



KOORDYNATOR OPIEKI ONKOLOGICZNEJ

PODSTAWOWE POJĘCIA Z ZAKRESU BADAŃ KLINICZNYCH

Małgorzata Karbowska

WWW.AKOO.PL



PARTNER PROJEKTU: **GSK**



Podstawowe pojęcia z zakresu **badania klinicznych**

dr n. med. **Małgorzata Karbowska**

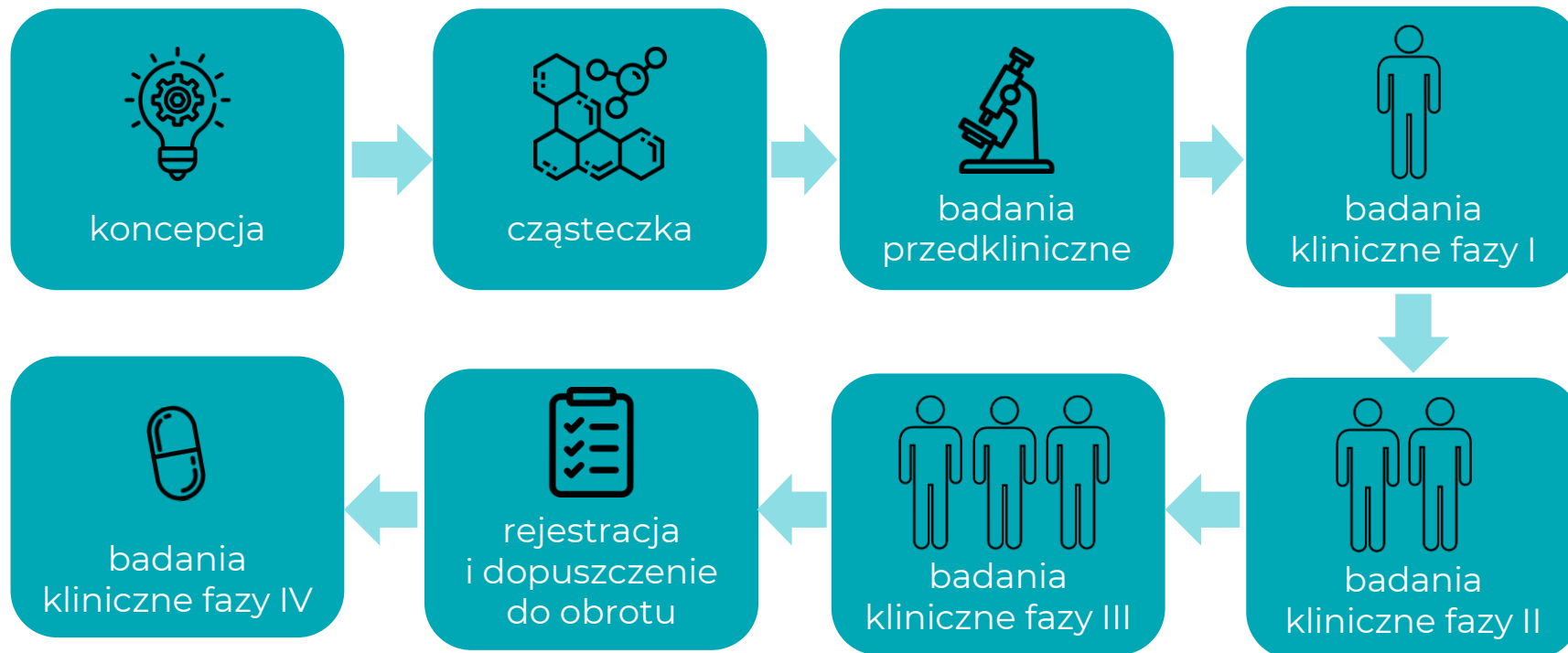


BIAŁOSTOCKIE CENTRUM ONKOLOGII
im. M. Skłodowskiej-Curie w Białymstoku



KOO
KOORDYNATOR OPIEKI ONKOLOGICZNEJ

Jak powstaje lek?



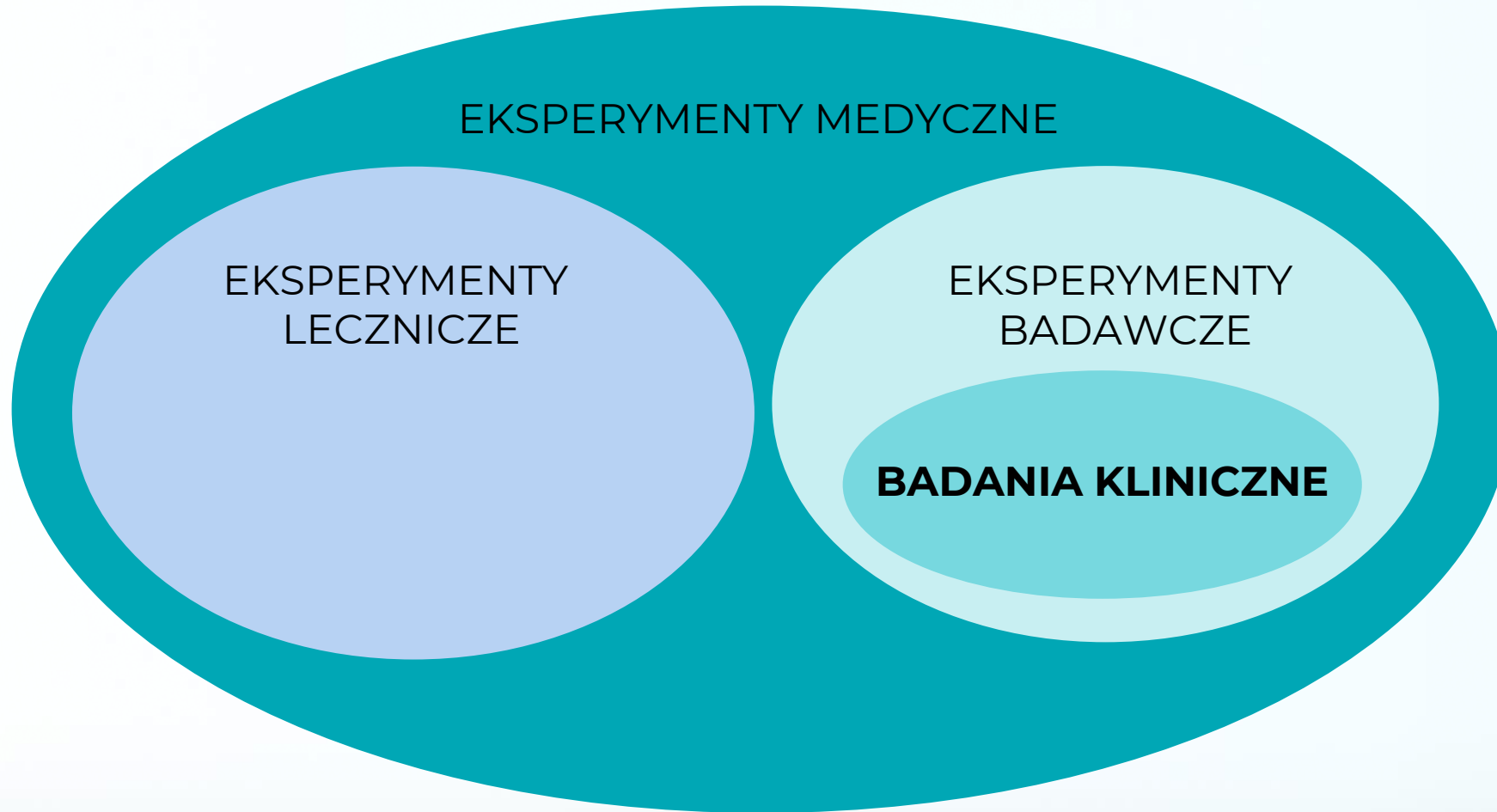
Ile kosztuje stworzenie jednego nowego leku?



BIAŁOSTOCKIE CENTRUM ONKOLOGII
im. M. Skłodowskiej-Curie w Białymstoku



Badania kliniczna a eksperymenty medyczne



Eksperyment medyczny

Eksperyment medyczny – pojęcie to obejmuje eksperyment leczniczy, eksperyment badawczy oraz przeprowadzenie badań materiału biologicznego, w tym genetycznego, pobranego od osoby dla celów naukowych.

Ustawa o zawodzie lekarza i lekarza dentysty z dnia 5 grudnia 1996 r



Eksperyment leczniczy

Eksperyment leczniczy - wprowadzenie nowych albo tylko częściowo wypróbowanych metod diagnostycznych, leczniczych lub profilaktycznych w celu osiągnięcia bezpośredniej korzyści dla zdrowia osoby chorej. Może on być przeprowadzony, jeżeli dotychczas stosowane metody nie są skuteczne albo jeżeli ich skuteczność nie jest wystarczająca.

Ustawa o zawodzie lekarza i lekarza dentysty z dnia 5 grudnia 1996 r



Eksperyment badawczy

Eksperyment badawczy – celem eksperymentu jest przede wszystkim rozszerzenie wiedzy medycznej. Może być on przeprowadzany zarówno na osobie chorej, jak i zdrowej. Przeprowadzenie eksperymentu badawczego jest dopuszczalne, gdy uczestnictwo w nim **nie jest związane z ryzykiem** albo też **ryzyko jest minimalne i nie pozostaje w dysproporcji do możliwych pozytywnych rezultatów takiego eksperymentu**.

Ustawa o zawodzie lekarza i lekarza dentysty z dnia 5 grudnia 1996 r



Badanie kliniczne – definicja nieaktualna

Badanie kliniczne – każde badanie prowadzone z udziałem ludzi w celu odkrycia lub potwierdzenia klinicznych, farmakologicznych, w tym farmakodynamicznych skutków działania jednego lub wielu badanych produktów leczniczych, lub w celu zidentyfikowania działań niepożądanych jednego lub większej liczby badanych produktów leczniczych, lub śledzenia wchłaniania, dystrybucji, metabolizmu i wydalania jednego lub większej liczby badanych produktów leczniczych, mając na względzie ich bezpieczeństwo i skuteczność.

Ustawa z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2019 r. poz. 499)



Badanie kliniczne – definicja aktualna

Badaniem klinicznym – jest badanie kliniczne w rozumieniu art. 2 ust. 2 pkt 2 rozporządzenia 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 (Dz. Urz. UE L 158 z 27.05.2014, str. 1, z późn. zm.2)), zwanego dalej „rozporządzeniem 536/2014”;

Ustawa z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2022 r., poz. 2301)



Badanie kliniczne – definicja aktualna

Badanie kliniczne – badanie biomedyczne spełniające którykolwiek z następujących warunków:

- a) przydział uczestnika do danej strategii terapeutycznej ustalany jest z góry i odbywa się w sposób niestanowiący standardowej praktyki klinicznej zainteresowanego państwa członkowskiego;
- b) decyzja o przepisaniu badanego produktu leczniczego jest podejmowana łącznie z decyzją o włączeniu uczestnika do badania biomedycznego; lub
- c) oprócz standardowej praktyki klinicznej u uczestników wykonuje się dodatkowe procedury diagnostyczne lub procedury monitorowania;

ROZPORZĄDZENIE 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



Rodzaje badań klinicznych

- ❖ **Weterynaryjne**
- ❖ **Produktów leczniczych stosowanych u ludzi**



Rodzaje badań klinicznych

- **Komercyjne** - sponsorami są firmy farmaceutyczne i biotechnologiczne; badania prowadzone są w celu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu badanego
- **Niekomercyjne** - sponsorami są m.in. uczelnie wyższe, instytuty badawcze, stowarzyszenia i fundacje; badania prowadzone są w celu rozwoju praktyki klinicznej i poszukiwania nowych metod leczenia



Rodzaje badań klinicznych

- **Fazy I**
- **Fazy IIA**
- **Fazy IIB**
- **Fazy III**
- **Fazy IV**



Rodzaje badań klinicznych

- **Produktów Lecznicych** – badaniom podlega każdym nowym lek, który ma zostać wprowadzony do obrotu
- **Wyrobów medycznych** – badaniom 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.



Badania kliniczne – korzyści

PACJENCI

- Dostęp do nowoczesnych terapii
- Bezpłatny dostęp do specjalistycznych badań i opieki medycznej na najwyższym poziomie
- Wydłużenie i poprawę jakości życia



Badania kliniczne – korzyści

BADACZE

- Większe możliwości rozwoju zawodowego
- Dostęp do innowacyjnych metod leczenia i globalnego know-how
- Wyższe wynagrodzenia
- Rozwój naukowy



Badania kliniczne – korzyści

SZPITALE/PRZYCHODNIE

- Prestiż
- Dodatkowe źródło finansowania



Badania kliniczne – korzyści

GOSPODARKA KRAJOWA

- Wprowadzanie nowych i optymalizacja istniejących metod leczenia
- Racjonalizacja i oszczędności dot. kosztów leczenia
- Postęp wiedzy
- Rozwój sektora farmaceutycznego i biotechnologicznego



Podstawowe pojęcia

Sponsor - osoba fizyczna, osoba prawna albo jednostka organizacyjna nieposiadająca osobowości prawnej, odpowiedzialna za podjęcie, prowadzenie i finansowanie badania klinicznego, która ma siedzibę na terytorium jednego z państw członkowskich Unii Europejskiej lub państw członkowskich Europejskiego Porozumienia o Wolnym Handlu (EFTA).



Podstawowe pojęcia

CRO (CONTRACT RESEARCH ORGANIZATION) – organizacja, prowadząca badanie kliniczne najczęściej na zlecenie firmy farmaceutycznej bądź innego Sponsora (np. Instytut, Uczelnia, inna jednostka prowadząca działalność leczniczą lub lekarz/badacz w przypadku badań niekomercyjnych).



Podstawowe pojęcia

Badacz – lekarz/pielęgniarka, która prowadzi i nadzoruje badanie kliniczne w ośrodku badawczym (szpital/przychodnia). Badacz odpowiada za to by badanie było prowadzone zgodnie z zatwierdzonym protokołem badania, dba o zasady etyki i dobrej praktyki klinicznej. W jego gestii jest również dbanie o prawa i bezpieczeństwo pacjenta uczestnika badań klinicznych.



Podstawowe pojęcia

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



Podstawowe pojęcia

Uczestnik – osoba fizyczna, która bierze udział w badaniu klinicznym, przyjmując badany produkt leczniczy albo znajdując się w grupie kontrolnej



Podstawowe pojęcia

Protokół badania - dokument opisujący cele, plan, metodologię, zagadnienia statystyczne i organizację badania klinicznego. Pojęcie "protokół" obejmuje kolejne wersje protokołu oraz zmiany do niego.



Podstawowe pojęcia

Wzór protokołu badania



Podstawowe pojęcia

Broszura badacza – zbiór danych klinicznych i nieklinicznych dotyczących badanego produktu leczniczego lub produktów leczniczych, mających znaczenie dla prowadzenia badań tego produktu lub produktów na ludziach.



Podstawowe pojęcia

Wzór Broszury Badacza



BIAŁOSTOCKIE CENTRUM ONKOLOGII
im. M. Skłodowskiej-Curie w Białymstoku



Podstawowe pojęcia

Badany produkt leczniczy – produkt leczniczy, który jest badany lub stosowany w badaniu klinicznym jako produkt referencyjny, w tym jako placebo.



Podstawowe pojęcia

Komparator – inaczej aktywny lek porównawczy, lek obecnie dostępny na rynku, uznawany za skuteczny, który jest stosowany w badaniu klinicznym w celu porównania z lekiem badanym.



Podstawowe pojęcia

Formularz świadomej zgody - dokument, który umożliwia pacjentowi podjęcie świadomej decyzji o udziale w badaniu klinicznym. W dokumencie tym przedstawia się cel badania, prawa i obowiązki pacjenta, procedury wykonywane podczas badania oraz ewentualne korzyści i zagrożenia związane z udziałem w badaniu.



Podstawowe pojęcia

Przykładowy formularz świadomej zgody



Podstawowe pojęcia

Dlaczego uznajemy, że świadoma zgoda jest **procesem**?



Podstawowe pojęcia

Kryteria włączenia/wyłączenia - zespół czynników pomagających ustalić, czy dana osoba kwalifikuje się do udziału w badaniu klinicznym (i zostanie włączona do badania), czy też nie (i nie zostanie zakwalifikowana do badania).



Podstawowe pojęcia

Przykładowe kryteria włączenia i wyłączenia



Podstawowe pojęcia

Randomizacja – proces polegający na losowym przydzielaniu uczestników badania do grupy z lekiem badanym lub do grupy kontrolnej (z aktywnym lekiem porównawczym lub placebo).



Podstawowe pojęcia

Karta obserwacji pacjenta (CRF) – (ang. Case Report Form) to dokument w formie papierowej lub elektronicznej (eCRF, ang. Electronic Case Report Form) zawierający informacje dot. pacjenta pochodzące z danych źródłowych i wymagane przez protokół badania klinicznego, które są raportowane Sponsorowi



Podstawowe pojęcia

Czym są **dane źródłowe**?



Podstawowe pojęcia

Dane źródłowe (source data) – wg. dobrej praktyki klinicznej to wszystkie dane zawarte w oryginalnej dokumentacji medycznej, oryginalne wydruki wyników badań dodatkowych lub ich potwierdzone kopie.



Podstawowe pojęcia

Monitor badania klinicznego – osoba zatrudniona przez Sponsora lub CRO, odpowiadająca za współpracę z ośrodkiem badawczym i monitorowanie jego działań w zakresie zgodności realizacji badania klinicznego z protokołem badania, zasadami dobrej praktyki klinicznej oraz przepisami prawa.



Podstawowe pojęcia

Dobra Praktyka Kliniczna (Good Clinical Practice) – międzynarodowy kodeks etyczny określający zasady projektowania, prowadzenia, dokumentowania i prezentowania wyników badań klinicznych opracowany przez Międzynarodową Konferencję Harmonizacji Dobrej Praktyki Klinicznej (ICH GCP); zbiór wymagań, których przestrzeganie gwarantuje ochronę praw, bezpieczeństwa i dobra uczestników badań klinicznych oraz wiarygodność wyników uzyskiwanych przez Sponsorów.



Podstawowe pojęcia

Komisja Bioetyczna – ciało opiniujące powołane zgodnie z obowiązującym Polskim Prawem

Naczelna Komisja Bioetyczna do spraw badań klinicznych - niezależny podmiot ustanowiony na mocy art. 91 ust. 1 ustawy z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi, który jest dedykowany wydawaniu opinii etycznych badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi.



Podstawowe pojęcia

Komisja Bioetyczna \neq Komisja Etyczna



BIAŁOSTOCKIE CENTRUM ONKOLOGII
im. M. Skłodowskiej-Curie w Białymstoku



Bibliografia:

1. <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/>
2. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/slownik>
3. <https://abm.gov.pl/>
4. ROZPORZĄDZENIE 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
5. Ustawa o zawodzie lekarza i lekarza dentysty z dnia 5 grudnia 1996 r
6. Ustawa z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne
7. <https://sitn.hms.harvard.edu/flash/2020/modern-drug-discovery-why-is-the-drug-development-pipeline-full-of-expensive-failures/>
8. Hingorani, A.D., Kuan, V., Finan, C. et al. Improving the odds of drug development success through human genomics: modelling study. Sci Rep 9, 18911 (2019)
9. Brodniewicz, T. Badania Kliniczne, 2021.





Dziękuję **za uwagę**

dr n. med. **Małgorzata Karbowska**



BIAŁOSTOCKIE CENTRUM ONKOLOGII
im. M. Skłodowskiej-Curie w Białymstoku



KOO
KOORDYNATOR OPIEKI ONKOLOGICZNEJ