



## BADANIA KLINICZNE W POLSCE

### DEFINICJA

Badanie kliniczne to badanie naukowe, prowadzone z udziałem ludzi, mające na celu odkrycie lub potwierdzenie klinicznych, farmakologicznych, w tym farmakodynamicznych skutków działania jednego lub wielu badanych produktów leczniczych. Badania kliniczne prowadzi się również w celu zidentyfikowania działań niepożądanych oraz śledzenia wchłaniania, dystrybucji, metabolizmu i wydalania jednego lub większej liczby badanych produktów leczniczych, mając na względzie ich bezpieczeństwo i skuteczność.<sup>1</sup>

### ZNACZENIE BADAŃ KLINICZNYCH

Do opracowania nowych leków i szczepionek niezbędne są badania kliniczne, które służą do testowania ich skuteczności i bezpieczeństwa. Są one kluczowe dla pacjentów, którzy w nich uczestniczą, ponieważ oferują szansę na otrzymanie nowego leczenia, które może poprawić jakość ich życia, pomóc w radzeniu sobie z chorobą, a w niektórych przypadkach przedłużyć lub uratować im życie.<sup>2</sup>

Badania kliniczne przyczyniają się do rozwoju wiedzy w zakresie stosowania innowacyjnych leków i sposobów leczenia, budują dorobek naukowy badaczy i ośrodków, wpływają na wzrost gospodarczy oraz wizerunek kraju na arenie międzynarodowej. Dlatego też właściwa strategia rozwoju badań klinicznych może przyczynić się do osiągnięcia większego rozwoju gospodarczego, stworzenia większej wartości dodanej, innowacji oraz badań i rozwoju, jak również wspierania zdrowszego i odpornego na problemy zdrowotne społeczeństwa.<sup>3</sup>

**Obecnie firmy farmaceutyczne prowadzą badania nad ponad 7000 cząsteczek, które dają nadzieję na lepsze i dłuższe życie chorym, a przełomowe terapie komórkowe i genowe stają się coraz bardziej dostępne. W 2020 roku EMA zatwierdziła 55 nowych substancji czynnych, głównie w chorobach zakaźnych, immunologii i hematologii, stanowiąc wzrost o 80% w stosunku do roku 2019.<sup>4</sup>**

### RODZAJE BADAŃ KLINICZNYCH

#### Komercyjne

Jeśli dane uzyskane w trakcie badania będą wykorzystane w celu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego lub wyrobu medycznego, dokonania zmian

<sup>1</sup> <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/o-badaniach-klinicznych/czym-sa-badania-kliniczne/definicje-badania-klini/110,Definicje-badania-klinicznego.html>

<sup>2</sup> RAPORT: Komercyjne badania kliniczne w Polsce. Możliwości zwiększenia liczby i zakresu badań klinicznych w Polsce 2021. [https://www.infarma.pl/assets/files/2022/CT\\_REPORT\\_in\\_PL%20\\_PL.pdf](https://www.infarma.pl/assets/files/2022/CT_REPORT_in_PL%20_PL.pdf)

<sup>3</sup> Ibidem

<sup>4</sup> Ibidem

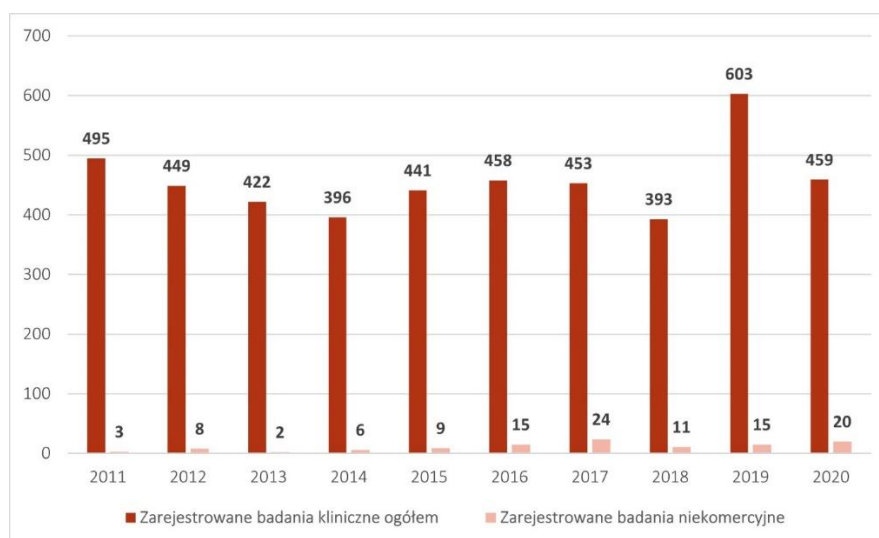
w istniejącym pozwoleniu lub w celach marketingowych, określa się je jako komercyjne badania kliniczne. Najczęściej prowadzone są przez firmy farmaceutyczne i biotechnologiczne.

### Niekomercyjne

Celem niekomercyjnych badań klinicznych jest poszerzanie wiedzy i rozwój praktyki klinicznej. Nie służą one osiągnięciu zysku, ale koncentrują się głównie na analizie skuteczności i bezpieczeństwa leków będących już na rynku. Planowane są przeważnie w kluczowych dziedzinach terapeutycznych, ale dotyczą także chorób rzadkich, gdzie poszukiwane są nowe metody leczenia. Prowadzone są przede wszystkim przez uczelnie wyższe, instytuty badawcze, stowarzyszenia i fundacje. Często efektem prowadzenia niekomercyjnych badań klinicznych jest poprawa standardów leczenia i wprowadzenie innowacyjnych rozwiązań istotnych społecznie problemów zdrowotnych. Dlatego prowadzenie tego typu badań jest bardzo istotne dla systemu ochrony zdrowia.<sup>5</sup>

**Aktualnie Polska nie należy do państw przodujących w prowadzeniu niekomercyjnych badań klinicznych. Badania te stanowią u nas mniej niż 5% całkowitej liczby zarejestrowanych badań klinicznych (wykr. 1.). W niektórych krajach Unii Europejskiej odsetek badań niekomercyjnych sięga nawet 40% wszystkich prowadzonych badań klinicznych. Tę sytuację próbuje zmienić Agencja Badań Medycznych, której jednym z celów jest rozwój niekomercyjnych badań klinicznych w Polsce.<sup>6</sup>**

Wykr. 1. Udział niekomercyjnych badań klinicznych w całkowitej liczbie zarejestrowanych badań klinicznych w Polsce.



<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/o-badaniach-klinicznych/rodzaje-i-fazy-badan-kliniczny/rodzaje-badan-kliniczny/114,Rodzaje-badan-klinicznych.html>

<sup>5</sup> <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/o-badaniach-klinicznych/rodzaje-i-fazy-badan-kliniczny/rodzaje-badan-kliniczny/114,Rodzaje-badan-klinicznych.html>

<sup>6</sup> Ibidem



## POLSKI RYNEK KOMERCYJNYCH BADAŃ KLINICZNYCH

### STAN W 2020 ROKU

- **Wartość ekonomiczna polskiego rynku badań klinicznych przekroczyła 1,4 mld USD (15% wszystkich nakładów na R&D w Polsce).**
- **Około 9 tysięcy miejsc pracy związanych z rynkiem innowacyjnych biofarmaceutycznych komercyjnych badań klinicznych (iBPCT).**
- **Ponad 25 tysięcy polskich pacjentów uzyskało dostęp do nowych, innowacyjnych terapii eksperymentalnych.<sup>7</sup>**

### OSIĄGNIĘCIA OSTATNICH 25 LAT

- **Polska ugruntowała swoją pozycję jako jeden z potentatów na światowym rynku innowacyjnych bio-farmaceutycznych komercyjnych badań klinicznych (iBPCT), zajmując w 2019 r. 11. miejsce na świecie pod względem udziału w rynku iBPCT.**
- **W latach 2014–2019 Polska odnotowała jeden z największych wzrostów udziału w rynku iBPCT na świecie, zajmując 5. miejsce za Chinami, Hiszpanią, Koreą Południową i Tajwanem.**
- **W wartościach względnych polski rynek iBPCT wzrósł do 8. pozycji na świecie, niemal o 10% w latach 2014–2019, podczas gdy udział w rynku Ameryki Północnej, większości krajów UE (z wyjątkiem Hiszpanii) oraz większości krajów CEE w tym samym okresie zmniejszył się.<sup>8</sup>**

### OBSZARY TERAPEUTYCZNE W BADANIACH KLINICZNYCH

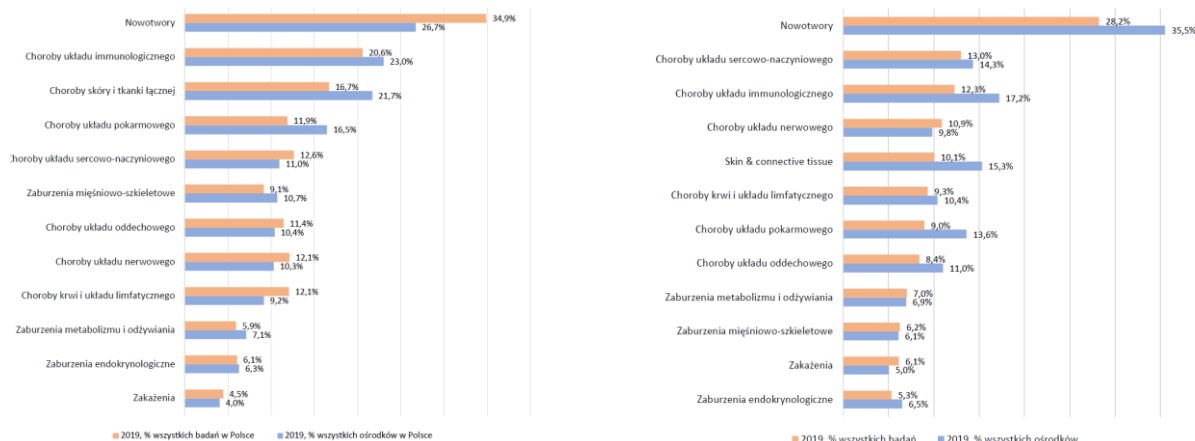
Zarówno w Polsce, jak i na świecie głównym obszarem terapeutycznym były choroby nowotworowe (onkologia). Największy wzrost w latach 2014–2019 zaobserwowano w obszarach chorób układu pokarmowego (wzrost o 66%), chorób skóry i tkanki łącznej (wzrost o 48%) oraz chorób nowotworowych (wzrost o 46%), natomiast na świecie największy wzrost w tym samym okresie zanotowano w obszarze chorób hematologicznych oraz układu limfatycznego (głównie hematoonkologia i chłoniaki) oraz chorób nowotworowych (onkologia), a następnie chorób układu nerwowego.<sup>9</sup>

<sup>7</sup> RAPORT: Komercyjne badania kliniczne w Polsce. Możliwości zwiększenia liczby i zakresu badań klinicznych w Polsce, 2021.  
[https://www.infarma.pl/assets/files/2022/CT\\_REPORT\\_in\\_PL%20\\_PL.pdf](https://www.infarma.pl/assets/files/2022/CT_REPORT_in_PL%20_PL.pdf)

<sup>8</sup> Ibidem

<sup>9</sup> Ibidem

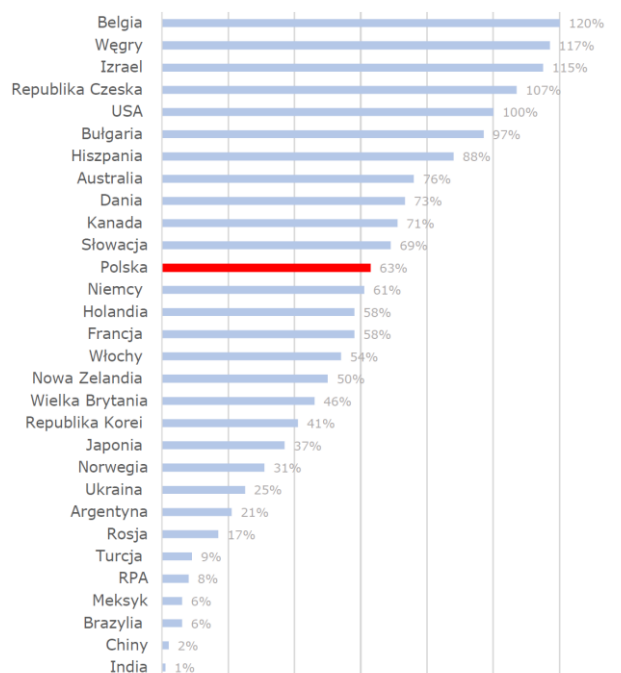
Wykr. 2. Komercyjne badania kliniczne w Polsce oraz na świecie wg obszaru terapeutycznego (zgodnie z MeSH) w 2019 r. Badanie można przypisać do więcej niż jednego obszaru terapeutycznego, stąd suma wszystkich obszarów terapeutycznych przekracza 100%.



## DOSTĘPNOŚĆ KOMERCYJNYCH BADAŃ KLINICZNYCH DLA PACJENTÓW

Polska – z dostępnością badań na poziomie 63% w porównaniu z USA – zajmuje czołowe miejsce wśród krajów o wysokim poziomie dostępności badań klinicznych dla pacjentów zajmując 12. miejsce na świecie i 8. miejsce w Europie, wyprzedzając Niemcy, Francję, Włochy i Wielką Brytanię).<sup>10</sup>

Wykr. 3.: Dostępność komercyjnych badań klinicznych obliczana jako liczba ośrodków badawczych na milion mieszkańców w stosunku do poziomu notowanego w USA (USA=100%).



<sup>10</sup> RAPORT: Komercyjne badania kliniczne w Polsce. Możliwości zwiększenia liczby i zakresu badań klinicznych w Polsce, 2021. [https://www.infarma.pl/assets/files/2022/CT\\_REPORT\\_in\\_PL%20\\_PL.pdf](https://www.infarma.pl/assets/files/2022/CT_REPORT_in_PL%20_PL.pdf)

## BADANIA KLINICZNE W POLSCE- REGULACJE

### Obowiązek uzyskania pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego

Warunki prowadzenia badań klinicznych produktów leczniczych reguluje ustawa *Prawo farmaceutyczne* z 6 dnia września 2001 roku. Każde badanie kliniczne może być prowadzone wyłącznie na podstawie wydanego uprzednio pozwolenia przez Prezesa Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, a także pozytywnej opinii komisji bioetycznej. Prezes Urzędu dokonuje wpisu badania klinicznego do Centralnej Ewidencji Badań Klinicznych.

Zgodnie z ustawą *Prawo farmaceutyczne*, badanie kliniczne badanego produktu leczniczego, prowadzone jest zgodnie z Dobrą Praktyką Klinikzną, która zapewnia standard określający sposób planowania, prowadzenia, monitorowania, dokumentowania i raportowania wyników badań klinicznych prowadzonych z udziałem ludzi.<sup>11</sup> [Czytaj [tekst ustawy](#)]<sup>12</sup>

Zgodnie z rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r. w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylenia dyrektywy 2001/20/WE tj. z dniem 31 stycznia 2022 roku ulega zmianie sposób prowadzenia badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi w Unii Europejskiej (UE). Rozporządzenie harmonizuje procesy przedkładania wniosków, ich oceny i nadzoru nad prowadzeniem badań klinicznych w UE wprowadzając system informacji o badaniach klinicznych (Clinical Trials Information System, CTIS).

Zgodnie ze zdefiniowanym w ww. rozporządzeniu okresem przejściowym od dnia 31 stycznia 2023 r. wszystkie nowe wnioski o pozwolenie na badania kliniczne w UE i EOG muszą być składane za pośrednictwem CTIS.<sup>13</sup>

W Polsce zapewnienia stosowania rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 reguluje Ustawa o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi, która jest w trakcie procesu legislacyjnego.<sup>14</sup>

### Czym jest Dobra Praktyka Klinikzna (GCP)?

Czym dokładniej jest Dobra Praktyka Klinikzna reguluje *Rozporządzenie Ministra Zdrowia z 2 maja 2012 roku w sprawie Dobrej Praktyki Klinikznej*. Dokument reguluje obowiązki badacza oraz sponsora w ramach prowadzonego badania klinicznego. Określa zasady tworzenia protokołu badania klinicznego, broszury badacza oraz umowy dotyczącej prowadzenia badań klinicznych. [Czytaj [tekst rozporządzenia](#)]<sup>15</sup>

## FAZY BADAŃ KLINICZNYCH

Prace badawczo-rozwojowe (research and development, R&D), w ramach badań klinicznych obejmują trzy etapy, zanim lek zostanie zarejestrowany i dopuszczony do obrotu.<sup>16</sup>

<sup>11</sup> <https://www.badaniaklinicznepolsce.pl/o-badaniach-klinicznych/regulacje-prawne/jakim-regulacjom-i-kontroli-podlegaja-badania-kliniczne-w-polsce/>

<sup>12</sup> <https://www.urpl.gov.pl/pl/komunikat-prezesa-urz%C4%99du-z-dnia-11-stycznia-2023-r-w-sprawie-stosowania-przepis%C3%B3w-rozporz%C4%85dzenia>

<sup>13</sup> Ibidem

<sup>14</sup> <https://www.sejm.gov.pl/sejm9.nsf/PrzebiegProc.xsp?nr=2843>

<sup>15</sup> <https://www.badaniaklinicznepolsce.pl/o-badaniach-klinicznych/regulacje-prawne/jakim-regulacjom-i-kontroli-podlegaja-badania-kliniczne-w-polsce/>

<sup>16</sup> RAPORT: Komercyjne badania kliniczne w Polsce Możliwości zwiększenia liczby i zakresu badań klinicznych w Polsce, 2021.

[https://www.infarma.pl/assets/files/2022/CT\\_REPORT\\_in\\_PL%20\\_PL.pdf](https://www.infarma.pl/assets/files/2022/CT_REPORT_in_PL%20_PL.pdf)



#### Faza I:

eksperymentalny lek lub terapię podaje się niewielkiej liczbie zdrowych ochotników lub – w zależności od typu cząsteczki – pacjentom (nie więcej niż 100) w celu oceny bezpieczeństwa, ustalenia bezpiecznego zakresu dawek oraz wykrycia ewentualnych działań niepożądanych.

#### Faza II:

leczenie stosuje się w większej grupie pacjentów (100–500) w celu oceny jego skuteczności i dalszej oceny bezpieczeństwa.

#### Faza III:

największy etap, w którym leczenie stosuje się w dużej grupie pacjentów (1000–5000) w celu określenia jego skuteczności, dalszego monitorowania działań niepożądanych oraz porównania z placebo i/lub innymi dostępnymi opcjami terapeutycznymi.

Po zakończeniu tych faz, na podstawie danych z pomyślnie ukończonych badań klinicznych, określa się bezpieczeństwo i skuteczność leku, wyrobu medycznego lub szczepionki, oraz składa wnioski o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu.

#### Faza IV:

po wprowadzeniu produktu do obrotu prowadzi się badania i rejestry w celu dalszego monitorowania jego profilu bezpieczeństwa i skuteczności w codziennej praktyce klinicznej, często w porównaniu z innymi dostępnymi opcjami terapeutycznymi.

Badania kliniczne przyciągają czołowych klinicystów na świecie i stwarzają możliwości zatrudnienia tysięcy wysoce wykwalifikowanych pracowników. Ostatecznie generują znaczące przychody dla organizacji oraz dla gospodarki, co ma ścisły związek z dobrostanem społeczeństwa. (12)

## AGENCJA BADAŃ MEDYCZNYCH

*Powołana w 2019 r. Agencja Badań Medycznych wspiera innowacyjność w ochronie zdrowia.*

Agencja Badań Medycznych (ABM) jest państwową agencją odpowiedzialną za rozwój badań w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu. ABM jest podmiotem, którego celem jest budowa innowacyjnego systemu opieki zdrowotnej. Funkcjonowanie Agencji przyniesie również wymierne korzyści dla pacjentów – pozwoli ocenić, które nowe technologie medyczne i metody terapeutyczne powinny być stosowane dla zaspokojenia potrzeb społeczeństwa.

Agencja realizuje jeden z pierwszych publicznych programów dotacyjnych z finansowaniem przeznaczonym na niekomercyjne badania kliniczne w naszym kraju. Finansowane przez Agencję Badań Medycznych badania, są szansą dla polskich pacjentów na dostęp do najnowszych technologii, jak również okazją dla polskich naukowców na udział w światowych badaniach.

Kluczowym zadaniem Agencji jest również działalność analityczna w zakresie oceny podejmowanych decyzji i ich wpływu na koszty funkcjonowania systemu ochrony zdrowia. Opracowane analizy pozwolą na przedstawienie konkretnych rozwiązań, dzięki którym system opieki zdrowotnej będzie mógł funkcjonować w bardziej wydajny sposób.<sup>17</sup>

<sup>17</sup> <https://abm.gov.pl/pl/o-nas/o-agencji/34,O-Agencji.html>