

Warszawa, dnia 24 października 2019 r.

Poz. 1024

**UCHWAŁA NR 90  
RADY MINISTRÓW**

z dnia 20 września 2019 r.

**w sprawie przyjęcia Planu Rozwoju Badań Klinicznych na lata 2020–2025**

Rada Ministrów uchwala, co następuje:

§ 1. Przyjmuje się Plan Rozwoju Badań Klinicznych na lata 2020–2025, zwany dalej „Planem”, stanowiący załącznik do uchwały.

§ 2. Celem Planu jest rozwój krajowego rynku badań klinicznych oraz zdefiniowanie środków wsparcia o charakterze organizacyjnym, finansowym i normatywnym, a także wyodrębnienie obszarów wymagających wsparcia w przypadku niekomercyjnych badań klinicznych.

§ 3. Monitorowanie realizacji Planu powierza się ministrowi właściwemu do spraw zdrowia.

§ 4. Uchwała wchodzi w życie z dniem następującym po dniu ogłoszenia.

Prezes Rady Ministrów: *M. Morawiecki*

Załącznik do uchwały nr 90 Rady Ministrów  
z dnia 20 września 2019 r. (poz. 1024)

## **Ministerstwo Zdrowia**

### **Plan Rozwoju Badań Klinicznych na lata 2020–2025**

**Warszawa 2019**

## Spis treści

1. Wstęp .....	4
1.1. Badania kliniczne w Polsce – analiza systemowa .....	4
2. Finansowanie grantów naukowych – niekomercyjne badania kliniczne, zasady oraz podmioty uprawnione do finansowania. Oczekiwane rezultaty .....	13
2.1. Korzyści płynące z niekomercyjnych badań klinicznych .....	14
2.2. Zasady finansowania badań niekomercyjnych przez Agencję Badań Medycznych .....	16
2.3. Polska na forum międzynarodowym w zakresie rozwoju niekomercyjnych badań klinicznych – Europejska Sieć Infrastruktury ds. Badań Klinicznych (ECRIN) .....	17
2.4. Znaczenie niekomercyjnych badań klinicznych dla polskiego systemu ochrony zdrowia (podsumowanie) .....	18
3. Badania kliniczne jako narzędzie rozwoju innowacyjnej gospodarki .....	18
4. Obszary wsparcia badań klinicznych .....	23
4.1. Obszar wsparcia systemowego .....	23
4.2. Obecne przeszkody w obszarze infrastruktury i procesów w ośrodkach badawczych .....	25
4.3. Likwidacja przeszkód – narzędzia .....	26
4.4. Oczekiwany efekt .....	27
5. Badania kliniczne a wzrost kompetencji kadr .....	28
5.1. Potencjał krajowej kadry naukowej oraz aktualne finansowanie badań w kontekście rozwoju badań klinicznych w kraju .....	28
5.2. Kwalifikacje zawodowe zespołów badawczych konieczne do prowadzenia badań klinicznych. Zadania członków zespołów prowadzących badania kliniczne .....	30
5.3. Potencjał naukowy polskiej kadry badawczej w kontekście gospodarki opartej na wiedzy .....	32
6. Normatywne uwarunkowania badań klinicznych – postulaty zmian legislacyjnych .....	32
7. Obszary wsparcia – tabele działań .....	38
8. Przewidywane efekty gospodarcze wsparcia badań. Wnioski końcowe .....	40
9. Matryca logiczna planu .....	43

## 1. Wstęp

### 1.1. Badania kliniczne w Polsce – analiza systemowa

Badania kliniczne, czyli badania produktów leczniczych i wyrobów medycznych z udziałem ludzi, stanowią obecnie jeden z fundamentalnych elementów wspierających rozwój nauk medycznych na świecie. Wdrożenie do systemu ochrony zdrowia nowych technologii medycznych wymaga podjęcia długotrwałych oraz kosztochłonnych badań naukowych. Obecne regulacje, w trosce zarówno o bezpieczeństwo pacjentów, jak i o jakość i wiarygodność uzyskanych danych, niezwykle szczegółowo normują procedury badawcze. Pojawiające się nieustannie dodatkowe wymogi rejestracyjne dla nowych technologii medycznych związane są głównie z szybkim rozwojem nowych technik badawczych w zakresie nauk medycznych, chemicznych i biologicznych. W efekcie tego cały proces badawczy prowadzący do wprowadzenia do obrotu nowego produktu staje się czaso- i kosztochłonny. Koszt opracowania nowego leku, uwzględniający przeprowadzenie badań przedklinicznych oraz klinicznych, szacuje się w przedziale od 1,9 do 2,5 mld euro, a czas konieczny do przeprowadzenia całego procesu od badań przedklinicznych do zarejestrowania leku szacuje się na 12–20 lat.

W Polsce aktualnie w większości prowadzi się badania kliniczne komercyjne mające charakter globalny, sponsorowane głównie przez przemysł farmaceutyczny o kapitale zagranicznym. Z kolei niekomercyjne badania kliniczne stanowią w kraju jak dotąd niewielki ułamek (ok. 2%) tego typu badań.

Panujący na świecie model rozwoju nowych technologii medycznych, w szczególności produktów leczniczych, w oparciu o dowód bezpieczeństwa i zarazem skuteczność stosowania został wypracowany w II połowie ubiegłego wieku, dając podwaliny systemowi tzw. medycyny opartej na dowodach (ang. *Evidence-Based Medicine*, EBM). Lata 70. i 80. XX w. były okresem niespotykanego wcześniej na taką skalę przyśpieszenia rozwoju nowych technologii medycznych, w tym wdrażania do przemysłu rosnącej liczby terapeutycznie innowacyjnych leków. Czas ten to jednocześnie okres globalizacji procesu rozwoju leków, zwłaszcza w fazie klinicznej. Mniej więcej od tego czasu badania kliniczne na świecie są przeprowadzane w jednej z dwóch formuł organizacyjnych:

1. Badania kliniczne prowadzone w wyspecjalizowanych do tego celu jednostkach badawczych (ang. *clinical trial units*).

2. Badania kliniczne prowadzone w ogólnodostępnych szpitalach i poradniach, udzielających świadczeń zdrowotnych.

**Badania kliniczne prowadzone w wyspecjalizowanych do tego celu jednostkach badawczych (ang. *clinical trial units*)**

Ośrodki badawcze tego typu to w większości przypadków małe szpitale czy wydzielone oddziały szpitalne, zwykle nieudzielające typowych świadczeń zdrowotnych w zakresie leczenia, diagnostyki czy profilaktyki chorób. Są zaprojektowane i nastawione na prowadzenie badań nieterapeutycznych, oceniających farmakologię kliniczną danego leku, w tym prowadzące badania: (i) wczesnych faz klinicznych leków innowacyjnych terapeutycznie (drobnocząsteczkowych lub biologicznych) lub farmaceutycznie (leków biopodobnych), w tym badania pierwszego podania u człowieka (ang. *first-in-human study*) oraz (ii) badania biorównoważności lub biodostępności leków odtwórczych drobnocząsteczkowych (generycznych). Badania takie, przeprowadzane w ww. ośrodkach, są najczęściej nieduże (obejmują od kilku do kilkudziesięciu uczestników) i jednoośrodkowe (albo co najwyżej kilkuośrodkowe). Co do zasady przeprowadza się je na ochotnikach albo zdrowych osobach lub charakteryzujących się szczególnym profilem metabolicznym (np. z niewydolnością nerek czy wątroby); niekiedy przeprowadza się je u osób cierpiących na chorobę, którą ma docelowo leczyć badany lek, ale bez formalnej oceny jego skuteczności (np. badania chemioterapeutyków, badania oceniające farmakodynamikę leku). Ośrodki do badań w takiej formule mogą być częścią korporacji sponsora, albo – częściej – przedsiębiorstwa prowadzącego badania kliniczne na zlecenie (ang. *Clinical Research Organisation*, CRO) czy też szpitala klinicznego. Bywają też wydzielonymi jednostkami utworzonymi na bazie ogólnodostępnych szpitali świadczących usługi medyczne, niekoniecznie klinicznych czy uniwersyteckich.

Warunki stosowania leku są w tego typu badaniach i ośrodkach najbardziej odległe od faktycznych warunków ewentualnego przyszłego stosowania leku w zwykłej praktyce lekarskiej: z jednej strony prowadzi je badacz (lekarz) i pozostały personel wyspecjalizowany w takiej działalności, z drugiej strony uczestnicy na czas badania często pozostają całodobowo w ośrodku i nie prowadzą zwykłego dla siebie trybu życia, łącznie z dietą, wysiłkiem fizycznym czy używkami. Taki model jednak, mimo wszystko, jest co do zasady optymalny dla zapewnienia maksymalnego bezpieczeństwa uczestników (zwykle z zaawansowanym monitorowaniem m.in. parametrów życiowych czy laboratoryjnych) oraz dostarczenia danych o najwyższej jakości pod względem ewentualnych odstępstw od

protokołu badania czy niezamierzonych błędów/pomyłek. W modelu takim uczestnicy badania zwykle otrzymują wynagrodzenie za udział w badaniu. Mimo że badania prowadzone w powyższej formule – nieterapeutyczne – nie mają praktycznie znaczenia w systemie udzielania świadczeń zdrowotnych, ich obecność jest dobrym wskaźnikiem dojrzałości i przyjazności danego rynku dla innowacji. W wymiarze komercyjnym buduje zaufanie przemysłu do danego rynku czy kraju, w szczególności do poziomu kompetencji, wiarygodności i efektywności działań branży badawczej w danym kraju, począwszy od regulatora i systemu opiniowania etycznego przez badaczy i pozostały personel, po dostępną infrastrukturę.

### **Badania kliniczne prowadzone w ogólnodostępnych szpitalach i poradniach, udzielających świadczeń zdrowotnych**

W tym modelu do przeprowadzenia badania angażowani są lekarze praktycy, którzy na co dzień zajmują się przede wszystkim praktyką kliniczną. Badanie kliniczne w wymienionych podmiotach prowadzone jest, co do zasady, jako jeden z elementów procesu leczniczego (diagnostycznego, profilaktycznego), który oparty jest na ustanowionej już relacji pacjenta z lekarzem (i pozostałym personelem medycznym).

W przedmiotowym modelu przeprowadza się badania skuteczności i bezpieczeństwa leków w docelowej populacji (chorych cierpiących na chorobę, którą ma leczyć nowy lek), a więc badania:

- przedrejestracyjne (fazy II i III) – niezbędne dla dopuszczenia do obrotu leków innowacyjnych terapeutycznie oraz leków biopodobnych albo sprawdzające skuteczność działania leku już będącego w obrocie w nowych wskazaniach terapeutycznych, nowym dawkowaniu bądź innej drodze podawania;
- porejestracyjne (fazy IV) – prowadzone dla wszystkich kategorii leków dopuszczonych do obrotu, mające na celu dostarczenie dodatkowych danych o bezpieczeństwie i/lub skuteczności leku, często prowadzone w kontekście bardziej marketingowym niż naukowym.

Wyżej wymienione badania, przeprowadzane w takich ośrodkach, zazwyczaj obejmują dużą populację pacjentów (bierze w nich udział od kilkudziesięciu do kilkuset, a nawet kilku tysięcy uczestników), często są to badania wieloośrodkowe o charakterze międzynarodowym bądź wręcz globalnym.

Podstawową trudnością organizacyjną dla sponsora badania jest konieczność każdorazowej identyfikacji wielu odpowiednich szpitali/poradni, które mogą pełnić funkcję ośrodków, oraz lekarzy, którzy podejmą się roli badaczy oraz dysponują możliwością zapewnienia pomocniczego personelu medycznego. Przedmiotowym zadaniom towarzyszy konieczność wynegocjowania i zawarcia umów o prowadzenie badania klinicznego, wyszkolenia tychże badaczy i przedstawicieli ośrodków, zorganizowania monitorowania każdego z nich. Jednakże taki model, mimo że jest bardzo kosztowny, okazuje się najbardziej efektywny w kontekście rekrutacji pacjentów, wartości naukowej wyników badań, a także jest optymalny z punktu widzenia bioetyki. Wynika to z następujących czynników:

- ośrodki kliniczne mają naturalny dostęp do pożądanej populacji uczestników – co umożliwia zrekrutowanie ww. dużej populacji badanej w relatywnie krótkim czasie;
- rekrutacja prowadzona przez badaczy będących jednocześnie lekarzami udzielającymi świadczeń opieki zdrowotnej i na co dzień prowadzących pacjentów cierpiących na daną chorobę umożliwia oparcie dobrowolnej i świadomej zgody uczestnika badania (pacjenta) na ewentualny udział w badaniu klinicznym na zaufaniu do lekarza, który występuje też w roli badacza;
- formuła badania przeprowadzanego w ogólnodostępnych szpitalach i poradniach jest bliższa warunkom docelowego stosowania leku, po jego ewentualnym dopuszczeniu do obrotu (czy dopuszczeniu w nowym wskazaniu terapeutycznym) – funkcjonowanie czy tryb życia pacjentów w takim badaniu klinicznym nie odbiega diametralnie od funkcjonowania pozostałych pacjentów z daną chorobą (np. w kontekście hospitalizacji czy prowadzenia w trybie ambulatoryjnym);
- międzynarodowa populacja pacjentów eksponowanych na badany lek pozwala na uzyskanie danych klinicznych opartych na populacji zróżnicowanej pod względem etnicznym/rasowym, w której dana choroba jest na co dzień leczona (czy diagnozowana) nieco odmiennie, w zależności od standardów leczenia w danym kraju/ośrodku, taka heterogenność populacji badanej (jak i samych badaczy) co do zasady zwiększa wartość naukową i wiarygodność uzyskanych łącznie wyników, w kontekście EBM.

W związku z toczącą się w Polsce w latach 80. i 90. ubiegłego w. transformacją gospodarki zaobserwowano znaczące opóźnienie we wprowadzeniu mechanizmów sprzyjających rozwojowi rynku badań klinicznych, w stosunku do krajów wysoko rozwiniętych gospodarczo.

W przytoczonym okresie nie było w Polsce ośrodków klinicznych działających lub mogących działać w formule *clinical trials unit*. Istniał zaś rozwinięty publiczny system ochrony zdrowia ze słabo opłacanymi, ale dobrze wykształconymi kadrami medycznymi oraz niedostatkiem środków publicznych na zakup nowych, zagranicznych technologii medycznych, w tym leków. Dość szybko okazało się, że Polska, podobnie jak pozostałe kraje byłego bloku wschodniego, jest atrakcyjnym miejscem do prowadzenia komercyjnych badań klinicznych w ogólnodostępnych szpitalach i poradniach, udzielających świadczeń zdrowotnych. W ciągu kolejnych lat coraz szerzej zaczęły do Polski napływać międzynarodowe badania kliniczne II, III i IV fazy, prowadzone w takim właśnie modelu. Jednocześnie prywatyzujący się w tym okresie krajowy przemysł farmaceutyczny operujący głównie na rynku leków odtwórczych sponsorował coraz większą liczbę badań biorównoważności i biodostępności.

W ciągu pierwszej dekady po transformacji ustrojowej rynek badań klinicznych został istotnie uregulowany, głównie za sprawą:

- w 1996 r. – przyjęcia na rynkach rozwiniętych zharmonizowanych wymogów rejestracyjnych dla produktów leczniczych opracowywanych przez Międzynarodową Konferencję ds. Harmonizacji (dziś funkcjonującą jako Międzynarodowa Rada ds. Harmonizacji, ang. *International Council for Harmonisation*, ICH), w tym zasad tzw. Dobrej Praktyki Klinicznej (ang. *Good Clinical Practice*), które m.in. nazwały i zdefiniowały podstawowych interesariuszy badań klinicznych: sponsora, badacza, a także obserwatora badania (zwanego „monitorem” badania – takiego terminu używa się dalej w Planie Rozwoju Badań Klinicznych na lata 2020–2025, zwanym dalej „PRBK”) oraz szczegółowo określiły ich obowiązki względem uczestników badania oraz regulatora;
- w 1997 r. – ukształtowania polskiego systemu oceny bioetycznej badań (sieć krajowych komisji bioetycznych oraz Odwoławcza Komisja Bioetyczna);
- w 2001 r. – określenia podstawowych zasad dopuszczalności i prowadzenia badań klinicznych w polskim prawie, w tym określenia organu kompetentnego do udzielania pozwoleń na rozpoczęcie badania klinicznego w Polsce.

W kolejnych latach (w 2011 r.) została prawnie uregulowana kwestia finansowania świadczeń uczestników badań klinicznych, tj. określono, które kategorie kosztów świadczeń pokrywa sponsor badania, a które płatnik (Narodowy Fundusz Zdrowia). W połowie 2019 r. wprowadzono dodatkowe narzędzie ułatwiające kontrolę nad stosowaniem ww. podziału –



obowiązek informowania płatnika przez badaczy o uczestnikach badania klinicznego przez przesyłanie ich numerów identyfikacyjnych PESEL.

W ciągu minionych 3 dekad nieprzerwanego rozwoju powstał w Polsce rynek badań klinicznych mający aktualnie wartość szacowaną na ponad 1 mld zł. Obecnie w Polsce rozpoczyna się ok. 400–500 nowych badań klinicznych rocznie. Nie zmieniła się jednak znacząco struktura rynku pod względem rodzaju (fazy klinicznej ani charakteru komercyjnego) prowadzonych badań. W kraju nadal dominują duże badania fazy II i III, sponsorowane przez przemysł farmaceutyczny, głównie zagraniczny (przykładowo spośród badań klinicznych zarejestrowanych w Polsce w 2018 r. było 57% badań fazy III, 32% fazy II, a tylko 7,5% fazy I). W Polsce, jak i w pozostałych państwach regionu, dominują nadal badania prowadzone w ogólnodostępnych szpitalach i poradniach, udzielających świadczeń zdrowotnych, tak mierzone samą liczbą badań, jak i – co bardziej istotne – ich wolumenem, czyli liczbą pacjentów biorących w nich udział. Według danych Europejskiej Agencji Leków, zwanej dalej „EMA”, (ostatnie dane publikowane w 2012 r.), Polska była (i niewątpliwie pozostaje) w ścisłej czołówce europejskiej pod względem średniej liczby uczestników badania zrekrutowanych na jedno rejestracyjne badanie kliniczne (136 uczestników).

Na przestrzeni minionych trzech dekad można zaobserwować w Polsce następujące pozytywne zjawiska i trendy:

- znaczącą profesjonalizację kadr, zarówno lekarzy-badaczy, jak i pozostałego personelu ośrodków w zakresie prowadzenia badań klinicznych – głównie za sprawą nabywania doświadczenia praktycznego, jak i ukierunkowanego kształcenia podyplomowego;
- wraz z rozwojem sektora niepublicznej ochrony zdrowia, prowadzenie terapeutycznych badań klinicznych (fazy II– IV) także w niepublicznych podmiotach leczniczych;
- powstanie i rozwój niepublicznych podmiotów leczniczych nastawionych na prowadzenie badań klinicznych w ogólnodostępnych szpitalach i poradniach, udzielających świadczeń zdrowotnych jako głównej działalności;
- powstanie i rozwój kilku *clinical trial units*, głównie z kapitałem polskim, mających formalny status podmiotu leczniczego lub części takiego podmiotu;
- nabycie doświadczenia polskich komisji bioetycznych w opiniowaniu badań klinicznych i szerokiej wiedzy o metodologii prowadzenia takich badań;

- zmianę świadomości i percepcji społecznej, także medialnej, na rzecz pozytywnego obrazu badań klinicznych jako niezbędnej składowej rozwoju technologii medycznych w ramach „uczącego się” globalnego systemu ochrony zdrowia (ang. *learning healthcare system*); poprawę tę należy przynajmniej po części przypisać inicjatywom i kampaniom edukacyjnym organizacji pozarządowych (takich jak kampania „Pacjent w badaniach klinicznych”), a także działaniom publiczno-prywatnej ogólnoeuropejskiej inicjatywy pn. Europejska Akademia Pacjentów (EUPATI).

W przypadku niektórych dziedzin terapeutycznych, zwłaszcza takich, w których stosowanie innowacyjnych technologii medycznych, w szczególności leków, wiąże się z wysokim kosztem, badania kliniczne terapeutyczne prowadzone w ogólnodostępnych szpitalach i poradniach udzielających świadczeń zdrowotnych stają się zauważalną opcją dostępu do takich technologii, a przez to odciążeniem czy uzupełnieniem możliwości terapeutycznych dostępnych w ramach Narodowego Funduszu Zdrowia. Dzieje się tak dzięki nadrzędnej zasadzie (usankcjonowanej prawem polskim i europejskim) nakazującej sponsorom badań klinicznych dostarczać nieodpłatnie badany produkt leczniczy, a także ewentualny produkt czy produkty porównawcze (komparatory), choćby były dostępne w obrocie. Co więcej koszt procedur diagnostycznych (leczniczych, profilaktycznych) objętych protokołem badania również pokrywa sponsor. Najbardziej wyrazistym przykładem takiej korzyści systemowej jest onkologia i terapie drogimi innowacyjnymi lekami biologicznymi (leczenie immuno-onkologiczne). Według szacunków branżowych za 2013 r., dzięki prowadzonym terapeutycznym badaniom klinicznym oszczędności płatnika w wydatkach na leczenie onkologiczne wyniosły między 160 a 600 mln zł, co stanowiło od 3% do 11% całkowitych wydatków na onkologię. Odciążeniem kosztowym co do zasady są również coraz bardziej liczne badania kliniczne (fazy III) leków biopodobnych – w których wszyscy pacjenci w badaniu otrzymują nieodpłatnie od sponsora biologiczny lek badany – biopodobny lub oryginalny.

Tym niemniej aktualna struktura rynku badań klinicznych w Polsce nie odpowiada jeszcze pożądanej, docelowej strukturze, obserwowanej w państwach opartych na kulturze innowacji i kształtujących system ochrony zdrowia według modelu *learning healthcare system*. W modelu takim badania kliniczne czy szerzej – wszelkie badania biomedyczne, są integralną częścią systemu ochrony zdrowia. „Uczący się” system ochrony zdrowia to – wbrew nazwie – najbardziej dojrzała postać takiego systemu, w której działalność nie tylko ściśle badawcza, ale także zwykła/rutynowa jest nieustannie analizowana (coraz częściej z wykorzystaniem

analiz dużych zbiorów danych, ang. *big data*) pod kątem eliminacji zagrożeń dla zdrowia publicznego, nieoptymalnego wykorzystania środków w ochronie zdrowia i możliwości innowacji praktycznie na każdym polu, która przekładałaby się na poprawę skuteczności i bezpieczeństwa stosowanych opcji terapeutycznych (diagnostycznych, profilaktycznych), tudzież optymalizacji kosztów leczenia. W odniesieniu do leków czy wyrobów medycznych badania kliniczne są jednym z podstawowych narzędzi tego systemu. O ile jednak współcześnie to głównie przemysł farmaceutyczny jest posiadaczem kapitału oraz *know-how* niezbędnego do rozwoju klinicznego nowych leków czy wyrobów medycznych, o tyle niemniej ważnym elementem „uczącego się” systemu są badania kliniczne niekomercyjne mające na celu ustawiczną optymalizację stosowania już dostępnych w obrocie leków czy innych technologii (tzw. *strategy trials*), a przez to pozwalające na opracowanie i ciągłe doskonalenie wytycznych terapeutycznych (diagnostycznych, profilaktycznych) towarzystw lekarskich w poszczególnych dziedzinach medycyny. Kolejnym filarem takiego systemu są badania akademickie – niekomercyjne, badające potencjał dotychczasowych leków i/lub technologii medycznych, jednak przeznaczonych do nowych, dotąd nieopisanych wskazań medycznych.

Tymczasem Polska jest wciąż przede wszystkim miejscem realizacji protokołów badawczych zagranicznych koncernów farmaceutycznych, a jedynie w marginalnym zakresie podejmuje własne badania kliniczne w ramach rozwoju innowacyjnych technologii medycznych, przedstawiających potencjał komercyjny.

Można zidentyfikować co najmniej 4 główne przyczyny wyżej opisanego stanu rzeczy:

- niemal nieobecne są w Polsce krajowe przedsiębiorstwa farmaceutyczne posiadające kapitał oraz *know-how* niezbędny do samodzielnego prowadzenia rozwoju innowacyjnych leków (nowych molekuł, czy to drobnocząsteczkowych, czy biologicznych), zwłaszcza w odniesieniu do fazy klinicznej – zaś przedsiębiorstwa zagraniczne prowadzące w Polsce działania w ww. zakresie koncepcyjnym i naukowym rozwoju leku/wyrobu medycznego są nieliczne;
- marginalne znaczenie i wolumen mają badania kliniczne niekomercyjne, czy to o charakterze *strategy trials*, czy prowadzone w kontekście ewentualnej przyszłej komercjalizacji nowej cząsteczki/leku czy innej technologii medycznej;
- otoczenie prawne i praktyka regulacyjna w Polsce jest względnie nieprzyjazna prowadzeniu badań klinicznych wczesnych faz: po pierwsze w badaniach tych

szczególnie istotny dla sponsorów badań jest czas uruchomienia badania – tymczasem badania takie mają równie długi czas uzyskiwania pozwolenia na rozpoczęcie badania (a także opinii komisji bioetycznej) jak pozostałe badania, ogólnie plasujący Polskę daleko w szeregu państw europejskich; po drugie w Polsce obowiązują dalej posunięte niż w innych państwach europejskich restrykcje odnośnie do stosowania zachęt czy gratyfikacji finansowych, których nie można stosować dla ochotników innych niż zdrowi (w szczególności u cierpiących np. na niewydolność wątroby czy nerek), mimo że sytuacja terapeutyczna takich ochotników nie różni się od sytuacji ochotników zdrowych (ani jedni, ani drudzy nie chorują na chorobę, którą docelowo ma leczyć dany lek);

- polskie ośrodki badawcze, z nielicznymi ciągle wyjątkami, nie funkcjonują lub słabo funkcjonują w kulturze współpracy w ramach sieci ośrodków lub badaczy, współpraca taka ma fundamentalne znaczenie dla badań niekomercyjnych, dotychczas powstały jedynie nieliczne i niewielkie sieci krajowe zorientowane na daną dziedzinę terapeutyczną (np. w hematologii czy pediatrii); dotychczasowa nieobecność Polski w Europejskiej Sieci Infrastruktur Badań Klinicznych (ECRIN).

Droga do odwrócenia tej niekorzystnej tendencji może wieść częściowo przez rozwój krajowych niekomercyjnych badań klinicznych. Polski system ochrony zdrowia musi stać się systemem efektywnym, opartym na najnowocześniejszych terapiach z zastosowaniem najskuteczniejszych leków i innych technologii medycznych. W przeciwnym razie nawet systematycznie zwiększane nakłady na ochronę zdrowia nie spowodują trwałych zmian gwarantujących poprawę dostępności do świadczeń zdrowotnych populacji. Jest to istotne również ze względu na konsekwencję zmian demograficznych i efekt starzejącego się społeczeństwa, które musi mieć zapewniony równy i pełny dostęp do świadczeń zdrowotnych na najwyższym poziomie. Polska zmienia się w sposób dynamiczny i trwały, a system ochrony zdrowia powinien na te zmiany odpowiadać i w odpowiedni sposób się do nich dostosowywać. Wsparcie rozwoju badań klinicznych jest jednym z głównych zadań władz publicznych odpowiadających za system ochrony zdrowia. Podjęte w ciągu ostatnich lat działania Ministra Zdrowia były przełomem w prowadzonej polityce zdrowotnej. Głównym efektem tych działań było powołanie Agencji Badań Medycznych, zwanej dalej „ABM”, która ma wesprzeć finansowo i organizacyjnie badania kliniczne w Polsce.

Celem PRBK jest rozwój krajowego rynku badań klinicznych oraz zdefiniowanie instrumentów wsparcia o charakterze organizacyjnym, finansowym i normatywnym, a także

wyodrębnienie obszarów wymagających wsparcia w przypadku niekomercyjnych badań klinicznych.

Co kluczowe realizacja PRBK pozwoli osiągnąć wielopłaszczyznowe efekty m.in. system ochrony zdrowia zostanie wzbogacony o wyraźne instrumenty zmieniające jego funkcjonowanie w oparciu o dostęp do nowych technologii biomedycznych. Zapewni to fundamentalną zmianę systemu, w kierunku coraz bardziej spójnego oparcia go o badania naukowe. Takie zmiany zbliżą nasz system ochrony zdrowia do tych najlepiej rozwiniętych na świecie, gdzie pacjenci korzystają z najnowszych rozwiązań dających szansę szybszego i efektywniejszego powrotu do zdrowia z mniejszym ryzykiem powikłań. Takie rozwiązania w sposób bezpośredni przyczynią się do zmniejszenia kosztów społecznych związanych z chorobą i powrotem do zdrowia.

Dodatkowo podkreślenia wymaga, iż rozwój badań klinicznych jest ściśle związany z rozwojem przemysłu biotechnologicznego w kraju. Prowadzenie badań klinicznych sprzyja tworzeniu przyjaznego środowiska dla rozwoju innowacji, komercjalizacji i produkcji nowych leków czy produktów medycznych.

## **2. Finansowanie grantów naukowych – niekomercyjne badania kliniczne, zasady oraz podmioty uprawnione do finansowania. Oczekiwane rezultaty**

Jednym z kluczowych zadań ABM jest wspieranie działalności innowacyjnej w ochronie zdrowia, ze szczególnym uwzględnieniem rozwoju niekomercyjnych badań klinicznych. Co do zasady badaniem klinicznym produktu leczniczego jest 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, śledzenia wchłaniania, dystrybucji, metabolizmu i wydalania jednego lub większej liczby badanych produktów leczniczych, mając na względzie ich bezpieczeństwo i skuteczność. Natomiast mianem badania klinicznego wyrobu medycznego określa się zaprojektowane i zaplanowane systematyczne badanie prowadzone na ludziach, podjęte w celu weryfikacji bezpieczeństwa lub działania określonego wyrobu medycznego, wyposażenia wyrobu medycznego albo aktywnego wyrobu medycznego do implantacji.

Głównymi sponsorami badań klinicznych są firmy farmaceutyczne oraz przedsiębiorstwa działające w branży wyrobów medycznych, które prowadzą badania o charakterze komercyjnym w celu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu nowego produktu.

Poza komercyjnymi badaniami klinicznymi, istotnym obszarem badawczym w naukach medycznych są niekomercyjne badania kliniczne, zwane dalej również „badaniami akademickimi”. Celem badania klinicznego niekomercyjnego nie jest wprowadzenie na rynek nowego produktu. Najczęściej badania te mają na celu dokonanie porównania już zarejestrowanych leków lub weryfikację skuteczności klinicznej dostępnych terapii, dostarczając w rezultacie wiedzy co do wyboru bardziej skutecznego schematu postępowania leczniczego (diagnostycznego, profilaktycznego). Badania niekomercyjne realizowane bywają również w celu określenia możliwości zastosowania produktów leczniczych stosowanych dla dorosłych w terapii pediatrycznej. Celem niekomercyjnego badania klinicznego może być również poszukiwanie nowych metod leczenia schorzeń rzadkich z zastosowaniem produktów dopuszczonych do obrotu w innych wskazaniach (tzw. leki sieroce). Wyniki badań niekomercyjnych mogą prowadzić do zmiany dotychczasowych standardów leczenia.

W przypadku niekomercyjnego badania klinicznego właścicielem danych uzyskanych w trakcie badania jest sponsor, będący uczelnią lub inną placówką naukową, 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.

Z uwagi na dotychczasowy brak wyodrębnionych źródeł finansowania niekomercyjnych badań klinicznych od wielu lat stanowią one w Polsce niewielką część wszystkich badań klinicznych. W 2011 r. zarejestrowano 3 takie badania, 2012 r. – 8, 2013 r. – 2, 2014 r. – 8, 2015 r. – 15, 2016 r. – 14, 2017 r. – 24, w 2018 r. – 11. Polska pod względem liczby niekomercyjnych badań klinicznych plasuje się na 15. miejscu w Europie. Jest to odległa pozycja w stosunku to czołówki, gdzie realizuje się do ok. 200 takich badań rocznie. Niewielka liczba niekomercyjnych badań klinicznych realizowanych w kraju w stosunku do liczby badań komercyjnych świadczy o niewykorzystanym potencjale polskich ośrodków oraz wskazuje na potrzebę wsparcia działań w tym zakresie.

### **2.1. Korzyści płynące z niekomercyjnych badań klinicznych**

Realizacja projektów niekomercyjnych badań klinicznych związana jest z licznymi korzyściami, które można rozpatrywać na wielu płaszczyznach np. z punktu widzenia **pacjenta** – realizacja niekomercyjnego badania klinicznego daje szansę na łatwiejszy dostęp do nowoczesnych, innowacyjnych terapii, w tym także samej opieki medycznej (jako że protokoły badań klinicznych zwykle wymagają częstszego kontaktu z lekarzem, częstszej/szerszej diagnostyki itp. w porównaniu z opieką standardową). Badania te często związane są z poszukiwaniem rozwiązań terapeutycznych dla chorób, dla których medycyna nie oferuje żadnych rozwiązań lub dostępne metody leczenia mają marginalną skuteczność. Niekomercyjne badania kliniczne mają tym większe znaczenie z punktu widzenia społecznego, że prowadzone są w tych obszarach medycyny, którymi nie są zainteresowane koncerny farmaceutyczne, dotyczy to w szczególności chorób rzadkich, gdzie zwrot z inwestycji wiąże się z dużym ryzykiem ekonomicznym. Badania niekomercyjne często dotyczą populacji pacjentów, dla których komercyjne podmioty rzadziej prowadzą badania kliniczne, np. badania leków niepodlegających ochronie patentowej w populacji pediatrycznej. Z punktu widzenia podmiotów leczniczych – realizacja projektów niekomercyjnych badań klinicznych jest szansą na poprawę ich sytuacji finansowej, gdyż badania te stanowią dodatkowe źródło finansowania, co może przyczynić się do spadku zadłużenia publicznego sektora ochrony zdrowia. Dzięki realizacji niekomercyjnych badań klinicznych powiększa się budżet, którym dysponuje podmiot leczniczy. Realizacja tego typu projektów stwarza również szansę na dodatkowe wynagrodzenie dla personelu medycznego zaangażowanego do realizacji projektu (dla lekarzy, pielęgniarek, diagnostów laboratoryjnych, pracowników aptek szpitalnych itp.).

Z punktu widzenia badaczy – niekomercyjne badania kliniczne dają szansę na podnoszenie kwalifikacji i pozycji badaczy oraz wymianę doświadczeń między ośrodkami na terytorium Polski, a także są szansą na udział w projektach o charakterze międzynarodowym/globalnym. Projekty realizowane jako międzynarodowe niekomercyjne badania kliniczne pozwalają na sprowadzanie do Polski najnowszych rozwiązań w obszarze nauk medycznych i nauk o zdrowiu, pozyskanie *know-how* dla rodzimego przemysłu farmaceutycznego i branży wyrobów medycznych. Z punktu widzenia Narodowego Funduszu Zdrowia sama realizacja niekomercyjnych badań klinicznych, jak i uzyskana z nich wiedza, dają korzyści związane z poprawą jakości leczenia, podnoszeniem standardów postępowania oraz optymalizacji kosztów leczenia, tym samym pozwalając lepiej wykorzystywać środki finansowe alokowane na ochronę zdrowia.

## **2.2. Zasady finansowania badań niekomercyjnych przez Agencję Badań Medycznych**

Wybór projektów będzie prowadzony w trybie konkursowym. Zgodnie z założeniami finansowane będzie 100% kosztów kwalifikowanych związanych z niekomercyjnym badaniem klinicznym. Finansowane będą następujące kategorie wydatków:

- koszty wszystkich procedur medycznych przewidzianych protokołem badania klinicznego;
- koszty zakupu/wytworzenia badanych leków lub wyrobów medycznych, zakup placebo, koszty utylizacji leków;
- koszty wynagrodzenia personelu medycznego zaangażowanego przy realizacji projektu niekomercyjnego badania klinicznego (lekarzy, pielęgniarek, diagnostów laboratoryjnych, pracowników apteki szpitalnej itp.);
- koszty przygotowania badania, w tym koszty opracowania protokołu badawczego, Standardowych Procedur Operacyjnych (SOP), koszt przygotowania kompletu dokumentacji badania, koszty związane z uzyskaniem pozwolenia na rozpoczęcie badania, koszt opłaty za wydanie opinii komisji bioetycznej;
- koszty zaangażowania organizacji prowadzącej badania kliniczne na zlecenie;
- koszty związane z administrowaniem badaniem klinicznym, w tym zakup i prowadzenie Karty Obserwacyjnej Pacjenta (eCRF), programów biostatystycznych, wynagrodzenie monitorów, audytorów, osób nadzorujących bezpieczeństwo farmakoterapii, biostatystyków i koordynatorów badania;
- koszty zakupu niezbędnej infrastruktury badawczej, w tym wyposażenia laboratoriów;
- koszty ubezpieczenia badania;
- koszt rekrutacji uczestników badania;
- koszty usług eksperckich.

Podkreślenia wymaga, iż projekty, które otrzymają dofinansowanie ze środków ABM, będą katalogowane w systemie teleinformatycznym, o którym mowa w art. 21 ustawy z dnia 21 lutego 2019 r. o Agencji Badań Medycznych (Dz. U. poz. 447), co uniemożliwi przyznanie dofinansowania na identyczny projekt badania naukowego kilkakrotnie.



Budżet ABM z przeznaczeniem na niekomercyjne badania kliniczne na lata 2020–2025 kształtuje się w następujący sposób:

<b>Rok</b>	<b>Budżet (zł)</b>
2020	266 000 000,00
2021	280 000 000,00
2022	294 000 000,00
2023	309 000 000,00
2024	324 000 000,00
2025	341 000 000,00
<b>Razem</b>	<b>1 814 000 000,00</b>

**Źródło:** Ocena Skutków Regulacji do ustawy z dnia 21 lutego 2019 r. o Agencji Badań Medycznych ([www.rcl.gov.pl](http://www.rcl.gov.pl)).

### **2.3. Polska na forum międzynarodowym w zakresie rozwoju niekomercyjnych badań klinicznych – Europejska Sieć Infrastruktury ds. Badań Klinicznych (ECRIN)**

W 2019 r. Polska, za pośrednictwem ABM, podjęła odpowiednie czynności zmierzające do przystąpienia do Europejskiej Sieci Infrastruktury ds. Badań Klinicznych (ECRIN). Podjęte działania mają prowadzić do uzyskania przez Polskę statusu obserwatora, a następnie członkostwa w sieci ECRIN, która jest międzynarodową agencją wspierającą sieć badań klinicznych w Europie. Międzynarodowy charakter współpracy wpływa na podniesienie dostępności badań dla pacjenta, zasobów i wiedzy specjalistycznej, tym samym pozytywnie wpływając na stan zdrowia publicznego krajów współpracujących w ramach sieci. Celem ECRIN jest poprawa stanu zdrowia obywateli na całym świecie przez wsparcie międzynarodowych projektów badań klinicznych, którym oferuje zintegrowane wsparcie przez dostarczanie:

- informacji o realizowanych projektach badawczych w zakresie niekomercyjnych badań klinicznych (dzięki sieci Europejskich Wysłanników ECRIN);
- doradztwa (dzięki ekspertom wybranym spośród narodowych partnerów ECRIN koordynowanych przez Europejskiego Wysłannika);
- usług badawczych (koordynowanych przez Europejskich Wysłanników ECRIN i oferowanych przez narodowych partnerów ECRIN do celów badań naukowych).

ECRIN skupia się głównie na wsparciu projektów niekomercyjnych (akademickich) badań klinicznych, dostarczając wszelkich narzędzi niezbędnych do przygotowania i przeprowadzenia badania (np. porady dotyczące finansowania wraz z wnioskowaniem o nie czy projektowania badania od momentu wyboru ośrodka do czynności logistycznych czy

ubezpieczenia), sprawdzenia protokołu (w kontekście naukowym, jak i praktycznym) oraz zarządzania badaniem (uzyskanie pozwoleń urzędowych oraz opinii bioetycznych, raportowanie, monitorowanie, zarządzanie danymi, statystyka i zarządzanie projektem).

#### **2.4. Znaczenie niekomercyjnych badań klinicznych dla polskiego systemu ochrony zdrowia (podsumowanie)**

Stworzenie efektywnego mechanizmu stymulacji rozwoju niekomercyjnych badań klinicznych będzie miało pozytywny wpływ na cały system ochrony zdrowia, gdyż badania te:

- dają szanse na poszukiwanie rozwiązań terapeutycznych dla schorzeń, dla których brak jest przebadanych terapii;
- dają możliwość racjonalizacji kosztów leczenia;
- są dodatkowym źródłem środków finansowych dla podmiotów leczniczych;
- są szansą na rozwój całego sektora gospodarki, jakim jest branża medyczna;
- uwzględniają cele badawcze, które nie zostałyby osiągnięte inaczej z powodu ich niskiej atrakcyjności ekonomicznej dla prywatnego sektora farmaceutycznego;
- pozwalają na optymalizację i wprowadzanie nowych zastosowań niefarmakologicznych form leczenia (radioterapia, chirurgia), a także leczenia łączącego kilka metod terapeutycznych (np. radiochemioterapia, okołooperacyjna chemioterapia i innych);
- mają na celu poszerzanie wiedzy i rozwój praktyki klinicznej oraz opracowanie nowych standardów terapii;
- są optymalnym narzędziem analizy skuteczności i bezpieczeństwa leków będących już na rynku, ale w innym dawkowaniu czy długości terapii, a nawet w innym wskazaniu niż zarejestrowane;
- realizowane są przeważnie w chorobach, gdzie potrzebne są poszukiwania nowych metod leczenia.

### **3. Badania kliniczne jako narzędzie rozwoju innowacyjnej gospodarki**

Innowacje w zakresie terapii, diagnostyki i profilaktyki chorób są motorem poprawy skuteczności leczenia pacjentów. Pozytywny wpływ widziany jest również po drugiej stronie

– efektu dla systemu opieki zdrowotnej przez obniżenie kosztów leczenia, uniknięcie kosztów hospitalizacji czy leczenia drogich powikłań związanych ze stosowaniem dostępnych leków. Innowacyjne leki mogą zmniejszyć lub całkowicie wyeliminować skutki choroby, wydłużając tym samym okres aktywności zawodowej chorego w pełnym lub prawie pełnym wymiarze w porównaniu do okresu sprzed choroby. Wśród takich innowacji Raport OECD<sup>1)</sup> wylicza m.in. leki antyretrowirusowe, antynowotworowe czy przeciw wirusowemu zapaleniu wątroby typu C (WZW C), dzięki którym od lat 80. ubiegłego w. obserwuje się znaczny spadek śmiertelności z powodu HIV (o ponad 80%), od lat 90. z powodu nowotworów złośliwych (o 20%), a w ostatnim czasie z powodu WZW C (90%). Współczesna medycyna jest w stanie kontrolować i stabilizować wysokie ciśnienie oraz inne choroby układu krążenia. Postęp w obszarze protetyki umożliwia ponowne uczestniczenie w aktywnym życiu osobom po operacji. Postęp w obszarze onkologii, szczególnie terapie celowane, pozwalają na skuteczną walkę z nowotworami złośliwymi. Nowe terapie w diabetologii, w tym nowe generacje insuliny, zmniejszają ryzyko utraty wzroku, amputacji kończyn i wystąpienia innych powikłań cukrzycy. Przed branżą farmaceutyczną stoją już kolejne wyzwania – medycyna spersonalizowana oraz transformacja cyfrowa w kierunku wykorzystania potencjału tzw. *big data*, które mają ułatwić i przyspieszyć proces przejścia od badań podstawowych do produktu dostępnego na rynku, jednocześnie czyniąc go dostępnym cenowo dla płatnika publicznego oraz samego pacjenta – w zależności od trybu refundacji.

W innym raporcie OECD<sup>2)</sup> wskazuje, że na podstawie danych z 30 państw, w latach 2000–2009 wzrost średniej oczekiwanej długości życia aż w 73% spowodowany był dopuszczonymi na rynek innowacyjnymi lekami. Proces ten dalej postępuje, oczekiwana długość życia w 2022 r. ma wynieść 74,4 roku, co spowoduje, iż osób powyżej 65. roku życia na świecie będzie prawie 670 milionów, co będzie stanowiło udział 11,6% w całkowitej populacji<sup>3</sup>.

Stworzenie, a tym bardziej wdrożenie na rynek innowacyjnego leku jest niezwykle czasochłonne i kosztochłonne. Przedsiębiorstwa farmaceutyczne przeznaczają łącznie prawie 20% swoich dochodów na projekty badawcze nad stworzeniem kolejnych innowacyjnych leków. Sektor farmaceutyczny odpowiada za 19% udziału w światowych wydatkach na badania i rozwój<sup>4</sup>. Według WHO celem innowacji w sektorze zdrowia jest opracowanie i dostarczanie nowych

<sup>1)</sup> Pharmaceutical Innovation and Access to Medicines, OECD, 2018.

<sup>2)</sup> F.R. Lichtenberg, *Pharmaceutical innovation and longevity growth in 30 developing OECD and high-income countries, 2000–2009*, Working Paper 18235, National Bureau of Economic Research, 2012.

<sup>3)</sup> Global health care outlook, Shaping the future, 2019, <https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/global/Documents/Life-Sciences-Health-Care/gx-lshc-hc-outlook-2019.pdf>

<sup>4)</sup> [https://www.infarma.pl/assets/files/raporty/raport\\_przelomowe\\_innowacje\\_farmaceutyczne.pdf](https://www.infarma.pl/assets/files/raporty/raport_przelomowe_innowacje_farmaceutyczne.pdf) (dostęp: lipiec 2019 r.).

lub ulepszonych polityk zdrowotnych, systemów, produktów, technologii oraz usług i metod ich świadczenia, które wpłyną na poprawę zdrowia ludzi<sup>5</sup>.

Tak jak w innych sektorach, również w przemyśle farmaceutycznym innowacje prowadzą do ulepszenia systemu ochrony zdrowia. Nowe leki, które odpowiadają na niespełnioną potrzebę medyczną (ang. *unmet medical need*), a przy tym są skuteczne i bezpieczne, sprawiają, że choroby dotychczas nieuleczalne stają się uleczalne, a śmiertelne stają się chorobami przewlekłymi. Skuteczne leczenie to jednak nie tylko wydłużenie życia, ale również podniesienie jego jakości do takiego stopnia, aby chory mógł z powrotem wrócić na rynek pracy lub pełnić, w zależności od wieku, swoje inne role społeczne.

Aby jednak ocenić skuteczność i bezpieczeństwo innowacyjnego leku, niezbędne jest przeprowadzenie badań klinicznych. Jak już wspomniano wyżej, stworzenie innowacyjnego leku czy wyrobu medycznego jest procesem czasowo- i kosztochłonnym, ale przede wszystkim odznaczającym się bardzo wysokim ryzykiem. Średnio, jedna do maksymalnie dwóch na osiem do dziesięciu tysięcy cząsteczek<sup>6</sup> identyfikowanych w tzw. fazie *discovery*, czyli odsiewaniu potencjalnych leków przez badania *in vitro* oraz *in silico*, zostaje faktycznie lekiem<sup>7</sup>. Koszty stworzenia i wprowadzenia jednego leku do obrotu wynoszą między 1,9 a 2,5 mld euro<sup>8</sup>, a cały proces trwa średnio 12–20 lat<sup>9</sup>. Badania kliniczne stanowią aż 60–80% kosztów całego procesu.

W 2014 r. Komisja Europejska uznała przemysł farmaceutyczny za strategiczny dla przyszłości Europy<sup>10</sup>. Wskazano na jego znaczenie dla gospodarki bazującej na wiedzy, wynikające:

- ze złożoności procesów produkcyjnych;
- ze stopnia komplikacji prac badawczo-rozwojowych;
- z charakterystyki wytwarzanych produktów, w coraz większym stopniu zmieniającej się w kierunku leków wytwarzanych z wykorzystaniem biotechnologii;
- z wysokiej intensywności badań i rozwoju (B+R), wyrażonej poziomem nakładów na B+R do sprzedaży, w porównaniu do innych sektorów przemysłowych.

<sup>5</sup> <https://www.who.int/topics/innovation/en/> (dostęp: lipiec 2019 r.).

<sup>6</sup> EFPIA – European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, *The Pharmaceutical Industry in Figures. Key Data 2018*.

<sup>7</sup> *Wpływ na gospodarkę i potencjał rozwoju branży innowacyjnych firm farmaceutycznych w Polsce*, Raport przygotowany przez PEX PharmaSequence dla Związku Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA, Warszawa, 2017.

<sup>8</sup> EFPIA, *The Pharmaceutical Industry in Figures*, 2018.

<sup>9</sup> DiMasi et al, *Journal of Health Economics*, January 2016.

<sup>10</sup> *Pharmaceutical Industry: A Strategic Sector for the European Economy*, Brussels, 2014.

Zgodnie z danymi EUROSTAT, sektor farmaceutyczny jest sektorem z obszaru wysokich technologii o największej wypracowywanej wartości dodanej w przeliczeniu na jednego zatrudnionego. Jak już wspomniano wyżej, farmacja jest branżą o największej proporcji wydatków na B+R w przeliczeniu do sprzedaży netto. Same badania kliniczne to globalny rynek o wartości ponad 44 mld USD. W Polsce to nieco ponad 1 mld zł. Od 2009 r. rynek ten rozwijał się ze średnioroczną stopą wzrostu 2,0% (CAGR 09-14), tj. poniżej stopy wzrostu PKB w tym okresie (2,9%). Dla zobrazowania postępu: w 2000 r. – prowadzono 2 119 badań klinicznych na świecie, w 2017 r. – 29 198 badań<sup>11)</sup>. Polska, według raportu IQVIA, jest na liście 21 rynków farmaceutycznych o wysokim potencjale rozwoju<sup>12)</sup>.

Zgodnie z raportem Związku Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA<sup>13)</sup>, 28 firm należących do Związku wytworzyło w 2015 r. około 6,76 mld zł, co odpowiada 0,37% PKB i zatrudniało prawie 30 000 pracowników. Z przebadanych na potrzeby Raportu przedstawicieli Związku każda złotówka wypracowana generowała dodatkowe 1,97 zł wartości dodanej w gospodarce (m.in. towary i usługi zamawiane w podmiotach należących do innych sektorów). Dodatkowo każdy pracownik indukował dodatkowe 3,5 etatu w pozostałych sektorach.

Polski rynek farmaceutyczny zdominowany jest przez podmioty o już ugruntowanej pozycji, choć na popularności zyskują młode spółki technologiczne, tzw. startupy. Nadal jednak Polska jest na początku drogi rozwoju systemu startupów medycznych. Najszybciej rozwijają się spółki działające w obszarze telemedycyny, urządzeń medycznych czy rozwiązań informatycznych dla sektora zdrowia. Startupy z obszarów nauk przyrodniczych, sektora zdrowia i biotechnologii, szczególnie te rozwijające nowe terapie czy cząsteczki, charakteryzują się najmniej regularnymi przychodami na polskim rynku startupowym. Te dziedziny wymagają sporych nakładów finansowych, zasobów kadrowych i czasu.

Według raportu Fundacji Startup Poland, polskie startupy z różnych branż mogły dotychczas skorzystać z 890 mln zł z Polskiej Agencji Rozwoju Przedsiębiorczości, 440 mln zł z Krajowego Funduszu Kapitałowego i 250 mln zł z NCBR (Narodowe Centrum Badań i Rozwoju). Kolejne 2 miliardy zł na pobudzenie rynku inwestycji w innowacyjne firmy ma

<sup>11)</sup> Statista Clinical trials and Pharma data (dostęp: lipiec 2019 r.).

<sup>12)</sup> Pharmerging comprises 21 countries ranked by IQVIA as high-growth pharmaceutical markets (Algeria, Argentina, Bangladesh, Brazil, Colombia, Chile, China, Egypt, India, Indonesia, Kazakhstan, Mexico, Nigeria, Pakistan, Philippines, Poland, Russia, Saudi Arabia, South Africa, Turkey and Vietnam) Source: IQVIA (MIDAS May 2018).

<sup>13)</sup> *Wpływ na gospodarkę i potencjał rozwoju branży innowacyjnych firm farmaceutycznych w Polsce*, Raport przygotowany przez PEX PharmaSequence dla Związku Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA, Warszawa, 2017.

przeznaczyć należący do Polskiego Funduszu Rozwoju PFR Ventures<sup>14)</sup> w ramach funduszy kapitałowych wybranych w otwartych konkursach. W skali świata jest to jednak nadal niewiele, porównując choćby z rundami inwestycyjnymi dla startupów z obszaru *healthcare* – tylko w pierwszym półroczu 2018 r. zebrały one w USA 15 mld USD, o 70% więcej niż w analogicznym okresie rok wcześniej<sup>15)</sup> (i to mimo głośnej afery z amerykańskim startupem *Theranos*). W serwisie *Crunchbase* (najpopularniejszej na świecie bazie danych dotyczącej startupów) zarejestrowanych jest aktualnie około 7 000 podmiotów (*health care startups*), które zebrały łączne finansowanie w wysokości ponad 80 mld USD<sup>16)</sup> i liczba ich ciągle rośnie. Zgodnie z raportem MEDmeetsTECH, polskie startupy z obszaru *medtech* (w tym m.in. telemedycyna, diagnostyka, odżywianie) mają problemy z finansowaniem. Prawie połowa z nich pozyskała zaledwie do 1 mln zł na swój rozwój<sup>17)</sup>. O tym jak ważną rolę odgrywają małe, zwinne spółki w systemie zdrowia świadczy trend, iż na świecie role się odwracają i to tzw. wschodzące/nowe podmioty na rynku zaczynają przewodzić w zakresie projektów rozwojowych, składanych patentów czy wdrożeń. Spółki te odpowiadają m.in. za 80% działalności B+R (w tym 84% projektów tzw. wczesnej fazy).

Według raportu IQVIA małe spółki odpowiadają za stworzenie jednych z najbardziej innowacyjnych leków na przestrzeni ostatnich pięciu lat, które następnie zostały przejęte przez duże korporacje. Jest to już popularny model, w którym duże korporacje współpracują z tzw. startupami. Dodatkowo raport Deloitte<sup>18)</sup> podaje, iż zwrot z badań największych koncernów farmaceutycznych na świecie spadł w 2018 r. do najniższego poziomu od 2010 r. – 1,9% przy jednoczesnym wyraźnym trendzie podejmowania innowacyjnych zagadnień przez małe, niszowe spółki, które napędzają rozwój w obszarze innowacyjnych leków i terapii. Obecnie w innowacjach prym wiodą leki biologiczne, leki sieroce, terapie genowe i komórkowe, w tym terapia CAR-T (ang. *Chimeric Antigen Receptor T-cell therapy*) – tylko dla tej ostatniej technologii rynek ma wzrosnąć o 51% do 2030 r. Rynek medycyny spersonalizowanej ma rosnąć w tempie 11% do 2024 r. Tematy podejmowane przez startupy wpisują się, a nawet wyznaczają trendy *value-based medicine*, które dodatkowo wsparte technologiami sztucznej inteligencji, *big data* czy *blockchain* i sztucznej inteligencji mają przeprowadzić opiekę zdrowia z zarządzania chorobą w kierunku zarządzania zdrowiem (wczesnej diagnostyki i diagnostyki umożliwiającej skuteczną prewencję).

<sup>14)</sup> [http://www.citibank.pl/poland/kronenberg/polish/files/raport\\_startup\\_poland\\_2018.pdf](http://www.citibank.pl/poland/kronenberg/polish/files/raport_startup_poland_2018.pdf) (dostęp: lipiec 2019 r.).

<sup>15)</sup> <https://www.forbes.com/sites/matthewherper/2018/07/09/theranos-whatever-healthcare-startups-have-raised-15-billion-so-far-this-year/#dbfdbf373f4a> (dostęp: lipiec 2019 r.).

<sup>16)</sup> <https://www.crunchbase.com/hub/health-care-startups#section-recent-activities> (dostęp: lipiec 2019 r.).

<sup>17)</sup> [http://www.citibank.pl/poland/kronenberg/polish/files/raport\\_startup\\_poland\\_2018.pdf](http://www.citibank.pl/poland/kronenberg/polish/files/raport_startup_poland_2018.pdf) (dostęp: lipiec 2019 r.).

<sup>18)</sup> Raport *Global health care outlook*, 2019, <https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/global/Documents/Life-Sciences-Health-Care/gx-lshc-hc-outlook-2019.pdf>

Maksymalne wysokości dotacji budżetowej na rzecz ABM:

Rok	Budżet (zł)
2020	100 000 000,00
2021	200 000 000,00
2022	250 000 000,00
2023	300 000 000,00
2024	350 000 000,00
2025	400 000 000,00
<b>Razem</b>	<b>1 600 000 000,00</b>

**Zródło:** Ocena Skutków Regulacji do ustawy z dnia 21 lutego 2019 r. o Agencji Badań Medycznych (www.rcl.gov.pl).

#### 4. Obszary wsparcia badań klinicznych

##### 4.1. Obszar wsparcia systemowego

Istnieje potrzeba podjęcia następujących działań wspierających rozwój badań klinicznych w Polsce w kierunku ukształtowania się dojrzałego i dynamicznego ich rynku, charakteryzującego państwa oparte na kulturze innowacji, w ramach *learning healthcare system*, jednocześnie z zachowaniem atrakcyjności i siły tych obszarów rynku, w których Polska już jest jednym z liderów (tj. w prowadzeniu dużych, wielośrodkowych badań faz II do IV):

- wspieranie rozwoju niekomercyjnych badań klinicznych, m.in. przez odpowiednią edukację, szkolenia oraz wsparcie organizacyjne i pod kątem *know-how* lekarzy i przedstawicieli innych zawodów medycznych, a także personelu pomocniczego; wspieranie przez wprowadzenie ulatwień i ulg dla takich badań, jednak bez uszczerbku dla bezpieczeństwa ich uczestników czy wartości/jakości uzyskiwanych danych;
- wspieranie rozwoju badań klinicznych wczesnych faz, przede wszystkim przez poprawę otoczenia regulacyjnego;
- wspieranie rozwoju sieci badaczy i ośrodków, a także sieci instytucji pomocniczych w prowadzeniu badań klinicznych (np. laboratoriów);
- wspieranie innowacyjności tak polskich uczelni, jak i przemysłu, zwłaszcza małych i średnich przedsiębiorstw, w zakresie rozwoju nowych technologii, mogących zaowocować dopuszczeniem danej technologii (np. leku) do fazy klinicznej – w tym bezpośrednie wsparcie w postaci dofinansowania czy grantów;

- wspieranie i budowanie mechanizmów zachęcających przedsiębiorstwa zagraniczne posiadające *know-how* odnośnie do prowadzenia rozwoju klinicznego leków do tworzenia jednostek organizacyjnych w Polsce i zatrudniania w nich polskich naukowców, przedstawicieli zawodów medycznych i menedżerów;
- wspieranie rozwoju leków biopodobnych przez polski przemysł – dzięki takiemu rozwojowi polski przemysł może nabywać doświadczenie w biotechnologii wytwarzania leków biologicznych oraz przeprowadzaniu ich dalszego rozwoju przedklinicznego i klinicznego;
- edukacja pacjentów – potencjalnych i aktualnych uczestników badań;
- wspieranie działań pokrewnych badaniom klinicznym:
  - umożliwienie, przede wszystkim od strony regulacyjnej, systemu indywidualnego stosowania leku (ang. *compassionate use*), po zakończeniu badania klinicznego, w trakcie którego uczestnik (pacjent) odniósł ewidentną korzyść leczniczą, a sponsor zakończonego badania mógłby i chciałby dostarczać dany lek pacjentowi w czasie, gdy lek pozostaje jeszcze niedopuszczony do obrotu (obecnie w Polsce praktycznie brak jest reżimu prawnego, w którym lek niedopuszczony do obrotu mógłby być stosowany w ramach *compassionate use* po zakończonym badaniu klinicznym z poszanowaniem interesów i bezpieczeństwa wszystkich stron takiego procesu – pacjenta, lekarza i dostawcy leku);
  - wspieranie tworzenia i prowadzenia tzw. rejestrów medycznych (systematycznego dokumentowania poszczególnych pacjentów/przypadków choroby, w tym szczególnie skuteczności i bezpieczeństwa zastosowanego leczenia (diagnostyki, profilaktyki);
  - wspieranie przyjaznego otoczenia regulacyjnego, naukowego i infrastrukturalnego dla porejestracyjnych badań bezpieczeństwa leków/wyrobów medycznych (ang. *Post-Authorisation Safety Studies*, PASS); badania takie mogą mieć formułę badania klinicznego, rejestru medycznego lub inną;
  - wspieranie rozwoju badań naukowych ludzkiego materiału biologicznego oraz tworzenia i funkcjonowania biobanków;
  - uregulowanie rynku badań/testów genetycznych.



Realizacja działań w powyższym obszarze powinna mieć charakter faktycznie systemowy – tzn. skoordynowanego procesu obejmującego wszystkie wskazane elementy obszaru, a nie tylko wybrane. Działalność badawcza w naukach biomedycznych, jak szczegółowo przedstawiono w poprzednich rozdziałach, jest niezwykle skomplikowana i jednocześnie ogromnie ryzykowna w kontekście ekonomicznym (zwrotu z inwestycji). Dlatego jej optymalny rozwój wymaga szczególnie sprzyjającego otoczenia. Istnienie nawet pojedynczych przeszkód systemowych może skutkować finalnym brakiem atrakcyjności danego otoczenia – np. Polski jako kraju – i w efekcie odpływ działalności badawczej do krajów/regionów konkurencyjnych albo co najmniej rozwój nieodpowiadający potencjałowi.

#### **4.2. Obecne przeszkody w obszarze infrastruktury i procesów w ośrodkach badawczych**

Aktualnie do przeszkód w dynamicznym rozwoju sektora badań klinicznych w Polsce zaliczyć należy m.in. niewykorzystany potencjał kadrowo-infrastrukturalny podmiotów leczniczych (tylko ok. 10% szpitali prowadzi badania kliniczne), brak w większości ośrodków badawczych efektywnie działających jednostek koordynujących procesy administracyjne oraz logistykę, które pełniłyby rolę centrów badań klinicznych (dotyczy to głównie publicznych podmiotów leczniczych), niedostateczne wykorzystanie infrastruktury istniejących centrów badań klinicznych (pominięcie np. badań niekomercyjnych) oraz brak dostatecznej ilości wyspecjalizowanej kadry: lekarzy i pielęgniarek posiadających tak niezbędną wiedzę i doświadczenie, jak i niezbędne zasoby czasowe; koordynatorów, tj. personelu wyspecjalizowanego w obsłudze administracyjnej i logistycznej, często na poziomie jednostki organizacyjnej (oddziału, kliniki, poradni) ośrodka; prawników kompetentnych w materii badań klinicznych, menedżerów badań klinicznych, a w przypadku badań niekomercyjnych np. biostatystyków czy osób zajmujących się nadzorem nad bezpieczeństwem farmakoterapii. W wielu ośrodkach brak jest wprowadzonych przejrzystych standardowych procedur operacyjnych dotyczących procesów i procedur związanych z badaniami klinicznymi np. zarządzania produktem badanym czy dokumentacją badania. Inną problematyczną kwestią jest zwykle długotrwały proces negocjowania i zawierania umów o prowadzenie badania klinicznego między sponsorem (lub przedsiębiorstwem prowadzącym badanie kliniczne na zlecenie, CRO) a ośrodkiem badawczym (dotyczy to zwłaszcza ośrodków publicznych) czy niejednolity i nierzadko nietransparentny proces gratyfikacji poszczególnych członków zespołu badawczego przez tzw. głównego badacza w danym ośrodku (ang. *principal*

*investigator*) ze środków otrzymywanych od sponsora, co nierzadko powoduje niską motywację ww. członków zespołu, nieotrzymujących dostatecznego wynagrodzenia za pracę (albo mających takie przeświadczenie). Jedną z przeszkód jest również brak jednego punktu kontaktowego (referencyjnego) na poziomie ośrodka dla sponsorów w procesie wyboru ośrodków, w ramach studium wykonalności danego badania (ang. *feasability study*).

Wśród czynników wpływających na rekrutację pacjentów do badania należy wymienić:

- brak w większości ośrodków systemu pozwalającego na wyszukiwanie kandydatów na uczestników badania spośród puli własnych pacjentów przy użyciu danych zakodowanych (np. pseudonimizowanych);
- niewystarczającą współpracę między ośrodkami badawczymi w procesie rekrutacji pacjentów do badania, tj. dzielenia się doświadczeniem, spostrzeżeniami, wypracowanymi własnymi sposobami, wiedzą, jak uniknąć błędów itp.;
- niedostateczny poziom wiedzy pacjentów – potencjalnych uczestników badań – o specyfice badań klinicznych, jak również ograniczony dostęp do informacji o aktualnie prowadzonych lub planowanych badaniach klinicznych; nadal brakuje polskojęzycznego narzędzia/rejestru wszystkich badań prowadzonych w kraju, zawierającego dane kontaktowe ośrodków lub przynajmniej ich identyfikację.

### **4.3. Likwidacja przeszkód – narzędzia**

#### Infrastruktura

W celu usunięcia przeszkód w dynamicznym rozwoju sektora badań klinicznych w Polsce należy m.in. poprawić infrastrukturę i procesy operacyjne w ośrodkach badawczych przez stworzenie efektywnie działających jednostek koordynujących procesy administracyjne oraz logistykę, które pełniłyby rolę centrów badań klinicznych.

Pierwszym krokiem będzie stworzenie przez ABM wzoru modelowego centrum badań klinicznych. Kolejnym będzie stworzenie sieci ośrodków badawczych w Polsce, współpracujących ściśle z ABM, z ujednoliconymi procesami oraz rekomendowanym wzorem umowy o prowadzenie badania klinicznego oraz integracja z istniejącymi sieciami ośrodków badawczych, zwłaszcza dla badań niekomercyjnych, w tym międzynarodowymi, w szczególności z Europejską Siecią Infrastruktur Badań Klinicznych (ECRIN).

### Finansowanie

Aby w Polsce powstały dodatkowe centra badań klinicznych lub rozwinęły się już istniejące, konieczne będzie wsparcie finansowe tego działania. ABM przygotowuje i przeprowadzi konkurs dotyczący dofinansowania procesu rozwoju centrów badań klinicznych. Na finansowanie centrów planowane jest przeznaczenie kwoty 100 mln zł. Pozwoli to nie tylko na inwestycje infrastrukturalne, ale również ujednoczenie systemów informatycznych i procedur. Dodatkowo planowane połączenie zrestrukturyzowanych centrów w sieć pozwoli na lepsze wykorzystanie potencjału klinicznego.

### Kwalifikacje

Rozważane jest utworzenie przez ABM centrum edukacyjnego, które będzie szkoliło zespoły badawcze, a także lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej oraz pacjentów czy przedstawicieli organizacji pacjenckich. Szkolenia będą miały charakter powtarzalny, ponieważ ich celem jest trwale utrzymanie wysokich kwalifikacji kadr badawczych.

#### **4.4. Oczekiwany efekt**

Zdefiniowanie obszarów wsparcia i dedykowanie im zaplanowanych działań z pewnością przyniesie wymierny, oczekiwany efekt. Można stwierdzić, że jednoczesna niwelacja przeszkód dla rozwoju badań klinicznych będzie dodatkowym czynnikiem przyspieszającym rozwój tej dziedziny medycyny i gospodarki.

Jednym z głównych czynników hamujących rozwój badań jest długotrwałość procedur klinicznych. Skrócenie całkowitego czasu przeprowadzenia badania i lepsza jakość uzyskanych danych pozwolą na uatrakcyjnienie rynku badań klinicznych w Polsce, co przyczyni się do częstszego wyboru przez sponsorów ośrodków badawczych w Polsce, a to z kolei da szansę pacjentom na lepszy dostęp do nowoczesnych, innowacyjnych terapii, zaś badaczom na podnoszenie kwalifikacji i wzmocnienie pozycji na arenie międzynarodowej.

Większa liczba badań w Polsce przyniesie dodatkowe dochody ośrodkom badawczym (podmiotom leczniczym), w tym często samym badaczom i członkom zespołów badawczych, jak również dodatkowy dochód budżetu państwa.

Docelowym efektem będzie spozycjonowanie badań klinicznych jako istotnego i integralnego elementu systemu ochrony zdrowia. Nowe spojrzenie na badania kliniczne z całą pewnością wpłynie pozytywnie na ich rozwój. Obecnie, chociaż nie można oprzeć się na wiarygodnych

badaniach, postrzeganie badań klinicznych nie ma wystarczająco pozytywnego wymiaru. Zmiany, nawet w tym zakresie, utrwala efekty, wypracowane przedstawionymi działaniami.

Po 2,5 roku od przyjęcia PRBK zostanie dokonana ewaluacja jego efektów. Opracowane wskaźniki zostaną zbadane pod kątem postępu ich realizacji. W oparciu o nowe dane dokonane zostaną korekty i zaktualizowane priorytety.

## **5. Badania kliniczne a wzrost kompetencji kadr**

### **5.1. Potencjał krajowej kadry naukowej oraz aktualne finansowanie badań w kontekście rozwoju badań klinicznych w kraju**

Podstawowym źródłem finansowania badań naukowych uczelni wyższych w kraju są środki statutowe uczelni, które finansowe są z budżetu państwa. Środki te w niewielkim tylko stopniu pokrywają potrzeby finansowe grup badawczych, nie pozwalając tym samym na prowadzenie zaawansowanych badań naukowych. Kolejnym źródłem finansowania działalności naukowej są środki finansowe przyznawane przez Narodowe Centrum Nauki (NCN) w ramach konkursów finansujących badania z zakresu nauk podstawowych, choć od 2014 r. zostały wprowadzone programy badawcze wspomagające projekty badawcze poprzedzające komercjalizację wyników. Jednak biorąc pod uwagę zarówno liczbę wszystkich naukowców w kraju oraz liczbę organizowanych konkursów, ostatecznie mniej niż 1% tych naukowców uzyskuje finansowanie na własne badania naukowe. Sytuacja wygląda jeszcze mniej korzystnie, jeśli weźmie się pod uwagę niekomercyjne badania kliniczne, których przykładowo w 2018 r. zarejestrowano w Polsce zaledwie 11. Pokazuje to, iż istnieje realna konieczność zaangażowania większych środków finansowych dla wsparcia prowadzenia badań naukowych w zakresie niekomercyjnych badań klinicznych. Utworzenie odpowiednich programów, nie tylko finansujących tego typu badania, ale również stwarzających odpowiedni system dla ich promocji, wydaje się być konieczne dla budowania gospodarki opartej na nauce.

Środowisko akademickie w kraju, reprezentujące różne uczelnie, w tym o profilu medycznym czy technicznym, podejmuje ograniczone działania badawcze związane z prowadzeniem prac naukowych w zakresie niekomercyjnych badań klinicznych. W krajach wysoce rozwiniętych,

jak podaje *Danish Medicine Agency*<sup>19)</sup> (*Annual report 2017*), w latach 2008–2017 udział badań naukowych w zakresie badań klinicznych niekomercyjnych był 10-krotnie wyższy w odniesieniu do badań prowadzonych w naszym kraju i stale rośnie. Liderem w zakresie prowadzenia badań niekomercyjnych są kraje skandynawskie, ale również Niemcy i Francja. Badania biomedyczne w ww. wysoce rozwiniętych krajach stanowią podstawowy sposób rozwoju nowych technologii medycznych, które zasilają system leczenia pacjentów. Obecnie istnieją ograniczone mechanizmy finansowe wspomagające polskich naukowców w zakresie prowadzenia badań klinicznych niekomercyjnych. Nieco lepszą sytuację zauważa się na polu badań przedklinicznych, w których polscy naukowcy zaczynają odnajdywać swoją niszę badawczą i kształtują swoją pozycję międzynarodową. Według danych NCBIr w latach 2012–2016 problematyka biomedyczna dotyczyła 23% spośród wszystkich projektów badawczych. Według raportu *Deutsche Forschungsgemeinschaft*<sup>20)</sup> (*Processing Times and Success Rates*) w latach 2015–2018 w badaniach o podłożu biomedycznym w Niemczech brało udział ponad 18% naukowców z jednostek publicznych i aż 6% kadry naukowej z sektora prywatnego, co razem daje 24% naukowców zaangażowanych w prace badawczo-rozwojowe Niemiec. Dane te wyraźnie wskazują, iż istnieje uzasadniona konieczność aktywizacji polskich grup badawczych, aby zwiększać udział polskich naukowców w badaniach biomedycznych.

Proces powstawania technologii komercyjnej w zakresie nauk medycznych rozpoczyna się od badań podstawowych. W badania te zaangażowane są środowiska naukowe opierające się o badaczy głównie z nauk o życiu (NZ-według klasyfikacji NCN). Grupy te oparte są o system zarządzania wynikający z ustawy z dnia 20 lipca 2018 r. – Prawo o szkolnictwie wyższym i nauce (Dz. U. poz. 1668, z późn. zm.), gdzie kadre zarządzającą stanowią samodzielni pracownicy naukowci, tj. profesorowie oraz profesorowie uczelni lub ze stopniem doktora habilitowanego.

Kolejną grupą pracowników są młodzi naukowcy oraz doktoranci, którzy stanowią trzon badaczy polskich uczelni o profilu medycznym. System ten niewiele odbiega od systemów zachodnich, jednak udział młodych naukowców oraz doktorantów w badaniach naukowych w krajach wysoce rozwiniętych jest znacznie wyższy i stanowi ponad 25%. Zarówno w grupie doktorantów, jak i młodych naukowców istnieje potrzeba aktywizacji w kierunku

<sup>19)</sup> <https://laegemiddelstyrelsen.dk/en/publications/2018/annual-report-on-clinical-trials-of-medicines-in-2017/~media/02A91A79D58C468FAB5084B2EF8D5D03.aspx> (dostęp: lipiec 2019 r.).

<sup>20)</sup> [https://www.dfg.de/en/dfg\\_profile/facts\\_figures/statistics/processing\\_times\\_success\\_rates/index.html](https://www.dfg.de/en/dfg_profile/facts_figures/statistics/processing_times_success_rates/index.html) (dostęp: lipiec 2019 r.).

usamodzielniania w procesie prowadzenia i zarządzania badaniami naukowymi w zakresie nauk biomedycznych, które nakierowane byłyby na translacyjne podejście do badań naukowych. Model ten został sprawdzony i wprowadzony przez najlepsze uczelnie wyższe na świecie, w tym przez Stanford Medical School w USA, aktywizujące młodą kadrę naukową przez programy kliniczne translacyjne, których celem jest prowadzenie badań „od stołu laboratoryjnego do łóżka chorego” (ang. *bench-to-bedside*). Model ten wydaje się być bardzo skuteczny. Co roku Stanford Medical School (USA) udziela wsparcia na poziomie 5 mln dolarów kierowanego wyłącznie dla młodych lekarzy, prowadzących akademickie badania kliniczne, będące odpowiednikiem niekomercyjnych badań klinicznych (ang. *academic clinical research*<sup>21)</sup>). Obecnie w kraju nie istnieją mechanizmy wspierające niekomercyjne badania kliniczne dedykowane wyłącznie młodej kadry lekarskiej. Dostępne programy promują duże konsorcja naukowe, często działające mało efektywnie. Tym samym brak jest efektywnych mechanizmów promujących młodych lekarzy klinicystów, którzy mogliby kierować badaniami klinicznymi.

Według danych NCBiR naukowcy reprezentujący nauki ścisłe stanowili większość laureatów konkursów w zakresie badań biomedycznych. Jednak spośród wszystkich złożonych wniosków w każdej z dyscyplin zaledwie 7% dotyczyło badań o profilu medycznym lub takich, które mogłyby w przyszłości zaowocować powstaniem nowej technologii medycznej. Dane te wyraźnie wskazują na ograniczony udział środowiska naukowego w budowaniu gospodarki opartej na nauce w kontekście nauk biomedycznych. W ujęciu statystycznym, w celu podniesienia udziału polskich naukowców w prowadzeniu badań biomedycznych w zakresie badań klinicznych, ich liczba powinna wzrosnąć mniej więcej dwukrotnie. Dlatego też koniecznym jest utworzenie dodatkowych mechanizmów systemowych i finansowych promujących naukowców, którzy podejmowaliby taką tematykę badawczą.

## **5.2. Kwalifikacje zawodowe zespołów badawczych konieczne do prowadzenia badań klinicznych. Zadania członków zespołów prowadzących badania kliniczne**

Badania kliniczne wymagają zaangażowania kadry naukowej o określonym profilu kompetencji. Personel badawczy powołany do prowadzenia ww. badań jest jednym z najważniejszych komponentów programu badawczego. Ocenia się, że personel pielęgniarski

---

<sup>21)</sup> SPARK at Stanford Medical School, USA.

wraz z zespołem zarządzającym badaniami klinicznymi poświęca aż 30% swojego czasu dla prawidłowego wypełnienia swoich obowiązków, podczas gdy tylko 9% całkowitego czasu badania klinicznego stanowi czas pracy lekarzy i personelu naukowego. Jedną z najważniejszych ról w trakcie prowadzenia badania klinicznego, opisanego przez opiniotwórcze amerykańskie czasopismo *Journal of Oncology Practice*<sup>22)</sup> (*JOP*) jest rola głównego badacza<sup>23)</sup>. Obok jego kompetencji zawodowych i dorobku naukowego równie istotne są umiejętności zarządzania zespołem. W tym miejscu należy podkreślić, że w odróżnieniu do modelu amerykańskiego, w polskim systemie kształcenia lekarzy tak przed- jak i podyplomowego brak jest rozwoju kompetencji w zakresie zarządzania zespołem. Ten element kształcenia polskiej kadry lekarskiej, a w zasadzie konieczność dodatkowego kształcenia kadry lekarskiej i pozyskiwania przez nią dodatkowych kompetencji menedżerskich, wydaje się być jedną z palących potrzeb w obecnej sytuacji kadry zarządzającej badaniami klinicznymi. Dlatego też wskazanym jest opracowanie wsparcia systemowego umożliwiającego podnoszenie kompetencji zawodowych w formie kursów oraz studiów podyplomowych umożliwiających uzyskanie kompetencji zawodowych w zakresie badań klinicznych (czy szerzej – badań biomedycznych z udziałem ludzi), co w odniesieniu do pielęgniarek określa się jako kompetencje tzw. pielęgniarki badawczej (ang. *study nurse*).

W ślad za podobnymi programami kształcenia istniejącymi w innych krajach, w warunkach polskich należy opracować własny system szkoleń nie tylko dla personelu pielęgniarskiego, ale również pozostałych członków zespołów badawczych. Dodatkowo należy opracować system wynagrodzeń promujący pielęgniarki badawcze, które uzyskują dodatkowe certyfikaty podnoszące ich kompetencje zawodowe. Jak zaleca międzynarodowy związek *Association of Clinical Research Professionals*<sup>24)</sup>, jedną z najbardziej skutecznych metod zachęcania członków zespołów badawczych do podnoszenia kwalifikacji zawodowych jest zdobywanie dodatkowych certyfikatów zawodowych, które przekładają się na wyższe wynagrodzenia.

W celu zwiększenia kompetencji zawodowych członków zespołów badawczych prowadzących badania kliniczne ABM we współpracy z uczelniami powołanie stosowne działania polegające na wsparciu organizacji kształcenia podyplomowego w zakresie badań klinicznych (studia podyplomowe oraz kursy zawodowe).

---

<sup>22)</sup> *Journal of Oncology Practice (JOP)*, *J Oncol Pract.* 2011 Mar; 7(2): 124–128.

<sup>23)</sup> *Ibidem*.

<sup>24)</sup> <https://acrpnnet.org/> (dostęp: lipiec 2019 r.).

### **5.3. Potencjał naukowy polskiej kadry badawczej w kontekście gospodarki opartej na wiedzy**

W kategorii grantów dla naukowców do 12 lat po uzyskaniu stopnia doktora współczynnik sukcesu w Polsce wynosi 2,7% wobec np. 28% w Niemczech. Dla porównania średnia w Unii Europejskiej to niemal 11%. Oznacza to niewielki udział krajowego potencjału intelektualnego w rozwoju globalnej nauki. W przypadku grantów dla doświadczonych badaczy jest jeszcze gorzej i współczynnik sukcesu dla Polski to 1,5%, co jest bardzo niepokojącym wynikiem w porównaniu do średniej Unii Europejskiej, która wynosi ponad 14%. Analiza powyższych danych wskazuje, że budowanie gospodarki opartej na wiedzy wymaga zaangażowania sporych środków finansowych w celu podnoszenia kompetencji polskich naukowców, w tym podnoszenia ich kwalifikacji zawodowych. W tym celu, równoległe do zwiększonego finansowania samych projektów badawczych, należy podjąć działania wspierające podnoszenie kwalifikacji członków zespołów badawczych.

W kontekście badań klinicznych niekomercyjnych brak jest również (z nielicznymi wyjątkami) współpracy zarówno na poziomie krajowym, jak i międzynarodowym między ośrodkami prowadzącymi tego typu badania naukowe. Polscy naukowcy na ogół nie zrzeszają się w sieci badawcze, które umożliwiałyby podnoszenie wiedzy i kompetencji w zakresie prowadzenia badań klinicznych niekomercyjnych. W związku z tym konieczne jest podjęcie działań nie tylko w zakresie zwiększonego finansowania sprzyjającego rozwojowi krajowych zespołów badawczych, ale również podjęcie działań, które podniosą znaczenie polskich grup badawczych na arenie międzynarodowej.

## **6. Normatywne uwarunkowania badań klinicznych – postulaty zmian legislacyjnych**

Interesariusze rynku badań klinicznych często uzależniają szansę powodzenia dynamicznego rozwoju badań klinicznych od stopnia skomplikowania i przyjazności regulacji prawnych obowiązujących w kraju ich prowadzenia. Niewątpliwie jednym ze stymulantów dla rozwoju badań klinicznych jest zapewnienie przejrzystego systemu prawnego pozbawionego barier o charakterze administracyjno-prawnym. Obecny stan prawny, mimo dotychczas podejmowanych działań legislacyjnych, jest jeszcze daleki od ideału. W przedmiotowym dokumencie podjęto próbę analizy genezy aktualnych problemów oraz przedstawiono działania mające na celu ich zniwelowanie.



### Regulacje wspólnotowe

Obecnie kluczowymi aktami prawnymi regulującymi obszar badań klinicznych w Unii Europejskiej są dyrektywa 2001/20/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 4 kwietnia 2001 r. w sprawie zbliżenia przepisów ustawowych, wykonawczych i administracyjnych Państw Członkowskich, odnoszących się do wdrożenia zasady dobrej praktyki klinicznej w prowadzeniu badań klinicznych produktów leczniczych, przeznaczonych do stosowania przez człowieka (Dz. Urz. UE L 121 z 01.05.2001, str. 34, z późn. zm.), zwana dalej „dyrektywą Parlamentu Europejskiego i Rady nr 2001/20/WE”, oraz uzupełniająca ją dyrektywa Komisji 2005/28/WE z dnia 8 kwietnia 2005 r. ustalająca zasady oraz szczegółowe wytyczne dobrej praktyki klinicznej w odniesieniu do badanych produktów leczniczych przeznaczonych do stosowania u ludzi, a także wymogi zatwierdzania produkcji oraz przywozu takich produktów (Dz. Urz. UE L 91 z 09.04.2005, str. 13), zwana dalej „dyrektywą Komisji nr 2005/28/WE”. Celem wprowadzenia ww. aktów prawnych było zapewnienie istnienia w krajach członkowskich Unii Europejskiej jednolitych ram prawnych w zakresie najistotniejszych zagadnień związanych z prowadzeniem badań klinicznych.

W praktyce wiele z unijnych krajów członkowskich zaimplementowało przepisy dyrektyw w odmienny sposób, dodając krajowe szczegółowe uregulowania, nierzadko bardziej restrykcyjne. Takie działanie doprowadziło do dysharmonizacji europejskich systemów prawnych dotyczących prowadzenia badań klinicznych i tym samym do pewnego stopnia odstraszyło m.in. sponsorów międzynarodowych badań klinicznych od prowadzenia ich na starym kontynencie.

Skutkiem pełnej implementacji dyrektywy Parlamentu Europejskiego i Rady nr 2001/20/WE do porządku prawnego państw członkowskich było zmniejszenie się liczby badań klinicznych prowadzonych na obszarze Unii Europejskiej w porównaniu do okresu sprzed wejścia w życie tego aktu prawnego.

Spadająca na przestrzeni lat atrakcyjność krajów europejskich jako miejsca prowadzenia badań stała się impulsem do poszukiwania rozwiązania, które byłoby odpowiedzią na zidentyfikowane bariery rozwoju rynku badań klinicznych o charakterze administracyjno-prawnym.

Prawodawca europejski zdecydował, iż najlepszym rozwiązaniem przedmiotowego problemu będzie wprowadzenie nowego aktu prawnego, który zastąpi aktualnie obowiązującą dyrektywę Parlamentu Europejskiego i Rady nr 2001/20/WE i w praktyce dyrektywę Komisji

nr 2005/28/WE. Tym razem jednak, mając na uwadze ogromną wagę ujednoczenia regulacji w obszarze badań klinicznych, dla ww. aktu wybrano formę rozporządzenia, które pozwala na najwyższy stopień harmonizacji, bowiem jego przepisy wiążą państwa członkowskie bezpośrednio i wprost, bez konieczności implementacji do krajowego porządku prawnego.

Nowe regulacje zawarte w rozporządzeniu 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), zwane dalej „rozporządzeniem 536/2014”, przewidują m.in. uproszczenie i harmonizację przepisów administracyjnych regulujących badania kliniczne oraz ograniczenie do minimum różnic w podejściu do rejestracji badań klinicznych między państwami członkowskimi. Zgodnie z rozporządzeniem 536/2014 proces wydawania pozwolenia na badania kliniczne będzie prowadzony przez wspólną ocenę wszystkich państw, w których sponsor planuje przeprowadzić dane badanie kliniczne, za pośrednictwem wspólnego dla całej Unii Europejskiej portalu i na podstawie zharmonizowanej dokumentacji w określonych ramach czasowych dla każdego etapu procesu wydawania pozwolenia. Proces będzie się kończył pozwoleniem (lub odmową) zawartym w jednej decyzji administracyjnej wydanej przez każde państwo członkowskie.

Rozporządzenie 536/2014 miało być stosowane po upływie 6 miesięcy od opublikowania zawiadomienia o pełnej funkcjonalności portalu Unii Europejskiej i bazy danych Unii Europejskiej, nie wcześniej jednak niż 28 maja 2016 r. Z uwagi na duże opóźnienia związane z budową portalu Unii Europejskiej przewiduje się, że rozporządzenie 536/2014 będzie stosowane nie wcześniej niż w I połowie 2021 r.

W 2015 r. Polska przystąpiła do procedury dobrowolnej wspólnej oceny dokumentacji badań klinicznych produktów leczniczych (ang. *Voluntary Harmonisation Procedure*, VHP), która powstała z inicjatywy *Heads of Medicines Agencies*. Procedura ta stosowana jest do badań, które będą prowadzone w więcej niż jednym państwie członkowskim. Ocenie podlega przede wszystkim jakość badanego produktu leczniczego oraz bezpieczeństwo uczestników badania klinicznego. Współpraca w ramach VHP umożliwia państwom uczestniczącym zdobycie niezbędnego doświadczenia, które będzie przydatne do stosowania rozporządzenia 536/2014.

#### Regulacje krajowe

Instytucja badań klinicznych produktów leczniczych w polskim prawodawstwie została uregulowana w rozdziale 2a ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz.

U. z 2019 r. poz. 499, z późn. zm.) oraz w szeregu aktów wykonawczych do tejże ustawy. Przepisy te stanowią transpozycję dyrektywy Parlamentu Europejskiego i Rady nr 2001/20/WE oraz dyrektywy Komisji nr 2005/28/WE.

Wskazać należy, iż polski ustawodawca równoległe z problemami pojawiającymi się na rynku wewnętrznym Unii Europejskiej identyfikował pewne istniejące wówczas bariery na poziomie krajowym i podjął próbę ich usunięcia. Próbą rozwiązania części z nich były prace legislacyjne prowadzone na początku drugiej dekady bieżącego stulecia związane z opracowaniem projektu ustawy o badaniach klinicznych produktów leczniczych i produktów leczniczych weterynaryjnych, nad którym finalnie wstrzymano prace z uwagi na informację o zamiarach wydania przez Unię Europejską rozporządzenia w analogicznym zakresie, które zgodnie z zasadami kolizyjnymi miało pierwszeństwo w stosowaniu.

Przystąpiono zatem do poszukiwania alternatywnych możliwości uatrakcyjnienia procesu prowadzenia badań klinicznych na poziomie krajowym. Wśród takich inicjatyw można zidentyfikować ustanowienie jednego organu właściwego zarówno w zakresie oceny wniosku o wydanie pozwolenia na badanie kliniczne, jak i finalnej decyzji (Prezes Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, URPL). Przed zmianą dokonaną w maju 2011 r. ocena wniosku należała do URPL, natomiast wydanie decyzji w zakresie pozwolenia na rozpoczęcie badania było jedną z prerogatyw Ministra Zdrowia.

Dodatkowo polski ustawodawca, dostrzegając potrzebę wsparcia rozwoju badań klinicznych o charakterze niekomercyjnym, w drugiej połowie 2015 r. przez nowelizację ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne<sup>25)</sup> wprowadził istotne zmiany, prowadzące do znacznego obniżenia kosztów prowadzenia tego rodzaju badań klinicznych dla ich sponsorów, w szczególności w zakresie pokrycia kosztów świadczeń opieki zdrowotnej, udzielanych uczestnikom niekomercyjnych badań klinicznych.

Przedmiotowa nowelizacja była oceniana pozytywnie dzięki szansie na zwiększenie liczby takich badań w Polsce przez częściowe przeniesienie obowiązku finansowania świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych uczestnikom takich badań na Narodowy Fundusz Zdrowia oraz wprowadzenie preferencyjnej opłaty dla sponsora niekomercyjnego za złożenie wniosku o wydanie pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego.

---

<sup>25)</sup> Ustawa z dnia 25 września 2015 r. o zmianie ustawy – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. poz. 1771).

Kolejną istotną z punktu widzenia badań klinicznych w Polsce zmianą ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne była nowelizacja z dnia 7 czerwca 2018 r.<sup>26)</sup>, będąca odpowiedzią na postulaty interesariuszy środowiska badań klinicznych w zakresie przyspieszenia procesu uzyskiwania pozwolenia na rozpoczęcie badania klinicznego.

Wprowadzonym w ustawie nowelizującej z dnia 7 czerwca 2018 r. rozwiązaniem było zniesienie konieczności przedkładania zawartych umów o badanie kliniczne jako warunku kompletności dokumentacji składanej wraz z wnioskiem o pozwolenie na badanie kliniczne, a w zamian wprowadzenie wymogu przedstawienia krótkiego opisu finansowania badania klinicznego, przedłożenia informacji na temat transakcji finansowych oraz rekompensat wypłacanych uczestnikom oraz badaczom lub ośrodkom badawczym, w których jest prowadzone badanie kliniczne, za udział w badaniu klinicznym oraz przedłożenia opisu wszelkich innych umów między sponsorem a ośrodkiem badawczym, w którym jest prowadzone badanie kliniczne.

Przed wprowadzeniem przedmiotowej zmiany Polska była praktycznie jedynym państwem członkowskim Unii Europejskiej, które wymagało składania wraz z wnioskiem o rozpoczęcie badania klinicznego umów dotyczących badania klinicznego zawieranych między stronami biorącymi udział w badaniu klinicznym. Konieczność składania wynegocjowanych umów o badanie kliniczne powodowała znaczne przedłużenie przygotowania dokumentacji składanej wraz z wnioskiem przez sponsora badania klinicznego, a w rezultacie skutkowało odplywem badań klinicznych z Polski z uwagi na możliwość dużo szybszej rejestracji badania klinicznego w innych państwach członkowskich Unii Europejskiej. Niecały rok po wprowadzeniu tej niewielkiej zmiany obserwuje się zauważalny wzrost liczby składanych wniosków o wydanie pozwolenia na rozpoczęcie badania klinicznego, co świadczy o ogromnej wadze likwidacji barier o charakterze administracyjno-prawnym w procesie stymulacji rozwoju rynku badań klinicznych.

Niestety mimo podejmowania ww. działań wskaźniki dotyczące liczby prowadzonych badań w stosunku do liczby mieszkańców są niesatysfakcjonujące w porównaniu do innych krajów europejskich, takich jak Czechy czy Węgry. Dążąc do zmiany tego negatywnego stanu, rozwój sektora badań klinicznych stał się ważnym elementem dokumentu Polityka Lekowa Państwa, określającym priorytety działań Rządu Rzeczypospolitej Polskiej w zakresie gospodarowania lekami w latach 2018–2022. W przedmiotowym dokumencie wskazano na

---

<sup>26)</sup> Ustawa z dnia 7 czerwca 2018 r. o zmianie ustawy – Prawo farmaceutyczne oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. poz. 1375 i 1515).

szczególną rolę zwiększenia konkurencyjności i innowacyjności przemysłu farmaceutycznego przez stymulację badań i rozwoju leków oraz poprawę warunków realizacji badań klinicznych.

Wśród instrumentów umożliwiających osiągnięcie tego celu znalazło się m.in. powołanie ABM, finansującej m.in. niekomercyjne badania kliniczne oraz przygotowanie i wdrożenie rozwiązań prawnych z rozporządzenia 536/2014 wraz z ustawą dostosowującą polskie prawo do wymagań rozporządzenia oraz zmianą stosownych aktów prawnych dotyczących badań klinicznych w sposób sprzyjający rozwojowi badań klinicznych.

Celem polskiego ustawodawcy jest zwiększenie konkurencyjności Polski jako miejsca prowadzenia badań klinicznych przez wdrożenie przejrzystych regulacji prawnych umożliwiających stosowanie europejskich standardów określonych w rozporządzeniu 536/2014 oraz wprowadzenie dodatkowych ułatwień i mechanizmów zachęcających do prowadzenia badań klinicznych, które pozytywnie wyróżnią Polskę na tle państw wdrażających jedynie plan minimum wyłącznie umożliwiający stosowanie rozporządzenia 536/2014.

Zgodnie z zasadą pomocniczości rozporządzenie 536/2014 pozostawia szereg kwestii do regulacji państw członkowskich, które w Polsce będą zawarte w *projekcie ustawy o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi*. Od jakości rozwiązań, które zostaną przyjęte w przedmiotowej ustawie, zależy, czy Polska, jako kraj o niewykorzystanym potencjale, stanie się liderem rynku badań klinicznych w regionie Europy Środkowowschodniej.

Rozporządzenie 536/2014 nie ma charakteru wyczerpującego i wymaga od państw członkowskich wprowadzenia regulacji prawnych, które nie mogą zostać narzucone na poziomie wspólnotowym. Kluczowe kwestie pozostawione w kompetencji krajowej, które zostaną uregulowane w *projekcie ustawy o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi*, dotyczą m.in.:

- określenia systemu oceny etycznej wniosku i organizacji komisji bioetycznych – sprawnie działająca struktura/sieć komisji bioetycznych (na czele której planowane jest powołanie Naczelnej Komisji Bioetycznej);
- kwestii odpowiedzialności cywilnej oraz systemu ubezpieczeń (planowane jest zapewnienie uczestnikom badań klinicznych realnych możliwości uzyskania odszkodowania za szkody poniesione w związku z badaniem, wprowadzenie różnych

kategorii ubezpieczeń dostosowanych do skali ryzyka badania klinicznego, wprowadzenie odpowiedzialności sponsora częściowo na zasadzie ryzyka);

- określenia wysokości opłaty za dokonanie oceny naukowej i etycznej wniosku w sposób przejrzysty i jednoznaczny;
- zasad finansowania świadczeń związanych z prowadzonym badaniem klinicznym (planowane jest wprowadzenie instrumentów zapobiegających trudnościom związanym ze zmienną interpretacją oddziałów wojewódzkich Narodowego Funduszu Zdrowia w zakresie świadczeń finansowanych przez płatnika publicznego, zwiększenie transparentności zasad podziału obowiązków finansowych sponsora oraz płatnika publicznego przez deklarację Narodowego Funduszu Zdrowia co do kwalifikowalności świadczeń w danym badaniu klinicznym do finansowania przez płatnika publicznego);
- wprowadzenia mechanizmów wsparcia badań klinicznych niekomercyjnych (planowane są granty w ramach konkursów realizowanych przez ABM, zapewnienie badaczom niezbędnych szkoleń i wsparcia merytorycznego w zakresie projektowania badania klinicznego);
- określenia wymogów językowych dotyczących dokumentacji.

Obecnie konieczne jest podjęcie właściwych i finalnych prac legislacyjnych zmierzających do opracowania tekstu *projektu ustawy o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi*, który zostanie wypracowany w ramach Zespołu powołanego przez Ministra Zdrowia<sup>27)</sup>. W składzie Zespołu znajdują się główni interesariusze rynku badań klinicznych, których zadaniem będzie wypracowanie przepisów, które są ważne i warte wprowadzenia bądź doprecyzowania na gruncie polskiego prawa.

Podjęte działania legislacyjne powinny zaprojektować na nowo polski rynek badań klinicznych, tworząc przyjazne oraz konkurencyjne środowisko do ich prowadzenia.

## 7. Obszary wsparcia – tabele działań

Lp.	Działanie	Działania szczegółowe	Podmiot koordynujący	Termin realizacji	Sposób monitorowania	Budżet (zł)	Źródło finansowania
<b>Obszar: Niekomercyjne badania kliniczne</b>							
1.	Finansowanie projektów niekomercyjnych badań klinicznych	Przeprowadzenie konkursów mających na celu dofinansowanie	ABM	2020–2025	Liczba niekomercyjnych badań klinicznych rejestrowanych w Polsce	1 814 000 000	Budżet ABM

<sup>27)</sup> Zarządzenie Ministra Zdrowia z dnia 14 sierpnia 2019 r. w sprawie powołania Zespołu do spraw opracowania projektu ustawy o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi (Dz. Urz. Min. Zdrow. poz. 62).

		niekomercyjnych badań klinicznych			Odsetek niekomercyjnych badań klinicznych w stosunku do ogólnej liczby badań klinicznych rejestrowanych w Polsce		
<b>Obszar: Nowoczesne prawo badań klinicznych</b>							
2.	Poprawa funkcjonowania otoczenia prawnego badań klinicznych (legislacja)	1. Wprowadzenie nowych norm prawnych umożliwiających stosowanie rozporządzenia 536/2014 wraz z mechanizmami uatrakcyjnającymi Polskę jako miejsce do prowadzenia badań klinicznych. 2. Prowadzenie procesu legislacyjnego przy wsparciu ekspertów ABM.	MZ	2019	Liczba projektów aktów prawnych przekazanych Ministrowi Zdrowia		Budżet MZ
<b>Obszar: Kształcenia kadry badań klinicznych</b>							
3.	Kształcenie podyplomowe	Rozwój kształcenia podyplomowego w zakresie badań klinicznych (studia podyplomowe, kursy zawodowe)	ABM we współpracy z uczelniami	2020–2025	Liczba osób objętych kształceniem podyplomowym w zakresie badań klinicznych	3 500 000	Budżet ABM
<b>Obszar: Rozwój badań klinicznych w Polsce – infrastruktura i procesy operacyjne</b>							
4.	Utworzenie Sieci wyspecjalizowanych Centrów Badań Klinicznych	Analiza/Weryfikacja potrzeb w obszarze infrastruktury i procesów w ośrodkach badawczych	ABM	2019	Liczba zdiagnozowanych ośrodków badawczych	100 000 000	Budżet ABM
		Opracowanie standardu modelowego Centrum Badań Klinicznych	ABM	2019	Opracowanie standardu modelowego Centrum Badań Klinicznych		
		Przeprowadzenie konkursów mających na celu	ABM	2020–2025	Liczba utworzonych/zmodernizowanych Centrów Badań		

		utworzenie lub/i modernizację Centrów Badań Klinicznych			Klinicznych		
		Stworzenie i utrzymanie sieci teleinformatycznej Centrów Badań Klinicznych	ABM/CSIOZ	2020–2025	Realizacja podstawy założeń projektowych		
		Upowszechnianie informacji na temat badań klinicznych „Pacjent w badaniach”	ABM	2019–2025	Liczba zrealizowanych kampanii społecznych		
<b>Obszar: Współpraca międzynarodowa</b>							
5.	Przystąpienie Polski do Europejskiej Sieci Infrastruktury Badań Klinicznych (ECRIN)	Integracja z Europejską Siecią Infrastruktury Badań Klinicznych (ECRIN) <u>Etap I:</u> Przystąpienie Polski do ECRIN – Status „obserwatora” <u>Etap II:</u> Zorganizowanie Infrastruktury POLCRIN w Polsce <u>Etap III:</u> Przystąpienie Polski do sieci ECRIN – członkostwo	ABM	2019–2022	Liczba inicjatyw w ramach Europejskiej Sieci Infrastruktury Badań Klinicznych (ECRIN)		Budżet ABM

## 8. Przewidywane efekty gospodarcze wsparcia badań. Wnioski końcowe

Wsparcie badań klinicznych zarówno komercyjnych, jak i niekomercyjnych, poza bezpośrednimi efektami w zakresie wsparcia rozwoju systemu ochrony zdrowia, będzie miało również szerszy wpływ na gospodarkę.

Podstawowym efektem makroekonomicznym będzie wpływ na rozwój innowacyjnych gałęzi gospodarki – przemysłu farmaceutycznego i biotechnologicznego. Są to kluczowe gałęzie zapewniające stały wzrost gospodarczy, a tym samym wzrost PKB. Stanowią również strategiczne sektory dające podstawę do budowania przewagi konkurencyjnej polskiej gospodarki. Znaczenie przemysłu farmaceutycznego i biotechnologicznego w ujęciu



bezpośrednim określa wartość PKB tworzona przez te sektory, liczba pracujących w tych sektorach, płacone podatki i saldo obrotów produktami farmaceutycznymi i biotechnologicznymi z zagranicą.

Istniejące bariery w finansowaniu badań medycznych, w tym badań klinicznych, przyczyniają się do powstania istotnych strat dla budżetu. Szacuje się (zgodnie z raportem PWC z 2015 r.<sup>28)</sup>, że tylko w 2014 r. około 70 badań nie doszło do skutku. W rezultacie polski rynek mógł stracić nawet ok. 170 mln zł, a budżet państwa ok. 54 mln zł. Stąd drugim obszarem oddziaływania, w jakim będzie widoczny wpływ wsparcia badań klinicznych, są bezpośrednie wpływy do budżetu państwa, wynikające przede wszystkim ze wzrostu liczby realizowanych badań klinicznych, w szczególności komercyjnych. Obejmują one m.in.:

- płatności na rzecz Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL);
- podatki płacone bezpośrednio przez sponsorów i podmioty realizujące badania (CIT, PIT);
- podatki płacone bezpośrednio przez podmioty współpracujące w ramach badań klinicznych (badacze, pracownicy firm współpracujących);
- podatki płacone przez firmy świadczące swoje usługi na rzecz sponsorów i realizatorów badań klinicznych.

Istotnym elementem wpływającym na wydatki budżetu państwa, związane ze środkami przekazywanymi do budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, są również możliwe do osiągnięcia oszczędności, obejmujące m.in.:

- oszczędności bezpośrednie wynikające z faktu, że pacjent włączony do badania klinicznego nie generuje kosztów po stronie Narodowego Funduszu Zdrowia albo generuje ich mniej; koszty leczenia takiego pacjenta (w zakresie przewidzianym protokołem badania) są ponoszone przez sponsora badania;
- oszczędności pośrednie związane z uniknięciem kosztów leczenia pacjenta, którego stan zdrowia uległ poprawie na skutek terapii zastosowanej w ramach badania klinicznego;
- obniżenie w długoterminowej perspektywie kosztów poszczególnych terapii (w szczególności w obszarze onkologii i kardiologii), dzięki uzyskanym danym przekładającym się na analizy ekonomiki zdrowia/farmakoekonomiki.

---

<sup>28)</sup> <https://www.pwc.pl/pl/pdf/badania-kliniczne-raport-pwc.pdf>

Oszacowanie finansowego wpływu tych badań na budżet państwa jest trudne. Niemniej jednak szacuje się, że w 2014 r. do budżetu państwa z tytułu realizacji głównie badań komercyjnych wpłynęło 300 mln zł<sup>29)</sup> w formie podatków i odprowadzanych opłat z tytułu realizacji badań.

Wsparcie rozwoju badań klinicznych będzie miało również wpływ na rynek pracy – utworzenie nowych miejsc pracy, przy czym szczególne znaczenie będą miały wysokospecjalistyczne, wysoko wynagradzane stanowiska. Wiąże się to z dodatkowymi wpływami do budżetu z tytułu podatków i obciążeń wynagrodzeń płaconych przez pracodawców i tych pracowników.

Kolejnymi efektami wdrożenia, które będą widoczne za kilka – kilkanaście lat będzie dalszy, stały rozwój badań naukowych w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu, a tym samym na rozwój nowoczesnych technologii medycznych, które będą wykorzystywane w procesie terapeutycznym mogących wpływać na obniżenie kosztów płatnika czy wzrost PKB. Średni okres między badaniami a rzeczywistym wpływem na leczenie jest zależny od rodzaju badania. Ewaluacja badań brytyjskiego *Medical Research Council* wskazuje, iż zyski netto wygenerowane dzięki działalności instytucji tylko w Wielkiej Brytanii w obszarze kardiologii to około 9% zysków całego brytyjskiego systemu ochrony zdrowia. *MRC* określiło, iż wydatek £ 1 ze środków publicznych na badania medyczne przynosi zwrot na poziomie £ 0,39 rocznie.

Przedstawione w raporcie kierunki działania podjęte przez ABM oraz inne instytucje z pewnością zwiększą udział badań klinicznych w ochronie zdrowia, a przez to wpłyną na budowanie medycyny opartej na badaniach naukowych. Idąc w ślad najlepiej rozwiniętych systemów ochrony zdrowia, ABM umożliwi podjęcie badań klinicznych, w tym niekomercyjnych, dla wsparcia rozwoju rodzimej biotechnologii. Ponadto zaplanowane działania wesprą rozwój biomedycyny oraz technologii biomedycznych. Przyczyni się to do budowy systemu ochrony zdrowia opartego o wiedzę. Przedstawiony raport nakreśla działania konieczne do realizacji w najbliższej perspektywie czasowej dla stworzenia nowoczesnego, innowacyjnego systemu opieki zdrowotnej – systemu wspartego nieustającym podnoszeniem kompetencji i kwalifikacji kadry lekarsko-badawczej, prowadzących badania kliniczne.

---

<sup>29)</sup> <https://www.pwc.pl/pl/pdf/badania-kliniczne-raport-pwc.pdf>, s. 4.

## 9. Matryca logiczna planu

Obszar	Diagnoza	Oczekiwana zmiana	Cele szczegółowe	Zadania	Zakładany efekt	Wskaźnik/Produkt	Wartość bazowa (2018)	Docelowa wartość wskaźnika	Okres realizacji
1.	W ostatnich latach w Polsce rejestrowano ok. 400 badań rocznie, z tego tylko kilkanaście niekomercyjnych (jedynie 3%). W krajach Europy Zachodniej odsetek ten wynosi ok. 30%. Polska zajmuje 15 miejsce w Europie pod względem liczby rejestrowanych niekomercyjnych badań klinicznych. Jest to odległa pozycja w stosunku to czołówki europejskiej, która realizuje do 197 takich badań (Holandia).	Wzrost liczby prowadzonych niekomercyjnych badań klinicznych do poziomu średniej europejskiej do 2025 r. przez zapewnienie strumienia finansowania dla tych badań przez Agencję Badań Medycznych oraz stymulację wzrostu innowacyjności polskiego systemu ochrony zdrowia.	Rozwój niekomercyjnych badań klinicznych	Przeprowadzenie konkursów i podpisanie umów o dofinansowanie	Utworzenie źródeł finansowania dla niekomercyjnych badań klinicznych	Nakłady na niekomercyjne badania kliniczne (zł)	0	341 mln zł	2020–2025
					Utworzenie mechanizmów umożliwiających finansowanie niekomercyjnych badań klinicznych	Liczba przeprowadzonych konkursów	0	3	2020–2025
					Wzrost liczby realizowanych niekomercyjnych badań klinicznych	Liczba rejestrowanych niekomercyjnych badań klinicznych	18	50	2020–2025

2.	<p>Brak precyzyjnych ram prawnych, długi czas uzyskania pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego, brak przejrzystości w zasadach finansowania świadczeń przez NFZ pacjentów biorących udział w badaniu sprawiają, że np. w Czechach wskaźnik badań klinicznych na 1 mln mieszkańców jest prawie dwukrotnie wyższy niż w Polsce.</p>	<p>Wypracowanie nowych rozwiązań prawnych umożliwi stosowanie rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r. w sprawie badań klinicznych stosowanych u ludzi oraz uchylecia dyrektywy 2001/20/WE, a także pozwoli na wprowadzenie mechanizmów uatrakcyjniających Polskę, jako miejsce do prowadzenia badań klinicznych.</p>	<p>Poprawa funkcjonowania otoczenia prawnego badań klinicznych</p>	<p>Opracowanie projektu ustawy o badaniach klinicznych</p>	<p>Dostosowanie prawodawstwa polskiego do wymogów europejskich w zakresie prowadzenia badań klinicznych oraz uatrakcyjnienie Polski, jako miejsca do prowadzenia badań klinicznych</p> <p>Likwidacja barier o charakterze administracyjno-prawnym</p>	<p>Liczba projektów aktów prawnych przekazanych Ministrowi Zdrowia</p>	0	1	2019–2020
3.	<p>Niewystarczający poziom wiedzy interesariuszy badania klinicznego. Dotyczy to zarówno członków zespołu badawczego, jak i uczestników badania.</p>	<p>Wzrost poziomu wiedzy, kompetencji i świadomości uczestników, w tym członków zespołów badawczych prowadzących badania kliniczne, ABM we współpracy z uczelniami i organizacjami pozarządowymi i innymi partnerami zewnętrznymi poweźmie stosowne działania polegające na wsparciu organizacji kształcenia podyplomowego w zakresie badań klinicznych (studia podyplomowe oraz kursy</p>	<p>Podniesienie kompetencji kadry prowadzącej badania kliniczne</p>	<p>Przeprowadzenie szkoleń, seminariów, konferencji i podjęcie współpracy w kierunku otwarcia studiów podyplomowych z zakresu badań klinicznych z uprawnionymi jednostkami</p>	<p>Wzrost wiedzy o procesach organizacyjnych w badaniach klinicznych</p>	<p>Liczba osób objętych kształceniem podyplomowym w zakresie badań klinicznych</p>	0	300	2019–2025



5.	Niewystarczający poziom umiędzynarodowienia projektów badawczych w obszarze nauk medycznych.	realizować badania kliniczne w Polsce (CRO, sponsorów). Wprowadzenie jednolitych procedur dla wielu ośrodków skróci czas organizacji badań, zwiększy udział pacjentów, a także pozwoli na specjalizację ośrodków. Dodatkowo dzięki działalności szkoleniowej CRBK możliwe będzie podniesienie kompetencji kadry realizującej niekomercyjne badania kliniczne.	Integracja z Europejską Siecią Infrastruktury Badań Klinicznych (ECRIN)	<p>teleinformatycznej Centrów Badań Klinicznych</p> <p>Stworzenie i utrzymywanie sieci teleinformatycznej Centrów Badań Klinicznych</p>	Liczba ośrodków w sieci Centrów Badań Klinicznych	0	12	2020–2025
		Przystąpienie Polski do Europejskiej Sieci Infrastruktury Badań Klinicznych (ECRIN) i zwiększenie liczby niekomercyjnych projektów międzynarodowych z udziałem polskich badaczy. Większy zasięg i skuteczność rekrutacji do niekomercyjnych badań klinicznych.	Integracja z Europejską Siecią Infrastruktury Badań Klinicznych (ECRIN)	<p>Etap I Przystąpienie Polski do ECRIN – Status „obserwatora”</p> <p>Etap II Zorganizowanie Infrastruktury POLCRIN w Polsce</p> <p>Etap III Przystąpienie Polski do sieci ECRIN – członkostwo</p>	Liczba inicjatyw w ramach ECRIN	brak danych	10	2019–2025