



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Konferencja z okazji
Międzynarodowego Dnia
Badań Klinicznych
20 maja 2015





GCP_{pl}

POLCR



*Badania kliniczne
– nowe otwarcie!*

20 maja 2015

Niekomercyjne badania kliniczne z perspektywy badacza

Dr n.med. Maciej Siński

Plan prezentacji

- Definicja niekomercyjnego badania klinicznego
- Podstawowe problemy praktyczne
 - Wiedza
 - Finansowanie
 - Przygotowanie i rejestracja badania
 - Przeprowadzenie badania
- Ewentualne rozwiązania



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekomercyjne badania kliniczne


- Niekomercyjne badania kliniczne są niezwykle istotne dla rozwoju wiedzy i praktyki klinicznej
- Inicjatywy naukowe badaczy niekomercyjnych wpływają bezpośrednio na opiekę nad chorymi
- Celem niekomercyjnych badań klinicznych zwykle nie jest wprowadzenie nowego leku
- Niekomercyjne badania kliniczne koncentrują się głównie na analizie skuteczności leków będących już na rynku, w różnych populacjach chorych lub we wskazaniach innych od pierwotnego



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekommercyjne badania kliniczne


- Niekommercyjne badania kliniczne dotyczą zarówno wieloośrodkowych i międzynarodowych projektów przeprowadzanych na dużej liczbie chorych, ale także małych badań na kilkunastu pacjentach w jednym ośrodku
- Niekommercyjne badania kliniczne przeprowadzane są w kluczowych dziedzinach terapeutycznych, ale dotyczą także chorób rzadkich
- Polska nie należy niestety do państw przodujących w prowadzeniu niekomercyjnych badań klinicznych
- W ostatnich latach niekomercyjne badania kliniczne stanowiły ułamek procenta wszystkich rejestrowanych badań w Polsce; w Wielkiej Brytanii dla porównania ten odsetek stanowi 25%



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Definicja badania klinicznego niekomercyjnego według Ustawy Prawo Farmaceutyczne


- Zgodnie z aktualnie obowiązującym prawem farmaceutycznym **kliniczne badanie niekomercyjne** to takie badanie kliniczne, **w którym właścicielem danych uzyskanych w trakcie badania klinicznego jest sponsor, będący uczelnią lub inną placówką naukową posiadającą uprawnienie do nadawania stopni naukowych, podmiotem leczniczym, badaczem, organizacją pacjentów, organizacją badaczy lub inną osobą fizyczną lub prawną lub jednostką organizacyjną nieposiadającą osobowości prawnej, której celem działalności nie jest osiągnięcie zysku w zakresie prowadzenia i organizacji badań klinicznych bądź wytwarzania lub obrotu produktami leczniczymi.**



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Definicja badania klinicznego niekomercyjnego według Ustawy Prawo Farmaceutyczne

- Dane uzyskane w trakcie badania klinicznego niekomercyjnego **nie mogą być wykorzystane w celu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego, dokonania zmian w istniejącym pozwoleniu lub w celach marketingowych**
- Wykorzystanie w badaniu klinicznym niekomercyjnym **badanych produktów leczniczych uzyskanych od wytwórcy lub podmiotu odpowiedzialnego bezpłatnie lub po obniżonych kosztach, wsparcie merytoryczne lub techniczne wytwórcy lub podmiotu odpowiedzialnego** wymaga niezwłocznego poinformowania właściwej komisji bioetycznej i Prezesa Urzędu.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Rozporządzenie Ministra Zdrowia w sprawie Dobrej Praktyki Klinicznej


- Badanie kliniczne może być zainicjowane i prowadzone również przez sponsora będącego **jednocześnie badaczem**, indywidualnie lub z udziałem innych osób
- Obowiązki sponsora będącego jednocześnie badaczem nie obejmują obowiązków określonych w § 10 i 11



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Wiedza i świadomość prowadzenie badania klinicznego


- Badanie kliniczne niekomercyjne inicjowane jako „projekt własny”, „badanie akademickie”, „doktorat”, „grant”
- Badacze niekiedy nie uświadamiają sobie, że inicjowane przez nich badanie jest badaniem klinicznym podlegającym tym samym procedurom co badanie kliniczne sponsorowane
- Badacze także nie zawsze wiedzą, że prowadzenie badania niezgodnie z obowiązującymi regulacjami może być związane z sankcjami, w tym również karnymi
- Zgoda Komisji Bioetycznej jest w wielu przypadkach traktowana jako jedyny dokument niezbędny do rozpoczęcia prowadzenia badania



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Świadome prowadzenie badania klinicznego

- W literaturze międzynarodowej dostępne są publikacje autorstwa polskiego, które z punktu widzenia metodologicznego spełniają kryteria badania klinicznego, lecz nie zawierają informacji np. o rejestracji badania klinicznego, a jedynie o pozytywnej opinii komisji bioetycznej
- Badania były nie zarejestrowane, czy brak było jedynie takiej adnotacji w manuskrypcie ?
- Anglojęzyczne czasopisma z listy filadelfijskiej w przypadku badań klinicznych randomizowanych wymagają rejestracji w „publicly available database”
- Świadomość badaczy poprawia się, ale problem nadal wydaje się być aktualny



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Problem finansowania

- Finansowanie ubezpieczenia
- Finansowanie rejestracji
- Finansowanie procedur badania



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Czy istnieją mechanizmy finansowania dedykowane dla niekomercyjnych badań klinicznych ?

Przykład projektu:


Lek X stosowany jest od wielu lat w leczeniu nadciśnienia tętniczego.

Badacz analizując wcześniejsze dane oraz mechanizm działania leku uważa, że lek X może być także bardzo skuteczny w zupełnie innej chorobie, np. w rozroście gruczołu krokowego, w którym rutynowo stosuje lek Y.

Obie choroby często występują u mężczyzn w starszym wieku, a więc może udałoby się leczyć obie choroby jednym lekiem – lekiem X.

Badanie ma na celu porównanie efektu działania leku X i Y na parametry urodynamiczne u chorych z rozrostem gruczołu krokowego i nadciśnieniem tętniczym.

Analiza mocy i liczebności wykazała, że w badaniu w każdej grupie powinno uczestniczyć np. jedynie 30 pacjentów



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Czy istnieją mechanizmy finansowania dedykowane dla niekomercyjnych badań klinicznych ?


- Dla tego typu projektów nie ma dedykowanych źródeł finansowania
- We Włoszech dostępny jest fundusz mający na celu rozwój badań niekomercyjnych. Fundusz pochodzi z podatku, które firmy farmaceutyczne płacą od wydatków na działania marketingowe – tzw. podatek Garattiniego
- W Polsce propozycja przekazania części podatku z zysku od refundacji leków na badania niekomercyjne została odrzucona



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Przygotowanie dokumentacji i rejestracja badania


- Dokumentacja i procedury są takie same jak w przypadku badania komercyjnego
- W badaniach komercyjnych rejestrację wspomagają wyspecjalizowane działy – w badaniach niekomercyjnych badacz/sponsor pozostaje z tym problemem sam
- W zakresie obowiązków badacza będącego jednocześnie sponsorem leży przygotowanie całej dokumentacji badania, uzyskanie zgody KE, numeru EudraCT, przygotowanie wniosku i rejestracja badania - to wymaga *know-how*
- Bezpośredni kontakt badacza/sponsora z pracownikami Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Prowadzenie badania


- Problem może stanowić odpowiednie prowadzenie dokumentacji, ale także stworzenie i przestrzeganie procedur działania (SOP), tak jak to robi się w przypadku badań komercyjnych
- Rozporządzenie MZ w sprawie DPK nie nakłada na badacza-sponsora obowiązku monitorowania badania: „10. 1. Sponsor zapewnia monitorowanie badania klinicznego we wszystkich ośrodkach badawczych, w trakcie i po zakończeniu badania klinicznego” ale „Obowiązki sponsora będącego jednocześnie badaczem nie obejmują obowiązków określonych w § 10 i 11”
- Badanie kliniczne niekomercyjne może jednak podlegać inspekcji
- W przypadku badań niekomercyjnych, w których badacz nie jest jednocześnie sponsorem problem monitorowania pozostaje aktualny



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Potencjalne ułatwienia i rozwiązania

- Rozwój inicjatyw takich jak ECRIN (*European Clinical Research Infrastructure Network*) – obecnie koordynowany w Polsce przez pana rektora prof. Sławomira Majewskiego i doc. Cezarego Szmigielskiego z Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego
- ECRIN ma na celu usprawnienie prowadzenia międzynarodowych badań klinicznych poprzez wsparcie niezbędną informacją, konsultacjami i koordynacją pomiędzy ośrodkami badań klinicznych w różnych państwach Europy
- Rozwój instytucji wspomagających badaczy w ramach uczelni – przykładem Małopolski Ośrodek Medycyny Translacyjnej powstały przy Uniwersytecie Jagiellońskim



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Potencjalne ułatwienia i rozwiązania

- Rozwój inicjatyw edukacyjnych – od kilku lat prowadzone są studia podyplomowe z zakresu metodologii badań klinicznych –w obrębie np. WUM, UJ
- Organizacje zajmujące się badaniami klinicznymi organizują kursy pogłębiające wiedzę dotyczącą prowadzenia badań
- Coraz więcej informacji dostępnych w formie elektronicznej i drukowanej



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Potencjalne ułatwienia i rozwiązania

- Działania edukacyjne i konsultacyjne stanowią niewątpliwie zachętę dla badaczy do rozpoczynania i prowadzenia niekomercyjnych badań klinicznych
- Kluczowe wydaje się jednak ustalenie „czytelnej” formy i źródła finansowania tej grupy projektów naukowych



Badania kliniczne – nowe otwarcie!