benefits and risks for a particular medicine.

Risk minimisation measures

These are public health interventions intended to prevent or reduce the occurrence of adverse reactions associated with the exposure to a medicine, or to reduce their severity or impact on the patient should adverse reactions occur. Risk minimisation measures aim to optimise the safe and effective use of a medicinal product throughout its life cycle. Planning and implementing risk minimisation measures and assessing their effectiveness are key elements of risk management. Routine risk minimisation involves the use of the tools such as the Summary of Product Characteristics (SmPC), the package leaflet, the labelling, the pack size and design, and the legal (prescription) status of the product. The majority of safety concerns may be adequately addressed by routine risk minimisation measures, but for some risks however, additional risk minimisation measures are necessary to manage risk and/or improve the benefit-risk balance of a medicinal product.

Riskienhallintasuunnitelma

Riskienhallintasuunnitelma antaa yksityiskohtaisen kuvauksen niistä toimenpiteistä ja käytössä olevista hoidoista, joilla estetään tai minimoidaan lääkkeen käytöstä aiheutuvat riskit. Riskienhallintasuunnitelmat kuvaavat sitä, miten tietoa lääkkeen turvallisuudesta ja tehosta saadaan, mitä mahdollisia sivuvaikutuksia aiheuttavia riskitekijöitä on olemassa ja miten riskien minimoimista seurataan. Yritysten on toimitettava riskienhallintasuunnitelmat samaan aikaan kun ne hakevat Euroopan Unionissa myyntilupaa, mutta niitä tulee myös jatkuvasti päivittää koko lääkkeen elinkaaren ajan. Euroopan lääkevirasto EMA voi myös muulloin pyytää riskienhallintasuunnitelmia; milloin tahansa herää huoli siitä, että jokin riski voi vaikuttaa tietyn lääkkeen hyötyjen ja haittojen väliseen tasapainoon.

Riskien minimointitoimet

Riskien minimointitoimet ovat julkisen terveydenhuollon toimenpiteitä, joiden tarkoituksena on estää tai vähentää lääkkeenottoon liittyvien haittavaikutusten esiintymistä tai vähentää niiden vakavuutta tai vaikutusta haittavaikutuksia kokevaan potilaaseen. Riskin minimointitoimien tavoitteena on optimoida lääkevalmisteen turvallinen ja tehokas käyttö koko sen elinkaaren ajan. Riskin minimointitoimien suunnitteleminen ja käyttöönotto sekä niiden toimivuuden arviointi ovat riskienhallinnan pääelementtejä. Rutiinisti tehtävään riskien minimointiin kuuluvat esimerkiksi valmisteyhteenveto, tuoteseloste, etiketti, pakkauskoko ja ulkoasu sekä tuotteen lainmukainen status (reseptilääke vs. ei-reseptilääke). Suurin osa turvallisuutta koskevista seikoista voidaan riittävässä määrin kattaa näillä rutiinitoimenpiteillä mutta joillekin riskeille saatetaan tarvita ylimääräisiä riskien minimointitoimia riskien hallitsemiseksi ja/tai lääkevalmisteen hyötyhaitta tasapainon parantamiseksi.

S

Safety Pharmacology

Safety pharmacology studies predict whether a medicine is likely to be found unsafe when administered to human populations within the therapeutic range. Safety pharmacology studies aim to prevent the use of unsafe medicines. Normally, results from previous safety pharmacology studies and effects related to the therapeutic effects of the medicine are considered. Safety pharmacology uses the basic principles of pharmacology in a regulatory-driven process to generate data to inform benefit-risk assessments. Safety pharmacology includes a regulatory requirement to predict the risk of rare lethal events. The vigilant post-marketing surveillance (PMS) efforts of regulatory authorities are necessary to detect the existence of a rare adverse event occurrence after approval for human use.

Scientific Advisory Group (SAG)

Scientific advisory groups (SAG) at the European Medicines Agency (EMA) provide independent recommendations on scientific/technical matters related to medicinal products under evaluation at the EMA, or any other relevant scientific issue. Scientific advisory groups are created by the EMA's Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP). They consist of experts selected according to the particular expertise required.

Sample size

In a clinical trial, the sample size is the number of patients or observations made. There must be enough patients or observations so that differences between groups within the trial can be detected. An estimate of sample size is required and must be specified in the study protocol before recruitment starts. It is also necessary to control the probability with which a real effect can be identified as statistically significant. Too few patients or observations will mean that real effects might not be detected, or they will be detected but at a level that is statistically insignificant (a Type II error, which is directly proportional to sample size). It is just as true that it is unjustified for a medicine to be tested on too many patients.

Turvallisuusfarmakologia

Turvallisuusfarmakologisten tutkimusten avulla voidaan ennustaa lääkkeen todennäköisyyttä osoittautua ei-turvalliseksi kun sitä annetaan ihmiselle terapeuttisissa pitoisuusrajoissa. Turvallisuusfarmakologisten tutkimusten tavoitteena on estää ei-turvallisten lääkkeiden käyttö. Tavallisesti arvioidaan aiempien turvallisuustutkimusten tuloksia ja lääkkeen terapeuttisten vaikutusten merkitystä. Turvallisuusfarmakologia käyttää apunaan farmakologian pääperiaatteita tuottaakseen dataa hyötyhaitta-arviointia varten. Koko prosessi on hyvin viranomaisvaatimuspainotteinen. Viranomaisvaatimuksen mukaan turvallisuusfarmakologian avulla täytyy arvioida harvinaisten hengenvaarallisten tapahtumien riskiä. Viranomaisten huolellisia markkinoille saattamisen jälkeisiä valvontatoimia tarvitaan havaitsemaan harvinaisten haittatapahtumien esiintyminen sen jälkeen kun lääke on hyväksytty käyttöön ihmisillä.

Tieteellinen neuvontaryhmä

Euroopan Lääkeviraston (EMA) tieteellinen neuvontaryhmä antaa riippumattomia suosituksia tieteellisistä/teknisistä seikoista EMAn arvioitavana olevista lääkevalmistuksista tai mihin tahansa muuhun tieteelliseen kysymykseen liittyen. Tieteelliset neuvontaryhmät perustetaan EMA:n Lääkevalmistekomitean (CHMP) toimesta. Niihin kuuluu tarpeellisen asiantuntijuuden omaavia asiantuntijoita.

Otoskoko

Kliinisessä lääketutkimuksessa otoskolla tarkoitetaan potilaiden tai tehtyjen havaintojen määrää. Ryhmien välisten erojen havaitsemiseksi ryhmissä tulee olla riittävä määrä potilaita tai havaintoja. Arvio otoskoosta tarvitaan ja se tulee yksilöidä tutkimussuunnitelmassa ennen kuin tutkimuksen osallistujien valinta alkaa. On tarpeen myös kontrolloida sitä todennäköisyyttä, jolla todellinen vaikutus voidaan havaita tilastollisesti merkitsevästi. Liian pieni määrä potilaita tai havaintoja voi tarkoittaa sitä, että todellisia vaikutuksia ei huomata tai ne huomataan mutta ei tilastollisesti merkitsevällä tasolla (tyypin II virhe, joka on suoraan yhteydessä otoskokoon). Yhtä perusteetonta on tutkia lääkeainetta liian suurella määrällä potilaita.

Scientific Advice Working Party

The Scientific Advice Working Party (SAWP) within the European Medicines Agency (EMA) provides scientific advice and protocol assistance to companies developing medicines. The SAWP was established by the EMA's Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP). It is a multi-disciplinary group with expertise in non-clinical safety, pharmacokinetics, methodology and statistics, and in therapeutic fields for which there are frequent requests or other specific fields such as cardiology, oncology, diabetes, neurodegenerative disorders and infectious diseases including human-immunodeficiency-virus (HIV) infection. Membership includes representatives from the Committee for Orphan Medicinal Products (COMP), the Paediatric Committee (PDCO), and the Committee for Advanced Therapies (CAT).

Sensitivity

Sensitivity (of an assay or test) is the ability of an experiment or trial to detect a difference – for instance, between two groups of participants receiving different medicines in a clinical trial.

Serious Adverse Event

An adverse event (AE) is called serious if it: results in death, is life-threatening (at risk of death at the time of the adverse event, not an event which 'could' hypothetically have caused death if it were more severe), requires hospitalisation or extension of existing inpatients' hospitalisation, results in a persistent or significant disability or incapacity, or is a congenital anomaly or birth defect. Other events such as those requiring emergency intervention to prevent one of the serious outcomes described above might also be reported as a serious adverse event.

Side Effect

A side effect, or adverse reaction, is an unintended response to a medication. Side effects are generally regarded as being harmful, and may occur after a single dose or prolonged administration. They might result from the normal use of a medicine, or from the use of a medicine in a way unintended by the marketing authorisation holder (MAH) – such as taking an overdose or from the combination of two or more medicines being taken at once.

Tieteellisen neuvonnan työryhmä

Tieteellisen neuvonnan työryhmä on Euroopan Lääkeviraston (EMA) alaisuudessa toimiva ryhmä, joka antaa lääkkeitä kehittäville yrityksille tieteellistä neuvontaa ja kommentoi tutkimussuunnitelmia. Tämän työryhmän perusti EMA:n Lääkevalmistekomitea (CHMP). Työryhmä on monitieteellinen ja siinä on asiantuntemusta nonkliinistä turvallisuudesta, farmakokinetiikasta, tutkimusmenetelmistä ja tilastotieteestä sekä terapia- tai muista erityisalueista, joihin liittyviä kysymyksiä nousee yleisesti esiin, esimerkiksi kardiologia, syöpäsairaudet, diabetes, hermoston rappeutumissairaudet ja tulehdussairaudet mukaan lukien HIV. Komiteassa on jäsenenä edustajia harvinaislääkkeisiin erikoistuneesta toimikunnasta (COMP), Euroopan Lääkeviraston pediatriisesta toimikunnasta (PDCO) ja erikoistuneiden hoitojen työryhmästä (Committee for Advanced Therapies, CAT).

Herkkyys

(Analyysin tai testin) herkkyys tarkoittaa kokeen tai tutkimuksen kykyä havaita eroja – esimerkiksi kliinisessä lääketutkimuksessa kahta eri lääkettä saavan ryhmän välillä.

Vakava haittatapahtuma

Haittatapahtumaa (AE) kutsutaan vakavaksi jos se: johtaa kuolemaan, on henkeä uhkaava (kuoleman mahdollisuus on haittatapahtuman hetkellä; ei niin, että tapahtuma olisi saattanut johtaa kuolemaan, jos olisi ollut vakavampi), edellyttää sairaalahoitoa tai pidentää meneillään olevaa sairaalahoitojaksoa, johtaa jatkuvaan tai vakavaan vammaan tai on synnynnäinen poikkeama tai epämuodostuma. Muut tapahtumat kuten sellaiset, jotka vaativat tehohoitoa yllämainittujen lopputulemien estämiseksi, voidaan myös raportoida vakavina haittatapahtumina.

Sivuvaikutus

Sivuvaikutus tai haittavaikutus on tahaton vaste lääkeytykseen. Sivuvaikutukset ovat yleensä haitallisia ja niitä voi esiintyä yhden tai toistuvan lääkkeenoton jälkeen. Ne saattavat aiheutua lääkkeen tavanomaisesti käytöstä tai jos lääkettä otetaan tavalla, jota ei ole kuvattu myyntiluvan haltijan toimesta – kuten että otetaan yliannos tai käytetään lääkettä yhdessäjonkun tai joidenkin muiden lääkkeiden kanssa.

Signalling Pathway

A signalling pathway is a sequence of steps involving several molecules in a cell or at its surface (receptors) that work together to control cell functions. Signalling pathways are important in controlling many functions such as cell division, cell death, and the switching on or off of certain genes. They are directly linked to the cell's response. After the first molecule in a pathway receives a signal, it activates another molecule. This process is repeated until the last molecule is activated and the cell function is carried out. Abnormal activation or disruption of signalling pathways can lead to a variety of cell dysfunctions, among them cancer. Some cancer medicines have been developed to target these effects.

Significance

In a clinical trial, the significance is a description of how meaningful (valid) a trial result is. When evaluating the validity of a study, one must consider both the clinical and statistical significance of the findings. A study that claims clinical relevance may lack sufficient statistical significance to make a meaningful statement. Conversely, a study that shows a statistically significant difference in two treatment options may lack clinical relevance (if, for instance, an observed effect is very small but highly consistent).

Significance Level

The significance level (or α level) is a threshold that determines whether a study result can be considered statistically significant after performing the planned statistical tests. The significance level is most often set to 5% (or 0.05), although other levels may be used depending on the study. This represents the probability of rejecting the null hypothesis when it is true. For example, a significance level of 0.05 indicates a 5% risk of concluding that a difference between the study results and the null hypothesis exists when there is no actual difference. The significance level must be stated in the trial protocol as part of the statistics section. The probability of a result being due to chance rather than due to a medicine or other intervention being studied, if the null hypothesis is true (that is, if there is really no true difference), is known as the 'p-value'.

Signalointireitti

Signalointireitti on useiden solussa tai sen pinnalla (reseptorit) olevien molekyylien välinen tapahtumaketju, jolla solun toimintoja ohjataan. Signalointireitit ovat tärkeitä useiden toimintojen säätelyssä kuten solujen jakautumisessa, solukuolemassa ja tiettyjen geenien kytketyymisessä päälle ja pois. Ne ovat suoraan yhteydessä soluvasteeseen. Kun ensimmäinen polun molekyyli saa signaalin, se aktivoi toisen molekyylin. Tämä prosessi toistuu, kunnes viimeinen molekyyli on aktivoitu ja määrätty toiminta suoritettu loppuun. Signalointireitin epänormaali aktivointi tai häiriö voi johtaa erilaisiin solun toimintahäiriöihin, niiden mukana syöpä. Eräät syöpälääkkeet on kehitetty kohdistamaan vaikutuksensa nimenomaan näihin tapahtumiin.

Merkitsevyys

Kliinisessä lääketutkimuksessa merkitsevyydellä kuvataan sitä, miten merkityksellinen (paikkansapitävä) tutkimustulos on. Arvioitaessa tutkimuksen paikkansapitävyyttä tulee ottaa huomioon tulosten sekä lääketieteelliset että tilastotieteelliset merkitsevyydet. Tutkimuksesta, joka toteaa kliinisen merkittävyyden, saattaa puuttua riittävä tilastollinen merkitsevyys merkityksellisen johtopäätöksen osoittamiseksi. Kääntäen, tutkimuksessa, joka osoittaa riittävän tilastollisen merkitsevyyden kahden tutkimusvaihtoehdon välillä, voi puuttua kliininen merkittävyys (jos esimerkiksi havaitut vaikutukset ovat erittäin pieniä, mutta hyvin johdonmukaisia).

Merkitsevyytaso

Merkitsevyytaso (tai α -taso) on kynnyksen, joka määrittää sen, voidaanko tutkimuksen tulosta pitää tilastollisesti merkitsevänä kun kaikki suunnitellut tilastolliset analyysit on tehty. Merkitsevyytaso on usein määritelty olemaan 5% (tai 0.05), mutta muitakin raja-arvoja voidaan tutkimuksesta riippuen käyttää. Tämä kuvaa todennäköisyyttä sille, että nollassa hypoteesi hylätään vaikka se toteutuu. Esimerkiksi merkitsevyytaso 0.05 osoittaa 5% riskin sille johtopäätökselle, että tutkimustulosten ja nollassa hypoteesin välillä on ero, vaikka todellisuudessa eroa ei ole. Merkitsevyytaso tulee kuvata tutkimussuunnitelman tilastollisessa osiossa. Se todennäköisyys, jolla tulos johtuu sattumasta sen sijaan, että se johtuisi lääkkeestä tai annetusta hoidosta, jos nollassa hypoteesi pitää paikkansa (eli että ei ole olemassa todellista eroa), tunnetaan p-arvona.

Silencing

Silencing refers to the ability of a cell to prevent the expression of a certain gene. Methods used to silence genes are increasingly being used in the laboratory to produce therapies against diseases, such as cancers, infectious diseases, and neurodegenerative disorders by selectively turning off specific genes in diseased tissues.

Single ascending dose study

A single ascending dose study (SAD study) is a type of Phase I trial. Single ascending dose studies are usually conducted in a small number of healthy volunteers (although some trials recruit patients). The aim is to find out the safe dose range, and to look for any side effects. The initial dose given will be very small and increased gradually (in a new group of volunteers) if no or only mild side effects are seen. Researchers will also take measurements to determine how the medicine is processed in the body.

SmPC

The Summary of Product Characteristics (SmPC) is a document approved as part of the marketing authorisation of each medicine. It is aimed at healthcare professionals and includes information such as: How to use the medicine; What the medicine should be used to treat (therapeutic indications); Dose; Method of administration; In what conditions the medicine should not be used (contraindications); Special warnings; The medicine's mechanism of action; and Any undesirable effects. The SmPC contains more detail than the Package Leaflet (PL).

Soft Endpoint

The endpoint in a clinical trial is an event such as occurrence of a disease, or symptom, or a particular laboratory result. Once someone reaches the endpoint, they are generally excluded from further research in the trial. A soft endpoint is a subjective measure. For example, it is common to measure quality of life as an endpoint in Phase III trials, with patients asked specific questions about the impact of their disease and/or treatment. In contrast, a hard endpoint is an endpoint that is well defined and can be

Sammutus

Sammutus viittaa solun kykyyn estää tietyn geenin ilmentyminen. Geenien sammutukseen kohdennettuja menetelmiä käytetään yhä enemmän laboratorioissa tuottamaan hoitoja erilaisia sairauksia kuten syöpää, tulehdussairauksia ja hermoston rappeutumissairauksia vastaan. Tällöin sammutetaan valikoidusti tiettyjä geenejä sairastuneessa kudoksessa.

Yksittäisen nousevan annoksen tutkimus

Yksittäisen nousevan annoksen tutkimus (SAD-tutkimus) on eräs faasi I-tutkimuksen tyyppi. Yksittäisen nousevan annoksen tutkimukset tehdään yleensä pienellä määrällä terveitä vapaaehtoisia (joissakin tutkimuksissa potilaila). Tarkoituksena on löytää turvallisen annostelun rajat ja tutkia mahdollisia sivuvaikutuksia. Aloitusannos on hyvin pieni ja sitä nostetaan vähitellen (uudessa ryhmässä vapaaehtoisia) jos havaitaan joko ei ollenkaan tai vain lieviä sivuvaikutuksia. Tutkijat tekevät myös erilaisia mittauksia sen tutkimiseksi, mitä lääkeaineelle tapahtuu elimistössä.

Valmisteyhteenveto (SmPC)

Valmisteyhteenveto on dokumentti, joka hyväksytään osana jokaisen lääkkeen myyntilupaa. Se on tarkoitettu terveydenhuollon ammattilaisille ja siinä on seuraavia tietoja: miten lääkettä käytetään; minkä saurouden tai tilan hoitoon lääkettä käytetään (käyttöaiheet); annos; lääkkeen ottotapa; milloin lääkettä ei tule käyttää (yhteisvaikutukset); yleiset varoitukset; lääkkeen vaikutustapa; ei-toivotut vaikutukset. Valmisteyhteenveto sisältää enemmän tietoja kuin pakkausseloste.

Pehmeä päätetapahtuma

Päätetapahtuma on kliinisessä lääketutkimuksessa tapahtuma kuten sairauden ilmaantuminen, oire tai joku tietty laboratoriotulos. Kun joku saavuttaa päätetapahtuman, hänet yleensä suljetaan pois tutkimuksesta. Pehmeä päätetapahtuma on subjektiivinen mitta. Esimerkiksi faasi III-tutkimuksissa mitataan yleisesti elämänlaatua päätetapahtumana, ja tällöin potilailta kysytään tiettyjä heidän sairautensa tai hoitoon liittyviä kysymyksiä. Sitä vastoin kova päätetapahtuma on tarkkaan määritelty ja voidaan

Soft Endpoint

measured objectively. For example in cancer research, the endpoint in a trial might be related to response to treatment (such as shrinkage of a tumour). The endpoints used in a trial must be defined and documented as part of the trial design.

Somatic

The term somatic is often used in biology to refer to the cells of the body, in contrast to the germ-line cells which usually give rise to the eggs or sperm. In medicine, it is a term that means (more generally) relating to the body. Somatic mutations are changes to the genes which are not passed on to the offspring. In cancer genetics, somatic mutations specifically refer to mutations arising in tumours (which are not present in healthy tissue). Such mutations are often responsible for driving the growth of tumours.

Somatic-cell therapy medicine

A somatic-cell therapy medicine contains cells or tissues that have been manipulated to change their biological characteristics, and subsequently reintroduced into patients. These cells or tissues can be of autologous, allogeneic, or xenogeneic origin (cells obtained from a donor of a different species). The aim with somatic-cell therapy is to cure, diagnose, or prevent diseases.

Specificity

Specificity (of an assay or test) is the ability of an experiment or trial to correctly detect only the particular effect being studied – for instance, a difference in symptoms between two groups of participants receiving different medicines in a clinical trial. If a trial is not specific enough, it will give a false positive result (Type I error).

Sponsor

The sponsor is the individual, company, institution or organisation which takes responsibility for the initiation and management of a clinical trial. The financing of a clinical trial may come from the sponsor, but can also come from a third-party. The organisation of a clinical trial is particularly complex because important aspects of the trial are not under the direct control of the sponsor.

Pehmeä päätetapahtuma

mitata objektiivisesti. Esimerkiksi syöpätutkimuksessa tutkimuksen päätetapahtuma voi olla yhteydessä hoitovasteeseen (kuten kasvaimen kutistuminen). Tutkimuksessa käytetty päätetapahtuma tulee määritellä ja kuvata osana tutkimuksen kuvausta.

Somaattinen

Termiä 'somaattinen' käytetään usein biologiassa viittamaan kehon soluihin, vastakohtana itusoluille, jotka tuottavat munasoluja ja siittiöitä. Lääketieteessä termiä käytetään yleisemmin kuvaamaan kehoon liittyviä ilmiöitä. Somaattiset mutaatiot ovat geeneissä tapahtuvia muutoksia jotka eivät periydy jälkeläisille. Syöpägenetiikassa somaattisella mutaatioilla viitataan erityisesti kasvainten aiheuttamiin mutaatioihin (joita ei esiinny terveessä kudoksessa). Tällaiset mutaatiot usein aikaansaavat kasvainten kasvamisesta.

Somaattinen soluterapia

Somaattisessa soluterapiassa käytetään soluja tai kudoksia, joita on käsitelty niin, että niiden biologiset ominaisuudet ovat muuttuneet, ja joita sen jälkeen annetaan potilaille. Nämä solut tai kudokset voivat olla alkuperältään autologisia, allogeenisia tai ksenogeenisiä (solut ovat peräisin luovuttajalta tai eri lajista). Somaattisen soluterapiahoidon tavoitteena on parantaa, havaita tai estää sairauksia.

Tarkkuus

Tarkkuus (analyysin tai testin) on kokeen tai tutkimuksen kyky havaita oikein vain juuri se vaikutus, jota tutkitaan – esimerkiksi ero oireissa kahden eri lääkettä saavan ryhmän välillä kliinisessä lääketutkimuksessa. Jos tutkimus ei ole tarpeeksi tarkka, se antaa väärän positiivisen tuloksen (tyypin I virhe).

Toimeksiantaja

Toimeksiantaja on henkilö, yritys, instituutio tai organisaatio, joka ottaa vastuun kliinisen lääketutkimuksen käynnistämisestä ja suorituksesta. Kliinisen lääketutkimuksen rahoitus saattaa tulla toimeksiantajalta, mutta se voi tulla myös kolmannelta osapuolelta. Kliinisen lääketutkimuksen organisaatio on erityisen monimutkainen, koska kaikki tutkimuksen tärkeät seikat eivät ole toimeksiantajan suoran kontrollin alaisia.

Stability

Stability is the ability of a substance to remain unchanged. Changes may occur due to the environment that the substance is in, e.g. being exposed to sunlight or water, or being in the body. Changes may also occur due to chemical and biological processes found inside the substance.

Stem Cell Therapy

Stem cell therapy, also known as regenerative medicine, is the use of stem cells to treat or prevent a disease or condition. Stem cells grown in a lab are manipulated to specialise into specific types of cells, such as heart muscle cells, blood cells or nerve cells. The specialised cells can then be implanted into a person. For example, if the person has heart disease, the cells could be injected into the damaged heart muscle. The healthy transplanted heart cells could then contribute to repairing defective heart muscle.

Stem Cells

Stem cells are undifferentiated (unspecialised) cells that can transform into specialised cells and can divide to produce more stem cells. They have the potential to develop into many different cell types in the body during early life and growth. In addition, in many tissues they serve as an internal repair system, dividing essentially without limit to replenish other cells as long as the person or animal is still alive. There are two types of stem cells: Embryonic stem cells, found in the early stage of embryonic development, can differentiate into all the specialised cells of the body, such as muscle cells, red blood cells, and nerve cells. Adult stem cells, which are found in some adult tissues, can act as a repair system for the body.

Stent

In medicine, a stent is an artificial tube inserted into a vessel or duct to keep the passageway open. Often it is used to treat narrow or weak arteries.

Stratification

In clinical trials, stratification is the separation of patients or the analysis of results based on something other than the treatment given. Stratification has two different meanings. In its first meaning, it describes the natural distri-

Pysyvyys (stabiilius)

Pysyvyys on aineen kyky pysyä muuttumattomana. Ympäristötekijöistä johtuvia muutoksia voi tapahtua, kun aine esimerkiksi altistuu auringonvalolle tai vedelle, tai ollessaan kehossa. Muutoksia voi tapahtua myös aineen sisäisten kemiallisen tai biologisen prosessin takia.

Kantasoluhoito

Kantasoluhoito, joka tunnetaan myös regeneratiivisena hoitona, on kantasolujen käyttöä taudin tai tilan hoidossa tai ehkäisyssä. Laboratoriossa kasvatettuja kantasoluja käsitellään niin, että ne erilaistuvat tiettytyypisiksi soluiksi kuten sydänlihassoluiksi, verisoluiksi tai hermosoluiksi. Erilaistuneet solut voidaan sitten siirtää ihmiseen. Esimerkiksi jos henkilöllä on sydänsairaus, voidaan soluja injektoida vahingoittuneeseen sydänkudokseen. Terveet istutetut sydänsolut voivat siten osallistua vaurioituneen sydänlihaksen korjaamiseen.

Kantasolut

Kantasolut ovat erilaistumattomia (erikoistumattomia) soluja, jotka voivat muuttua erikoistuneiksi soluiksi ja jakautua tuottaen lisää kantasoluja. Niillä on kyky kehittyä monenlaisiksi solutyypeiksi elimistössä elämän varhaisessa vaiheessa ja kasvamisen aikana. Lisäksi monissa kudoksissa ne toimivat sisäisenä korjauskeinona, jakautuen periaatteessa rajattomasti täydentäen toisia soluja niin kauan kun ihminen tai eläin on hengissä. Kantasoluja on kahdenlaisia: alkion kantasolut, joita löydetään alkion kehityksen varhaisessa vaiheessa ja jotka voivat erilaistua kaikiksi elimistön soluiksi, kuten lihassoluiksi, punasoluiksi tai hermosoluiksi. Aikuiset kantasolut, joita löydetään joistain aikuisista kudoksista, voivat toimia elimistön korjauskeinona.

Stentti

Stentti on lääketieteessä keinotekoinen putki, joka asetetaan verisuoneen tai tiehyeen pitämään se avoinna. Usein sitä käytetään ohuiden tai heikkojen valtimoiden hoidossa.

Stratifikaatio (osittaminen, jaottelu)

Kliinisissä lääketutkimuksissa stratifikaatioksi kutsutaan potilaiden tai analyysitulosten jaottelua johonkin muuhun kuin annettuun hoitoon perustuen. Stratifikaatiolla on kaksi eri merkitystä. Ensimmäisessä merkityksessä se kuvaa potilaiden

Stratification

bution of patients into subgroups. For instance, patients may be stratified by age, disease severity, or biomarkers. In its second meaning, stratification controls the random allocation of people to the different groups in a trial. Stratified randomisation is used to ensure that equal numbers of participants with a characteristic thought to affect response to the intervention will be allocated to each group in the trial.

Stratified medicine

Stratified medicine is based on the identification of subgroups of patients that differ in their mechanisms of disease, their susceptibility to a particular disease, or in their response to a medicine. The aim of stratified medicine is to offer the treatment that is most likely to give benefit, or to avoid an adverse reaction. Personalised medicine takes this approach a step further by using targeted medicines and also taking information such as the patient's genotype and lifestyle into account when deciding on the best treatment.

Study medication

The study medication comprises the medicinal product(s) being given to participants in a trial (including a placebo). This also includes products already with a marketing authorisation but being used, formulated, or packaged in a new way, or being used to treat a new disease.

Study Population

The study population is the group of individuals in a study. In a clinical trial, the inclusion and exclusion criteria describe who will and will not be included, thus defining the characteristics of the study population.

Subcutaneous

This is the administration of a medicine into the layer of skin directly below the dermis and epidermis (the top layers of skin). Subcutaneous tissue has few blood vessels and so medicines administered here are for slow, sustained rates of absorption. An example is a local anaesthetic injected before suturing.

Stratifikaatio (osittaminen, jaottelu)

luonnollista jakautumista alaryhmiin. Esimerkiksi potilaat voidaan jaotella iän perusteella, taudin vaikeusasteen perusteella tai biomarkkereiden perusteella. Toisessa merkityksessä stratifikaatio kontrolloii ihmisten satunnaista jakautumista tutkimuksen eri ryhmiin. Stratifioitua satunnaistamista käytetään sen varmistamiseksi, että jokaisessa tutkimuksen ryhmässä on sama määrä sellaisia osallistujia, joilla on jokin tietty ominaisuus, jonka arvellaan vaikuttavan hoitovasteeseen.

Stratifioitu lääkehoito

Stratifioitu lääkehoito perustuu sellaisten potilasalaryhmien tunnistamiseen, joilla tautimekanismi on erilainen, joiden herkkyys kyseiselle taudille on erilainen tai jotka reagoivat eri tavalla lääkitykseen. Stratifoidulla lääkehoidolla pyritään tarjoamaan hoitoa, joka todennäköisimmin tuo etuja tai jolla vältetään haittatapahtumia. Yksilöllistetty terveys (lääkehoito) ottaa vielä askeleen pidemmälle käyttäen kohdennettua lääkehoitoa ja ottamalla huomioon potilaan genotyypin ja elämäntavat päätettäessä parhaasta hoidosta.

Tutkimuslääke

Tutkimuslääkkeillä tarkoitetaan lääkevalmisteita, jotka annetaan tutkimukseen osallistuville (mukaan lukien lumelääke). Myös jo myyntiluvan saaneet valmisteet, joista on tehty uusi valmistemuoto (formulaatio) tai jotka on pakattu uudelleen tai joita käytetään hoitamaan jotain uutta sairautta, kuuluvat tähän ryhmään.

Tutkimuspopulaatio

Tutkimuspopulaatio on tutkimuksessa mukana oleva yksilöiden ryhmä. Kliinisessä lääketutkimuksessa sisäänotto- ja poissulkukriteerit määrittelevät sen, kuka otetaan ja ketä ei oteta mukaan tutkimukseen, eli niillä määritetään tutkittavan ryhmän ominaisuudet.

Ihonalainen

Ihonalaisessa antotavassa lääke annetaan heti päällimmäisten ihokerrosten (verinahka ja orvaskesi eli dermis ja epidermis) alle. Ihonalaisessa kudoksessa on vain vähän verisuonia, joten sinne annettaessa lääkkeen imeytyminen on hidasta ja pitkäkestoista. Esimerkkinä voisi mainita paikallispuudutteen ihonalaisen annostelun ennen tikkien laittoa.

Submission

In order to market a medicine, a submission (an application) must be made to the relevant regulatory authority, for example the European Medicines Agency (EMA). Submissions provide comprehensive information about the medicine, its formulation, the trials it has undergone, its intended use, and its risks and benefits.

Subpopulation

Subpopulations are groups within a population. The population might be defined by, for example, the presence of a certain disease of interest to researchers. A subpopulation within that will have additional traits, such as disease severity, or failure of previous treatments, or specific genetic traits, or belonging to a certain age group that are also of interest. Subpopulations are identified in this way to allow statistical analysis with respect to the additional traits of interest.

Surrogate endpoint

The endpoint in a clinical trial is an event such as the occurrence of a disease, or symptom, or a particular laboratory result. Once someone reaches the endpoint, they are generally excluded from further research in the trial. A surrogate endpoint (or marker) is a measure which in itself is not the outcome that the study treatment aims to elicit. For example, blood pressure is used as a surrogate endpoint in trials because it is a risk factor for heart attacks and strokes – even though in itself blood pressure might not be important for patients. Surrogate endpoints are useful if it would take a very long time for clinical endpoints to appear. Surrogate endpoints must be proven to be valid markers of clinical endpoints when they are used in clinical trials.

Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction

A Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction (SUSAR), is a serious adverse reaction (SAR) for which a reasonable causal relationship with the medicine use is suspected but not confirmed. Unexpected in this context means not consistent with the applicable product information

Submissio (hakemus)

Jotta lääkettä voidaan markkinoida, tulee jättää myyntilupahakemus asianmukaiselle viranomaiselle, esimerkiksi Euroopan Lääkevirastolle (EMA). Hakemus antaa kokonaisvaltaisen tiedon lääkkeestä, sen valmistemuodosta, sillä tehdyistä tutkimuksista, sen ajatellusta käyttötavasta ja sen riskeistä ja eduista.

Osapopulaatio

Osapopulaatiot ovat joukon (populaation) alaryhmiä. Populaatio on voitu esimerkiksi määrittellä joukoksi, jossa esiintyy jokin tietty sairaus, joka kiinnostaa tutkijoita. Tuon populaation osapopulaatiossa on jotain lisäominaisuuksia, kuten esimerkiksi sairauden vaikeusaste tai aiempien hoitojen toimimattomuus, tai tietty geneettinen ominaisuus, tai kuuluminen johonkin tiettyyn ikäryhmään, jotka myös ovat tutkimuksen kannalta kiinnostavia. Osapopulaatiot määritellään jotta kyetään tekemään tilastollisia analyysejä myös näiden muiden kiinnostavien ominaisuuksien suhteen.

Sijaispäätetapahtuma

Kliinisen lääketutkimuksen päätetapahtuma on etukäteen määriteltä tapahtuma, esimerkiksi sairauden tai oireen ilmaantuminen tai tietty laboratoriotulos. Kun tutkittava saavuttaa päätetapahtuman, tutkimus yleensä loppuu hänen osaltaan siihen. Sijaispäätetapahtuma (tai markkeri) on mittaus, jota itsessään ei tutkimusvalmisteen käytöllä tähdätä saatavaksi selville. Esimerkiksi verenpainetta käytetään usein sijaispäätetapahtumana tutkimuksissa koska se on sydänkohtausten ja infaktien riskitekijä – vaikka itsessään verenpaine ei ole potilaille tärkeä. Sijaispäätetapahtumat ovat hyödyllisiä, jos kliinisten päätetapahtumien esiintymiseen kuluu paljon aikaa. Silloin kun sijaispäätetapahtumia käytetään kliinisessä lääketutkimuksessa, ne tulee pystyä osoittamaan merkityksellisiksi kliinisten päätetapahtumien markkereiksi.

Epäilty odottamaton vakava haittavaikutus

Epäilty odottamaton vakava haittavaikutus (SUSAR) on vakava haittavaikutus (SAR), jonka epäillään olevan seurausta käytetystä lääkkeestä mutta syy-seuraussuhdetta ei ole varmistettu. Odottamaton tässä yhteydessä tarkoittaa, ettei se ole yhtäpitävä tuotetietojen kanssa (esim. ei-mark-

Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction

(e.g. investigator's brochure for an unapproved investigational product or summary of product characteristics (SmPC) for an authorised product).

Symptom

In medicine, a symptom is generally a subjective experience of a disease, in contrast to a sign, which is something that can be detected or measured. For example, stomach ache, lower-back pain, and fatigue are symptoms and can only be experienced (or sensed) and reported by the patient. A sign, on the other hand, might be something such as blood in the stool, a skin rash that can be recognised by the doctor, or a high body temperature. Sometimes, a sign may not be noticed by the patient, but is meaningful and helpful for the doctor for diagnosis. For example: A rash - this could be a sign, symptom, or both: If the patient notices the rash it is a symptom. If the doctor, nurse or anyone else (but not the patient) notices the rash it is a sign. If both the patient and doctor notice the rash it is both a sign and a symptom. A light headache – this can only be a symptom: A light headache can only be a symptom because it is only ever detected by the patient.

Systemic toxicology

This refers to toxic effects caused as a result of absorption and distribution of a substance that affects the whole body rather than a specific (local) area, i.e. to an area distant from its entry point. Most chemicals that produce systemic toxicity do not cause a similar degree of toxicity in all organs, but usually cause major toxicity to one or two organs. These are referred to as the target organs of toxicity for that chemical

Epäilty odottamaton vakava haittavaikutus

kinoille hyväksytyyn tutkimusvalmisteen tutkijan tietopaketin tai valmisteen yhteenvedodokumentin kanssa).

Oire

Lääketieteessä oireella tarkoitetaan yleensä subjektiivista sairauden kokemusta, ja se on eri asia kuin sairauden merkki, joka on jotain, joka voidaan havaita tai mitata. Esimerkiksi vatsakipu, alaselkäkipu ja voimattomuus ovat oireita ja ne voi vain kokea (tai tuntea) ja ovat täten potilaan itsensä raportoimia. Merkki toisaalta voi olla jotain sellaista kuin verta ulosteessa, ihottuma, jonka lääkäri voi huomata, tai korkea ruumiinlämpö. Joskus potilas ei huomaa sairauden merkkejä, mutta ne ovat merkityksellisiä ja auttavat lääkäreitä diagnoosin tekemisessä. Jos lääkäri, hoitaja tai kuka tahansa muu kuin potilas huomaa ihottuman, se on merkki. Jos sekä potilas että lääkäri havaitsevat ihottuman, se on sekä merkki että oire. Lievä päänsärky voi olla vain oire: lievä päänsärky voi olla vain oire, koska ainoastaan potilas itse voi havaita sen.

Systeminen ((koko elimistöä koskeva) toksikologia (myrkyoppi)

Systemisellä toksikologialla viitataan myrkyvaikutuksiin, jotka ovat aiheutuneet sellaisen aineen imeytymisen ja jakaantumisen seurauksena, joka vaikuttaa koko elimistöön ennemminkin kuin johonkin tiettyyn paikalliseen alueeseen, toisin sanoen alueeseen, joka on kaukana aineen antopaikasta. Useimmat kemikaalit jotka aiheuttavat systeemisiä myrkyvaikutuksia, eivät aiheuta saman tasoista myrkytystä kaikissa elimissä, mutta yleensä ne aiheuttavat laajan myrkytyksen yhdessä tai useammassa elimessä. Näitä kutsutaan kyseisen kemikaalin myrkyvaikutuksen kohde-elimiksi.

T

Targeted medicine

These are medicines designed in a manner that focuses the activity of the medication in certain parts of the body. The goal of a targeted medicine is to increase the length of time that the medicine interacts with the diseased tissue in a specific area of the body and spares other parts (e.g. affecting tumour cells rather than adjacent healthy cells). The advantages of a targeted release system are the reduction in the frequency of the dosages taken by the patient, having a more consistent effect of the medicine, reduction of side effects, and reduced fluctuation in medicine levels in the body.

Tolerability

The tolerability of the medicinal product represents the degree to which adverse effects can be 'tolerated' or accepted by a patient.

Toxicity

Toxicity is the degree to which a chemical or biological substance can damage a living organism. It can refer to harm to specific organs, tissues or cells, or to the whole organism. Medicines development is a step-by-step process involving the evaluation of both animal and human safety information. Non-clinical safety studies (before human testing) should be able to identify potential toxic effects that might occur under the conditions of the later clinical trial.

Toxicology

Toxicology is the study of the toxic effects of substances on living organisms. It includes symptoms, mechanisms, treatments and detection of poisoning, especially the poisoning of people. The main criterion regarding the toxicity of a substance is the dose, i.e. the amount of exposure to the substance.

Kohdennettu lääke

Kohdennettujen lääkkeiden kehittämisessä on keskitytty siihen, että lääkityksellä on vaikutus nimeomaan tiettyihin elimistön osiin. Kohdennetun lääkkeen tavoitteena on lisätä aikaa, jonka lääke vaikuttaa sairastuneessa kudoksessa tietyllä alueella elimistöä, sen muita osia lääkkeen vaikutukselta säästäen (esim. vaikuttamalla kasvainsoluihin ennemminkin kuin viereisiin terveisiin soluihin). Tällaisen kohdennetun lääkeaineen vapautuminen etuna on tarve ottaa lääkettä harvemmin, johdonmukaisempi lääkkeen vaikutus, sivuvaikutusten väheneminen sekä vähäisempi vaihtelu elimistön lääkeainepitoisuuksissa.

Siedettävyyys

Lääkevalmisteen siedettävyyys kuvaa sitä tasoa, jolla potilas sietää valmisteen haittavaikutuksia.

Toksisuus

Toksisuudella (myrkyllisyys) tarkoitetaan kemiallisen tai biologisen yhdisteen kykyä aiheuttaa vaurioita elävissä organismissa. Se voi viitata aiheutuneeseen haittaan tietyissä elimissä, kudoksissa tai soluissa, tai kokonaisessa eliossa. Lääkekehitys etenee asteittain ja siihen kuuluu lääkkeen turvallisuuden tutkimista sekä eläimillä että ihmisillä. Non-kliinisillä turvallisuustutkimuksilla (ennen ihmisillä toteutettavien tutkimusten aloittamista tehtävillä) tulisi kyetä havaitsemaan sellaiset mahdolliset toksiset vaikutukset, jotka saattavat nousta esiin kliinisten tutkimusten yhteydessä.

Toksikologia

Toksikologia (myrkyllisyysoppi) on yhdisteen myrkyllisten ominaisuuksien tutkimista elävissä organismissa. Se käsittelee myrkytyksen – erityisesti ihmisiin kohdistuvan myrkytyksen – oireet, mekanismin, hoidon ja havaitsemisen. Yhdisteen toksisuuden pääkriteeri on annos eli altistuksen määrä.

Transfusion

Transfer of blood or blood components (red and white blood cells, plasma, clotting factors, or platelets) into the bloodstream intravenously.

Treatment Emergent Adverse Event

Treatment emergent adverse events (TEAE) are undesirable events not present prior to medical treatment, or an already present event that worsens either in intensity or frequency following the treatment. In medicines development terminology, an adverse event (AE) is any undesirable event that occurs after a participant officially consents to take part in a trial (and could occur before treatment begins). An adverse event may or may not be associated with the medicine under investigation, but must be documented because it happened during the trial period. A treatment emergent adverse event (TEAE) is an adverse event that occurs only once treatment has started.

Treatment group

In a clinical trial, the treatment group (as opposed to the control group) usually refers to the group of participants that receives the treatment under investigation. The treatment group is also known as the 'treatment arm'.

Trial arm

A trial arm is a group of participants that receives the same interventions, or no intervention, according to the study protocol. Many randomised trials have two arms, but some may have three or even more. This is decided before the trial begins. Trials with several arms (multi-arm) allow more than one treatment to be tested at once, and can reduce the costs and time needed during clinical development. Multi-arm, multi-stage (MAMS) trials take this idea a step further and allow the recruitment of participants in a particular arm to be stopped partway through if that treatment is not producing satisfactory results. MAMS can also allow for new treatments to be added to the trial as they become ready for testing.

Verensiirto

Verensiirto on veren tai sen komponenttien (puna- ja valkosolujen, plasman, hyytymistekijöiden tai verihiutaleiden) siirtoa verenkiertoon suonensisäisesti.

Hoidosta kehkeytyvä haittatapahtuma

Hoidosta kehkeytyvä haittatapahtuma (TEAE) on ei-toivotu tapahtuma, jota ei ole havaittu ennen lääkkeen antoa tai jo olemassa olevan tapahtuman voimakkuuden tai frekvenssin paheneminen lääkkeen annon jälkeen. Lääkekehityksessä haittatapahtuma (AE) on mikä tahansa ei-toivottu tapahtuma, joka esiintyy osallistujan annettua suostumuksensa tutkimukseen osallistumiseen (ja joka voi tapahtua ennen lääkityksen aloittamista). Haittatapahtuma voi olla tai voi olla olematta yhteydessä tutkittavaan lääkkeeseen, mutta se pitää dokumentoida, koska se tapahtuu tutkimuksen aikana. Hoidosta kehkeytyvä haittatapahtuma on haittatapahtuma, joka esiintyy vasta, kun hoito on aloitettu.

Hoitoryhmä

Kliinisessä lääketutkimuksessa hoitoryhmä (vastakohtana kontrolliryhmälle) viittaa yleensä osallistujaryhmään, joka saa tutkittavaa hoitoa. Hoitoryhmästä käytetään myös termiä hoitohaara.

Tutkimushaara

Tutkimushaara on osallistujaryhmä, joka saa samaa hoitoa, tai ei mitään hoitoa, perustuen tutkimussuunnitelmaan. Monissa satunnaistetuissa tutkimuksissa on kaksi haaraa, mutta joissain voi olla kolme tai jopa enemmän. Tämä päätetään ennen tutkimuksen aloitusta. Useampihaaraisissa tutkimuksissa sallitaan useamman kuin yhden hoidon tutkiminen yhdellä kertaa, ja niiden avulla voidaan säästää kliiniseen kehitykseen kuluvia kustannuksia ja aikaa. Useampihaaraisessa, useampivaiheisessa (MAMS)-tutkimuksessa tämä viedään vielä askel pidemmälle ja osallistujien sisäänotto tiettyyn haaraan lopetetaan kesken, mikäli sillä hoidolla ei saavuteta tyydyttäviä tuloksia. MAMS voi myös mahdollistaa uusien hoitojen lisäyksen tutkimukseen heti kun ne ovat valmiita testattaviksi.

Type I Error

Type I Error occurs in statistical hypothesis testing when a null hypothesis, which is actually true, is incorrectly rejected. Type I errors are also known as 'false positives'; they are the detection of a positive effect where no effect actually exists. As a stark example, Type I errors could kill a patient - for instance, if a study incorrectly found that the standard of care was not better than the new treatment, and consequently the new treatment was given to patients, the results may be catastrophic. Type I errors cannot be completely avoided, but researchers should decide on an acceptable level of risk of Type I error when designing clinical trials. A number of statistical methods can be used to control the Type I error rate. The methods to be used in a clinical trial should be detailed in the study protocol or the statistical analysis plan for that trial.

Type II Error

Type II Error occurs in statistical hypothesis testing when the null hypothesis is incorrectly accepted. Type II errors are also known as 'false negatives'; they are the failure to detect a positive effect where the effect does exist. Type II errors mean that potentially valuable research goes to waste. As no positive effect is detected, research may be halted. This research may have been useful, but as no further study takes place, no harm is done to patients. Type II errors cannot be completely avoided, but researchers should decide on an acceptable level of risk of Type II error when designing clinical trials. To reduce the risk of Type II errors to acceptable levels, the power or sample size (the number of participants in a study) can be increased.

Tyyppin I virhe

Tyyppin I virhe tapahtuu tilastollisen hypoteesin (oletuksen) testauksessa, kun nolla-hypoteesi, joka on oikeasti totta, on virheellisesti hylätty. Tyyppin I virheet tunnetaan myös nimellä 'väävät positiiviset'; ne antavat tulokset positiivisen vaikutuksen, vaikka vaikutusta ei oikeasti ole. Äärimmäisessä tapauksessa tyyppin I virhe voisi tappaa potilaan – esimerkiksi, jos tutkimuksessa on virheellisesti havaittu, että yleisesti käytössä oleva lääke ei ole sen parempi kuin uusi hoitokään, ja siten uutta hoitoa on alettu antamaan potilaille, olisivat tämän seuraukset katastrofaaliset. Tyyppin I virheitä ei voi täysin välttää, mutta tutkijoiden tulee päättää jo tutkimuksia suunnitellessaan, mikä on hyväksyttävä riskitaso tyyppin I virheen esiintymiselle. Lukuisia tilastollisia menetelmiä voidaan käyttää kontrolloimaan tyyppin I virhettä. Menetelmät, joita suunnitellaan käytettäväksi kliinisessä lääketutkimuksessa tulee kuvata tutkimussuunnitelmassa tai tutkimuksen tilastollisessa analyysisuunnitelmassa.

Tyyppin II virhe

Tyyppin II virhe tapahtuu tilastollisen hypoteesin (oletuksen) testauksessa, kun nollahypoteesi hyväksytään virheellisesti. Tyyppin II virheet tunnetaan myös nimellä 'väävät negatiiviset'; niissä ei saada osoitettua positiivista vaikutusta, vaikka vaikutus on oikeasti olemassa. Tyyppin II virheet tarkoittavat mahdollisesti tärkeiden tutkimustulosten menemistä hukkaan. Kun positiivista vaikutusta ei havaita, tutkimus voidaan keskeyttää. Tutkimus olisi saattanut olla hyödyllinen, mutta koska lisätutkimuksia ei tehdä, ei aiheuteta haittaa potilaille. Tyyppin II virheitä ei voi täysin välttää, mutta tutkijoiden tulee päättää jo tutkimuksia suunnitellessaan, mikä on hyväksyttävä riskitaso tyyppin I virheen esiintymiselle. Tyyppin II virheen tapahtumisen riskiä voidaan laskea hyväksyttävälle tasolle kasvattaamalla tutkimuksen voimaa tai otoskokoa (tutkimukseen osallistuvien määrää).

U

UAE

An unexpected adverse reaction is a harmful and unintended response to a medication which is not consistent with applicable product information or characteristics of the medicinal product.

UAE

UAE, odottamaton haittatapahtuma, on sellainen haitallinen ja tahaton vaste lääkitykseen, joka ei vastaa lääkevalmisteen tuoteinformaatiota tai yhteenvetoa.

Utility

Utility, or usefulness, is the (perceived) ability of something to satisfy needs or wants. In health economics, utilities measure the strength of patient preferences. For example, how important various factors are to patients, such as symptoms, pain, and psychological health. The impact of new treatments on those factors, and therefore on quality of life (QoL), can then be calculated. This is a common approach used by health technology assessment (HTA) bodies, which advise on whether treatments should be funded by (for example) government health departments.

Hyöty

Hyöty, tai käyttökelpoisuus, on jonkin asian (huomattu) kyky täyttää jokin tarve tai halu. Terveystaloustieteessä hyöty mittaa potilaan toiveitten voimakkuutta. Esimerkiksi sitä, miten tärkeitä mitkäkin muuttujat ovat potilaalle, kuten oireet, kipu tai mielenterveys. Uuden hoidon vaikutus noihin muuttujiin, ja siten elämänlaatu, voidaan täten laskea. Tätä käytetään yleisesti terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa (HTA), jolla haetaan ohjenuora siihen, mitkä hoidot tulisi kustantaa (esimerkiksi) julkisen terveydenhuollon budjetista.

V

Validity

Scientific validity refers to how well a measurement, test or study measures what it is intended to measure.

Pätevyys

Tieteellinen pätevyys viittaa siihen, kuinka hyvin mittaus, testi tai tutkimus mittaa sitä, mitä sen on tarkoitus mitata.

Vector

In gene therapy, a vector is a method of delivering DNA into patients' cells. A common vector used in gene therapy is the adenovirus. A gene therapy vector must be customised to attempt treatment of a particular disorder. To be successful, a vector must target the right cells, the gene it is carrying must be activated in the patient, and it must avoid harmful side effects.

Vektori

Geeniterapiassa vektorilla tarkoitetaan sitä tapaa, jolla DNA:ta siirretään potilaan soluihin. Yleinen geeniterapiassa käytettävä vektori on adenovirus. Geeniterapiassa vektori täytyy räätälöidä siten, että sillä on hyvät mahdollisuudet hoitaa hoitoa tarvitsevaa tilaa tai sairautta. Hoidon onnistumisen edellytyksenä on, että vektori tarttuu oikeisiin soluihin, sen kantama geeni aktivoituu hoidettavassa potilaassa eikä hoidosta seuraa haitallisia sivuvaikutuksia.

Vulnerable participants or populations

Vulnerable participants or populations are individuals or groups of individuals who are unable to give informed consent to take part in a clinical trial, such as children or people affected by mental health conditions, or who may come under pressure from others to take part. It also includes people whose willingness to volunteer in a clinical trial may be unduly influenced by their expectations of taking part. If a trial is to include people from vulnerable populations, special attention should be paid to protecting their well-being, both by the investigators and the ethics committee that reviews the trial protocol.

Heikossa asemassa olevat osallistujat tai populaatiot

Heikossa asemassa oleviksi osallistujiksi tai populaatioiksi kutsutaan yksilöitä tai ryhmiä, jotka ovat kykenemättömiä antamaan tietoisensa suostumuksensa kliiniseen tutkimukseen osallistumiseksi, esimerkiksi lapset tai henkilöt, joilla on mielenterveysongelmia, tai jotka saattaisivat muiden painostuksesta tulla mukaan tutkimukseen. Tähän ryhmään kuuluvat myös ihmiset, joiden halu ilmoittautua vapaaehtoiseksi tutkimukseen voi perustua kohtuuttomiin odotuksiin tutkimusta kohtaan. Jos tutkimukseen on tarkoitus ottaa mukaan ihmisiä heikossa asemassa olevista ryhmistä, tulee sekä tutkijoiden että tutkimusta arvioivan eettisen toimikunnan kiinnittää erityistä huomiota heidän hyvinvoinnistaan huolehtimiseen.

W

Wash out period

In a clinical trial, this refers to a break in ongoing treatment. It is quite often used in crossover trials where a set period is defined before switching to a new medicine. In this period the levels of the previous medicine in the body and the effects should be reduced to zero.

Puhdistumajakso

Kliinisessä lääketutkimuksessa puhdistumajaksolla tarkoitetaan taukoa meneillään olevasta hoidosta. Sitä käytetään usein vaihtovuoroisessa tutkimuksessa, jossa tutkitavat ovat jaksojen välissä lääkettä etukäteen määrätyn ajan ennenkuin aloittavat toisen lääkkeen ottamisen. Tämän ajan kuluessa aiemman annetun lääkkeen pitoisuuden ja vaikutusten tulisi laskea nolnaan.

Whole Genome Sequencing

Whole genome sequencing (WGS) is a laboratory process that determines the complete DNA sequence of an organism's genome at a single time. Great progress in the speed at which genomes can be sequenced, in the number of genomes that can be sequenced at the same time, and in the reducing the cost of sequencing has had a huge impact on medical research and medicines development. High-throughput genome sequencing technologies have largely been used as a research tool and are currently being introduced into clinical practice. In the future of personalised medicine, whole genome sequencing will be an important tool to guide treatments.

Koko perimän kartoitus

Koko perimän kartoitus on laboratoriomenetelmä, jolla saadaan selville eliön genomin täydellinen DNA-järjestys (eli DNA-sekvenssi) yhdellä kertaa. Genomien sekvenointinopeuden kasvu, samoin kuin samanaikaisesti sekvenoitavien genomien määrän kasvu yhdistettynä alentuneisiin kustannuksiin on ollut todella merkityksellinen asia lääketieteellisen tutkimuksen ja lääkekehityksen kannalta. Korkean tehon genomikartoitusteknologioita on laajasti käytetty tutkimustyökaluina ja niitä on alettu soveltamaan myös kliinisiin lääketutkimuksiin. Tulevaisuudessa yksilöllistetyssä terveydenhoidossa (yksilöllistetyssä lääkityksessä) koko perimän kartoitus tulee olemaan tärkeä keino hoitojen optimoimiseksi.



Yhteystiedot

EUPATI Suomi
info@fi.eupati.eu
<http://fi.eupati.eu/>
www.facebook.com/EUPATI.Finland
@EUPATI_FI

EUPATI Suomen toimintaa hallinnoi Suomen Syöpäpotilaat ry
www.syopapotilaat.fi



Suomen Syöpäpotilaat ry

