

# **NIEKOMERCYJNE (AKADEMICKIE) BADANIA KLINICZNE W POLSCE**

Prof. dr. hab. n. med. Sławomir Majewski  
Warszawski Uniwersytet Medyczny

Międzynarodowy Dzień Badań Klinicznych,  
Warszawa 20 maja 2015

- Badania kliniczne realizowane są w dwóch podstawowych formach, jako: Komercyjne Badania Kliniczne (**KBK**) oraz Niekomercyjne Badania Kliniczne (**NKBK**).
- **NKBK** stanowią istotny czynnik postępu wiedzy w naukach medycznych (np. w onkologii, kardiologii, neurologii i innych).
- W krajach Europy Zachodniej około 30% wszystkich badań klinicznych jest realizowanych w formie **NKBK** , które obejmują akademickie projekty naukowo-badawcze w medycynie lub badania inicjowane przez badaczy (*investigator initiated study*) realizowane przez uniwersytety, towarzystwa naukowe, naukowe grupy badawcze lub instytuty naukowo-badawcze.

- W Polsce badania kliniczne nadal są niestłusznie kojarzone jedynie z **KBK** firm farmaceutycznych.
- **NKBK**, z powodu różnorodnych barier, są pojedyncze i – co jest szczególnie niekorzystne – brak jest w zasadzie badań, których celem jest poszukiwanie biomarkerów (czynników predykcyjnych pozwalających na określenie grupy chorych odnoszących największe korzyści z określonych rodzajów leczenia).

# Korzyści z prowadzenia Niekomercyjnych Badań Klinicznych (NKBK)

- Celem komercyjnych badań klinicznych (**KBK**) na ogół jest wprowadzenie nowego leku do praktyki klinicznej lub znalezienie nowego wskazania dla dostępnego leku. Większość nowych metod leczenia jest bardzo kosztowna, a producenci leków nie wykazują zainteresowania prowadzeniem badań z uwzględnieniem czynników predykcyjnych.
- Niekomercyjne Badania Kliniczne (**NKBK**) – ukierunkowane na poszukiwanie czynników predykcyjnych – stanowią w praktyce jedyną możliwość racjonalizacji kosztów leczenia.
- **NKBK** zawierają często cele badawcze, którymi nie jest zainteresowany bezpośrednio przemysł farmaceutyczny (np. nowe wskazania dla już zarejestrowanych i ogólnie dostępnych procedur terapeutycznych).

# Korzyści z prowadzenia Niekomercyjnych Badań Klinicznych (NKBK)

- **NKBK** pozwalają także na optymalizację i wprowadzanie nowych zastosowań nie farmakologicznych form leczenia (radioterapia, chirurgia), a także leczenia skojarzonego z udziałem kilku metod (np. radiochemioterapia, okołooperacyjna chemioterapia i inne).
- **NKBK** są źródłem wielu wartościowych publikacji naukowych w znaczących czasopismach międzynarodowych o istotnym wskaźniku wpływu (*impact factor*, IF).
- Firmy farmaceutyczne często są gotowe do udostępnienia produktu leczniczego na rzecz NKBK.

# Problemy w realizacji NKBK w Polsce

- W świetle obowiązującego prawa obowiązki niekomercyjnego sponsora badania klinicznego pozostają zbieżne z obowiązkami nałożonymi na komercyjnego sponsora badania klinicznego, co oznacza, że niekomercyjny sponsor badania klinicznego ponosi na równi ze sponsorem komercyjnym odpowiedzialność za podjęcie, prowadzenie i finansowanie badania klinicznego, jak również odpowiedzialność cywilnoprawną za szkody wyrządzone w związku z prowadzeniem badania klinicznego.
- Szczególnie dotkliwe dla sponsora **NKBK** pozostają obciążenia finansowe wynikające z konieczności ubezpieczenia badania klinicznego oraz finansowania świadczeń opieki zdrowotnej związanych z badaniem klinicznym.

# Problemy w realizacji NKBK w Polsce

- Do przepisów polskiego prawa wprowadzono definicję **NKBK**, jednakże w ślad za wprowadzeniem tej definicji nie zostały wprowadzone do obowiązującego prawa zmiany ułatwiające prowadzenie **NKBK**, w konsekwencji czego niekomercyjni sponsorzy traktowani są przez prawo na równi ze sponsorami komercyjnymi.
- W tym kontekście rozważenia wymaga wprowadzenie rozwiązań prawnych umożliwiających finansowanie bądź współfinansowanie ze środków publicznych NKBK, w szczególności środków finansowych Narodowego Funduszu Zdrowia.
- Brak wyraźniej podstawy prawnej umożliwiającej finansowanie bądź współfinansowanie **NKBK** był wielokrotnie wskazywany przez Ministra Zdrowia jako bariera uniemożliwiająca udzielenie „publicznego” wsparcia finansowego dla **sponsorów NKBK**.

# Najważniejsze przeszkody administracyjno-biurokratyczno-prawne

- **Nierozróżnienie NKBK od KBK** (obowiązują identyczne przepisy i obowiązkowe opłaty z wyjątkiem opłaty do Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych).
- Największe w całej Unii Europejskiej wymagania dotyczące dokumentacji badań klinicznych (z reguły konieczna jest pomoc ze strony wyspecjalizowanych firm, ponieważ polskie jednostki badawcze nie są w stanie samodzielnie przewyciężyć nieuzasadnionych wymagań formalnych związanych – między innymi – z przygotowaniem dokumentacji. Wspomniana **sytuacja ogranicza możliwość sponsorowania NKBK przez polskie uniwersytety, instytuty badawcze lub uczelnie z krajów Unii Europejskiej**).



# Najważniejsze przeszkody administracyjno-biurokratyczno-prawne

- Konieczność składania dokumentacji w języku polskim (znaczne utrudnienie w przypadkach realizowania międzynarodowych badań uniwersyteckich lub planowanych przez międzynarodowe organizacje naukowe o charakterze niekomercyjnym – np. *European Organisation for Research and Treatment of Cancer, EORTC*).
- Nadmierny średni czas do otwarcia jakiegokolwiek badania klinicznego, który przekracza 4-5 miesięcy (dla porównania – 1 miesiąc w Belgii lub Francji).

# Najważniejsze przeszkody administracyjno-biurokratyczno-prawne

- Niedostateczna przejrzystość legislacyjna (nakładanie się kompetencji organów regulacyjnych – np. CEBK – oraz komisje bioetyczne).
- Brak możliwości implementowania niektórych procedur (np. dokumenty leków zarejestrowanych w UE).
- Bardzo wysokie stawki obowiązkowego ubezpieczenia bez uwzględnienia różnic ryzyka (np. **NKBK** prowadzone z już zarejestrowanym produktami leczniczymi z reguły nie wiąże się ze zwiększonym ryzykiem dla uczestników badania), co stanowi jedną z głównych przeszkód w możliwościach finansowania **NKBK** oraz sprzyja temu, że głównymi beneficjentami takich badań są towarzystwa ubezpieczeniowe.

# Najważniejsze przeszkody administracyjno-biurokratyczno-prawne

- Brak precyzyjnie wyodrębnionych kryteriów wskazujących, które elementy **NK BK** są możliwe do sfinansowania w ramach powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego.
- Niedostępność zasady Dobrowolnej Harmonizacji Procedur (*voluntary harmonisation procedure, VHP*) w celu zapewnienia wspólnej oceny aplikacji dotyczących nowych badań klinicznych. W Unii Europejskiej wspomniany proces został wprowadzony w 2009 roku i zapewnia znormalizowaną oraz regularną wymianę informacji między urzędami, ale Polska nie wzięła udziału w wymienionej procedurze, co uniemożliwia terminowe otwieranie badań klinicznych równoległe w kilku państwach członkowskich.

# Przeszkody finansowe

- Brak funduszy na prowadzenie **NKBK** nad biomarkerami dla leków (mogłyby być przyznawane – przykładowo – w formie konkursów grantowych, co jest stałą praktyką w krajach Europy Zachodniej), być może rozwiązaniem byłoby wyodrębnienie funduszu na NKBK.
- Brak harmonizacji stawek na badania w ramach **NKBK** w Polsce.

# Wnioski

- Polska posiada dobrze rozwiniętą sieć ośrodków przygotowanych do prowadzenia badań klinicznych (zarówno KBK jak i NKBK), jednak ich potencjał nie jest wykorzystany.
- Istnieje ogólny problem w dostępie do NKBK w Polsce, z czym są związane straty dla gospodarki. Sytuacja ta pozostaje w sprzeczności z prawami pacjenta w Unii Europejskiej, postawą i chęcią polskich chorych do uczestniczenia w badaniach klinicznych oraz ogranicza postęp naukowy. W związku z istnieniem szeregu przeszkód nie stanowimy konkurencji naukowej w omawianym zakresie wobec innych krajów.

# Wnioski

- W wielu krajach **NKBK** pozwalają na większe wykorzystanie lokalnej infrastruktury R&D (uczelnie wyższe i instytuty naukowo-badawcze) oraz wykorzystanie uzyskiwanych wyników badań w praktyce (np. rejestracja patentów, lokalizacja ośrodków badawczych świadczących usługi dla innych krajów).
- Badania akademickie typu **NKBK** są szansą dla młodych lekarzy-naukowców na zwiększenie dorobku naukowego i poprawę jakości pracy badawczej.

# Oczekiwania

- Stworzenie warunków preferencyjnego finansowania NKBK przez granty naukowe Ministerstwa Nauki i Szkolnictwa Wyższego (np. wydzielenie określonych środków finansowych dla takiej proponowanej kategorii grantów).
- Rzeczywiste określenie, że procedury uznane za standardowe i wykonywane u osób uczestniczących w NKBK, mogą być finansowane przez płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia).

# Oczekiwania

- Przeprowadzenie inicjatywy legislacyjnej zmierzającej do wyraźnego różnicowania **NKBK** od komercyjnych badań sponsorowanych przez przemysł farmaceutyczny, która będzie preferencyjna dla **NKBK**.
- Dywersyfikacja stawki obowiązkowego ubezpieczenia w zależności od różnic ryzyka (np. **NKBK** prowadzone z użyciem już zarejestrowanych produktów leczniczych z reguły nie wiąże się ze zwiększonym ryzykiem dla uczestników badania).



# Podsumowanie

**Istotna poprawa sytuacji w zakresie realizacji NKBK w Polsce przyniesie:**

- zwiększenie rangi naukowej Polski w dziedzinie nauk medycznych;
- uzyskanie realnych korzyści finansowych w wyniku implementacji patentów i optymalizacji wydatków na nowe i kosztowne metody leczenia
- większą dostępność nowych terapii dla pacjentów