

Centrum Wsparcia Badań Klinicznych

w Wojskowym Instytucie Medycznym - Państwowym Instytucie Badawczym



Rzeczpospolita
Polska

Sfinansowane przez
Unię Europejską
NextGenerationEU





Działalność CWBK WIM-PIB

W dniu 27 stycznia 2022 roku otwarto **Centrum Wsparcia Badań Klinicznych** w Wojskowym Instytucie Medycznym w Warszawie, który należy do największych, wieloprofilowych, akredytowanych placówek ochrony zdrowia o najwyższym stopniu referencyjności w Polsce.

Centrum Wsparcia Badań Klinicznych WIM – PIB ma **bogate doświadczenie** w realizacji badań klinicznych w różnych obszarach medycyny, a wszystkie badania prowadzone są z zachowaniem najwyższych standardów.

Nadrzędnym celem funkcjonowania CWBK jest **wsparcie Badaczy** w codziennej pracy podczas realizacji badań klinicznych. Do zadań CWBK, poza wsparciem prawno-administracyjnym, należy również nadzór nad obszarem jakości w badaniach klinicznych, zarządzania danymi oraz standaryzacja procedur.

Celem jednostki jest także wsparcie **innowacyjnych pomysłów badawczych** pracowników WIM-PIB, w związku z czym współpraca z CWBK pozwala na realizację nie tylko badań komercyjnych, ale również niekomercyjnych.

Komercyjne badania kliniczne

aktualnie prowadzone w CWBK WIM-PIB

– obszary terapeutyczne i wskazania:

Choroby autoimmunologiczne



- Toczeń rumieniowaty układowy
- Twardzina układowa
- Zapalenie naczyń

Choroby infekcyjne



- Wirusowe infekcje płuc

Dermatologia



- Piodermia zgorzelinowa

Endokrynologia



- Piodermia zgorzelinowa

Hematologia



- Chłoniaki z komórek B
- Mielofibroza
- Ostra białaczka szpikowa

Kardiologia



- Choroba niedokrwienna serca

Laryngologia



- Przewlekłe zapalenie zatok (z lub bez polipów)

Nefrologia



- Ogniskowe segmentalne stwardnienie kłębuszków nerkowych
- Schyłkowa choroba nerek

Okulistyka



- Nabyte opadanie powiek

Onkologia




- Niedrobnokomórkowy rak płuca
- Płaskonabłonkowy rak głowy i szyi
- Rak jelita grubego
- Rak piersi
- Rak żołądka i połączenia przełykowo-żołądkowego

Pediatria



- Zakażenie dróg moczowych - odmiedniczkowe zapalenie nerek

A laboratory setting featuring a white microscope on the left, a rack of test tubes with blue caps in the foreground, and a clipboard with a pen on the right. The background is a soft-focus light blue.

Ponadto, CWBK współpracuje z Klinikami Chirurgii Naczyniowej i Endowaskularnej (leczenie rozwarstwienia aorty wielowarstwowymi stentami) oraz Kardiochirurgii (leczenie choroby niedokrwiennej serca u pacjentów wymagających pomostowania aortalno-wieńcowego) w ramach weryfikacji bezpieczeństwa wyrobów medycznych.

Komercyjne projekty prowadzone przez CWBK nie ograniczają się tylko do badań klinicznych oceniających skuteczność badanych produktów leczniczych, ale obejmują także szerszy zakres eksperymentów badawczych. W CWBK realizowany jest projekt pt. „Wieloośrodkowy, otwarty eksperyment badawczy z zastosowaniem testu do diagnostyki nowotworu trzustki - u pacjentów ze zdiagnozowanym rakiem trzustki, z innymi niż rak trzustki chorobami nowotworowymi, chorobami nienowotworowymi oraz zdrowych uczestników - mający na celu określenie swoistości i czułości badanego testu”. W ramach powyższego eksperymentu CWBK współpracuje z Klinikami takimi jak:

- ✓ **Gastroenterologia** – rekrutacja Pacjentów z nowotworem złośliwym trzustki oraz zapaleniem trzustki
- ✓ **Ginekologia** – rekrutacja PacjenteK z nowotworem złośliwym trzonu macicy oraz jajnika
- ✓ **Neurologia i Neurochirurgia** – rekrutacja Pacjentów z nowotworem złośliwym mózgu
- ✓ **Nefrologia** – rekrutacja Pacjentów z zespołem nerczykowym.

W najbliższej przyszłości planowane jest rozszerzenie listy realizowanych badań klinicznych zarówno produktów leczniczych, jak i wyrobów medycznych w następujących obszarach terapeutycznych:

- ✓ **alergologia** (astma)
- ✓ **choroby autoimmunologiczne** (zapalenie naczyń ANCA, toczeń rumieniowaty skórny)
- ✓ **gastroenterologia** (choroba Crohna, choroba stłuszczeniowa wątroby, marskość wątroby, eozynofilowe zapalenie przełyku, wrzodziejące zapalenie jelita grubego),
- ✓ **dermatologia** (atopowe zapalenie skóry, toksyczność skórna po leczeniu inhibitorami EGFR),
- ✓ **neurologia** (migrena, stwardnienie rozsiane, udar niedokrwieny, urazowe uszkodzenie mózgu, polineuropatia demielinizacyjna),
- ✓ **nefrologia** (aktywne zapalenie nerek wywołane toczeniem, przewlekła choroba nerek, nefropatia błoniasta, nefropatia IgA, zespół Alporta)
- ✓ **chirurgia naczyniowa** (choroba obwodowa tętnic kończyn dolnych)
- ✓ **endokrynologia** we współpracy z Zakładem Medycyny Nuklearnej (badanie radiodiagnostyczne w raku prostaty)
- ✓ **endokrynologia** (choroba Cushinga)
- ✓ **onkologia** (drobnokomórkowy rak płuca, rak pęcherza moczowego)
- ✓ **okulistyka** (czerniak błony naczyniowej oka)
- ✓ **kardiochirurgia** (wady zastawkowe serca)

Wykaz prowadzonych badań klinicznych

Zapraszamy do zapoznania się z **aktualnym wykazem prowadzonych badań klinicznych** w Wojskowym Instytucie Medycznym – Państwowym Instytucie Badawczym na stronie internetowej Centrum Wsparcia Badań Klinicznych/Badania Kliniczne w CWBK.

CWBK przyczynia się do **rozwoju krajowego rynku niekomercyjnych badań klinicznych**, a w konsekwencji do poprawy standardów leczenia, podniesienia rangi naukowej oraz atrakcyjności WIM – PIB dla krajowych oraz międzynarodowych partnerów i sponsorów. Lista niekomercyjnych projektów prowadzonych w CWBK świadczy o dynamicznym rozwoju naukowym oraz wzroście zapotrzebowania właśnie na ten rodzaj badań klinicznych ze względu na **możliwość rozpowszechnienia innowacyjnych metod leczenia** wśród pacjentów cierpiących na choroby rzadkie lub takich, u których bez powodzenia wykorzystano wszystkie konwencjonalne terapie.

Poniżej można znaleźć szczegóły na temat **realizowanych projektów** z uwzględnieniem najważniejszych kryteriów włączenia uczestników do badania:

BOOSTER

- wielośrodkowe badanie III fazy (protokół Booster) oceniające skuteczność rytuksymabu (RTX) w leczeniu nawrotowego zespołu nerczycowego (SSNS) u dorosłych”

W badaniu mogą wziąć udział:

- kobiety i mężczyźni,
- osoby dorosłe,
- chorzy z rozpoznaniem idiopatycznym steroidowrażliwym zespołem nerczycowym (SSNS) o przebiegu nawrotowym,
- pacjenci z wywiadem nawrotów choroby podczas redukcji dawki leków immunosupresyjnych lub w ciągu 6 miesięcy od ich odstawienia,
- pacjenci z białkomoczem do 1g/dobę.

COVMENT

„Randomizowane, podwójnie zaślepienie, kontrolowane placebo badanie skuteczności i bezpieczeństwa stosowania tianeptyny w leczeniu objawów mgły covidowej u pacjentów po przebyciu COVID-19 z badaniem patofizjologii zjawiska za pomocą pozytonowej tomografii emisyjnej, parametrów biochemicznych, immunologicznych oraz elektrofizjologicznych”

W badaniu mogą wziąć udział:

- kobiety i mężczyźni,
- osoby w wieku ≥ 18 lat,
- Pacjenci po przebytej infekcji COVID-19 potwierdzonej dodatnim wynikiem badania SARS-CoV-2 metodą RT-PCR lub dodatnim testem antygenowym,
- chorzy zgłaszający pogorszenie funkcji poznawczych po przebytej infekcji COVID-19,
- chorzy z zaburzeniami funkcji poznawczych, zdefiniowane za pomocą Montrealskiej Skali Oceny Funkcji Poznawczych (MoCA).

EFFECTA

„Badanie randomizowane porównujące skuteczność i bezpieczeństwo etanerceptu i metotreksatu w olbrzymiokomórkowym zapaleniu tętnic”

W badaniu mogą wziąć udział:

- kobiety i mężczyźni,
- osoby w wieku ≥ 50 lat,
- chorzy z rozpoznaniem olbrzymiokomórkowym zapaleniem tętnic,
- Pacjenci z nowym rozpoznaniem (choroba rozpoznana w ciągu ostatnich 2 miesięcy),
- Pacjenci z chorobą oporną na leczenie (choroba rozpoznana w przeszłości ze stale utrzymującymi się, pomimo stosowanego leczenia, objawami),
- Pacjenci z nawrotem choroby (choroba rozpoznana w przeszłości i wyciszona dzięki zastosowanemu leczeniu, z ponownym pojawieniem się jej objawów w ciągu ostatnich 2 miesięcy, np. po odstawieniu leków).

FLAMING

„Ocena skuteczności i bezpieczeństwa podwójnej terapii biologicznej u chorych z oporną na indukację chorobą Leśniowskiego-Crohna”

W badaniu mogą wziąć udział:

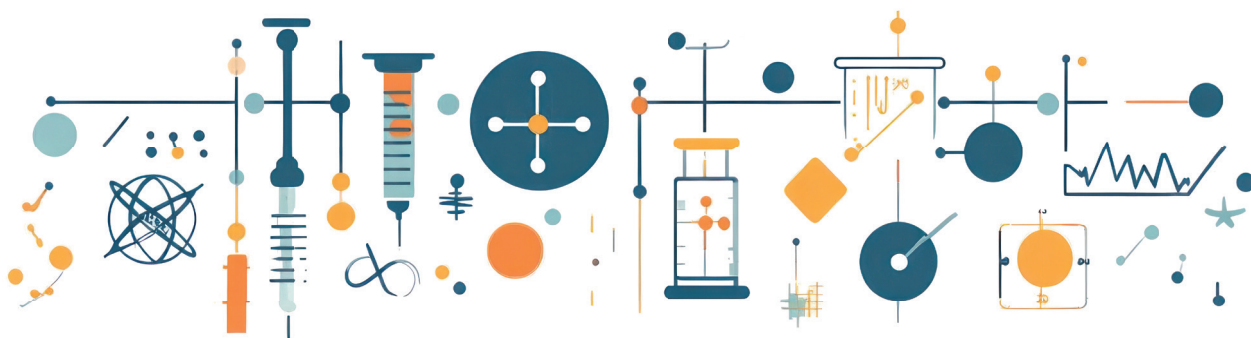
- kobiety i mężczyźni,
- osoby w wieku 18–75 lat,
- pacjenci z potwierdzoną chorobą Leśniowskiego-Crohna na podstawie badania radiograficznego, histologicznego lub endoskopowego, która trwa co najmniej 3 miesiące przed randomizacją,
- chorzy, u których nie stwierdzono remisji klinicznej choroby pomimo 8-tygodniowego leczenia wedolizumabem.

FORMA

„Wieloośrodkowe randomizowane badanie kliniczne z grupą kontrolną oceniające skuteczność i bezpieczeństwo ketoanalogów aminokwasów egzogennych w profilaktyce zaburzeń odżywienia w zespole nerczycowym”

W badaniu mogą wziąć udział:

- kobiety i mężczyźni,
- osoby w wieku >18 lat,
- chorzy z nowo rozpoznaniem epizodem zespołu nerczycowego o co najmniej umiarkowanym nasileniu (stężenie albumin w surowicy $<3\text{g/dl}$) i i etiologii niecukrzycowej, ze wskaźnikiem filtracji kłębuszkowej $\geq 30\text{ ml/min/1,73m}^2$.



MIREN

„Opracowanie szybkiej i minimalnie inwazyjnej procedury rozpoznawania endometriozy” – eksperyment medyczny

W badaniu mogą wziąć udział:

- kobiety w wieku 16-45 lat,
- Pacjentki posiadające wskazania do laparoskopowej diagnostyki w kierunku endometriozy,
- Pacjentki, które rozpoczęły aktywność seksualną przed wizytą skriningową lub zdolne do wyrażenia pisemnej zgody (dotyczy chorych, które nie rozpoczęły współżycia), na wykonanie biopsji aspiracyjnej endometrium,
- Pacjentki zgłaszające obecność przynajmniej jednego z niżej wymienionych klinicznych objawów endometriozy:
 - a. bolesne miesiączkowanie,
 - b. bolesne współżycie,
 - c. ból miednicy mniejszej niezwiązany z cyklem miesiączkowym,
 - d. niepłodność,
 - e. inne dolegliwości mogące w opinii badacza sugerować endometriozę.

LuNETa

„Ocena genetycznych czynników w grupie chorych na nowotwory neuroendokrynne płuc warunkujących odpowiedź na terapię radioligandową”

W badaniu mogą wziąć udział:

- kobiety i mężczyźni,
- osoby w wieku ≥ 18 lat,
- Pacjenci z potwierdzonym histopatologicznie NET płuca (NET G1 lub NET G2)
- chorzy z wykrytą wysoką ekspresją receptora w badaniu scyntygraficznym lub [^{68}Ga]GA-DOTA-TATE PET/CT
- pacjenci ze stwierdzoną w badaniu radiologicznym progresją choroby

MetCool ACS

„Stabilizujący wpływ metforminy u pacjentów do tej pory jej nie przyjmujących a leczonych przezskórną angioplastyką wieńcową (PCI) z powodu ostrego zespołu wieńcowego”

W badaniu mogą wziąć udział:

- kobiety i mężczyźni,
- osoby w wieku >18 lat,
- chorzy bez cukrzycy po ostrym zespole wieńcowym leczonym zabiegowo (PCI),
- Pacjenci, u których wykonano przezskórną, pełną i skuteczną rewaskularyzację co najmniej jednego naczynia wieńcowego z powodu ostrego zespołu wieńcowego.

RESPECT

„Ocena skuteczności i bezpieczeństwa podwójnej terapii biologicznej i/lub małymi cząsteczkami u chorych z opornym na indukcję wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego”

W badaniu mogą wziąć udział:

- kobiety i mężczyźni,
- osoby w wieku 18–75 lat,
- pacjenci z rozpoznaniem wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego na podstawie badań endoskopowych lub radiograficznych i histologicznych,
- chorzy, u których nie stwierdzono remisji klinicznej WZJG pomimo 8-tygodniowego leczenia wedolizumabem.

TORS-ADHERE

„Randomizowane, otwarte badanie oceniające przestanną chirurgię robotyczną wraz z uzupełniającą hipofrakcjonowaną radioterapią w porównaniu z radioterapią defini tywną IMRT u chorych na wczesnego raka płaskonabłonkowego gardła środkowego”.

W badaniu mogą wziąć udział:

- kobiety i mężczyźni,
- osoby dorosłe,
- pacjenci z rozpoznaniem rakiem płaskonabłonkowym gardła środkowego (OPSCC),
- chorzy, u których guz uznano za operacyjny na podstawie tomografii komputerowej lub rezonansu magnetycznego.



BADACZ

UCZESTNIK

PLACEBO

**WYRÓB
MEDYCZNY**



ważne pojęcia...

Ważne pojęcia stosowane w badaniach klinicznych

BADACZ – oznacza osobę odpowiedzialną za prowadzenie i nadzorowanie badania klinicznego w ośrodku badawczym. Badacz odpowiada za to by badanie było prowadzone zgodnie z zatwierdzonym protokołem badania, zasadami etyki i dobrej praktyki klinicznej. W jego gestii jest również dbanie o prawa i bezpieczeństwo uczestnika badań klinicznych. Często stosuje się również terminy „Główny Badacz” i „Współbadacz”, gdzie Główny Badacz oznacza osobę odpowiedzialną za prowadzenie i nadzorowanie badania klinicznego w ośrodku badawczym, kierującą zespołem badawczym, z kolei Współbadacz jest członkiem zespołu badawczego, wykonującym czynności badania klinicznego pod kierownictwem Głównego Badacza. W Polsce rolę Głównego Badacza może pełnić lekarz, lekarz dentyista, a w określonych przypadkach także pielęgniarka lub położna.

KOORDYNATOR BADANIA KLINICZNEGO

- osoba odpowiedzialna za administracyjną stronę i usprawnienie pracy ośrodka badawczego, wspierająca badacza w obowiązkach związanych z prowadzeniem badania klinicznego. Do głównych zadań należy dbanie o przestrzeganie protokołu badania, koordynowanie wizyt pacjentów i monitorów, a także zapewnienie zaopatrzenia ośrodka w niezbędne materiały do prowadzenia badania. Koordynator pełni rolę łącznika pomiędzy zespołem badawczym a osobą monitorującą badanie kliniczne po stronie CRO lub Sponsora.

OŚRODEK BADAWCZY - placówka ochrony zdrowia, np. szpital lub przychodnia, w której prowadzone jest badanie kliniczne.

CRA (ang. *Clinical Research Associate*) - Monitor Badań Klinicznych, to osoba nadzorująca badanie kliniczne w celu zapewnienia bezpieczeństwa pacjentów i wysokiej jakości uzyskiwanych danych. Jego główne obowiązki obejmują weryfikację zgodności badania z protokołem i dobrą praktyką kliniczną (GCP), monitorowanie prawidłowego zbierania danych oraz szkolenie personelu ośrodka badawczego.

CRO (ang. *Contract Research Organization*) - zewnętrzna organizacja, która na zlecenie sponsora (najczęściej firmy farmaceutycznej) prowadzi badania kliniczne. CRO zapewnia specjalistyczną wiedzę i infrastrukturę do zarządzania wszystkimi lub częścią działań związanych z badaniem, od planowania, przez przeprowadzanie, po monitorowanie i przygotowanie dokumentacji, dbając o wysoką jakość danych i zgodność z regulacjami.

SPONSOR – osoba fizyczna, przedsiębiorstwo, instytucja lub jednostka organizacyjna nieposiadająca osobowości prawnej, odpowiedzialna za podjęcie i prowadzenie badania klinicznego, zarządzanie nim oraz organizację jego finansowania. Sponsor może zlecić część zadań wyspecjalizowanej firmie, tzw. CRO (*Contract Research Organization*), ale nie zwalnia go to z odpowiedzialności.

UCZESTNIK – osoba, która (po poinformowaniu o istocie, znaczeniu, skutkach i ryzyku badania klinicznego) wyraziła świadomą zgodę na uczestniczenie w badaniu klinicznym. Uczestnikiem może być zarówno osoba zdrowa, jak i osoba chorująca na określone schorzenie, które jest przedmiotem badania.

FORMULARZ ŚWIADOMEJ ZGODY – dokument, który umożliwia pacjentowi podjęcie świadomej decyzji o udziale w badaniu klinicznym. Formularz świadomej zgody powinien zawierać następujące elementy: opis celu badania klinicznego, szczegółowy opis procedur, które będą przeprowadzane, informacje o potencjalnych ryzykach i korzyściach związanych z udziałem w badaniu, opis alternatywnych metod leczenia, jeśli takie istnieją, informacje o prawach pacjenta, w tym o możliwości wycofania zgody na udział w badaniu w dowolnym momencie, dane kontaktowe do osoby odpowiedzialnej za badanie oraz do Komisji Bioetycznej, oraz informacje o poufności danych i sposobie ich przetwarzania.



DOBRA PRAKTYKA KLINICZNA (ang. *Good Clinical Practice, GCP*) - międzynarodowe standardy etyczne i naukowe w zakresie planowania, dokumentowania, monitorowania, audytu, rejestrowania i publikowania wyników badań klinicznych prowadzonych z udziałem ludzi. Przestrzeganie zasad GCP stanowi właściwą ochronę praw oraz zachowania bezpieczeństwa i dobrostanu osób uczestniczących w badaniu klinicznym.

BADANY PRODUKT LECZNICZY – substancja albo mieszanina substancji, której właściwości oceniane są w badaniu klinicznym.

PRODUKT LECZNICZY - substancja lub mieszanina substancji posiadająca właściwości, dzięki którym może być zastosowana w celu zapobiegania chorobom, leczenia chorób występujących u ludzi lub zwierząt, podawana w celu postawienia diagnozy, przywrócenia, poprawienia lub modyfikacji fizjologicznych funkcji organizmu poprzez działanie farmakologiczne, immunologiczne lub metaboliczne

PLACEBO - obojętna substancja (pozbawiona aktywnego składnika) lub zabieg, który nie ma właściwego działania farmakologicznego. Ma taką samą postać jak badany produkt leczniczy. Jest kluczowe w badaniach klinicznych, gdzie podawane jest grupie kontrolnej, aby umożliwić porównanie efektów badanego produktu leczniczego z efektem placebo.

LEK PORÓWNAWCZY (KOMPARATOR)

- lek obecnie dostępny na rynku, uznawany za skuteczny, który jest stosowany w badaniu klinicznym w celu porównania z badanym produktem leczniczym.

WYRÓB MEDYCZNY - narzędzie, aparat, urządzenie, oprogramowanie, implant, odczynnik, materiał lub inny artykuł przewidziany przez producenta do stosowania – pojedynczo lub łącznie – u ludzi. Wyroby medyczne są przeznaczone do realizacji celów medycznych, takich jak diagnozowanie chorób, łagodzenie ich objawów lub wspomaganie funkcji fizjologicznych.

PROTOKÓŁ BADANIA KLINICZNEGO - dokument opisujący plan badania klinicznego, jego cele i sposób realizacji. W Polsce protokół badania jest zatwierdzany przez Komisje Bioetyczne oraz Prezesa Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych.

SCREENING – tak zwany „okres przesiewowy”, proces wstępnej oceny, który ma na celu sprawdzenie, czy potencjalny uczestnik spełnia kryteria włączenia i nie spełnia kryteriów wyłączenia. Okres screeningu ściśle definiuje Protokół Badania, standardowo trwa on od kilku dni do kilku tygodni i rozpoczyna się od momentu podpisania Świadomej Zgody.

KRYTERIA WŁĄCZENIA/WYŁĄCZENIA -

zespół kryteriów pomagających ustalić, czy dana osoba kwalifikuje się do udziału w badaniu klinicznym.

RANDOMIZACJA - to proces losowego przydzielania uczestników do grup badawczych, co zapewnia ich równomierny podział, eliminuje stronniczość selekcji oraz minimalizuje wpływ czynników zakłócających na wyniki. Celem jest stworzenie dwóch lub więcej grup (badanej/-ych i kontrolnej), których liczba zależy od złożoności badania klinicznego i jego wymagań. Osoby biorące udział w badaniu (ani zespół badawczy) nie mogą wybrać samodzielnie, do której grupy dany uczestnik zostanie przydzielony.

FOLLOW-UP - okres systematycznego badania stanu zdrowia pacjentów po zakończeniu podawania badanego produktu leczniczego lub komparatora w celu oceny trwałości efektów interwencji, bezpieczeństwa, a także wykrycia ewentualnych powikłań.

KOMISJA BIOETYCZNA - niezależny organ opiniujący i kontrolujący naukowe badania medyczne z udziałem ludzi.

URZĄD REJESTRACJI PRODUKTÓW LECZNICZYCH, WYROBÓW MEDYCZNYCH I PRODUKTÓW BIOBÓJCZYCH (URPL) -

organ sprawujący kontrolę nad prawidłowym prowadzeniem badań klinicznych w Polsce. Zgodnie z ustawą z dnia 9 marca 2023 roku o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi badanie kliniczne można rozpocząć po uzyskaniu po uzyskaniu pozwolenia Prezesa URPL.

ZDARZENIA NIEPOŻĄDANE - (AE; ang.

Adverse Event) to każde niekorzystne i niezamierzone zdarzenie natury medycznej, które występuje u pacjenta po podaniu badanego produktu leczniczego, niezależnie od tego, czy jest ono związane z danym leczeniem.

DZIAŁANIE NIEPOŻĄDANE - (ADR; ang.

Adverse Drug Reaction) jest to rodzaj zdarzenia niepożądanego, w którym istnieje podejrzenie związku przyczynowo-skutkowego między produktem leczniczym a wystąpieniem niekorzystnej i niezamierzonej reakcji.





Badania kliniczne

wprowadzenie

Rozwój chorób cywilizacyjnych stale stawia wyzwania dla współczesnej medycyny. Pacjenci na całym świecie oczekują nowych, skutecznych, a zarazem bezpiecznych sposobów leczenia. Formą poszukiwania nowoczesnych terapii są badania kliniczne, które mają fundamentalne znaczenie dla zdrowia i życia ludzkiego.

Badania kliniczne stanowią niezbędny element procesu dopuszczenia nowych leków do obrotu oraz dają odpowiedzi na pytania dotyczące ich skuteczności oraz bezpieczeństwa.

Definicja...

„Badanie kliniczne” - każde badanie prowadzone z udziałem ludzi w celu:

- a odkrycia lub potwierdzenia klinicznych, farmakologicznych lub innych farmakodynamicznych skutków jednego lub większej liczby produktów leczniczych,
- lub
- b zidentyfikowania działań niepożądanych jednego lub większej liczby produktów leczniczych,
- lub
- c zbadania wchłaniania, dystrybucji, metabolizmu i wydalania jednego lub większej liczby produktów leczniczych, mające na celu upewnienie się co do bezpieczeństwa lub skuteczności tych produktów leczniczych.

Podobnie jak badania kliniczne produktów leczniczych, wyroby medyczne również muszą przejść szereg testów, zanim zostaną dopuszczone do użytku klinicznego. Ma to na celu zapewnienie zgodności w zakresie bezpieczeństwa i działania wyrobów medycznych. Ponadto, należy zidentyfikować wszelkie działania niepożądane oraz przeprowadzić ocenę, czy generowane ryzyko jest akceptowalne, biorąc pod uwagę oczekiwane korzyści, jakie stosowanie wyrobu może przynieść dla pacjentów dotkniętych danym schorzeniem. Badania kliniczne wyrobów medycznych umożliwiają potwierdzenie, że wyroby są projektowane i produkowane zgodnie z wymogami prawa. Badania kliniczne w Europie zgodnie z MDR (ang. Medical Device Regulation) są obowiązkowe dla wyrobów medycznych wysokiej klasy ryzyka i innowacyjnych.

Badania kliniczne wyrobów medycznych w większości podlegają takim samym zasadom jak badania produktów leczniczych. Pomimo istotnych podobieństw, występuje pomiędzy nimi kilka istotnych różnic:

w przeciwieństwie do produktów leczniczych, nie każdy wyrób przed wprowadzeniem do obrotu musi zostać przebadany klinicznie. Obowiązkowi oceny klinicznej podlegają jedynie wyroby medyczne do implantacji (czyli np. rozruszniki serca) oraz wyroby medyczne klasy III (np. implanty piersi). W innych przypadkach konieczność przeprowadzenia badań powstaje, jeżeli nie jest możliwe dokonanie oceny wyrobu na podstawie badań innych, podobnych wyrobów;

w ramach jednego badania klinicznego ocenie może podlegać więcej niż jeden wyrób medyczny, co jest wykluczone w przypadku badań produktów leczniczych;

badanie kliniczne wyrobów medycznych nie dzieli się na fazy, jak w przypadku badań produktów leczniczych.

Badania kliniczne, które są złotym standardem w ocenie bezpieczeństwa i skuteczności produktów leczniczych, nie są wymagane dla suplementów diety. Wynika to z faktu, że suplementy są klasyfikowane jako środki spożywcze, dlatego też nie muszą przechodzić rygorystycznych badań klinicznych przed wprowadzeniem na rynek.

Rodzaje badań klinicznych



komercyjne

niekomercyjne

Jeżeli badania kliniczne, zarówno te dotyczące produktów leczniczych jak i wyrobów medycznych, prowadzą do uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, dokonania zmian w istniejącym pozwoleniu lub w celach marketingowych, to określane są mianem **komercyjnych badań klinicznych**.

Natomiast badania, które nie służą osiągnięciu zysków, ale koncentrują się głównie na analizie skuteczności i bezpieczeństwa leków będących już na rynku, określane są jako **niekomercyjne badania kliniczne**. W związku z tym, celem tych badań jest poszerzenie wiedzy i rozwój praktyki klinicznej, co w konsekwencji prowadzi do poprawy standardów leczenia.

Komercyjne badania kliniczne są w zdecydowanej większości sponsorowane i organizowane przez firmy farmaceutyczne oraz biotechnologiczne. Natomiast **badania niekomercyjne** prowadzone są zazwyczaj przez uczelnie wyższe, instytuty badawcze, szpitale i inne podmioty lecznicze, stowarzyszenia pacjenckie czy fundacje. Często są one także wspierane przez organizacje rządowe – w Polsce znaczną część niekomercyjnych badań klinicznych finansuje Agencja Badań Medycznych.

Pomimo powyższych różnic, badania komercyjne oraz niekomercyjne, podlegają takim samym regulacjom prawnym, wymagają uzyskania pozytywnej opinii Komisji Bioetycznej oraz zgody Prezesa Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych oraz są nadzorowane przez te same organy kontrolujące.

Wymagania

Postawione wymogi mają na celu zapobieganie nieetycznym i/lub szkodliwym eksperymentom oraz dają możliwość wyciągnięcia logicznych i rzetelnych wniosków z podjętych działań. Badania kliniczne podlegają ścisłym regulacjom prawnym, które mają za zadanie zagwarantować, że bezpieczeństwo uczestników zawsze traktowane jest priorytetowo i jest nadrzędne w stosunku do interesu nauki czy społeczeństwa.

Rozpoczęcie prowadzenia badania klinicznego jest możliwe, gdy zostaną spełnione następujące warunki:

udowodniona skuteczność i bezpieczeństwo danego produktu leczniczego na podstawie wyników badań przedklinicznych i/lub wcześniejszych badań klinicznych;

uzyskanie pozwolenia stosownych władz (w Polsce zgodę wydaje Prezes Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych po pozytywnej opinii Komisji Bioetycznej);

zarejestrowanie badania w Systemie Informacji o Badaniach Klinicznych (ang. Clinical Trial Information System, CTIS).

Podczas prowadzenia badania klinicznego zespół badawczy jest zobowiązany do przestrzegania restrykcyjnych zasad, które określone są przez międzynarodowe wytyczne oraz krajowe przepisy prawa. Ponadto, badania kliniczne podlegają nadzorowi organów państwowych oraz międzynarodowych instytucji kontrolnych, które weryfikują zgodność prowadzenia badań klinicznych z zasadami dobrej praktyki klinicznej (GCP; ang. Good Clinical Practice) i innymi przepisami prawa

Badania kliniczne prowadzone w Polsce mogą być kontrolowane zarówno przez instytucje międzynarodowe, np. FDA (ang. Food and Drug Administration) i EMA (ang. European Medicines Agency), jak i przez polskie podmioty zewnętrzne (np. URPL) oraz wewnętrzne, czyli działy audytowe w firmach prowadzących badania kliniczne. Czuwanie nad prawidłowością prowadzenia badań klinicznych nie tylko zapewnia bezpieczeństwo ich uczestników, ale również umożliwia uzyskanie wiarygodnych danych z prowadzonych badań klinicznych.

Powyższe, rygorystyczne zasady rejestracji i prowadzenia badań klinicznych oraz nadzoru nad nimi mają na celu zapewnienie:

- zgodności z zasadami dobrej praktyki klinicznej (GCP);
- zachowania najwyższych standardów etycznych;
- zgodności z protokołem (zatwierdzonym wcześniej przez komisję bioetyczną i URPL), który zawiera kluczowe informacje o badaniu klinicznym, m.in. jego cele, sposób prowadzenia, ramy czasowe czy plan poszczególnych procedur;
- zgodności z międzynarodowymi wytycznymi i krajowymi przepisami prawa.



Proces powstawania nowego leku

Cała ścieżka wprowadzania leku do obrotu jest długotrwałym procesem badawczo-rozwojowym. Zamyśl nowej terapii powstaje zazwyczaj w oparciu o potrzeby pacjentów chorych na określone schorzenie. Wiedza na temat przyczyn oraz patofizjologicznych mechanizmów danej jednostki chorobowej umożliwia opracowanie różnych cząsteczek, które poddawane są szczegółowym analizom z użyciem zaawansowanych narzędzi informatycznych (analizy *in silico*) oraz w warunkach laboratoryjnych. Prowadzone badania mają na celu wytypowanie cząsteczki, która wykazuje najbardziej obiecujące właściwości i wywołuje pożądane działanie biologiczne. Ponadto, badania laboratoryjne służą również określeniu parametrów fizykochemicznych, stabilności oraz reaktywności danej cząsteczki. Następnie z fazy laboratoryjnej przechodzi się do badań przedklinicznych, które prowadzone są w warunkach **in vitro** oraz **in vivo**. Badania przedkliniczne mają na celu wstępną ocenę bezpieczeństwa i efektywności potencjalnego leku zanim zostanie on po raz pierwszy zastosowany u ludzi.

In vitro czyli „w szkle”, to badania przeprowadzane poza organizmem żywym (hodowle komórkowe, izolowane narządy, np. skrawki tkanek). W badaniach takich można wykazać właściwości danej substancji pozaustrojowo. Badania *in vitro* nie mogą stanowić jedyne dowodu na skuteczność danej substancji.

In vivo, inaczej w organizmie żywym, to badania przeprowadzane z wykorzystaniem zwierząt laboratoryjnych. Sprawdzany jest stopień wchłaniania, metabolizm oraz droga usuwania danej substancji z ustroju. Ponadto, w fazie badań *in vivo* badany jest wpływ innych czynników takich jak: ekspresja genów, predyspozycje genetyczne, stres, dieta czy aktywność fizyczna na metabolizm substancji w żywym organizmie.

Obiecujące wyniki, uzyskane w fazie badań przedklinicznych, otwierają drogę do dalszych etapów rozwoju potencjalnego produktu leczniczego. Firma farmaceutyczna (Sponsor), chcąc rozpocząć badania kliniczne z udziałem pacjentów, jest zobowiązana do złożenia wniosku o wydanie pozwolenia wraz z innymi niezbędnymi dokumentami, które podlegają dokładnej analizie przez właściwy organ krajowy. W Polsce wnioski kierowane są do Prezesa Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych. Równolegle wniosek jest opiniowany przez właściwą Komisję Bioetyczną. Rozpoczęcie badania klinicznego jest możliwe dopiero po uzyskaniu pozytywnej opinii Komisji Bioetycznej oraz zgody Prezesa URPL.

Podział badań klinicznych na fazy jest w znacznym stopniu umowny, zarówno ze względu na ich cele na poszczególnych etapach, jak i liczebność badanych grup. Najczęściej wyróżnia się cztery fazy badań klinicznych, ale w zależności od potrzeb konkretnego badania, pewne etapy mogą się łączyć ze sobą lub nakładać. Ma to na celu zapewnienie najbardziej dogodnej i odpowiedniej struktury przeprowadzanego badania.



faza I

Jest to najbardziej ryzykowna faza badań klinicznych, ponieważ badana substancja po raz pierwszy ma kontakt z organizmem człowieka. W związku z tym w badaniach tej fazy obowiązuje bardzo rygorystyczny reżim – są one z reguły prowadzone w warunkach szpitalnych bądź w wyspecjalizowanych ośrodkach badań wczesnych faz, ze stałym monitorowaniem stanu pacjenta i stałą opieką personelu medycznego. W badaniach klinicznych fazy I analizuje się przede wszystkim bezpieczeństwo stosowania badanego produktu leczniczego oraz bezpieczny przedział dawek. W kontekście analizy bezpieczeństwa należy jednak podkreślić, iż podczas badań tej fazy naukowcy nie są w stanie ocenić wszystkich potencjalnych szkodliwych efektów, ponieważ badane grupy są niewielkie (zwykle składają się z ok. 20-80 pacjentów). W celu określenia maksymalnej tolerowanej dawki oraz zakresu dawek bezpiecznych podawanie badanego produktu leczniczego rozpoczyna się od niskich dawek (zwykle wielokrotnie niższych niż dawki toksyczne u najbardziej wrażliwego gatunku zwierzęcia w fazie badań przedklinicznych). Następnie, w przypadku dobrej tolerancji i braku istotnych działań niepożądanych, dawki stopniowo zwiększa się w kolejnych małych grupach uczestników - proces ten nazywamy eskalacją dawki. W badaniach fazy I uzyskuje się również wstępne informacje na temat tzw. farmakokinetyki (wchłanianie, metabolizm, wydalenie) i farmakodynamiki (jak lek działa na organizm) produktu leczniczego. Uczestnikami badań klinicznych fazy I mogą być zarówno osoby zdrowe, jak i osoby chore (np. w przypadku badań onkologicznych, aby nie narażać zdrowych ochotników na działanie silnie toksycznych związków). Ponieważ uczestnicy otrzymują zwykle pojedynczą dawkę lub krótki cykl dawek okres obserwacji w badaniach fazy I jest z reguły krótki (kilka dni – kilka tygodni). Podsumowując, wyniki tej części procesu badawczo-rozwojowego pozwalają na wstępną ocenę bezpieczeństwa oraz ustalenie dawek badanego produktu leczniczego, które będą stosowane w badaniach kolejnej fazy.

faza II

Faza druga badań klinicznych weryfikuje efekt terapeutyczny w grupie chorych z konkretną jednostką chorobową. Wielkość grupy badanej zależy od celu badania, rodzaju leku i choroby jednak jest zdecydowanie większa niż w fazie I (zwykle od kilkudziesięciu do kilkuset pacjentów). Celem badań tej fazy jest również uzyskanie szerszych danych dotyczących bezpieczeństwa leku oraz ustalenie optymalnej (biorąc pod uwagę efekt terapeutyczny i bezpieczeństwo) dawki. Z uwagi na powyższe cele okres obserwacji w badaniach fazy II jest z reguły dłuższy niż w przypadku fazy I (kilka tygodni – kilka miesięcy).

faza III

Badania kliniczne fazy III mają na celu potwierdzenie skuteczności i bezpieczeństwa produktu leczniczego w docelowej populacji pacjentów, w warunkach maksymalnie zbliżonych do realnej praktyki medycznej. Wymaga to znacznie większych, niż we wcześniejszych fazach, liczebności grup (często kilka tysięcy pacjentów). Również okres obserwacji jest na ogół dłuższy (miesiące-lata), co pozwala z jednej strony na ocenę trwałości efektu terapeutycznego, z drugiej – identyfikację rzadkich działań niepożądanych. Dane z badań klinicznych fazy III stanowią kluczową dokumentację w procesie rejestracji produktu leczniczego i dopuszczenia go do obrotu.

faza IV

W fazie czwartej znajdują się już nie potencjalne produkty lecznicze, ale substancje obecne na rynku i sprzedawane jako leki. W tej fazie następuje weryfikacja bezpieczeństwa stosowania leku w różnych grupach populacyjnych we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach. Podczas długoterminowego monitorowania bezpieczeństwa i skuteczności leku, możliwe jest zbadanie dodatkowych korzyści leku, ale także wykrycie długofalowych działań niepożądanych, które do tej pory nie zostały zidentyfikowane.

Przebieg badania klinicznego

Opisany podział badań klinicznych na fazy jest stosowany w przypadku procesu badawczo-rozwojowego, czyli od wynalezienia nowej cząsteczki, do jej dopuszczenia do użytku. Przebieg badania klinicznego z perspektywy pacjenta również podzielony jest na etapy z tą różnicą, że uczestnik bierze udział w konkretnej fazie badania klinicznego.

Aby chory mógł być zakwalifikowany do badania, musi wyrazić tzw. świadomą zgodę na udział w badaniu, a także spełnić ściśle określone wymogi, które opisane są w protokole. Warunkiem niezbędnym do udzielenia świadomej zgody jest przedstawienie potencjalnemu uczestnikowi informacji na temat badania klinicznego, praw oraz obowiązków pacjenta – dopiero po pełnym zrozumieniu wszystkich aspektów badania klinicznego, możliwe jest wyrażenie przez uczestnika świadomej zgody na udział w badaniu klinicznym. Podpisanie Formularza Świadomej Zgody rozpoczyna etap przesiewowy, tzw. screening. W tym czasie analizowana jest historia medyczna pacjenta oraz przeprowadzane są procedury opisane w protokole (np. badanie lekarskie, badania laboratoryjne i obrazowe) – ma to na celu potwierdzenie, iż pacjent spełnia kryteria włączenia do badania oraz nie spełnia kryteriów wyłączenia (kryteria te z jednej strony mają zapewnić bezpieczeństwo uczestników, eliminując pacjentów z wysokim ryzykiem działań niepożądanych, z drugiej – zapewnić rekrutację optymalnej, z punktu widzenia celów badania, populacji pacjentów).

Po okresie przesiewowym zakończonym pozytywną kwalifikacją, uczestnik przechodzi do fazy aktywnego leczenia. W zależności od badania ten etap może być różny – niektóre badania zakładają jedynie kilka tygodni podawania produktu badanego, inne mogą być zaplanowane na kilka lat. Forma wizyt odbywa się zgodnie z protokołem, który określa także procedury przeprowadzane na każdej wizycie.

Zazwyczaj uczestnicy są losowo przydzielani do grupy otrzymującej badaną substancję lub do grupy kontrolnej, która otrzymuje lek standardowy lub placebo – proces ten nazywamy randomizacją. Często badanie jest „podwójnie zaślepienie”, co oznacza, że ani uczestnik, ani badacz nie wie, która terapia została przypisana – jest to standard zapewniający rzetelność wyników.

Ponieważ bezpieczeństwo uczestnika jest w badaniu klinicznym priorytetem, powinien on mieć możliwość bezpośredniego kontaktu z Badaczem, niezależnie od częstotliwości wizyt w ośrodku. W celu monitorowania stanu zdrowia, uczestnik badania klinicznego podlega regularnej kontroli w ośrodku prowadzącym badanie, zgodnie z harmonogramem wizyt. W trakcie wizyt zbierane są informacje m.in. na temat wszystkich zdarzeń medycznych, przyjmowanych leków, przeprowadzone są dodatkowe, przewidziane w protokole, procedury, takie jak badanie lekarskie czy badania dodatkowe (np. laboratoryjne).

Po zakończeniu okresu leczenia rozpoczyna się część obserwacyjna – tzw. „follow-up”, podczas którego sprawdzane jest samopoczucie i bezpieczeństwo uczestnika po odstawieniu leku. Czas trwania oraz ilość wizyt w okresie follow-up mogą być różne i zależą od harmonogramu konkretnego badania klinicznego.

Należy podkreślić, iż pacjent biorący udział w badaniu klinicznym zachowuje pełne prawo do korzystania ze świadczeń gwarantowanych finansowanych przez NFZ.

Świadoma zgoda

Uzyskanie świadomej zgody pacjenta jest podstawowym warunkiem udziału w badaniu klinicznym. Należy podkreślić, iż procedura ta nie ogranicza się do złożenia podpisu na Formularzu. Jest to złożony proces, podczas którego szczegółowo omawiany jest każdy aspekt badania, w tym istota i cel, sposób jego przeprowadzenia, ryzyka i korzyści związane z danym badaniem oraz prawa jakie przysługują uczestnikowi badania klinicznego. Jeżeli pacjent nie jest w stanie podjąć decyzji podczas rozmowy, na której proponowany jest udział w badaniu, to istnieje możliwość wydłużenia czasu na odpowiedź, tak aby była wyrażona wola była w pełni przemyślana i świadoma.

Należy podkreślić, że niedopuszczalne jest wykonanie jakiegokolwiek procedury w ramach badania klinicznego przed udokumentowaniem i prawidłowo przeprowadzonym procesem udzielenia świadomej zgody.

Podstawowe zasady, które definiują ten proces to:

Wystarczająca ilość czasu na zapoznanie się z formularzem i informacjami dla uczestnika;

Prawo do zadawania pytań, na które Badacz jest zobowiązany udzielić wyczerpujących odpowiedzi;

Własnoręczny podpis i datowanie formularza świadomej zgody zarówno przez pacjenta, jak i Badacza przeprowadzającego cały proces. Formularz podpisywany jest w dwóch jednobrzmiących egzemplarzach, z których jeden pozostaje w dokumentacji badania w ośrodku, a drugi otrzymuje uczestnik;

Brak przymusu, bądź nacisku. Pacjent musi być w pełni przekonany o chęci udziału w badaniu, a decyzja musi być podjęta samodzielnie i dobrowolnie;

Odmowa udziału w badaniu klinicznym nie niesie za sobą żadnych konsekwencji. Jeżeli pacjent nie wyrazi chęci udziału w badaniu, to nie traci przysługujących mu praw do leczenia uznanego za standardowe i odpowiednie w jego przypadku.

Prawa uczestnika badania klinicznego

Oprócz praw uczestnika badania, które są gwarantowane podczas procesu uzyskiwania świadomej zgody, należy zwrócić uwagę na następujące aspekty:

- Pacjent ma prawo do uzyskania od Badacza informacji o stanie zdrowia na każdym etapie badania klinicznego oraz do wglądu w dokumentację medyczną;
- Badacz jest zobowiązany do niezwłocznego przekazywania uczestnikowi wszelkich nowych danych, które mogłyby wpłynąć na jego decyzję co do dalszego uczestnictwa w badaniu (np. jeżeli pojawią się informacje dotyczące ryzyka wynikającego ze stosowania testowanego produktu leczniczego);
- Uczestnik ma prawo do rezygnacji z udziału na każdym etapie trwania badania (bez konieczności podawania przyczyny) bez ponoszenia jakichkolwiek konsekwencji;
- Pacjent ma prawo do dochodzenia odszkodowania, jeżeli doszło do trwałego uszczerbku na zdrowiu bezpośrednio związanego ze stosowaniem badanego produktu leczniczego lub procedurą medyczną wymaganą przez protokół badania;
- Udział w badaniu klinicznym jest bezpłatny, a koszty badanych produktów leczniczych i wszystkich procedur przewidzianych w protokole badania ponosi Sponsor badania;
- Uczestnik ma prawo do zachowania swojej prywatności oraz poufności danych osobowych, w tym do zapewnienia, że w publikacjach i raportach nie będą ujawniane informacje umożliwiające jego identyfikację
- Zarówno w czasie badania, jak i po jego zakończeniu pacjent ma prawo do zgłaszania Badaczowi wszelkich zauważalnych zmian samopoczucia, dolegliwości zdrowotnych, budzących niepokój lub innych medycznych problemów, które wymagają specjalistycznej interwencji;
- Uczestnikowi przysługuje prawo zwrotu dodatkowych, udokumentowanych kosztów, które zostały poniesione w trakcie uczestniczenia w badaniu klinicznym.

Obowiązki uczestnika badania klinicznego

Uczestnicząc w badaniu klinicznym należy mieć świadomość nie tylko przysługujących praw, ale także obowiązków, które muszą być przestrzegane przez cały okres trwania badania:

- Informowanie Badacza o obecnym stanie zdrowia, jak i o przebytych chorobach;
- Zgoda na udostępnienie dokumentacji medycznej oraz wyników badań zebranych w ramach uczestnictwa w badaniu klinicznym zespołowi badawczemu, przedstawicielom sponsora, audytorom oraz innym osobom/organom uprawnionym (z zachowaniem poufności i zgodnie z obowiązującymi przepisami o ochronie danych osobowych);
- Przestrzeganie zaleceń w zakresie stosowania terapii; w przypadku gdy produkt badany jest wydawany do domu, pacjent jest zobowiązany do przyjmowania go zgodnie z protokołem oraz zwracania opakowań wraz z pozostałymi nieużyтыми dawkami;
- Przestrzeganie ograniczeń dotyczących stylu życia, które są szczegółowo opisane w protokole badania (np. stosowanie odpowiedniej diety);
- Przestrzeganie restrykcji związanych z przyjmowaniem innych leków i suplementów diety (uczestnik jest zobowiązany informować badacza o wprowadzonych zmianach dotyczących leków towarzyszących, a każda zmiana powinna być, o ile to możliwe, uprzednio skonsultowana z badaczem);
- Stosowanie antykoncepcji – ze względu na nieznaną wpływ badanego produktu leczniczego na płód, płodność i inne funkcje związane z reprodukcją może być wymagane stosowanie antykoncepcji u uczestników badania klinicznego (dopuszczalne metody antykoncepcji zwykle określone są w protokole badania);
- Przestrzeganie harmonogramu wizyt oraz dobrowolne poddawanie się wszystkim procedurom przewidzianych protokołem. W przypadku planowania zmiany bądź odwołania terminu zaplanowanej wizyty, pacjent powinien o tym fakcie poinformować badacza z wyprzedzeniem;
- Niezwłoczne przekazanie decyzji o rezygnacji z udziału w badaniu badaczowi. Pacjent powinien zgłosić się w wyznaczonym terminie na wizytę kontrolną, która ma na celu ocenę stanu zdrowia po zakończeniu udziału w badaniu;
- Obowiązek informowania Badacza o wszystkich zdarzeniach niepożądanych, a jeżeli była świadczona pomoc medyczna, dostarczenie dokumentacji potwierdzającej przeprowadzoną procedurę lub interwencję medyczną.
- Pacjent powinien informować personel medyczny (poza ośrodkiem prowadzącym badanie) o fakcie uczestnictwa w badaniu klinicznym, gdyż może to mieć istotne znaczenie w kontekście bezpieczeństwa/skuteczności udzielanych świadczeń

Badanie kliniczne a standardowa opieka

Standardowa opieka medyczna opiera się na zbiorze rekomendacji, które odnoszą się do wszystkich działań zapobiegawczych, diagnostycznych oraz leczniczych. Przedstawione są one zwykle w formie wytycznych lub ścieżek postępowania medycznego opracowanych przez towarzystwa naukowe lub inne grupy eksperckie, bazujące na aktualnej wiedzy medycznej oraz na tzw. medycynie opartej na naukowych dowodach (EBM; ang. Evidence Based Medicine). Ma na celu zapewnienie jak najlepszej opieki medycznej dostosowanej do obecnych potrzeb indywidualnego pacjenta. Badania kliniczne przeprowadza się natomiast, aby uzyskać uogólnioną wiedzę przydatną dla przyszłych pacjentów, która polega na ustaleniu, czy badany produkt i związana z nim procedura są bezpieczne i skuteczne dla większej grupy osób cierpiących na określoną chorobę.

Uczestnictwo w badaniu klinicznym nie pozbawia pacjenta praw do korzystania ze standardowej opieki medycznej. Zaleca się, aby lekarz pierwszego kontaktu został poinformowany o zakwalifikowaniu pacjenta do danego badania klinicznego (brak takiej informacji może utrudnić prawidłowe leczenie i potencjalnie stanowić zagrożenie dla zdrowia), ale zgoda taka musi być dobrowolnie wyrażona przez uczestnika.

Korzyści wynikające z udziału w badaniu klinicznym

Warunkiem dopuszczenia nowego produktu leczniczego do obrotu jest udowodnienie jego skuteczności i bezpieczeństwa poprzez przeprowadzenie całego procesu badań przedklinicznych i klinicznych. Wprowadzenie na rynek nowej, często skuteczniejszej/bezpieczniejszej od dotychczasowego standardu terapii stanowi istotną korzyść społeczną badań klinicznych. W tym kontekście każdy uczestnik badania klinicznego przyczynia się do rozwoju medycyny oraz większej dostępności skutecznych terapii dla całego społeczeństwa.

Poza korzyściami społecznymi badania kliniczne mogą przynosić również korzyści ich uczestnikom. Jedną z najważniejszych potencjalnych korzyści jest możliwość uzyskania dostępu do innowacyjnych, a nawet przełomowych terapii – choć są one nadal w fazie badań, w niektórych przypadkach mogą stanowić szansę na poprawę stanu zdrowia lub nawet być jedyną opcją terapeutyczną, jeśli wszystkie standardowe formy leczenia zawiodły. Dodatkową korzyścią z udziału w badaniach klinicznych jest wysoki standard opieki medycznej – kwalifikacja do badania klinicznego wymaga na ogół przeprowadzenia szczegółowej diagnostyki weryfikującej kompleksowo stan zdrowia, który następnie, przez cały okres trwania badania, jest ściśle monitorowany. Dzięki temu u uczestników badań klinicznych nierzadko udaje się wykryć wcześniej nierozpoznane schorzenia, co pozwala na szybkie rozpoczęcie leczenia. Ma to szczególne znaczenie w przypadku chorób takich jak nowotwory, gdzie wczesna diagnoza może znacząco zwiększyć szanse na skuteczną terapię. Ściśle monitorowanie stanu zdrowia w trakcie badania klinicznego poprawia również ogólny komfort i poczucie bezpieczeństwa pacjentów.

Z punktu widzenia pacjenta istotne jest, że udział w badaniu klinicznym jest całkowicie bezpłatny, a Sponsorzy często pokrywają koszty związane z uczestnictwem – takie jak dojazd do ośrodka, posiłki w dniu wizyty czy noclegi. Ma to szczególne znaczenie dla osób mieszkających w mniejszych miejscowościach, oddalonych od dużych centrów klinicznych, dla których skorzystanie ze standardowej opieki medycznej w renomowanych ośrodkach mogłoby stanowić poważne obciążenie finansowe.

W niektórych badaniach, zwłaszcza fazy I z udziałem zdrowych ochotników, Sponsorzy przewidują również dodatkowe rekompensaty finansowe w zamian za czas i wysiłek poświęcony na uczestnictwo w wizytach.



Ryzyko wynikające z udziału w badaniu klinicznym

Potencjalny uczestnik, przed podjęciem decyzji o udziale w badaniu klinicznym, musi zostać szczegółowo poinformowany o wszystkich ryzykach i zagrożeniach, które mogą wystąpić w trakcie trwania badania.

Największe ryzyko dla pacjenta jest związane z możliwością wystąpienia działań i zdarzeń niepożądanych w związku ze stosowaniem badanego produktu. Mimo że bezpieczeństwo uczestników stanowi najwyższy priorytet, a zgoda na rozpoczęcie leczenia z udziałem ludzi wymaga uzyskania licznych pozwoleń, to bezpieczeństwo produktu leczniczego będącego w fazie badań klinicznych jest wciąż weryfikowane i nie są znane wszystkie skutki uboczne, szczególnie te długofalowe.

Każde badanie kliniczne prowadzone jest zgodnie z protokołem, który narzuca określoną liczbę wizyt (w określonych oknach czasowych) oraz konkretne procedury, które muszą być wykonywane podczas tych wizyt. Jest to podyktowane z jednej strony koniecznością wiarygodnej oceny skuteczności terapii, z drugiej – dbałością o bezpieczeństwo pacjenta poddanego nowej terapii. Jednocześnie duża częstotliwość wizyt (i ograniczona elastyczność ich harmonogramu) oraz znaczna liczba procedur (np. badań laboratoryjnych czy obrazowych) mogą być nie tylko uciążliwe, ale również (np. procedury inwazyjne) wiązać się z określonym ryzykiem.

Protokół może także wymuszać zmianę stylu życia lub narzucać pewne ograniczenia (np. dotyczące diety czy stosowania używek), przez co pacjent będzie musiał włożyć więcej wysiłku i zaangażowania po włączeniu do badania klinicznego.



Normy etyczne i regulacje prawne a badania kliniczne

W celu ochrony praw pacjentów, ale także zapewnienia transparentności i wiarygodności badań klinicznych opracowano szereg norm i zaleceń oraz wdrożono odpowiednie regulacje prawne.

Normy etyczne, które znajdują zastosowanie w badaniach klinicznych to przede wszystkim kodeks etyki lekarskiej oraz międzynarodowe standardy, takie jak:

- ✓ Kodeks Norymberski,
- ✓ Deklaracja Helsińska,
- ✓ Raport Belmoncki,
- ✓ Dobra Praktyka Kliniczna.

Prawne aspekty prowadzenia badań klinicznych w Polsce są zawarte przede wszystkim w Ustawie z dnia 9 marca 2023 roku o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi. Celem ustawy jest zapewnienie jakości, skuteczności i bezpieczeństwa produktów leczniczych oraz zagwarantowanie bezpieczeństwa podczas ich obrotu. W dokumencie tym są określone zasady odpowiedzialności cywilnej badacza i sponsora badań klinicznych. Zapewniają one ochronę uczestników badań pod kątem roszczenia do odszkodowań (ubezpieczeń). Utworzony Fundusz Kompensacyjny zapewnia wsparcie finansowe dla uczestników badania klinicznego, którzy w wyniku udziału w badaniu doznali szkody. Funduszem dysponuje Rzecznik Praw Pacjent, do którego składa się wnioski o przyznanie świadczenia.

Ponadto, fundamenty regulacji prawnych dotyczących badań klinicznych znajdują się w innych ustawach oraz rozporządzeniach:

- ✓ Ustawa o zawodach lekarza i lekarza dentystry z dnia 5 grudnia 1996 roku,
- ✓ Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r.,
- ✓ Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/745 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych,
- ✓ Ustawa z dnia 7 kwietnia 2022 roku o wyrobach medycznych.

Gwarancję bezpieczeństwa danych pacjenta w badaniach klinicznych zapewnia Rozporządzenie o ochronie danych osobowych, czyli RODO (ang. General Data Protection Regulation, GDPR). RODO stanowi kluczowe ramy prawne dla ochrony danych osobowych w badaniach klinicznych, gwarantując prawa uczestników i określając obowiązki administratorów.

Do kluczowych aspektów badań klinicznych należy zapewnienie wysokiej jakości wszystkich procesów, co w dużej mierze zależy od stosowania się do obowiązujących wymogów prawnych i etycznych. Wysoka jakość jest z kolei ściśle związana z takimi aspektami jak bezpieczeństwo uczestników, poszanowanie ich praw, ale również wiarygodność uzyskiwanych wyników, co ma kluczowe znaczenie w procesie dopuszczenia badanego produktu leczniczego bądź wyrobu medycznego do obrotu. W celu zachowania standardów jakościowych wdrażane są odpowiednie procedury, a przestrzeganie norm jakościowych podlega weryfikacji i monitorowaniu na wielu poziomach. Bieżący nadzór nad prowadzeniem badania powierzany jest monitorom badań klinicznych (CRA; ang. Clinical Research Associate). Inną formą kontroli procedur i dokumentacji badania klinicznego są audyty (np. Sponsora) oraz inspekcje (w Polsce przeprowadzane przez Departament Inspekcji Produktów Leczniczych i Wyrobów Medycznych - URPL).

