

Grudzień 2015

Badania kliniczne w Polsce



Raport wykonany przez:



Na zlecenie:



Raport zlecony i sfinansowany przez:

**Związek Pracodawców Innowacyjnych
Firm Farmaceutycznych INFARMA**

ul. Puławska 182
02-670 Warszawa
tel.: +48 22 417 01 70
www.infarma.pl

**Stowarzyszenie na Rzecz Dobrej Praktyki
Badań Klinicznych GCPpl**

ul. Postępu 18
02-676 Warszawa
tel.: +48 22 572 59 40
www.gcpl.org.pl

**Polski Związek Pracodawców Firm Prowadzących
Badania Kliniczne na Zlecenie POLCRO**

ul. Żwirki i Wigury 18a
02-092 Warszawa
tel.: +48 731 223 450
www.polcro.pl

Raport sporządziła firma:

PwC

al. Armii Ludowej 14
00-638 Warszawa
tel.: +48 22 746 40 00
www.pwc.pl

Projekt zakończono w listopadzie 2015 r.
Raport chroniony jest prawem autorskim.

Słowo wstępne

Oddajemy w Państwa ręce raport na temat aktualnego stanu badań klinicznych w Polsce, przygotowany przez firmę PwC na zlecenie i we współpracy ze Związkiem Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA, Stowarzyszeniem na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych GCPpl oraz Polskim Związkiem Pracodawców Firm Prowadzących Badania Kliniczne na Zlecenie POLCRO.

Badania kliniczne stanowią fundament współczesnej medycyny, są warunkiem dostępu pacjentów do nowoczesnych terapii i wpływają znacząco na poszerzenie zawodowej wiedzy lekarzy. Obecnie Wspólnota Europejska przygotowuje się do wdrożenia Rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi. Postanowienia tego rozporządzenia będą obowiązywały najprawdopodobniej od marca 2017 roku i w znaczący sposób zmienią funkcjonujące do tej pory zasady uzyskiwania pozwolenia na prowadzenie badań klinicznych. Kraje Unii Europejskiej prezentują różny stopień przygotowania legislacyjno-administracyjnego do jego przyjęcia. Te różnice będą wpływały na rozmieszczenie badań klinicznych w krajach Unii. Dlatego w interesie Polski jest jak najlepsze przygotowanie się pod względem legislacyjnym i administracyjnym do nadchodzących zmian w stosunkowo krótkim czasie.

W niniejszym raporcie znajdują Państwo analizę aktualnej sytuacji w obszarze badań klinicznych w Polsce oraz trzech potencjalnych scenariuszy, jakie mogą się wydarzyć. Realizacja scenariusza, w którym aktywność Polski ograniczyłaby się wyłącznie do rozpoczęcia stosowania rozporządzenia nr 536/2014 z pominięciem działań dostosowawczych w obszarach nieuregulowanych bezpośrednio przez legislację unijną, doprowadziłaby do załamania się rynku badań klinicznych w naszym kraju. Negatywne konsekwencje takiego rozwoju wypadków ponieśliby nie tylko pacjenci, ale także lekarze i placówki służby zdrowia. Widoczny byłby również jego negatywny wpływ na budżet państwa i innowacyjność gospodarki.

W bardziej optymistycznych scenariuszach, w których częściowo lub całkowicie zlikwidowano by główne bariery administracyjne i legislacyjne, rynek badań klinicznych w Polsce miałby szansę utrzymać się na obecnym poziomie lub znacząco rozwinąć. Ten wariant przyniósłby największe korzyści pacjentom, a przecież ich dobro jest najważniejsze. Byłyby także korzystny dla lekarzy, placówek służby zdrowia i budżetu państwa.

Dziękujemy wszystkim osobom zaangażowanym w przygotowanie raportu. Wierzymy, że stanie się on podstawą do prowadzenia merytorycznego dialogu na temat rozwoju komercyjnego i niekomercyjnego rynku badań klinicznych w naszym kraju.

Paweł Sztwiertnia

Dyrektor Generalny Związku Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA

Teresa Brodniewicz

Prezes Zarządu Stowarzyszenia na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce

Wojciech Masełbas

Prezes Zarządu Polskiego Związku Pracodawców Firm Prowadzących Badania Kliniczne na Zlecenie POLCRO

Spis treści

<i>Streszczenie</i>	4
<hr/>	
1. Charakterystyka rynku badań klinicznych w Polsce	7
<hr/>	
Czym są badania kliniczne	8
Dlaczego warto wspierać prowadzenie badań klinicznych	10
Analiza polskiego rynku badań klinicznych	16
Ocena potencjału Polski jako miejsca prowadzenia badań klinicznych	19
Potencjał Polski pozostaje niewykorzystany...	22
Przyczyny obecnego stanu rynku badań klinicznych w Polsce	26
Koszty i konsekwencje utraconych szans	34
Możliwe scenariusze rozwoju rynku	37
<hr/>	
2. Badania kliniczne po wejściu w życie rozporządzenia nr 536/2014	39
<hr/>	
Droga UE do rozporządzenia nr 536/2014	40
Najważniejsze koncepcje prawne przewidziane w rozporządzeniu nr 536/2014	42
Przewidywane skutki wejścia w życie rozporządzenia nr 536/2014	45
<hr/>	
3. Jak wykorzystać potencjał Polski w dziedzinie badań klinicznych	50
<hr/>	
Szansa na zmianę stanu rynku badań klinicznych w Polsce	51
Kierunki zmian postulowane przez uczestników polskiego rynku badań klinicznych	52
Wykorzystanie zagadnień nieuregulowanych w rozporządzeniu nr 536/2014	56
<hr/>	
4. Wnioski i rekomendacje	57
<hr/>	
Słownik pojęć i skrótów	61
<hr/>	

Streszczenie

W dobie wielu chorób cywilizacyjnych oraz zagrożeń dla zdrowia i życia ludzkiego pacjenci na całym świecie oczekują nowych, skutecznych, a zarazem bezpiecznych terapii

W dobie wielu chorób cywilizacyjnych oraz zagrożeń dla zdrowia i życia ludzkiego pacjenci na całym świecie oczekują nowych, skutecznych, a zarazem bezpiecznych terapii. Dostęp do nowoczesnych leków nie byłby jednak możliwy, gdyby nie badania kliniczne, które są niezbędnym elementem procesu dopuszczenia leku do obrotu.

W niniejszym raporcie podjęliśmy próbę kompleksowej analizy obszaru badań klinicznych uwzględniającej aspekty regulacyjne oraz rynkowe. Publikacja została przygotowana na zlecenie trzech organizacji (INFARMA, GCPpl oraz POLCRO) przez PwC i stanowi kontynuację raportu „Badania kliniczne w Polsce – Główne wyzwania”, opublikowanego w listopadzie 2010 r. We wspomnianym raporcie rozpatrywano cztery scenariusze rozwoju polskiego rynku badań klinicznych w kolejnych latach (od najbardziej pesymistycznego – po najbardziej optymistyczny, uwzględniający nie tylko poprawę otoczenia administracyjnego, ale także wdrożenie dodatkowych inicjatyw sprzyjających badaniom klinicznym). Ustalenie, który z tych scenariuszy został w rzeczywistości zrealizowany, stało się punktem wyjścia do analizy i oceny obecnego kształtu rynku badań klinicznych.

Przeprowadzone przez nas analizy wskazały, że w Polsce w latach 2011-2014 nie wykorzystano potencjału istniejącego w obszarze badań klinicznych. Co więcej, w ostatnim czasie można zaobserwować powolne kurczenie się tego rynku.

Badania kliniczne stanowią wielką szansę dla pacjentów, w szczególności tych cierpiących z powodu ciężkich chorób, w leczeniu których wszystkie standardowo dostępne terapie zawiodły.

- Pacjenci uczestniczący w badaniach klinicznych bezpłatnie korzystają z najnowocześniejszych terapii oraz opieki medycznej o podwyższonym standardzie.
- Badania kliniczne są czasami jedyną szansą na dostęp do leku mogącego zapewnić poprawę stanu zdrowia w przypadku chorób terminalnych.
- Sam fakt wzięcia udziału w procesie kwalifikacji do badania klinicznego daje szansę na odbycie bezpłatnych badań przesiewowych, które często pozwalają na wczesną diagnozę innych niebezpiecznych schorzeń.

Wybór Polski jako miejsca prowadzenia badań klinicznych przyczynia się do wymiernych oszczędności w budżecie państwa oraz Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ).

- W samym 2014 r. do budżetu państwa wpłynęło ponad 300 mln PLN z tytułu podatków i opłat odprowadzonych w związku z prowadzonymi w Polsce badaniami klinicznymi.
- W przypadku jednego tylko obszaru terapeutycznego, tj. onkologii, w tym samym okresie NFZ mógł zaoszczędzić nawet 600 mln PLN.

Badania kliniczne to działalność ściśle innowacyjna, która przyczynia się do budowania bardziej nowoczesnej rzeczywistości w obszarze polskiej medycyny.

- Badacze oraz naukowcy wykonujący czynności związane z prowadzeniem badań klinicznych zyskują możliwość zdobycia unikatowej wiedzy i gromadzenia doświadczenia w danej dziedzinie medycyny poprzez dostęp do nowych terapii, zwiększoną możliwość wykorzystania nowoczesnej aparatury medycznej (np. diagnostyki PET), łatwiejszą wymianę wiedzy w ramach sieci specjalistów i badaczy, a także dostęp do dodatkowych materiałów i szkoleń.

- Ostatecznym beneficjentem jest pacjent, który może korzystać z opieki wysoko wykwalifikowanego personelu.

Polska nadal postrzegana jest jako kraj z dużym potencjałem w zakresie możliwości prowadzenia badań klinicznych. Przemawia za tym duża populacja pacjentów, dobrze wykwalifikowani specjaliści oraz stosunkowo niskie koszty.

Pomimo oczywistych korzyści oraz dużego potencjału wzrostowego liczba badań klinicznych prowadzonych w Polsce spada. Podczas gdy w 2009 r. w Polsce zarejestrowanych było 469 badań, w 2014 r. tylko 396. Zmalała również liczba uczestników badań klinicznych. Niepokoić powinien także fakt, iż wskaźniki dotyczące liczby prowadzonych badań w stosunku do liczby mieszkańców są istotnie gorsze w Polsce niż w innych porównywalnych krajach europejskich, takich jak Czechy czy Węgry.

Przyczyn obecnego stanu rzeczy upatrywać należy przede wszystkim w barierach o charakterze prawno-administracyjnym.

- Rozpoczęcie prowadzenia badania klinicznego wymaga od sponsora spełnienia wielu formalności. Jednym z najbardziej uciążliwych wymogów jest obowiązek dostarczenia umów pomiędzy sponsorem a badaczem i/lub ośrodkiem badawczym wraz z wnioskiem o rozpoczęcie badania klinicznego.
- Prowadząc badania kliniczne w Polsce, trudno jest oszacować ostateczny koszt poszczególnych projektów. Powodem tego jest niejasny podział obowiązków sponsora i NFZ w zakresie finansowania świadczeń opieki zdrowotnej.
- Nie bez znaczenia pozostaje także niski poziom wiedzy społeczeństwa na temat badań klinicznych. Obecnie brakuje platformy, za pomocą której pacjent mógłby uzyskać pełną informację o badaniach klinicznych prowadzonych w Polsce, co wynika z ograniczeń prawnych.

Spadająca na przestrzeni lat atrakcyjność krajów europejskich jako miejsca prowadzenia badań stała się punktem wyjścia do wydania rozporządzenia nr 536/2014, które zastąpi dotychczas obowiązującą i krytykowaną przez środowisko dyrektywę 2001/20. Nowe regulacje, które będą obowiązywać bezpośrednio we wszystkich krajach UE, przewidują szereg ułatwień i usprawnień w procesie rejestracji oraz prowadzenia badań na terenie UE.

Oczekując na rozpoczęcie stosowania rozporządzenia nr 536/2014, Polska stoi u progu zmian.

Wykorzystanie potencjału nowych regulacji zależy głównie od działań podjętych na szczeblu krajowym. Rozporządzenie nie ingeruje bowiem w najbardziej problematyczne kwestie dotyczące praktyki urzędniczej, systemu oceny etycznej, systemu ubezpieczeń oraz finansowania badań klinicznych.

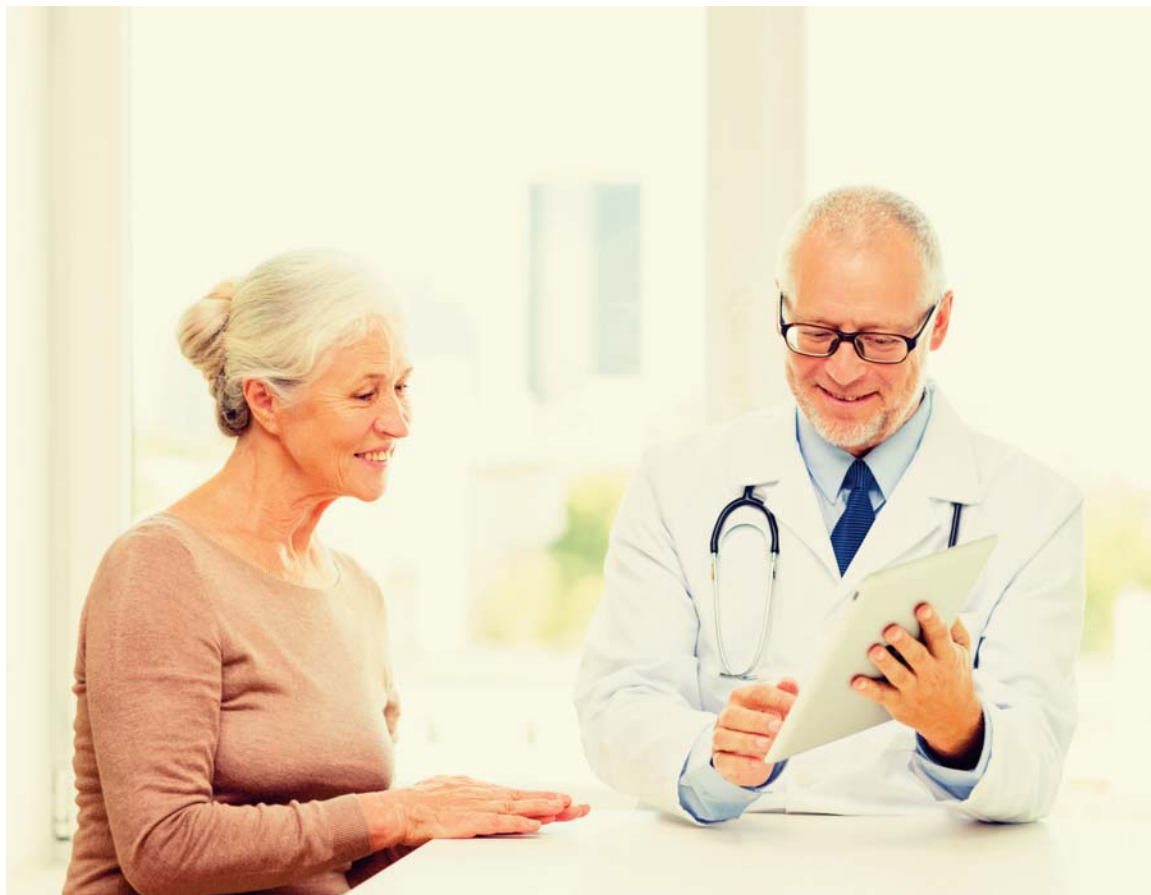
Podobnie jak w 2010 r., bazując na przeprowadzonych przez nas badaniach i analizach, opisaliśmy w raporcie trzy alternatywne scenariusze rozwoju sytuacji badań klinicznych w Polsce:

- **Bierne wdrożenie rozporządzenia nr 536/2014.** W przypadku braku proaktywnego podejścia w kwestii zniwelowania obecnie istniejących barier oraz ograniczenia się do biernego stosowania regulacji unijnych Polska może stać się krajem jeszcze mniej atrakcyjnym dla podmiotów prowadzących badania kliniczne.
- **Eliminacja oczywistych barier.** Podjęcie działań ukierunkowanych na zniesienie barier w obszarze badań klinicznych wraz z rozpoczęciem stosowania rozporządzenia nr 536/2014 może sprawić, że Polska stanie się krajem o warunkach porównywalnych do innych krajów UE.
- **Aktywna promocja Polski jako kraju przyjaznego badaniom klinicznym.** Dopiero likwidacja barier administracyjnych, zmiana polskich regulacji w kierunku maksymalnego wykorzystania potencjału rozporządzenia nr 536/2014 oraz podjęcie dodatkowych działań mających na celu zwiększenie atrakcyjności obszaru badań klinicznych w Polsce mogą doprowadzić do sytuacji, w której Polska osiągnie najszybszy wzrost w regionie i umocni swoją pozycję największego rynku badań klinicznych Europy Środkowo-Wschodniej.

Realizacja optymistycznych prognoz zależy od wielu czynników. Do najważniejszych z nich należy położenie nacisku na zmiany w zakresie regulacji prawnych, praktyk urzędniczych i świadomości społecznej. Zmiany o kluczowym charakterze powinny obejmować w szczególności:

- wyłączenie z procesu rejestracji badania klinicznego obowiązku przedłożenia do oceny umów z badaczami i/lub ośrodkami badawczymi – ta kosmetyczna zmiana znacznie przyczyni się do skrócenia czasu potrzebnego na rozpoczęcie badania klinicznego, dzięki czemu Polska stanie się bardziej atrakcyjnym miejscem do prowadzenia tego rodzaju działalności;
- zapewnienie pacjentowi dostępu do leku po zakończeniu badania klinicznego, co oznacza możliwość kontynuacji skutecznej terapii;
- wprowadzenie procedury *compassionate use* – polegającej na dopuszczeniu wybranych kategorii leków do indywidualnego stosowania w odniesieniu do pacjentów znajdujących się w szczególnie ciężkiej sytuacji chorobowej i takich, którzy nie mogą być pomyślnie leczeni przez dopuszczony produkt leczniczy;
- ustalenie jasnych zasad udzielania uczestnikom badań klinicznych rekompensat i gratyfikacji, wprowadzenie możliwości dokonywania gratyfikacji za uczestnictwo w badaniu dla chorych i zdrowych pacjentów, którzy nie odnoszą korzyści terapeutycznej (badania I fazy, badania biorównoważności);
- ułatwienie pacjentowi dostępu do wiedzy na temat innowacyjnych terapii i zasad prowadzenia badań klinicznych poprzez stworzenie publicznej, niezależnej platformy informacyjnej na temat prowadzonych w Polsce badań klinicznych – takie rozwiązanie mogłoby stanowić narzędzie do wstępnego kwalifikowania pacjentów do poszczególnych programów – obecnie takie rozwiązanie nie jest możliwe;
- usprawnienie funkcjonowania systemu oceny etycznej poprzez utworzenie sprawnie działającej struktury komisji bioetycznych, co umożliwi wydawanie opinii o badaniu klinicznym w terminach określonych rozporządzeniem nr 536/2014;
- zapewnienie pacjentowi realnej możliwości uzyskania odszkodowania za szkody poniesione w związku z przeprowadzonym badaniem poprzez wprowadzenie odpowiedzialności sponsora na zasadzie winy i ryzyka oraz utworzenie specjalnego funduszu ubezpieczeniowego – w obecnym stanie prawnym dochodzenie odszkodowania za szkody wyrządzone w związku z prowadzonym badaniem klinicznym wiąże się z wieloma trudnościami;
- zwiększenie przejrzystości zasad podziału obowiązków sponsora i płatnika publicznego w zakresie finansowania świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych w związku z prowadzonym badaniem klinicznym – w obecnym stanie prawnym wszelkie niejasności doprowadzają do sytuacji, w której ciężar finansowania świadczeń zdrowotnych gwarantowanych ze środków publicznych jest przerzucany z płatnika publicznego na sponsora;
- wspieranie badań niekomercyjnych poprzez redukcję obciążeń finansowych związanych z ich rozpoczęciem (kwestia opłat urzędowych oraz ubezpieczenia), a także zapewnienie wsparcia merytorycznego w zakresie organizacji tego rodzaju działalności;
- wprowadzenie rozwiązań prawno-podatkowych i inwestycyjnych, które zachęcą sponsorów do prowadzenia badań klinicznych w Polsce – za przykładem innych krajów mogą to być ulgi podatkowe na działalność badawczo-rozwojową czy programy grantowe.

1.



Charakterystyka rynku badań klinicznych w Polsce

Czym są badania kliniczne

Badania kliniczne są niezbędne do zapewnienia skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku

Droga leku na rynek

Głównym celem prowadzenia badań klinicznych jest potwierdzenie, że lek, który trafia w ręce lekarzy i pacjentów, jest bezpieczny i skuteczny.

Badania kliniczne stanowią bardzo ważny element procesu tworzenia nowego leku – około 2/3 przeciętnego kosztu pracy nad daną cząsteczką stanowią wydatki związane z prowadzeniem badań klinicznych.

Ze względu na wzrastające zaawansowanie technologii medycznych wykorzystywanych w nowoczesnych lekach oraz konieczność dostosowania się do coraz wyższych standardów bezpieczeństwa stosowania produktu rola badań klinicznych oraz związane z nimi koszty systematycznie rosną, a w najbliższej przyszłości można oczekiwać, że taka tendencja się utrzyma.

Badanie kliniczne to seria badań medycznych z udziałem pacjentów i/lub zdrowych ochotników, których celem jest ustalenie, czy konkretny lek bądź terapia przynosi spodziewaną korzyść medyczną, a jednocześnie jest skuteczna i bezpieczna dla pacjenta. Badania kliniczne stanowią istotny czynnik rozwoju medycyny.

Typowy proces obejmuje cztery fazy badań klinicznych (poprzedzone etapem badań przedklinicznych, w czasie których na modelach komórkowych i zwierzęcych jest weryfikowana koncepcja nowej metody terapeutycznej). Zgodnie ze standardami dobrej praktyki klinicznej (*Good Clinical Practice, GCP*) można wyróżnić następujące fazy badań klinicznych:

- Faza I:** wstępne badania nad bezpieczeństwem i właściwościami farmakologicznymi leku, obejmujące ok. 50-100 zdrowych uczestników;
- Faza II:** badania nad określeniem dawki, wstępna analiza bezpieczeństwa i skuteczności leku, obejmuje ok. 300-600 pacjentów z konkretnym typem dolegliwości;
- Faza III:** najdłuższy i najbardziej kosztowny etap, obejmujący od ok. 1000 do ok. 3000 pacjentów, którego celem jest potwierdzenie skuteczności i bezpieczeństwa leku, co umożliwia rejestrację i wprowadzenie go na rynek;
- Faza IV:** dalsze badania po rejestracji leku, w celu potwierdzenia jego długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa.

Rejestracja leku na rynku w oparciu o wyniki badań fazy III oznacza, że do rąk pacjenta trafia sprawdzony i skuteczny produkt, który odpowiada na konkretne potrzeby zdrowotne danej populacji. Bez badań klinicznych nie byłoby nowych leków.

Pozytywny rezultat badań klinicznych jest warunkiem rejestracji i wprowadzenia leku na rynek

Badania niekomercyjne stanowią istotny element rynku

Badania niekomercyjne

Istotnym elementem rynku są także badania niekomercyjne, prowadzone przez podmioty, które nie zajmują się wytwarzaniem i sprzedażą leków lub organizacją badań w ramach oferowanych przez siebie usług. Do grona takich podmiotów można zaliczyć: zakłady opieki zdrowotnej, placówki naukowe, a także samych badaczy lub ich organizacje.

Zwykle celem niekomercyjnych badań klinicznych nie jest wprowadzenie nowego leku na rynek. Przedmiotem tego typu badań są zazwyczaj leki już dopuszczone do obrotu. Badania niekomercyjne skupiają się na analizie skuteczności leków w stosunku do różnych grup pacjentów (np. w pediatrii), w innym dawkowaniu bądź w innych wskazaniach niż zarejestrowane.

W badania kliniczne zaangażowanych jest wiele podmiotów reprezentujących różne segmenty rynku

Najważniejsze podmioty na rynku badań klinicznych

Prowadzenie badań klinicznych jest skomplikowanym procesem, angażującym wielu interesariuszy.

Każdy z podmiotów uczestniczących w procesie badań klinicznych odpowiada za inny element rynku.

- **Sponsorzy:** sponsorami badań klinicznych są najczęściej firmy farmaceutyczne, firmy biotechnologiczne, instytucje akademickie i ośrodki badawcze finansujące badania nad opracowywanymi przez siebie przyszłymi produktami leczniczymi. Firmy farmaceutyczne prowadzą badania kliniczne bezpośrednio bądź zlecają ich przeprowadzenie niezależnym firmom CRO.
- **CRO (Contract Research Organizations):** niezależne, wyspecjalizowane organizacje prowadzące badania kliniczne na zlecenie sponsorów – w tym firm farmaceutycznych, biotechnologicznych oraz sponsorów niekomercyjnych.
- **Uczestnicy/Pacjenci:** zdrowi ochotnicy lub osoby chorujące na określoną jednostkę chorobową, które spełniły kryteria włączenia do badania klinicznego i wyraziły świadomą zgodę na udział w nim.
- **Ośrodki badawcze:** to miejsca, w których badania są faktycznie prowadzone, w zależności od charakteru badań i obszaru terapeutycznego, badania kliniczne mogą być prowadzone w warunkach ambulatoryjnych i/lub w szpitalach.
- **Badacze/Lekarze:** kluczowe osoby w procesie badań klinicznych, mające bezpośredni kontakt z pacjentami, pracujące indywidualnie lub z zespołem badawczym (inni lekarze, pielęgniarki, personel administracyjny).
- **Organy administracji publicznej:** instytucje nadzorujące, opiniujące i zatwierdzające rozpoczęcie badania klinicznego oraz zapewniające przestrzeganie prawa, wymagań Międzynarodowej Konferencji ds. Harmonizacji (ICH) i Dobrej Praktyki Klinicznej (GCP). W Polsce za tego rodzaju zadania odpowiada w szczególności Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL).
- **Komisje bioetyczne:** niezależne instytucje wyrażające opinię o projekcie badania klinicznego i kontrolujące jego przebieg oraz zapewniające ochronę praw osób uczestniczących w badaniu.



Dlaczego warto wspierać prowadzenie badań klinicznych

Prowadzenie badań klinicznych jest korzystne zarówno z perspektywy interesariuszy rynku badań klinicznych, jak i budżetu państwa

Znaczenie prowadzenia badań klinicznych

Badania kliniczne to nie tylko sposób na zebranie danych potrzebnych do zarejestrowania nowego leku. To także jeden z najbardziej skomplikowanych procesów naukowo-badawczych prowadzonych w zakresie tzw. zaawansowanych technologii.

Skuteczne przeprowadzenie badania wymaga precyzyjnego określenia jego metodologii, zasad i skali przeprowadzanej diagnostyki, sposobu rekrutacji pacjentów, metod weryfikacji i nadzorowania przebiegu badania klinicznego etc.

Nie jest to możliwe bez wszechstronnego przygotowania i przeszkolenia osób biorących udział w badaniu. Tym samym kraje i ośrodki, w których są prowadzone badania kliniczne, uzyskują nie tylko wiedzę na temat najnowszych technologii medycznych, ale także dostęp do osiągnięć w dziedzinie zarządzania i procedur badawczych.

Biorąc pod uwagę znaczenie czynnika czasu (koszt badania jest funkcją długości badania), nie powinien budzić zdziwienia fakt, iż ogromny nacisk jest położony na maksymalizację efektywności podejmowanych działań i interwencji oraz optymalizację procesów i procedur (przy jednoczesnym zachowaniu bezpieczeństwa pacjenta). Oferuje to tak bardzo pożądaną w ochronie zdrowia element poprawy efektywności całego systemu, która powinna się przekładać także na standardowe procedury medyczne.

W tym zakresie szczególnie istotną rolę pełnią badania niekomercyjne, które ze względu na swoją naturę najczęściej przyczyniają się do poprawy skuteczności i bezpieczeństwa schematów diagnostycznych i terapeutycznych stosowanych przez lekarzy w codziennej praktyce medycznej. W efekcie przyczyniają się również do rozwoju wiedzy, nauki oraz praktyki lekarskiej – zarówno w leczeniu chorób dotykających dużej populacji pacjentów, jak i chorób rzadkich. Dlatego też mają wręcz bezpośrednie przełożenie na opiekę nad pacjentem i standard prowadzonej terapii.

Dodatkowo wyniki badań klinicznych, w tym badań niekomercyjnych, mogą być przydatne np. administracji publicznej przy podejmowaniu decyzji dotyczących refundacji z budżetu państwa cen leków dostępnych na rynku.

Udział w badaniu klinicznym oznacza także szereg wymiernych i niewymiernych korzyści dla wszystkich zaangażowanych stron: pacjentów, uczestników, badaczy, ośrodków itd., a także dla całej gospodarki kraju.

„To właśnie badania akademickie ugruntowały rolę leczenia uzupełniającego w wielu chorobach nowotworowych, pozwoliły na weryfikację skuteczności leczenia oszczędzającego w chorobie nowotworowej piersi oraz krtani, a z drugiej strony wykazały nieskuteczność wielu procedur uważanych wcześniej za standardowe”.

Badacz

Badania kliniczne niosą szczególne korzyści dla samych pacjentów

Korzyści dla pacjentów

- **Rejestracja nowoczesnych leków.** Kluczową i najbardziej oczywistą korzyścią wynikającą z prowadzenia badań klinicznych jest możliwość stosowania nowego leku po jego zarejestrowaniu. Innymi słowy ostatecznym i głównym beneficjentem badań klinicznych jest pacjent, który po pozytywnym zakończeniu badania i rejestracji leku otrzymuje do dyspozycji skuteczny i sprawdzony produkt.
- **Najlepsza możliwa terapia.** Dla niektórych pacjentów uczestnictwo w badaniu klinicznym może się okazać najlepszym dostępnym sposobem leczenia, zwłaszcza gdy opcje terapeutyczne dostępne w zakresie standardowych świadczeń są ograniczone.

Gdy zestaw aktualnie dostępnych terapii okazuje się być niewystarczająco skuteczny, często jedyną nadzieją na podjęcie efektywnego leczenia jest uczestnictwo w badaniu klinicznym. Widać to zwłaszcza w przypadku leczenia chorób rzadkich, gdzie udział w badaniach klinicznych stanowi często jedyną możliwość dostępu do terapii.
- **Wyższy standard opieki.** Badania kliniczne ze względu na swą specyfikę wymagają lepszego rozpoznania oraz monitorowania przebiegu choroby i skuteczności terapii. Oznacza to zwiększenie częstotliwości i jakości interakcji z lekarzami, dodatkową diagnostykę, szybszą reakcję na ewentualne pogorszenie się stanu zdrowia itd.
- **Szansa na przedłużenie życia.** Uczestnicy badań klinicznych dotknięci chorobą terminalną dzięki udziałowi w badaniu klinicznym mogą uzyskać szansę na przedłużenie życia. Związane jest to nie tylko z charakterystyką samego badanego leku, lecz także z poziomem/zakresem opieki oferowanej w ramach badania.
- **Korzyści dla pacjentów niewłączonych do badania.** Korzyści odnoszą nie tylko ci uczestnicy badań, u których zastosowano badany produkt leczniczy. Badania przesiewowe i diagnostyczne, jakie poprzedzają włączenie danego pacjenta do badania, nierzadko ujawniają schorzenia, które w innych okolicznościach nie zostałyby wykryte. Pacjent taki zostaje, co prawda, wyłączony z konkretnego badania, lecz może o wiele wcześniej podjąć terapię związaną z wykrytą chorobą. Często decyduje to o skuteczności terapii.

Obecnie firmy farmaceutyczne coraz częściej nawiązują dialog z pacjentem, by lepiej rozumieć jego potrzeby

Ze względu na to, że dla badania klinicznego najważniejszy jest pacjent, obecnie podmioty prowadzące badania kliniczne kładą coraz większy nacisk na zrozumienie jego potrzeb oraz opinii w zakresie oceny projektowanego badania pod względem komfortu życia, aspektów praktycznych oraz poczucia bezpieczeństwa, tak aby udział w badaniu był jak najmniej ingerujący w normalny tryb życia pacjentów, i jednocześnie dał im szansę na pozytywne efekty leczenia. W zakresie pozyskiwania tego rodzaju informacji szczególnie wartościowe są dla sponsorów i CRO relacje z organizacjami pacjentów obejmujące współpracę, wymianę poglądów i przekazywanie sugestii.

Warto także dodać, że organizacje te coraz częściej włączają się w rozwój innowacyjnych terapii i kształtowanie świadomości pacjentów w zakresie badań klinicznych. Przykładem może być chociażby platforma Europejskiej Akademii Pacjentów w Obszarze Terapii Innowacyjnych (EUPATI), która ma na celu zapewnienie pacjentom potwierdzonej naukowo informacji na temat badań klinicznych. Dzięki temu pacjenci mają możliwość pogłębienia wiedzy w zakresie działalności badawczo-rozwojowej branży farmaceutycznej oraz współdecydowania w zakresie innowacji w farmacji, bezpieczeństwa leków oraz dostępności konkretnych terapii.

Badacze korzystają z wiedzy oraz najnowszych narzędzi badawczych

Korzyści dla badaczy

- **Wiedza i doświadczenie.** Dla lekarzy uczestnictwo w badaniach klinicznych oznacza przede wszystkim możliwość zdobycia unikalnej wiedzy i gromadzenia doświadczenia w danej dziedzinie medycyny poprzez dostęp do nowych terapii, zwiększoną możliwość wykorzystania nowoczesnej aparatury medycznej (np. diagnostyki PET), łatwiejszą wymianę wiedzy w ramach sieci specjalistów i badaczy, a także dostęp do dodatkowych materiałów i szkoleń.
- **Dostęp do narzędzi badawczych.** Specyfika badań klinicznych, u podstaw których pozostaje najnowsza metodologia naukowa, oznacza, iż badacze uzyskują dostęp do najlepszych praktyk, metodyk oraz usystematyzowanych danych – a te mogą być wykorzystywane w ich codziennej działalności, przyczyniając się do poprawy jakości funkcjonowania systemu ochrony zdrowia w kraju.

Rynek badań klinicznych w Polsce przyczynia się do rozwoju wiedzy w zakresie stosowania innowacyjnych leków i sposobów leczenia oraz poprawy wykorzystywanej przez ośrodki badawcze infrastruktury

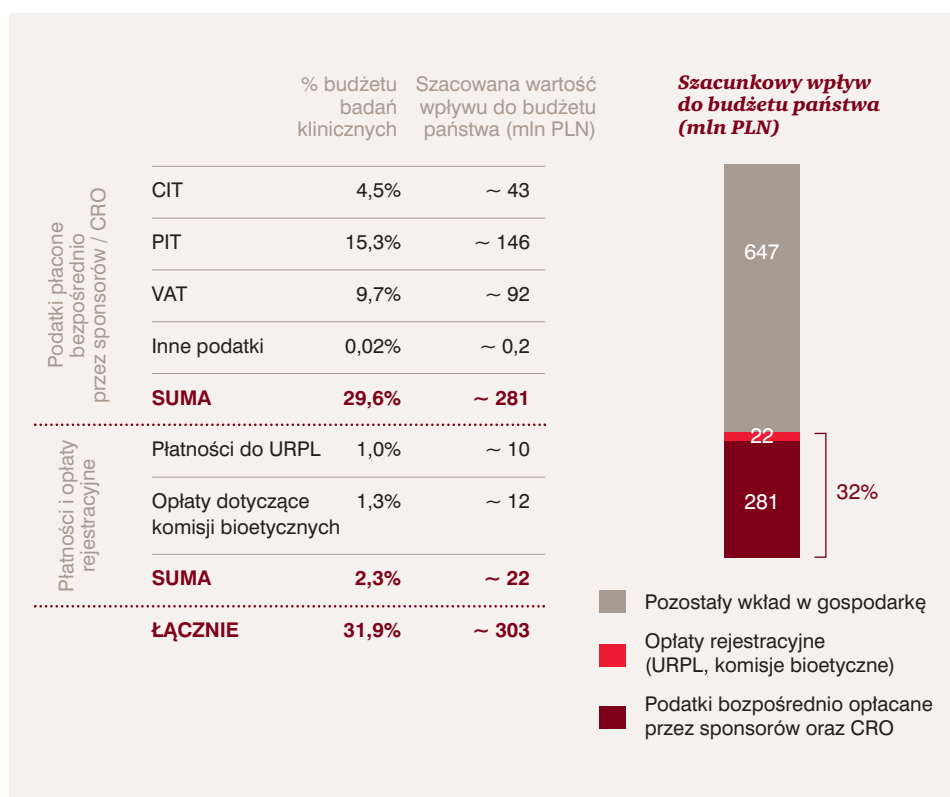
Korzyści oferowane pozostałym uczestnikom rynku

- **Rozwój know-how.** Dane i informacje uzyskane w trakcie przeprowadzonych badań klinicznych stanowią ważny wkład w rozwój wiedzy medycznej w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa farmakoterapii. Rozwój przedmiotowej wiedzy nie jest zatem związany tylko z pozytywnie zakończonymi badaniami. Już sam fakt prowadzenia badania pozwala na lepsze zrozumienie natury i mechanizmów poszczególnych schorzeń, co przyczynia się do skuteczniejszego ich leczenia, także w ramach już istniejących i powszechnie dostępnych terapii.
- **Dodatkowe źródło finansowania szpitali.** Szpitale otrzymują wynagrodzenie za prowadzenie badań klinicznych. Należy zaznaczyć, że jest to właściwie jedno z niewielu dostępnych źródeł finansowania działalności szpitali w Polsce niezwiązanych z posiadaniem kontraktu z NFZ. W rezultacie szpitale dysponują większą sumą środków pieniężnych, które mogą przeznaczyć na zakup nowoczesnej technologii, wymianę infrastruktury itd.
- **Tworzenie nowych standardów leczenia.** Prowadzenie badań klinicznych i innowacyjnych terapii skutkuje bardzo często tworzeniem nowych standardów leczenia. Na skutek przeprowadzanych badań są wdrażane nowe formy leczenia oraz dostarczane są nowe, skuteczniejsze leki. Korzysta na tym zarówno pacjent, lekarz, jak i świat nauki.
- **Rozwój technologii medycznej.** Istnienie rynku badań klinicznych wpływa na zakres i sposób wykorzystania sprzętu medycznego. Przekłada się to m.in. na ogólną jakość zaplecza technicznego, jakim dysponuje ośrodek. Prowadzący badania kliniczne mają bowiem obowiązek wykorzystywania sprzętu i technologii, które mają odpowiednie certyfikaty, atesty i spełniają określone warunki techniczne.
- **Rozwój gospodarki opartej na wiedzy.** Aspiracją większości krajów jest rozwój tych sektorów gospodarki, które wykorzystują potencjał intelektualny, wiedzę oraz inwencję mieszkańców (kosztem np. sektorów surowcowych) i które mają szansę na szybki rozwój w przyszłości. W tym kontekście trudno przecenić wkład badań klinicznych w rozwój wiedzy i technologii medycznej, które mogą być wykorzystywane w wielu innowacyjnych dziedzinach przemysłu (biotechnologia, informatyka, teleinformatyka itp.).
- **Konferencje naukowe.** Badania kliniczne oraz ich wyniki są często tematem konferencji naukowych, podczas których dochodzi do wymiany wiedzy i wniosków między uczestnikami wydarzenia. Tego rodzaju wymiana doświadczeń jest kluczowa dla rozwoju innowacyjnego podejścia zarówno do samego procesu terapeutycznego, jak i do metodyki, zakresu i skali prowadzonych w danym ośrodku/kraju prac naukowych.

W 2014 roku budżet państwa został zasilony przez badania kliniczne kwotą ok. 300 mln PLN

Korzyści dla budżetu państwa

- **Wpływy podatkowe.** W oparciu o dostępne dane rynkowe można pokusić się o oszacowanie korzyści budżetowych wynikających z prowadzenia badań klinicznych w Polsce. Wynika z niego, że blisko 1/3 środków finansowych przeznaczonych na badania trafia do budżetu państwa w formie podatków i opłat. W 2014 roku kwota ta wyniosła ponad 300 mln PLN. O skali kontrybucji świadczy fakt, iż przeznaczenie równowartości tej kwoty na wynagrodzenia, umożliwiłoby np. stworzenie ok. 5500 nowych miejsc pracy* (co odpowiada np. całkowitej liczbie zarejestrowanych bezrobotnych w Gdyni).
- **Korzyści pośrednie.** Warto podkreślić, że szacowana wartość uwzględnia jedynie wpływy bezpośrednie, czyli podatki płacone przez sponsorów i firmy CRO oraz opłaty na rzecz URPL i komisji bioetycznych, nie uwzględnia natomiast efektów pośrednich (podatki PIT i VAT płacone przez badaczy, pracowników firm i wszystkie inne osoby osiągające dochody z tytułu wykonywania pracy w badaniach klinicznych, podatki płacone przez firmy świadczące swoje usługi na rzecz sponsorów badań klinicznych i CRO itp.).



*Koszt średniego wynagrodzenia w gospodarce w Polsce w 2014 według GUS, liczony jako roczny koszt dla pracodawcy (ok. 55 tys. PLN/rok)

Źródło: GUS, Ankieta PwC, Analiza PwC

Dzięki badaniom w onkologii – największym segmencie badań klinicznych – NFZ zaoszczędził w 2014 roku ok. 160 mln PLN

Korzyści dla NFZ

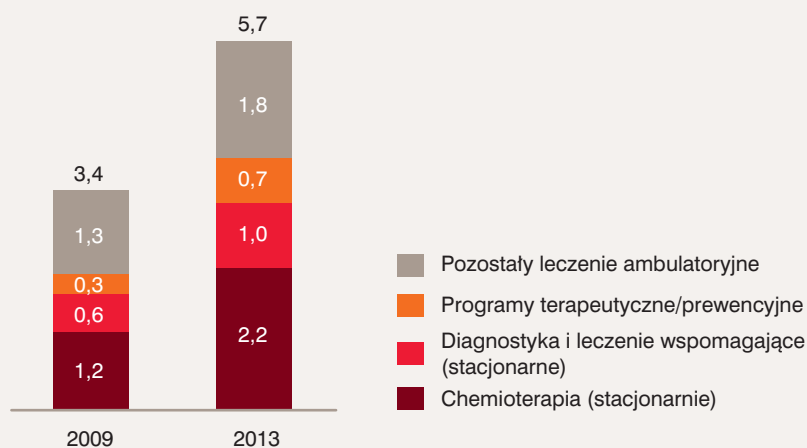
- **Redukcja kosztów.** Badania kliniczne prowadzone przez podmioty działające na polskim rynku znacząco przyczyniają się do zmniejszenia kosztów NFZ:
 - w ramach prowadzonych badań wykonuje się skomplikowane badania diagnostyczne, które w innych warunkach obciążałyby budżet NFZ;
 - skala i zakres badań dodatkowych często przyczyniają się do zdiagnozowania chorób współistniejących, a co za tym idzie podjęcia leczenia, co zwiększa bezpieczeństwo pacjentów, a ponadto pozwala uniknąć potencjalnych hospitalizacji. Prowadzi to do zmniejszenia środków finansowych wydawanych przez NFZ na tych pacjentów w przyszłości;
 - pacjenci i uczestnicy badań klinicznych mają możliwość długotrwałego leczenia w zakładach opieki zdrowotnej o podwyższonym standardzie i korzystają z intensywniejszej opieki – przy braku wzrostu zaangażowania NFZ.

Studium przypadku 1: Oszczędności dla NFZ z tytułu prowadzonych badań klinicznych w dziedzinie onkologii

W Polsce ok. 4% pacjentów cierpiących na różnego rodzaju choroby nowotworowe bierze udział w badaniach klinicznych. Leczenie tych pacjentów jest finansowane przez sponsorów, dzięki czemu w samym tylko 2014 roku NFZ mógł zaoszczędzić nawet ok. 160 mln PLN. Należy zaznaczyć, że powyższe szacunki są ostrożne, gdyż standard leczenia oraz zaawansowania terapii podczas badań klinicznych jest zwykle istotnie wyższy niż podczas terapii finansowanej przez NFZ. Można zatem założyć, że kwota oszczędności była większa.

Dobrym wskaźnikiem określającym faktyczną różnicę pomiędzy standardową terapią finansowaną przez NFZ a standardem leczenia oferowanym w ramach badań klinicznych jest średni poziom wydatków na leki onkologiczne w przeliczeniu na pacjenta w krajach rozwiniętych. Poziom tych wydatków jest tam średnio 5 razy większy niż w Polsce.

Wydatki NFZ na onkologię, łącznie z kosztami leczenia i leków 2009 i 2013 (mld PLN)



Analiza nie obejmuje leczenia nowotworów na oddziałach innych niż onkologiczne, np. w przypadku chorób płuc, oddziałach chirurgicznych, neurochirurgii, itp.

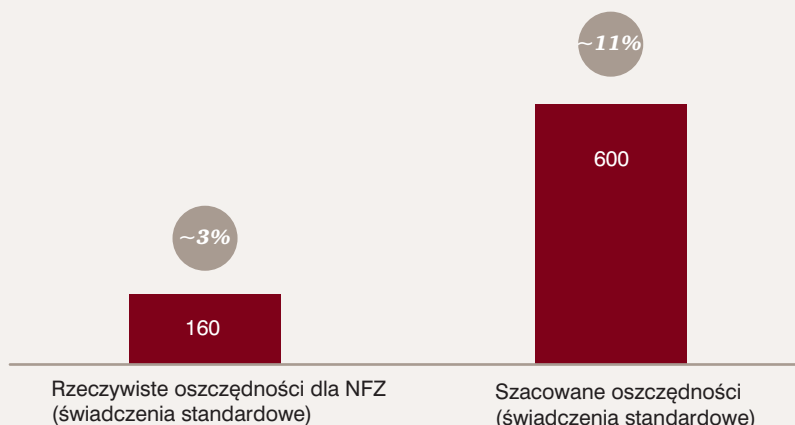
Źródło: NFZ, Ministerstwo Zdrowia, DiA, Analiza PwC

Dzięki samemu tylko badaniu w dziedzinie osteoporozy prowadzonemu przez jeden ośrodek NFZ zaoszczędził ok. 7-9 mln PLN rocznie między 2012 a 2014 rokiem

Przy uwzględnieniu różnicy w jakości i poziomie zaawansowania terapii rzeczywista wartość leczenia finansowanego z budżetu badań klinicznych może wynosić w praktyce nawet 600 mln PLN, co stanowiłoby ok. 11% całkowitego budżetu NFZ na onkologię.

Wpływ badań klinicznych na budżet NFZ – przykład badań w dziedzinie onkologii

% wydatków NFZ na onkologię



Studium przypadku 2: Badania kliniczne dotyczące leczenia osteoporozy

Wpływ badań klinicznych na budżet NFZ – przykład jednego badania dotyczącego leczenia osteoporozy

Procedury medyczne

Oszczędności dla NFZ

133 tys. pacjentek badań densytometrycznych

Wpływ badań klinicznych na ograniczenie kosztów NFZ ilustrują badania osteoporozy prowadzone przez jedną z sieci przychodni w latach 2012-14, obejmujące 133 tys. badań densytometrycznych (badanie gęstości kości).

40 tys. pacjentek z obniżoną gęstością kości

3,8 mln PLN

Po badaniu wykryto obniżoną gęstość kości u 40 tys. pacjentek i skierowano je na dodatkową konsultację lekarską. Taka procedura to dla NFZ jednostkowy koszt ok. 95 PLN. Oszczędności NFZ wynoszą zatem ok. 3,8 mln PLN.

Ok. 2,5-4 tys. pacjentek, u których nie wystąpi złamanie

3-5 mln PLN

Wczesna diagnoza i leczenie osteoporozy pozwala uniknąć powikłań, np. złamań niskoenergetycznych. Ryzyko złamania dla kobiety w wieku powyżej 60 lat z osteoporozą wynosi ok. 20%. Obecne leki redukują częstość złamań o około połowę. Można zatem uniknąć złamania oraz hospitalizacji w przypadku ok. 3 tys. pacjentów z przebadanej grupy. Wynikające oszczędności dla NFZ stanowią ok. 3-5 mln PLN.

1000 leczonych pacjentek

0,4 mln PLN

1000 pacjentek, którym podano badany lek, pozostaje przez lata pod stałą opieką ośrodków i jest leczona poza strukturami standardowej opieki zdrowotnej, co zwalnia zasoby na leczenie innych pacjentów. Oszczędności dla NFZ mogą być szacowane w tym przypadku na 0,4 mln PLN.

RAZEM

7,2-9,2 mln PLN

Łączne oszczędności dla NFZ z podanego przykładu wynoszą między 7,2 a 9,2 mln PLN rocznie.

Analiza polskiego rynku badań klinicznych

W ostatnich latach polski rynek badań klinicznych odnotował niewielki wzrost – w 2014 roku osiągnął wartość ok. 950 mln PLN. Spadła jednak liczba badań

Wartość polskiego rynku badań klinicznych

Polski rynek badań klinicznych w ostatnich latach przeżywał okres stagnacji. W latach 2012-2014 zaobserwowano spadek liczby prowadzonych (nowo zarejestrowanych) badań klinicznych, wywołany zarówno przez czynniki lokalne, jak i globalne. Wśród przyczyn tego stanu rzeczy należy wskazać przede wszystkim:

- przewlekły proces administracyjny i dużą liczbę wymogów formalnoprawnych w Polsce;
- mniej sprzyjające regulacje niż w innych krajach europejskich, gdzie często stosowane są dodatkowe ulgi i zachęty dla sponsorów badań klinicznych;
- wdrożenie przepisów dyrektywy 2001/20, która doprowadziła do spadku konkurencyjności krajów Unii Europejskiej w obszarze badań klinicznych w porównaniu do reszty świata;
- konsolidacja światowego rynku farmaceutycznego, a tym samym zmniejszenie liczby sponsorów.

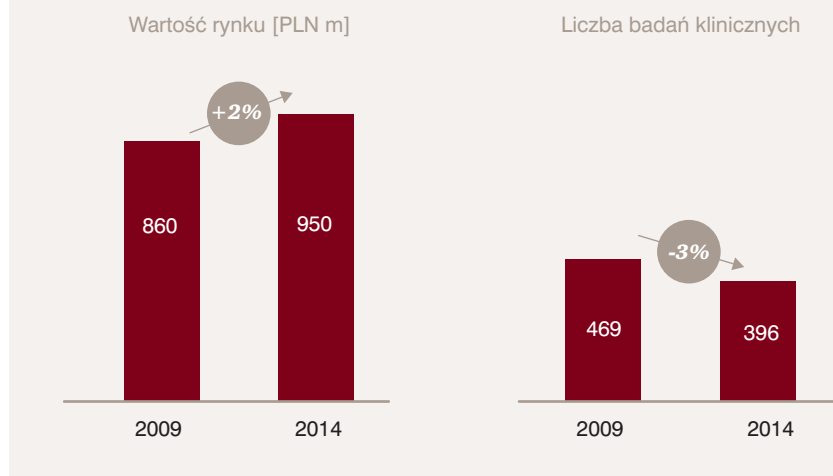
Jednocześnie, w tym okresie nastąpił wzrost kosztów prowadzenia badań klinicznych, spowodowany w szczególności przez:

- coraz większy stopień komplikacji badań klinicznych wynikający m.in. ze zwiększenia wymagań diagnostycznych;
- zmniejszenie liczby pacjentów ostatecznie kwalifikowanych do badania (bardziej szczegółowe wymogi odnośnie typu schorzenia związane ze zwiększeniem udziału badań dotyczących tzw. terapii celowanych powodują, iż badaniami przesiewowymi trzeba objąć liczniejszą populację), co utrudnia rekrutację i może powodować zwiększenie liczby ośrodków badawczych niezbędnych do osiągnięcia docelowej liczby pacjentów;
- wzrost wymogów formalnoprawnych generujących dodatkowe koszty.

Według naszych szacunków rynek badań klinicznych w 2014 roku osiągnął wartość ok. 950 mln PLN i od 2009 roku rozwijał się ze średnioroczną stopą wzrostu wynoszącą 2,0% (CAGR 09-14), tj. poniżej stopy wzrostu PKB w tym okresie (2,9%). W tym samym okresie liczba badań uległa zmniejszeniu z 469 badań w 2009 roku do 396 w 2014 roku.

„W ostatnich latach, wartość rynku rosła w stosunkowo wolnym tempie, głównie wskutek spadającej liczby badań”.

CRO

Wartość rynku i liczba badań klinicznych w Polsce, 2009-2014
[mln PLN, liczba badań]

Wielkość rynku w rozumieniu całkowitych nakładów na badania kliniczne

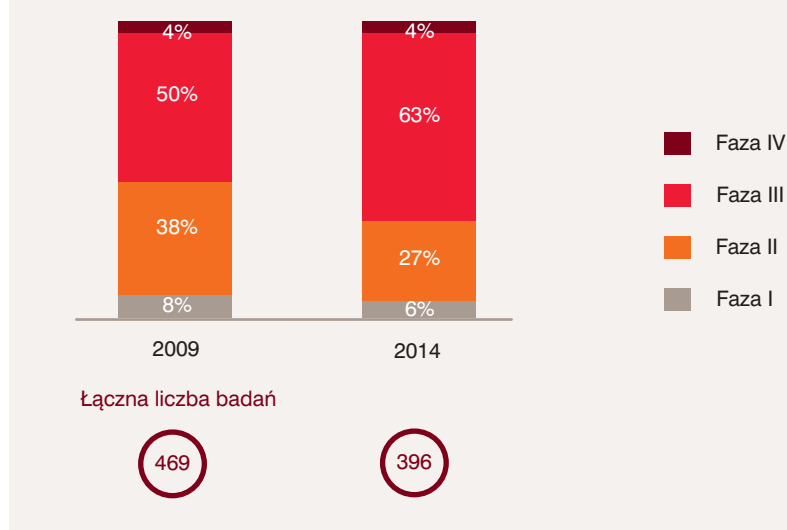
Źródło: Analiza PwC

Dominującymi badaniami na polskim rynku są badania fazy III...

Struktura polskiego rynku badań klinicznych

Mimo spadku liczby nowo zarejestrowanych badań klinicznych w Polsce w latach 2009-2014 odnotowano wzrost liczby badań III fazy (z 235 do 251 badań), a ich udział zwiększył się z 50% do 63%. Duży udział badań fazy III jest typowy dla krajów Europy Środkowo-Wschodniej.

Należy zauważyć, że największy spadek liczby badań dotyczy fazy II – w ciągu 5 lat ich liczba zmniejszyła się o 71, co spowodowało spadek udziału badań tej fazy z 38% w 2009 do 27% w 2014 roku. Warto podkreślić, że w fazie II główną rolę odgrywa czas. Im szybciej dokonuje się rejestracji badania i rekrutacji pacjentów w danym kraju, tym łatwiej przyciągnąć sponsorów prowadzących badania kliniczne II fazy. Czas liczony od momentu powstania protokołu badania do rejestracji badania w Polsce jest dłuższy niż w większości krajów europejskich, co powoduje, że Polska nie jest postrzegana jako atrakcyjne miejsce prowadzenia badań fazy wczesnej.

Struktura badań klinicznych w podziale na fazy, 2009 i 2014

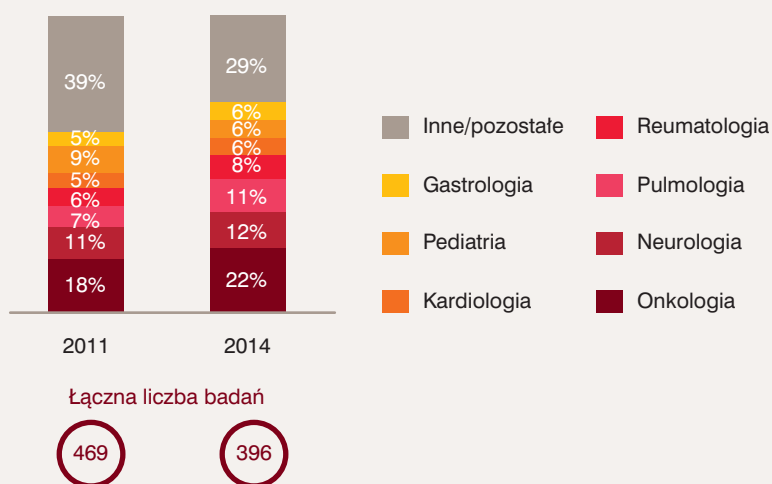
Źródło: URPL

...dotyczą one w dużej mierze onkologii

Pod względem obszarów terapeutycznych onkologia jest nadal dominującą dziedziną, która zwiększyła swój udział w ogólnej liczbie badań klinicznych o 4 punkty procentowe (do poziomu 22% w 2014 roku).

Widoczna jest rosnąca koncentracja w największych obszarach terapeutycznych. W 2011 roku trzy dominujące obszary terapeutyczne (onkologia, neurologia i pediatria) stanowiły prawie 40% całkowitej liczby badań, natomiast w 2014 trzy dominujące obszary terapeutyczne (onkologia, neurologia i pulmonologia) stanowiły już 45% całkowitej liczby badań.

Badania kliniczne w Polsce, według obszaru terapeutycznego, 2011 i 2014



Źródło: URPL

Ocena potencjału Polski jako miejsca prowadzenia badań klinicznych

Główną przewagą Polski jest duża populacja pacjentów oraz silne zaplecze medyczne – personel badawczy oraz doświadczeni monitorzy badań klinicznych

Atrakcyjność rynku badań klinicznych w Polsce

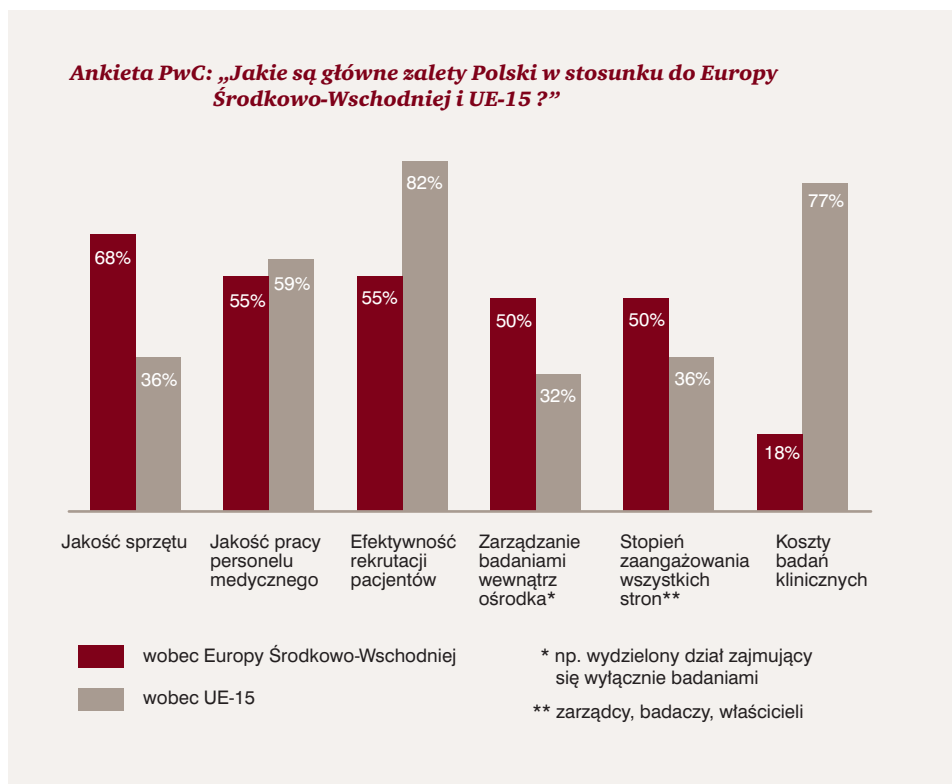
Rynek badań klinicznych w Polsce wciąż się rozwija i wykazuje potencjał do dalszego wzrostu. Cechuje go sześć głównych zalet, które decydują o jego atrakcyjności z perspektywy sponsora badań klinicznych. Są to:

- duża populacja pacjentów;
- wielkość i dojrzałość rynku, doświadczenie uczestników rynku i dobra organizacja pracy;
- wykwalifikowana kadra lekarska;
- dobrze zorganizowane i wyspecjalizowane ośrodki badawcze;
- silny rynek sponsorów, firm CRO oraz wykwalifikowani i doświadczeni monitorzy badań klinicznych;
- atrakcyjny poziom kosztów prowadzenia badań w stosunku do krajów Europy Zachodniej, a nawet niektórych krajów Europy Środkowo-Wschodniej.

W trakcie przeprowadzonej przez PwC ankiety respondenci wskazali obszary, w których Polska przoduje w regionie Europy Środkowo-Wschodniej. Są to: jakość sprzętu oraz pracy personelu medycznego, a także wysoki poziom zaangażowania ośrodków badawczych. Zgodnie z ankietą w stosunku do krajów UE-15, do kluczowych przewag konkurencyjnych Polski wciąż należą: efektywność rekrutacji pacjentów oraz niższe koszty prowadzenia badań.

„Polska jest atrakcyjnym rynkiem z bardzo dobrze wykwalifikowaną kadrami medyczną – lekarzami – i cechuje się wysoką efektywnością w rekrutacji pacjentów”.

Firma farmaceutyczna



Źródło: Ankieta PwC

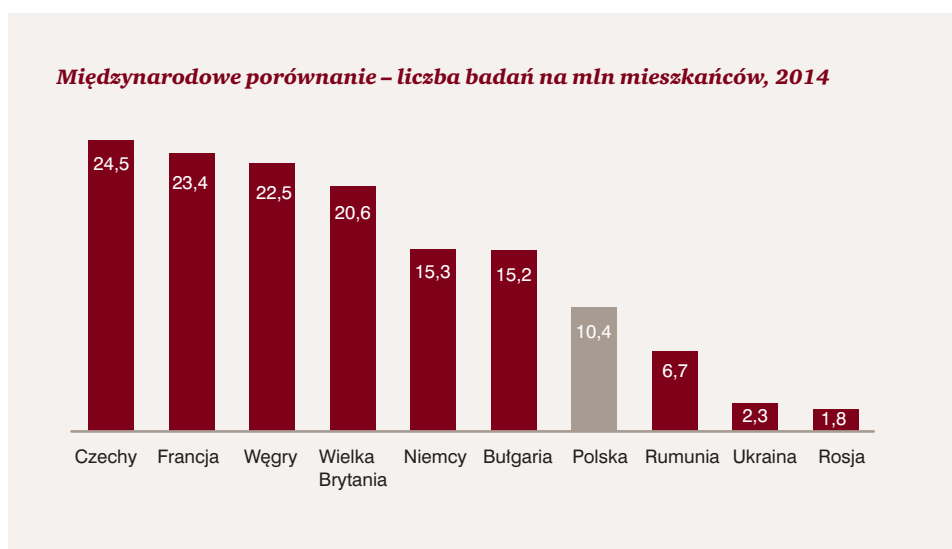
W Polsce możliwy jest nawet dwukrotny wzrost liczby prowadzonych badań klinicznych

Potencjał dalszego wzrostu rynku badań klinicznych w Polsce

Przyszłość polskiego rynku może wyglądać zdecydowanie bardziej optymistycznie. Porównując dane z innych krajów naszego regionu, można stwierdzić, że Polska mogłaby istotnie zwiększyć liczbę prowadzonych badań klinicznych.

Możliwość dalszego rozwoju wynika przede wszystkim z różnicy w nasyceniu rynku badań klinicznych. W Polsce mogłoby ono wzrosnąć co najmniej do poziomu nasycenia w przodujących pod tym względem krajach CEE, takich jak Węgry czy Czechy.

Liczba badań w Polsce na mln mieszkańców wynosi 10,4, czyli ponad dwukrotnie mniej niż w ww. najskuteczniejszych krajach naszego regionu. Oznacza to, że gdyby w Polsce zaistniały podobne warunki do wzrostu liczby badań klinicznych, liczba ta mogłaby wzrosnąć do poziomów prezentowanych przez Czechy – 24,5 lub Węgry – 22,5 badań na mln mieszkańców.

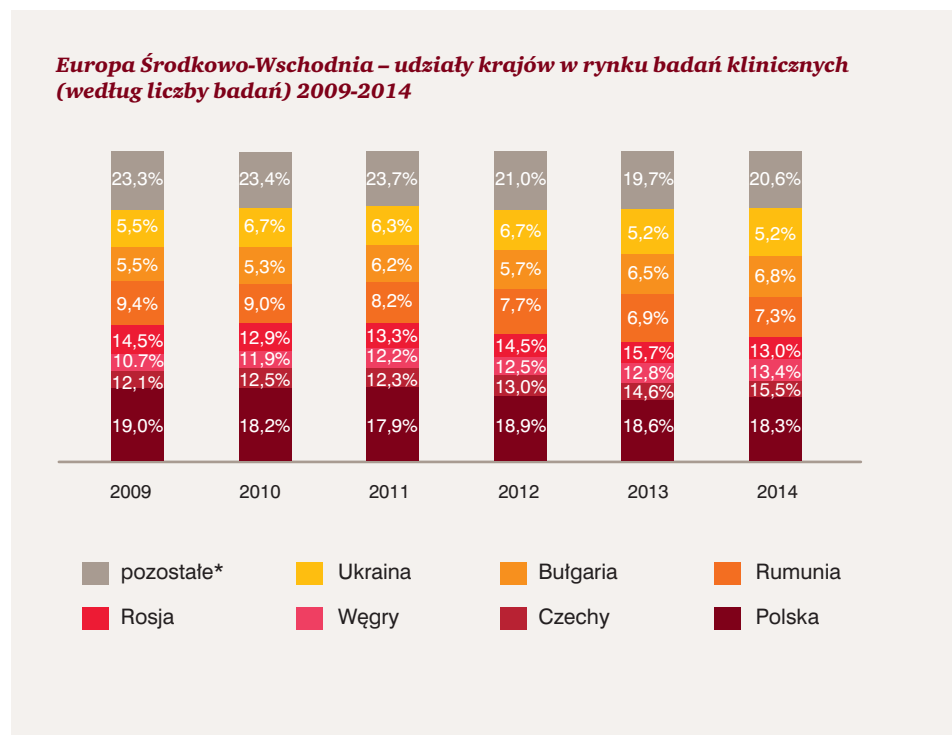


Źródło: URPL, ClinicalTrials.gov, Analiza PwC

Polska charakteryzuje się największym udziałem procentowym w liczbie badań prowadzonych na terenie CEE (głównie dzięki dużej liczbie mieszkańców).

W latach 2009-2014 udział liczby badań przeprowadzonych w Polsce w stosunku do wszystkich badań prowadzonych w regionie CEE utrzymywał się na podobnym poziomie i wynosił 18-19%, jednakże przykład kilku krajów wskazuje, że udział ten mógłby w tym czasie wzrosnąć.

Czechy zwiększyły swój udział z 12,1% do 15,5%, czyli o 3,4 punktu procentowego. Zbliżony wzrost udziału zanotowały Węgry – z 10,7% do 13,4% w tym samym okresie.



Pozycja „pozostałe” obejmuje kraje: Chorwacja, Estonia, Litwa, Łotwa, Serbia, Słowacja, Słowenia

Źródło: ClinicalTrials.gov

Potencjał Polski pozostaje niewykorzystany...

Zarówno Czechy, jak i Węgry z sukcesem wprowadziły mechanizmy zachęcające do prowadzenia badań klinicznych

Jednym z elementów, które mogły mieć wpływ na opisane powyżej trendy, jest obserwowany we wspomnianych wyżej krajach pozytywny stosunek organów administracji publicznej do obszaru badań klinicznych.

W przeprowadzonej ankiecie zostały wymienione kraje, które poczyniły starania, aby uatrakcyjnić swój rynek badań klinicznych. Poniżej zaprezentowane są główne wnioski, które mogą posłużyć za inspirację do zmian w Polsce.

Postrzeżenie węgierskiego rynku badań klinicznych

Sponsorzy pozytywnie oceniają postawę organów administracji publicznej w procesie uzyskiwania pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego. Podejmują one działania mające na celu usprawnienie tego procesu oraz wsparcie dla sponsora.

Pozytywnie oceniono rozwiązanie polegające na wprowadzeniu jednej centralnej komisji bioetycznej. Pozwolenie na prowadzenie badania klinicznego wydawane jest w postaci jednej decyzji, a wnioski oceniane są równoległe przy współpracy organów uczestniczących w wydawaniu pozwolenia.

Na Węgrzech dużo uwagi poświęcono także kwestiom ograniczenia barier administracyjnych, co ankietowani również ocenili jako pozytywny krok służący rozwojowi rynku.

Postrzeżenie czeskiego rynku badań klinicznych

Na rynku czeskim proces uzyskiwania pozwolenia na prowadzenie badań klinicznych jest oceniany bardzo pozytywnie ze względu na przejrzyste zasady oraz dobrą współpracę z organami administracji publicznej. Istotną zaletą jest rozwiązanie, które daje możliwość składania dokumentów drogą elektroniczną.

Sponsorzy pozytywnie wypowiedzieli się na temat zasad finansowania świadczeń udzielanych w związku z prowadzonym badaniem klinicznym. Proces jest oceniany jako przejrzysty i ułatwiający oszacowanie kosztów prowadzenia badania. W Czechach są uregulowane również kwestie zachęt podatkowych i finansowych do prowadzenia badań klinicznych.

Efektom sprzyjającego badaniom klinicznym otoczenia legislacyjnego jest duże zainteresowanie rynkiem czeskim wśród sponsorów, a w rezultacie wysokie nasycenie rynku tymi badaniami.

Niestety, w ciągu ostatnich kilku lat nie udało się wykorzystać potencjalnych możliwości rozwoju rynku badań klinicznych w Polsce

Dynamika zmian dokonujących się w obszarze badań klinicznych w Polsce na przestrzeni ostatnich 5 lat jest stosunkowo łatwa do zaobserwowania.

W szczególności można ją odnieść do scenariuszy przedstawionych w raporcie

„Badania kliniczne w Polsce – Główne wyzwania” z 2010 roku, które opisywały potencjalne ścieżki rozwoju rynku badań klinicznych w Polsce:

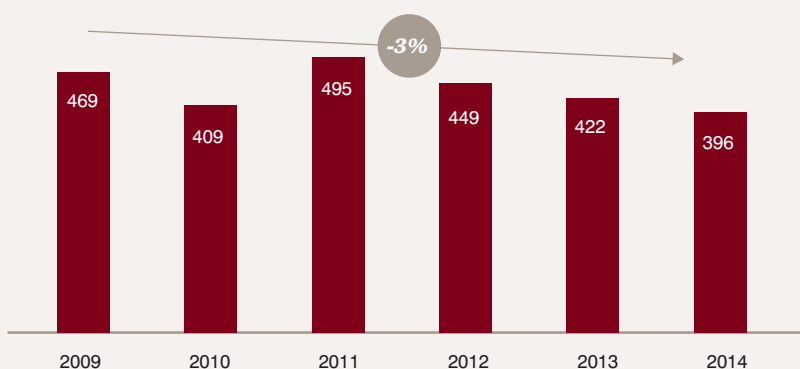
- **„Status quo”** – oznaczający brak istotnych zmian w otoczeniu prawnym i administracyjnym;
- **„Poprawa administracji”** – zakładający skrócenie całkowitego czasu rejestracji badania, poprawę warunków administracyjnych;
- **„Dodatkowe inicjatywy sprzyjające badaniom”** – przewidujący wprowadzenie korzystnych regulacji podatkowych, dodatkowych grantów itp. skutkujących istotnym wzrostem liczby badań;
- **„Wprowadzenie restrykcyjnej legislacji”** – określający konsekwencje dodatkowych restrykcyjnych regulacji zmniejszających konkurencyjność Polski i prognozujący odpyływ badań za granicę.

Z dzisiejszej perspektywy można stwierdzić, że szansy na zwiększenie potencjału tego rynku nie udało się w Polsce wykorzystać.

Rynek badań klinicznych podążał w ostatnich latach ścieżką „Status quo”, czyli zachowywał się tak, jakby nie przeprowadzono żadnych istotnych zmian. Mimo nieznacznych usprawnień w sposobie funkcjonowania organów administracji, nie udało się osiągnąć efektu skrócenia całkowitego czasu rejestracji badania zakładanego w scenariuszu „Poprawa administracji”.

Liczba badań klinicznych w omawianym okresie ulegała znacznym wahaniom, ale widoczna jest ogólna tendencja spadkowa. W 2010 roku doszło do zmniejszenia liczby rozpoczynanych badań klinicznych z powodu kryzysu ekonomicznego. Wzrost w 2011 roku spowodowany był „odbiciem” po okresie niepewności związanym z kryzysem ekonomicznym oraz ze wznowieniem wstrzymanych wcześniej badań.

Liczba badań klinicznych w Polsce, 2009-2014



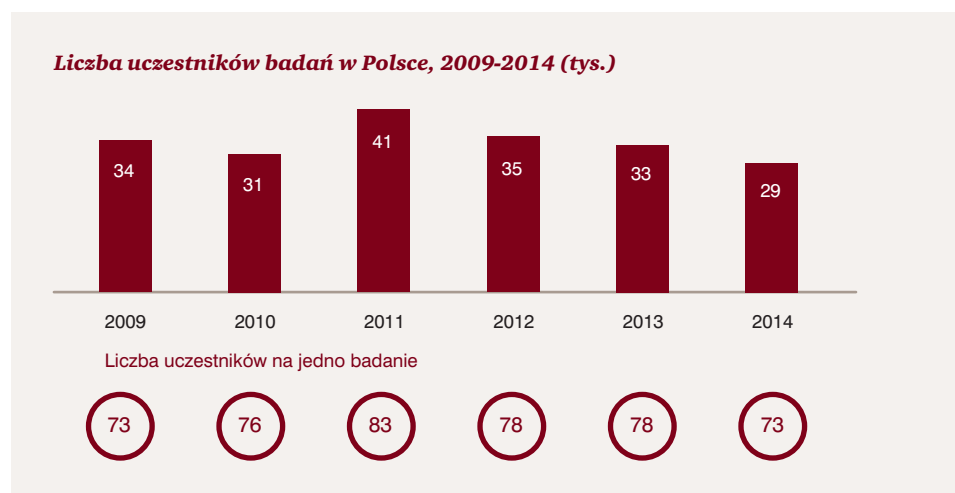
Źródło: URPL

„Rok 2010 był niekorzystnym okresem dla polskiego i światowego rynku badań klinicznych. Wielu sponsorów zawieszało badania lub przesuwało je w czasie, ze względu na panującą sytuację rynkową”.

Firma farmaceutyczna

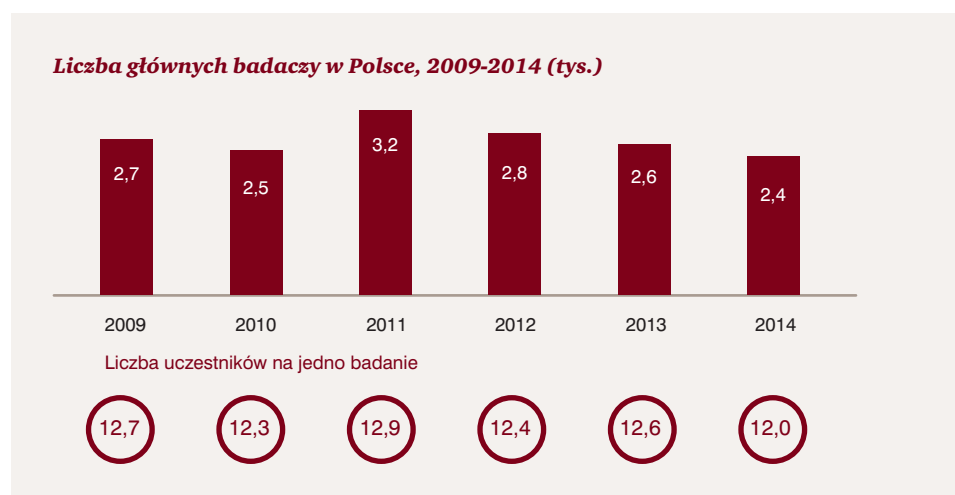
Widoczny jest spadek liczby uczestników badań oraz zaangażowanych w nie badaczy

Wraz ze spadkiem liczby badań spadała też liczba ich uczestników (w tempie ~2% rocznie).



Źródło: URPL, Ankieta PwC

Podobną tendencję spadkową można zaobserwować, jeśli chodzi o liczbę badaczy i liczbę uczestników badań klinicznych przypadających na jednego badacza.



Źródło: URPL, Ankieta PwC

W Polsce badania niekomercyjne stanowią margines rynku badań klinicznych

Badania niekomercyjne

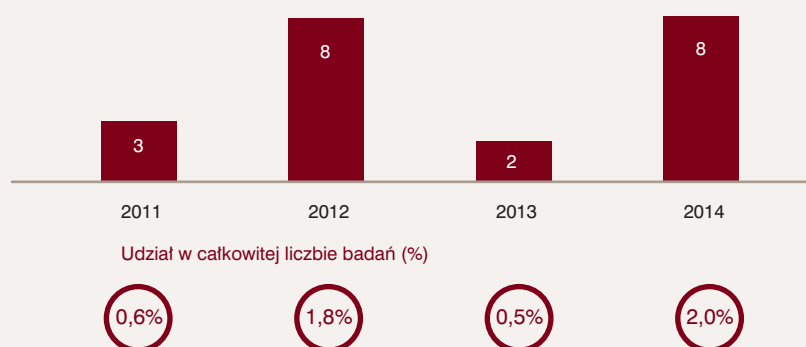
Dodatkowo w Polsce nadal nie wykorzystuje się potencjału obszaru niekomercyjnych badań klinicznych, których liczba wciąż pozostaje bardzo mała.

Niekomercyjne badania kliniczne prowadzone są przez ośrodki naukowe lub placówki medyczne, a ich celem jest poszukiwanie metod leczenia chorób rzadkich, a także rozwój wiedzy i nauki.

Badania te mogą również służyć ocenie skuteczności leków istniejących już na rynku. Taka ocena może być przydatna np. dla urzędów administracji publicznej przy podejmowaniu decyzji dotyczących refundacji z budżetu państwa cen leków dostępnych na rynku.

Badania niekomercyjne w Polsce stanowią margines rynku – w 2014 roku zarejestrowano tylko 6 takich badań, co stanowi mniej niż 2% całkowitej liczby badań klinicznych w Polsce. Porównanie Polski do krajów Europy Zachodniej, gdzie tego typu badania stanowią nawet 40% całkowitej liczby prowadzonych badań klinicznych – tylko potwierdza skalę problemu w naszym kraju.

Liczba nowo zarejestrowanych badań niekomercyjnych w Polsce, 2011-2014



Źródło: Ministerstwo Zdrowia

Przyczyny obecnego stanu rynku badań klinicznych w Polsce

Zmiany w zakresie wymaganej dokumentacji zmniejszyły atrakcyjność Polski jako miejsca prowadzenia badań klinicznych i w znacznej mierze zahamowały rozwój rynku

Zmiany legislacyjne – perspektywa ostatnich 5 lat

Analizując przyczyny niewykorzystania potencjału obszaru badań klinicznych w Polsce na przestrzeni ostatnich lat, należy wspomnieć o uwarunkowaniach prawnych oraz niestabilności regulacji.

Polski ustawodawca już w 2009 i 2010 r. identyfikował pewne, istniejące wówczas bariery i podjął próbę ich usunięcia. Prace legislacyjne zatrzymały się jednak w 2011 r. na etapie stworzenia projektu ustawy o badaniach klinicznych produktów leczniczych i produktów leczniczych weterynaryjnych (prace wstrzymano ze względu na informację o zamiarach wydania przez Unię Europejską rozporządzenia w analogicznym zakresie). Jednakże projekt ustawy w zaproponowanym brzmieniu już w 2010 r. budził wielkie obawy, gdyż zawierał zapisy, mogące skutkować załamaniem się rynku badań klinicznych w Polsce.

Mimo zaniechania prac nad ww. ustawą o badaniach klinicznych należy przyznać, iż w okresie ostatnich 5 lat polski ustawodawca podjął pewne działania mające na celu poprawę regulacji tego rynku. Od 1 maja 2011 roku uproszczono proces uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne, tj. zarówno ocena wniosku, jak i finalna decyzja w zakresie pozwolenia jest wydawana przez jeden organ – URPL (wcześniej decyzję wydawał minister zdrowia). Dodatkowo pozytywnie należy ocenić działania polskiego ustawodawcy w zakresie niekomercyjnych badań klinicznych. Niedawna nowelizacja ustawy Prawo farmaceutyczne powinna doprowadzić do istotnego obniżenia kosztów prowadzenia tego rodzaju badań klinicznych, w szczególności w zakresie kosztów świadczeń opieki zdrowotnej, udzielanych uczestnikom niekomercyjnych badań klinicznych. W efekcie nowelizacja może przyczynić się do zwiększenia liczby takich badań w Polsce.

Ponadto z ankiety PwC wynika, że w wymienionym wyżej okresie sponsorzy zaobserwowali uelastycznienie podejścia URPL. W szczególności wymiana korespondencji i uwag stała się możliwa również drogą elektroniczną, co zdecydowanie ułatwiło prowadzenie dialogu z urzędem oraz przyspieszyło proces uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne.

Z drugiej strony w okresie ostatnich 5 lat wprowadzono w Polsce przepisy, które są oceniane jednoznacznie negatywnie. Fakt ten przyczynił się do istotnego zwiększenia istniejących na rynku badań klinicznych barier i według powszechnej opinii w znacznej mierze zahamował rozwój tego rynku.

Kluczowe bariery natury administracyjnej hamujące rozwój rynku

- **Wymóg przedstawienia wraz z dokumentacją badania oryginałów umów zawartych z badaczem i ośrodkiem badawczym.** Dokumenty te należy złożyć razem z wnioskiem, a braku ich nie można uzupełnić w dalszym terminie, jak było to możliwe przed nowelizacją. Wśród krajów Unii Europejskiej taki wymóg istnieje jeszcze jedynie w Bułgarii.

W rezultacie – obecnie wnioski o pozwolenie na prowadzenie badania klinicznego może być złożony dopiero w momencie, gdy ww. umowy z badaczem i ośrodkiem badawczym dotyczące wnioskowanego badania klinicznego są już podpisane. Dlatego termin uzyskania pozwolenia na badanie kliniczne wydłużył się o czas negocjowania, finalizacji i podpisania ww. umów (niejednokrotnie o kilka miesięcy). W efekcie bardzo ograniczona jest obecnie w Polsce możliwość prowadzenia szybkich, krótkotrwałych badań klinicznych lub badań wymagających szybkiej rekrutacji.

• **Finansowanie świadczeń opieki zdrowotnej w ramach badania klinicznego.**

Od 1 maja 2011 roku doprecyzowano brzmienie art. 37k ust. 1 ustawy Prawo farmaceutyczne, który określa, jakie procedury powinien finansować sponsor, a jakie płatnik publiczny. Przepis stanowi, że sponsor finansuje te procedury, które nie mieszczą się w zakresie świadczeń gwarantowanych. Dodatkowo, sponsor finansuje również niektóre świadczenia gwarantowane: (i) niezbędne do usunięcia skutków pojawiających się powikłań zdrowotnych wynikających ze zastosowania badanego produktu leczniczego, (ii) których konieczność udzielenia wynika z zastosowania badanego produktu leczniczego, (iii) niezbędne do zakwalifikowania pacjenta do udziału w badaniu klinicznym.

Z uwagi na brak realnej możliwości kwestionowania rozliczenia między płatnikiem publicznym a ośrodkiem badawczym, z reguły wszelkie wątpliwości dotyczące ww. kosztów są rozpatrywane na niekorzyść sponsora:

- NFZ inaczej interpretuje treść tego przepisu i często próbuje przerzucić koszty świadczeń gwarantowanych na sponsora. Ośrodki badawcze obawiając się braku finansowania świadczeń opieki zdrowotnej przez NFZ również próbują przerzucić wszelkie koszty na sponsora badania;
- prowadzić to może do dyskryminacji uczestników badania klinicznego poprzez wyłączenie wobec nich finansowania świadczeń gwarantowanych oraz ograniczenie konstytucyjnych uprawnień pacjentów do równego dostępu do świadczeń gwarantowanych tylko dlatego, że biorą oni udział w badaniu klinicznym.

Zasady finansowania świadczeń zdrowotnych przez lata stanowiły istotną barierę również w obszarze badań niekomercyjnych. Kwestia ta pozostawała szczególnie trudna dla sponsorów niekomercyjnych zmuszonych do określenia i zgromadzenia budżetu na pokrycie kosztów świadczeń opieki zdrowotnej (w tym świadczeń gwarantowanych w zakresie np. potencjalnych powikłań, do finansowania których zobowiązywała sponsorów ustawa Prawo farmaceutyczne). Szczęśliwie zagadnienie to zostało niedawno uregulowane w sposób korzystny dla sponsorów przynajmniej w przypadku badań klinicznych o charakterze niekomercyjnym.

- **Zmiany w obszarze badań niekomercyjnych.** 1 maja 2011 r. wprowadzono do polskiego porządku prawnego zakaz wykorzystywania w celu komercyjnym (w tym również do celu rejestracji nowego leku) danych pozyskanych w wyniku niekomercyjnych badań klinicznych. Regulacja ta była skutkiem implementacji przepisów unijnych.

Istotnym czynnikiem wpływającym na obecny stan rynku badań klinicznych w Polsce jest kwestia świadomości społecznej

Kwestia świadomości społecznej i nastawienia instytucji

Przytoczone powyżej przykłady wpływu regulacji na obszar badań klinicznych w Polsce nie wyczerpują całości zagadnienia. Warto bowiem zwrócić uwagę na znaczenie czynnika psychologicznego odgrywającego kluczową rolę w procesie kształtowania zarówno przepisów, jak i praktyk urzędniczych. Przeważa pogląd, iż niemożliwa jest poprawa istniejącej sytuacji bez istotnego podniesienia poziomu świadomości na temat roli i znaczenia badań klinicznych (zarówno w odniesieniu do samego procesu opracowywania nowych leków, jak i rozwoju wiedzy medycznej jako takiej) oraz zasadniczej zmiany mentalności uczestników rynku. Co więcej, na niepowodzenie skazane będą też jakiegokolwiek próby reformy czy zmiany przepisów. Tylko wspólny wysiłek wszystkich uczestników rynku, ukierunkowany na podniesienie świadomości społecznej i zmianę podejścia ustawodawcy, może doprowadzić do istotnej poprawy otoczenia prawnego. Działania te mogą doprowadzić do realizacji zgłaszanych przez środowisko postulatów, eliminacji barier oraz rozwoju obszaru badań klinicznych w Polsce.

Głównymi barierami pozostają kwestie administracyjne – przede wszystkim czas i procedury związane z rejestracją badania

Wyniki ankiety PwC

Opisywany powyżej stan rzeczy znalazł potwierdzenie w wynikach przeprowadzonej przez PwC ankiety oraz w rozmowach ze stronami zaangażowanymi w badania kliniczne. Opierając się na zgromadzonych opiniach, przyjąć można, iż do najważniejszych czynników stanowiących dziś bariery rozwoju rynku badań klinicznych w Polsce należą:

- konieczność przedłożenia umowy z ośrodkiem i głównym badaczem jako warunek zapewnienia kompletności dokumentacji składanej przy ubieganiu się o rejestrację badania klinicznego;
- brak (w wielu szpitalach) przejrzystych procedur obiegu dokumentów i zasad podejmowania decyzji w zakresie negocjowania i podpisywania umów. Dzieje się tak nawet w sytuacji, w której w danym ośrodku istnieją wyspecjalizowane komórki koordynujące proces zawierania umów ze sponsorem (co związane jest z ograniczonymi zasobami oraz brakiem specjalistycznego przygotowania w zakresie zarządzania projektami);
- brak jasnych zasad finansowania przez NFZ świadczeń medycznych pacjentów będących uczestnikami badań klinicznych;
- brak standaryzacji funkcjonowania organizacji komisji bioetycznych oraz precyzyjnego uregulowania kwestii wnoszenia opłat na rzecz lokalnych komisji bioetycznych.

W przeprowadzonej ankiecie wyróżnionych zostało 8 barier, z jakimi najczęściej spotykają się sponsorzy i firmy CRO. Zostały one podzielone na kwestie administracyjne oraz kwestie związane z prowadzeniem badań klinicznych. Poniżej znajdują się kluczowe wnioski i komentarze zgłaszane przez uczestników ankiety PwC.

Kwestie związane z rejestracją badania

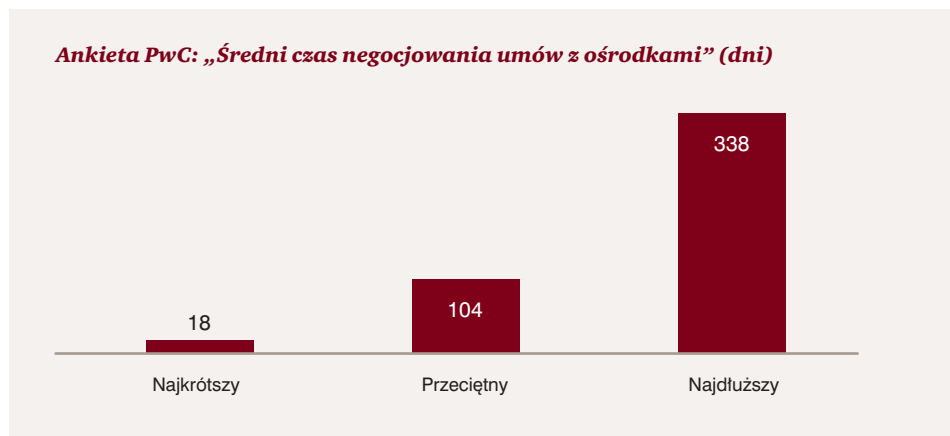


Źródło: Ankieta PwC

Główny problem związany z uzyskiwaniem pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego – to długi proces negocjacji umów ze szpitalami

1

Problemy związane z procesem poprzedzającym złożenie wniosku o rejestrację badania klinicznego. Kwestie negatywnie oceniło 75% respondentów.



Źródło: Ankieta PwC

„Wymóg załączenia wynegocjowanej umowy z ośrodkiem badawczym do wniosku o rozpoczęcie badania jest najistotniejszym problemem. Podjęcie decyzji oraz podpisanie umowy zajmuje ośrodkom badawczym wiele czasu. Dotyczy to zwłaszcza szpitali publicznych, które odgrywają istotną rolę z uwagi na dostęp do dużej populacji pacjentów”.

Firma farmaceutyczna

„Średni czas negocjacji ze szpitalem to 4 miesiące, ale może to być nawet 11 miesięcy. W prywatnych ośrodkach badawczych proces ten przebiega znacznie szybciej, około miesiąca”.

Firma farmaceutyczna

„Najbardziej korzystają na tym ośrodki prywatne, ponieważ są bardziej elastyczne i efektywne”.

Badacz

Główną przyczyną takiego stanu rzeczy jest brak efektywnie i sprawnie działającej jednostki koordynującej procesy administracyjne w ośrodkach badawczych (głównie publicznych Zakładach Opieki Zdrowotnej).

Istotny problem stanowi również długi czas rejestracji badania. W ciągu 5 lat całość procesu uległa wydłużeniu ze względu na istotne zmiany wymogów dotyczących dokumentacji wymaganej przy wniosku o pozwolenie na prowadzenie badania. W tej kwestii Polska wypada niekorzystnie na tle innych krajów regionu.

„Współpraca z ośrodkami byłaby lepsza i sprawniejsza, gdyby istniała osoba koordynująca proces negocjacji i podpisania umowy”.

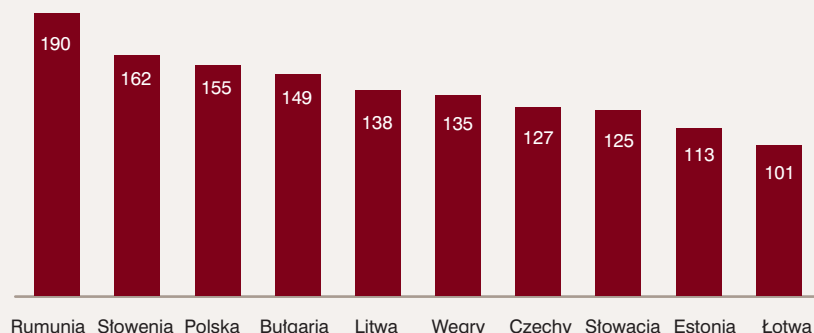
CRO

„Poprawa nie wymaga dużych zmian, często problemem jest nieefektywność i zaleganie dokumentacji w jednym z działów ośrodka”.

Badacz

Źródłem problemów w zakresie uzyskiwania pozwolenia są również zasady funkcjonowania komisji bioetycznych

Ankieta PwC: „Średni czas rejestracji badania klinicznego w krajach CEE, 2014 (dni)”



Czas mierzony od finalnego ustalenia protokołu do zarejestrowania badania klinicznego
Źródło: Ankieta PwC

2

Przejrzystość funkcjonowania organów administracji. Brak ustalenia precyzyjnego rozdziału kompetencji między URPL i komisje bioetyczne.

„Brakuje jasnego podziału kompetencji organów administracyjnych. W szczególności dublowane są oceny dokonywane przez URPL i komisje bioetyczne”.

Firma farmaceutyczna

3

Wymagania dotyczące dokumentacji. Obecne wymogi formalne wprowadzają sztuczne i nieistniejące w innych krajach UE ograniczenia, których w łatwy sposób można by uniknąć.

„Wymóg posiadania odpisu z KRS do złożenia wniosku ogranicza podmioty zagraniczne, które nie mają filii w Polsce”.

CRO

4

Zasady działania komisji bioetycznych. Sposób funkcjonowania komisji bioetycznych utrudnia proces rozpoczęcia badania klinicznego, głównie ze względu na brak standaryzacji regulacji wewnętrznych komisji.

„Brak ujednoczonych zasad funkcjonowania komisji bioetycznych powoduje dużo zbędnej i uciążliwej pracy, ze względu na konieczność zapoznania się z regulaminem oraz cennikiem każdej komisji z osobna”.

Firma farmaceutyczna

„Niektórym komisjom brakuje strony internetowej. W okresie wakacyjnym posiedzenia praktycznie się nie odbywają i przez to procesy aplikacyjne badań są wstrzymywane”.

Badacz

Kwestie związane z prowadzeniem badań klinicznych

Istotnym problemem związanym z prowadzeniem badania klinicznego jest brak pewności co do finansowania przez NFZ procedur z koszyka świadczeń gwarantowanych



Ze względu na możliwość udzielenia wielu odpowiedzi wyniki nie sumują się do 100%
Źródło: Ankieta PwC

- 1 Kwestie finansowania świadczeń medycznych uczestników badań klinicznych.** Mimo istniejących regulacji wielkość udziału w finansowaniu badań klinicznych i zarazem wysokość ponoszonych na nie kosztów przez poszczególne strony była w badanym okresie nieprzewidywalna.

„W Polsce trudno ocenić, czy koszt badania z koszyka świadczeń gwarantowanych (do których każdy ubezpieczony ma prawo) będzie podlegał finansowaniu z NFZ, ponieważ zdarza się, że Fundusz nie widzi uzasadnienia w wykonywaniu danego badania. Niektórzy sponsorzy wybierają inny kraj z wyższymi kosztami, ale łatwiejszym do przewidzenia udziałem świadczeń finansowanych przez płatnika”.

Firma farmaceutyczna

- 2 Odpowiedzialność za szkody wyrządzone w związku z badaniem klinicznym oraz kwestie dotyczące dochodzenia odszkodowania przez uczestników badania.**

Funkcjonujące w Polsce ubezpieczenia OC nie chronią uczestników badania, sponsorów ani badaczy w pożądanym stopniu, ponieważ wypłata odszkodowania jest uzależniona od udowodnienia winy sponsora lub badacza. Uczestnik badania, który doznał szkody, a winy nie może udowodnić, może jedynie wystąpić z roszczeniem wobec sponsora i/lub badacza, ale roszczenie to nie będzie pokryte z istniejącej polisy OC.

„Obecnie pacjenci mają małe szanse na uzyskanie odszkodowania ze względu na konieczność udowodnienia winy”.

CRO

3

Komunikacja i organizacja pracy w ośrodkach badawczych. W wielu ośrodkach badawczych brak jest zespołów lekarzy i pielęgniarek kierowanych do prowadzenia badań klinicznych.

„Z perspektywy badacza istotne jest, gdy istnieje zespół pielęgniarek dedykowany do pracy w ramach badania klinicznego. Dobrze jest, gdy zadania pielęgniarek skoncentrowane są na jednej działalności”.

Badacz

Szerszy dostęp do spójnych, skoordynowanych informacji w mediach niewątpliwie pozwoliłby pozyskać nowych uczestników badań klinicznych

4

Rekrutacja pacjentów. Istnieje wiele narzędzi, których wprowadzenie pomogłoby w łatwiejszym dotarciu do informacji dla zainteresowanych osób oraz umożliwiłoby bardziej efektywną rekrutację pacjentów.

Istnieje szereg specjalistycznych portali internetowych pomagających pacjentom, ich rodzinom oraz lekarzom odnaleźć badanie kliniczne, w ramach którego można by prowadzić skuteczne leczenie. Większość z tych portali dostępna jest jednak jedynie w języku angielskim i nie pozwala na identyfikację polskich ośrodków badawczych. Również baza badań klinicznych prowadzona przez Związek Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA pod adresem <http://www.badaniaklinicznepolsce.pl/> nie ma na celu skontaktowania pacjenta z ośrodkami badawczymi. W oparciu o aktualne polskie przepisy URPL nie ma możliwości publikowania danych dotyczących zarejestrowanych badań klinicznych.

„Obecnie brakuje niezależnej platformy zapewniającej pacjentom dostęp do wiedzy o aktualnie prowadzonych badaniach klinicznych. Taka platforma mogłaby powstać np. przy URPL”.

Stowarzyszenie pacjentów

„Dobrym rozwiązaniem byłoby stworzenie platformy informacyjnej zapewniającej pacjentom możliwość wstępnej kwalifikacji do badania”.

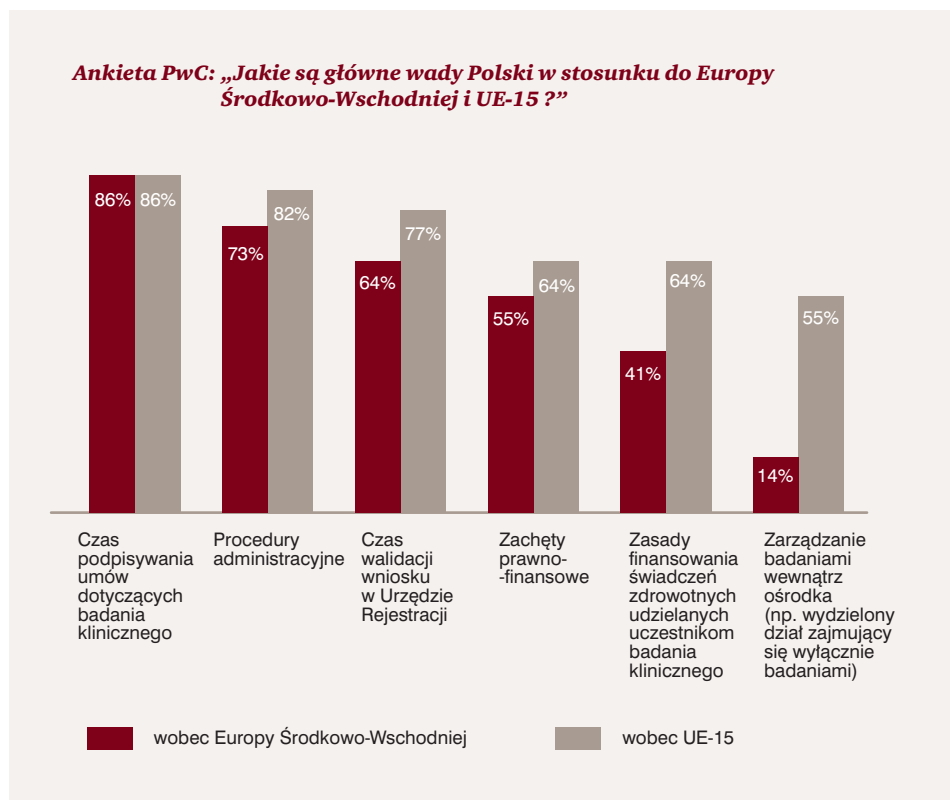
CRO

Na tle innych krajów Polska wypada niekorzystnie w kwestiach administracyjnych istotnych dla prowadzenia badań

Podsumowanie ankiety PwC

Bariery wymienione przez uczestników ankiety PwC negatywnie wpływają na postrzeganie naszego rynku przez sponsorów, zmniejszając dostęp do innowacyjnych terapii dla polskich pacjentów, i obniżając przez to konkurencyjność Polski wobec krajów CEE oraz Europy Zachodniej.

Kluczowe kwestie wskazane przez wszystkich respondentów, które w porównaniu do krajów Europy Środkowo-Wschodniej i Zachodniej wymagają poprawy, to przede wszystkim zniesienie wymogu przedkładania wraz z wnioskiem o pozwolenie na prowadzenie badania klinicznego podpisanych umów z ośrodkiem badawczym i badaczem oraz skrócenie czasu walidacji dokumentów badania składanych do URPL (obecne przepisy nie ograniczają czasu, jaki ma URPL na przeprowadzenie tej walidacji).



Źródło: Ankieta PwC

Niezbędne są dalsze ułatwienia w prowadzeniu badań niekomercyjnych

Badania niekomercyjne

Jeszcze do niedawna niekomercyjne badania kliniczne podlegały w Polsce tym samym restrykcjom prawnym co badania komercyjne. Wprowadzona w drugiej połowie 2015 roku nowelizacja ustawy Prawo farmaceutyczne wprowadziła ułatwienia w finansowaniu niekomercyjnych badań klinicznych, w części przenosząc obowiązek finansowania świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych uczestnikom takich badań na NFZ. Natomiast nadal sponsor niekomercyjny ma obowiązek spełnienia tych samych wymogów formalnych, jakie prawo przewiduje dla sponsora komercyjnego.

Dostrzegając istniejące problemy w zakresie finansowania badań niekomercyjnych, polski ustawodawca przewidział dla sponsora niekomercyjnego niższe opłaty za złożenie wniosku o wydanie pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego. Podobnie wiele komisji bioetycznych przewiduje niższe opłaty za przeprowadzenie oceny etycznej badań niekomercyjnych.

Natomiast istotnym obciążeniem dla sponsorów badań niekomercyjnych jest obowiązek posiadania ubezpieczenia od odpowiedzialności cywilnej, niezależnie od faktu, że badania niekomercyjne dotyczą zwykle leków już zarejestrowanych i często są obciążone jedynie minimalnym ryzykiem dla uczestnika badania. Polskie przepisy nie wprowadzają w tym zakresie żadnych ułatwień.

Regulacje obowiązujące w Polsce w ostatnich latach przyczyniły się do stworzenia negatywnych warunków prowadzenia niekomercyjnych badań klinicznych w Polsce.

Istotną barierą w kwestii prowadzenia niekomercyjnych badań klinicznych jest również brak doświadczenia po stronie sponsora niekomercyjnego w zakresie organizacji badania (np. konstruowania protokołu), uzyskania finansowania (dostęp do źródeł finansowania, świadomość istnienia programów grantowych polskich i zagranicznych) oraz obsługi prawnej procesu rejestracji i prowadzenia badań klinicznych (w przypadku sponsorów komercyjnych, niejednokrotnie tego rodzaju zagadnieniami zajmują się wyspecjalizowane działy odpowiedzialne za obsługę prawno-organizacyjną badań).

Koszty i konsekwencje utraconych szans

W Polsce w 2014 roku z powodów administracyjnych nie zostało przeprowadzonych blisko 70 badań o wartości ok. 170 mln PLN

Postrzeganie Polski przez sponsorów jako kraju mniej atrakcyjnego (pomimo jego niewątpliwego potencjału) powoduje, że w przypadku niektórych badań, nasz kraj nie jest w ogóle rozpatrywany jako miejsce do ich prowadzenia. Ponadto zdarzają się sytuacje, w których sponsorzy rezygnują z rozpoczętej procedury rejestracji badania w Polsce ze względu na zbyt długi czas jej trwania. Konsekwencją takiego stanu rzeczy są straty związane z utraconymi szansami na rozwój oraz wzrost liczby badań.

Według przeprowadzonej przez PwC ankiety występujące w Polsce utrudnienia spowodowały, że tylko w 2014 roku ok. 70 badań (co stanowi 18% polskiego rynku) nie doszło do skutku:

- ok. 40 badań nie zostało przeprowadzonych ze względu na problemy występujące w procesie negocjowania umów z badaczami i ośrodkami badawczymi,
- ok. 30 badań nie zostało zarejestrowanych ze względu na długi okres walidacji wniosku lub rejestracji badania bądź uciążliwe procedury dla pacjentów.

W rezultacie polski rynek mógł stracić nawet ok. 170 mln PLN, a budżet państwa ok. 54 mln PLN.

W perspektywie długoterminowej (np. lata 2011-2014) straty, jakie poniosła polska gospodarka, mogły być jeszcze większe. Obejmują one zarówno utracone wpływy budżetowe oraz inne materialne korzyści (związane m.in. z tworzeniem miejsc pracy, inwestycjami oraz rozwojem sektora usług towarzyszących), jak i korzyści niematerialne (rozwój wiedzy medycznej, wzrost doświadczenia, transfer technologii, *know-how* itd.). Ponadto postrzeganie Polski jako kraju, który nie jest zaangażowany w aktywne wspieranie innowacyjnych dziedzin gospodarki (do których zalicza się obszar badań klinicznych i związany z nim sektor innowacyjnej farmacji i medycyny), może w przyszłości wpływać na ogólną opinię naszego kraju jako miejsca nieatrakcyjnego z punktu widzenia potencjalnych inwestorów.

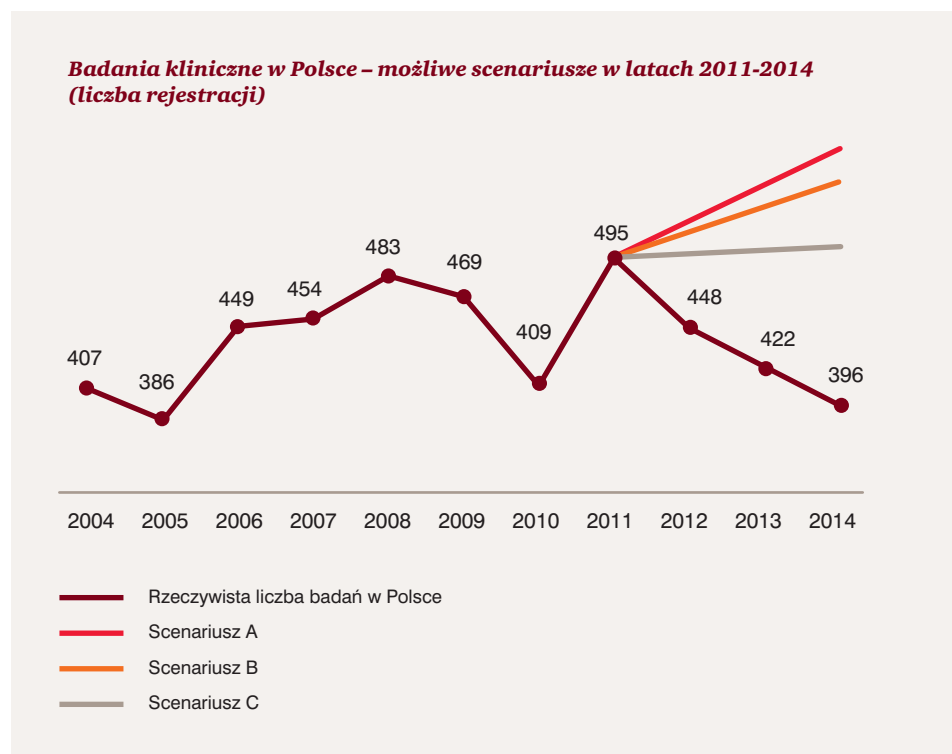
Optymizmem nie napawa też porównanie wpływu – istniejących w okresie 2011-2014 na polskim rynku badań klinicznych – barier rozwoju na relatywną pozycję naszego kraju w odniesieniu do porównywalnych rynków: czeskiego i węgierskiego. Na potrzeby takiego porównania można się pokusić o nakreślenie alternatywnych scenariuszy rozwoju naszego rynku i odniesienie ich do rzeczywistych danych dotyczących rynku badań klinicznych w Polsce.

W latach 2011-2014 Polska mogła zrealizować więcej o 300-450 badań o łącznej wartości od 0,6 do 1,0 mld PLN. Budżet państwa mógł uzyskać o 200-350 mln PLN wpływów więcej

Alternatywne scenariusze rozwoju polskiego rynku badań klinicznych

Poniżej prezentujemy trzy możliwe scenariusze rozwoju rynku badań klinicznych w Polsce wraz z odniesieniem do rzeczywistych danych z lat 2011–2014. Przedmiotowe scenariusze opierają się na następujących założeniach:

- **Scenariusz alternatywny A:** ścieżka konwergencji do Węgier – zakłada zrównanie liczby badań na milion mieszkańców z poziomem istniejącym na Węgrzech w ciągu 8 lat od 2011 roku. Głównym czynnikiem zmian byłaby aktywna rola ustawodawcy oraz organów administracji publicznej w pokonywaniu aktualnych barier, między innymi poprzez zniesienie obowiązku przedstawienia podpisanych umów z badaczami i ośrodkami badawczymi przed złożeniem wniosku o rejestrację badania;
- **Scenariusz alternatywny B:** dynamika wzrostu jak w Czechach – zakłada wdrożenie pozytywnych zmian w zakresie regulacji kwestii finansowania badań (za przykładem Czech) oraz zniesienie opisanego powyżej obowiązku. W efekcie możliwe stałoby się osiągnięcie przez polski rynek podobnego tempa rozwoju jak na rynku czeskim;
- **Scenariusz alternatywny C:** status Quo – zakłada brak wprowadzenia w 2012 roku utrudnienia w postaci konieczności przedłożenia podpisanych umów z badaczem i ośrodkiem badawczym do pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego, scenariusz zakłada rozwój rynku na poziomie 2% rocznie.



Założenie zrównania się liczby badań per capita z wartością tego wskaźnika na Węgrzech w ciągu 8 lat względem 2011 roku.
Źródło: URPL, ClinicalTrials.gov, Analiza PwC

Jak wynika z powyższego porównania, polski rynek badań klinicznych nie tylko nie podążał ścieżką umożliwiającą mu zbliżenie się do porównywalnych rynków CEE, lecz ze względu na utrzymujące się negatywne zjawiska (np. czas rejestracji) oraz pojawiające się nowe bariery (ww. wymogi wprowadzone w 2012 r.) zaczął się kurczyć.

Najważniejszym wyzwaniem dla rynku badań klinicznych w Polsce jest wykorzystanie szans związanych z nowymi regulacjami europejskimi

W efekcie w zależności od założonego scenariusza przyjąć można, iż w latach 2011-2014 utracone korzyści* dla polskiego rynku mogły wynieść łącznie:

- **od 300 do 450 utraconych badań klinicznych;**
- **od 0,6 do 1,0 mld PLN** (licząc wartość rynku badań klinicznych);
- **od 200 do 350 mln PLN** nieuzyskanych wpływów przez budżet państwa.

Powyższe wartości oznaczają, że polski rynek badań klinicznych mógłby rozwijać się w przyszłości od 20% do 35% szybciej, niż to miało miejsce w latach 2011-2014.

Kwestią o fundamentalnym znaczeniu dla tempa i skali przyszłego rozwoju rynku badań klinicznych w Polsce jest określenie katalogu działań niezbędnych do zmiany istniejącego stanu rzeczy i przyciągnięcia do Polski większej liczby badań. Jest to tym bardziej istotne, iż znajdujemy się w przededniu wprowadzenia bardzo istotnych zmian regulacyjnych dotyczących funkcjonowania rynku badań klinicznych w krajach Unii Europejskiej.

Zmiany wynikające z nowych regulacji, harmonizując procedury i ujednolicając podejście do kwestii interpretacyjnych, mogą spowodować znaczący wzrost lub spadek atrakcyjności rynków poszczególnych krajów (związane to może być m.in. z jakością przepisów tworzonych na szczeblu krajowym a towarzyszących stosowaniu regulacji rozporządzenia nr 536/2014).

Co więcej, unifikacja warunków uzyskiwania pozwoleń na prowadzenie badań klinicznych i centralizacja procesów może prowadzić do utraty atutu posiadanej skali/populacji przez nasz kraj (gdyż łatwość uzyskania zharmonizowanego pozwolenia na kilku mniejszych rynkach jednocześnie może się okazać czynnikiem rozstrzygającym).

W tym kontekście istotne jest przeanalizowanie wpływu nowych przepisów na sytuację badań klinicznych w Polsce oraz określenie charakteru, skali i harmonogramu działań dostosowawczych.

Chodzi nie tylko o to, by nie powodować pogorszenia warunków funkcjonowania podmiotów zajmujących się badaniami klinicznymi w Polsce, ale przede wszystkim, aby przedmiotowe zmiany wykorzystać do jak najdalej idącego uatrakcyjnienia Polski jako miejsca prowadzenia przyszłych badań.

Jak zostało to już wcześniej zasygnalizowane, będzie to jednak możliwe jedynie w przypadku podjęcia skoordynowanych działań prowadzących do podniesienia świadomości społecznej na temat roli i znaczenia badań klinicznych oraz zmiany mentalności instytucji stanowiących i stosujących nowe przepisy (tak aby uwzględniały one korzyści płynące z prowadzenia w Polsce jak największej liczby badań).

* Oszacowanie strat dotyczy sumy utraconych wartości za lata 2011-2014, obliczone na podstawie danych za każdy rok z osobna zgodnie z zaprezentowanymi scenariuszami

Możliwe scenariusze rozwoju rynku

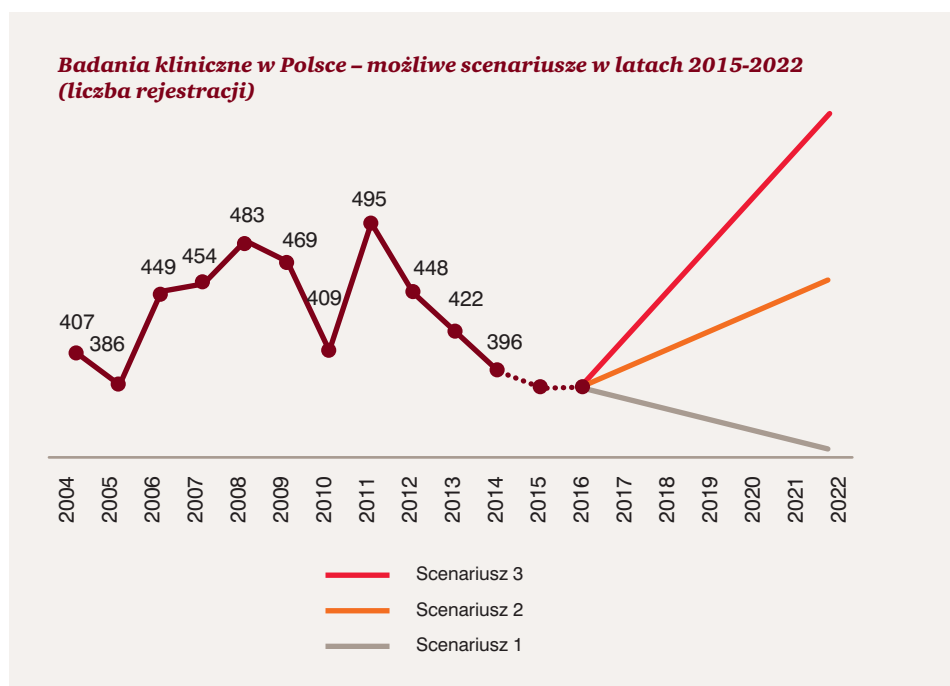
Bierność polskiego ustawodawcy będzie miała negatywny wpływ na polski rynek badań klinicznych

Stosowanie przepisów rozporządzenia nr 536/2014* rozpocznie się nie wcześniej niż w 2017 r. Do tego czasu Polska ma obowiązek dostosować porządek krajowy do wymogów unijnych.

Z jednej strony rozporządzenie nr 536/2014 jest szansą dla polskiego rynku, z drugiej strony stawia Polskę w sytuacji, w której brak dostosowania regulacji do wymogów unijnych będzie miał negatywne konsekwencje dla polskiego rynku badań klinicznych. Co więcej, ważny jest nie tylko sam fakt podjęcia działań dostosowawczych, lecz także ich jakość i przemyślany charakter (mający na uwadze korzyści dla wszystkich uczestników rynku wynikające ze zwiększenia liczby badań klinicznych prowadzonych w Polsce).

Z przeprowadzonych analiz wynika, że istnieją trzy główne scenariusze rozwoju sytuacji w Polsce:

- **Scenariusz 1:** rozpoczęcie stosowania rozporządzenia nr 536/2014 bez działań dostosowujących otoczenie prawne w Polsce;
- **Scenariusz 2:** uzupełnienie rozporządzenia nr 536/2014 o przemyślane regulacje krajowe maksymalizujące jego pozytywny wpływ na rynek;
- **Scenariusz 3:** aktywne wsparcie poprzez system zachęt i ułatwień oferowanych wszystkim uczestnikom rynku.



Źródło: URPL, ClinicalTrials.gov, Analiza PwC

* Skutki jego wprowadzenia oraz implikacje tego faktu dla rynku polskiego są opisane szczegółowo w rozdziale 2

Aktywne wsparcie pozwoli znacząco poprawić funkcjonowanie rynku badań klinicznych w Polsce i uzyskać dominującą pozycję naszego kraju w regionie CEE

Scenariusz	Wpływ	Założenia
Scenariusz 1: Wyłączenie Rozporządzenie	negatywny	<ul style="list-style-type: none"> Działania Polski ograniczają się wyłącznie do rozpoczęcia stosowania rozporządzenia nr 536/2014; brak jest działań dostosowawczych w obszarze nieuregulowanym bezpośrednio przez legislację unijną. Polska staje się krajem jeszcze mniej atrakcyjnym (w obliczu unifikacji standaryzacji procesów, występują u nas ograniczenia i wymogi szczególne przesądzające o negatywnej opinii u sponsorów). W efekcie prowadzi to do kontynuacji spadków liczby badań klinicznych w Polsce w porównywalnym do ostatnich lat tempie.
Scenariusz 2: Regulacje uzupełniające	neutralny	<ul style="list-style-type: none"> Wprowadzeniu rozporządzenia nr 536/2014 do polskiego systemu uzupełniające prawne towarzyszą działania adaptujące/modyfikujące przepisy krajowe z obszarów nie objętych bezpośrednio ww. rozporządzeniem. Polska staje się krajem o warunkach prowadzenia badań klinicznych porównywalnych do innych krajów UE; zniesiona zostanie część istniejących obecnie barier administracyjnych i skrócony zostanie czas potrzebny na rozpoczęcie badania. Efektom będzie rozwój rynku polskiego na podobnym lub nieco wyższym poziomie do średniej europejskiej, tak jak to miało miejsce do 2009 roku, ze względu na potencjał Polski (m.in. duża populacja pacjentów, wykwalifikowany personel medyczny).
Scenariusz 3: Aktywne wsparcie	pozytywny	<ul style="list-style-type: none"> Wdrożenie rozporządzenia nr 536/2014 i likwidacja kluczowych barier. Dodatkowo wprowadzenie rozwiązań, mających na celu zwiększenie atrakcyjności polskiego rynku na tle pozostałych krajów regionu CEE i Europy Zachodniej, m.in. poprzez wprowadzenie zachęt finansowopodatkowych, stworzenie platform informacyjnych dla pacjentów, wspieranie szpitali biorących udział w badaniach oraz zachęcanie do wprowadzania koordynatorów ds. współpracy ze sponsorami badań klinicznych itp. Dynamika zmian osiągnięć porównywalny poziom do tej obserwowanej w ostatnich latach w Czechach, które to korzystały z szeregu pozytywnych zmian umożliwiających uzyskanie wysokiego nasycenia badaniami oraz atrakcyjnej pozycji na rynku badań klinicznych w regionie CEE. Dzięki temu Polska osiągnie najszybszy wzrost w regionie i umocni swoją pozycję jako największy rynek badań klinicznych w CEE.

2.



Badania kliniczne po wejściu w życie rozporządzenia nr 536/2014

Droga UE do rozporządzenia nr 536/2014

Komisja Europejska: bariery rozwoju rynku badań klinicznych na poziomie Unii Europejskiej mają charakter administracyjno-prawny i powinny zostać usunięte

Ocena obecnie obowiązującej dyrektywy 2001/20

Kluczowym aktem prawnym regulującym obszar badań klinicznych w Unii Europejskiej jest obecnie Dyrektywa 2001/20 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 4 kwietnia 2001 roku w sprawie zbliżania 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 oraz uzupełniająca ją Dyrektywa Komisji 2005/28 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. Celem wprowadzenia tych aktów prawnych było zapewnienie istnienia w krajach członkowskich Unii Europejskiej jednolitych ram prawnych w zakresie najistotniejszych zagadnień związanych z prowadzeniem badań klinicznych, w tym:

- zapewnienie ochrony zdrowia i bezpieczeństwa uczestników badań klinicznych;
- prawne określenie standardów etycznych wymaganych w badaniach klinicznych;
- zapewnienie wiarygodności i rzetelności danych zebranych w ramach badania klinicznego;
- uproszczenie i ujednoczenie administracyjnych obowiązków związanych z badaniami klinicznymi (w szczególności w odniesieniu do procedury uzyskiwania pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego).

Cel dyrektywy 2001/20 oraz zawarte w niej koncepcje rozwiązań należy – co do zasady – ocenić pozytywnie, natomiast przeprowadzona przez Komisję Europejską analiza funkcjonowania dyrektywy 2001/20 wykazała, że przewidziane w niej rozwiązania – implementowane do krajowych porządków prawnych państw członkowskich – w praktyce nie działają prawidłowo i nie prowadzą do osiągnięcia zamierzonego celu.

Z danych zgromadzonych przez Komisję Europejską wynika, że w okresie po pełnej implementacji dyrektywy 2001/20 do porządku prawnego państw członkowskich (2006 r.) – w porównaniu do okresu sprzed wejścia w życie tego aktu prawnego – zmniejszyła się liczba badań klinicznych prowadzonych na obszarze Unii Europejskiej.

Komisja Europejska – w celu zbadania społecznej oceny kluczowych rozwiązań dyrektywy 2001/20, opinii co do jej słabych punktów oraz pomysłów w zakresie wprowadzenia zmian – przeprowadziła szerokie konsultacje społeczne. Na podstawie zgromadzonych informacji Komisja Europejska uznała, że na poziomie Unii Europejskiej – podobnie jak w Polsce – zidentyfikowane bariery rozwoju rynku badań klinicznych mają charakter administracyjno-prawny i powinny zostać usunięte.

.....

*Rozporządzenie nr 536/2014
jako remedium na spadek
liczby badań klinicznych
prowadzonych w Europie*

Jako główne źródło problemów zidentyfikowano różnice w sposobie implementacji dyrektywy 2001/20 w poszczególnych krajach członkowskich.

Było to istotne o tyle, że w analizowanym okresie około 24% wszystkich składanych w UE wniosków o pozwolenie na prowadzenie badania klinicznego dotyczyło międzynarodowych badań klinicznych, tj. badań klinicznych, które mają być prowadzone w co najmniej dwóch państwach członkowskich. Jednocześnie w ww. międzynarodowych badaniach klinicznych brało udział około 67% wszystkich uczestników włączonych do badań klinicznych* (badania kliniczne prowadzone wyłącznie na terenie jednego państwa obejmowały niewielką liczbę uczestników).

W obawie przed zmniejszeniem konkurencyjności Europy jako miejsca prowadzenia badań klinicznych, prawodawca europejski zdecydował o wprowadzeniu nowego aktu prawnego (w miejsce dyrektywy 2001/20), który uregulowałby obszar badań klinicznych w sposób kompleksowy i jednolity we wszystkich państwach członkowskich UE tj. rozporządzenia nr 536/2014.

Doceniając znaczenie jak najdalej idącego ujednoczenia zasad zdecydowano się na wprowadzenie nowych przepisów w formie rozporządzenia, a nie dyrektywy, gdyż cechą charakterystyczną rozporządzenia jest obowiązek jego stosowania we wszystkich krajach członkowskich UE bezpośrednio i wprost, bez konieczności implementacji do krajowego porządku prawnego.

Rozporządzenie nr 536/2014 będzie stosowane po upływie 6 miesięcy od opublikowania zawiadomienia o pełnej funkcjonalności portalu UE (tj. nowej platformy komunikacji w zakresie badań klinicznych) i bazy danych UE, nie wcześniej jednak niż 28 maja 2016 r. Natomiast wiadomo już, że portal UE zostanie oddany z opóźnieniem, nie wcześniej niż w marcu 2017 r., co oznacza, że ww. rozporządzenie będzie mogło być stosowane nie wcześniej niż we wrześniu 2017 r.

Próbą tymczasowego rozwiązania przedstawionych powyżej problemów związanych ze stosowaniem dyrektywy 2001/20 jest inicjatywa HMA (*Heads of Medicines Agencies*) z 2009 r. w postaci dobrowolnej procedury wspólnej oceny dokumentacji badań klinicznych produktów leczniczych (*Voluntary Harmonisation Procedure – VHP*), do której mogły i mogą przystąpić państwa członkowskie UE. Procedura ta stanowi istotny krok w drodze do harmonizacji procedur uzyskiwania pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego. Procedura VHP straci rację bytu (i przestanie istnieć) w momencie rozpoczęcia stosowania rozporządzenia nr 536/2014. Polska przystąpiła do VHP w 2015 r.

* Uzasadnienie do Rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylenia dyrektywy 2001/20/WE, COM(2012) 369 final, Bruksela 2012, s. 2.

Najważniejsze koncepcje prawne przewidziane w rozporządzeniu nr 536/2014

Powstała nowa, jednolita procedura wnioskowania o pozwolenie na badanie kliniczne

Nowe zasady uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne

Kluczową zmianą, jaką wprowadza rozporządzenie nr 536/2014 jest jednolita procedura uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne, oparta na współpracy między państwami członkowskimi, w których ma być prowadzone badanie kliniczne.

Koncepcja opiera się na następujących założeniach:

- **Jedna procedura.** Rozporządzenie nr 536/2014 ustala jednakowe ramy prawne uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne we wszystkich krajach członkowskich Unii Europejskiej, zarówno dla międzynarodowych, jak i krajowych badań klinicznych (komercyjnych i niekomercyjnych).
- **Dwuaspektowa ocena badań klinicznych.** Projekt badania klinicznego podlega ocenie naukowej i etycznej; kwestie etyczne pozostają w kompetencji krajowej – ocenę etyczną przeprowadza komisja etyczna (w Polsce – komisja bioetyczna) zgodnie z prawem zainteresowanego państwa członkowskiego, ale z uwzględnieniem terminów i procedur określonych w rozporządzeniu nr 536/2014.
- **Jedna platforma komunikacji dla sponsora.** Na poziomie UE będzie prowadzony specjalny portal stanowiący jeden punkt, za pośrednictwem którego przekazywane będą dane i decyzje dotyczące badań klinicznych (portal UE).
- **Jedna dokumentacja.** Sponsor składa przez portal UE jedną dokumentację wniosku wszystkim państwom członkowskim, w których zamierza prowadzić badanie („państwom zainteresowanym”); zakres dokumentacji został wskazany w załączniku do rozporządzenia nr 536/2014.
- **Jedno pozwolenie/jedna decyzja.** Pozwolenie na prowadzenie badania klinicznego powinno być zawarte w jednej decyzji administracyjnej (wydanej przez każde zainteresowane państwo członkowskie), w której należy odnieść się do wszystkich kwestii związanych z ochroną uczestników oraz wiarygodnością i odpornością danych.
- **Jedna opłata.** W związku z oceną wniosku państwo członkowskie nie może wymagać wniesienia wielu opłat do różnych organów, zaangażowanych w danym państwie członkowskim w ocenę wniosku o pozwolenie na badanie kliniczne.
- **Jeden punkt kontaktowy.** Niezależnie od liczby organów zaangażowanych w wydawanie pozwolenia w danym państwie członkowskim, każde państwo wyznacza jeden punkt kontaktowy.

Wprowadzono nowe regulacje dotyczące badań klinicznych, istotne głównie z perspektywy pacjenta

Inne ważne zmiany, związane z prowadzeniem badań klinicznych

Oprócz kwestii dotyczących procedury uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne rozporządzenie nr 536/2014 reguluje szereg poniższych zagadnień związanych z prowadzeniem badań klinicznych.

- **Publicznie dostępny portal UE i baza danych UE.** Rozporządzenie nr 536/2014 przewiduje utworzenie rozwiązań informatycznych służących do przekazywania oraz przechowywania danych i informacji dotyczących badań klinicznych. Mowa tu o publicznie dostępnym portalu UE oraz bazie danych UE. Narzędzia te będą służyły do komunikacji między sponsorem a zainteresowanymi państwami członkowskimi, w tym do składania dokumentów niezbędnych do zainicjowania badania klinicznego. Rozwiązania te będą również dostępne dla obywateli UE – umożliwią im dostęp do informacji o planowanych, prowadzonych i zakończonych badaniach klinicznych, a także o ich wynikach. Format przechowywania danych ma zapewnić ich łatwe wyszukiwanie i przeglądanie. Streszczenie wyników badania klinicznego oraz streszczenie opracowane w formie zrozumiałej dla osoby nie posiadającej wiedzy fachowej będą również udostępniane w bazie danych UE (istnieje obowiązek poinformowania o tym fakcie uczestnika badania klinicznego wraz z podaniem terminu udostępnienia).
- **Modyfikacje w zakresie ochrony uczestników badań klinicznych.** Rozporządzenie nr 536/2014 wprowadza pewne modyfikacje (rozszerzenie) co do zakresu informacji, które muszą być przekazywane uczestnikom przed uzyskaniem od nich świadomej zgody (wola udziału w konkretnym badaniu klinicznym, po uzyskaniu informacji o wszystkich aspektach badania, które mają znaczenie dla decyzji uczestnika o udziale). Wymienione rozporządzenie wprowadza szczególne regulacje co do możliwości przeprowadzenia badania klinicznego z udziałem kobiet ciężarnych i karmiących piersią. Obecnie polskie regulacje w tym zakresie nie były jednoznaczne, zwłaszcza w zakresie eksperymentów badawczych (badań klinicznych przeprowadzanych dla poszerzenia wiedzy medycznej, tj. dla korzyści danej populacji, a nie konkretnego uczestnika badania klinicznego).
- **Nowe zasady uzyskiwania świadomej zgody w sposób uproszczony oraz w sytuacjach nagłych.** Rozporządzenie nr 536/2014 wprowadza możliwość uzyskania świadomej zgody na udział w badaniu klinicznym w sposób uproszczony oraz zasady uzyskiwania świadomej zgody w sytuacjach nagłych.
- **Zasady gratyfikacji i rekompensaty kosztów dla uczestników badania klinicznego.** Obecnie, na gruncie polskich przepisów, gratyfikacja finansowa za udział w badaniu klinicznym może być udzielona wyłącznie osobom zdrowym i pełnoletnim, które są w stanie samodzielnie wyrazić świadomą zgodę. Natomiast w przypadku innych kategorii osób (pełnoletni chorzy, małoletni, ubezwłasnowolnieni, niezdolni do wyrażenia świadomej zgody) możliwa jest wyłącznie rekompensata poniesionych kosztów. Dla ww. szczególnych grup uczestników oraz ich przedstawicieli rozporządzenie nr 536/2014 wprowadza możliwość szerszej rekompensaty, obejmującej również kwotę utraconych zarobków. Jednocześnie jednak w rozporządzeniu nr 536/2014 określono, że badanie można prowadzić, jeżeli na uczestników nie jest wywierany niepożądany wpływ, w tym wpływ o charakterze finansowym w celu skłonienia ich do udziału w badaniu klinicznym. Zapis ten stawia pod znakiem zapytania istniejącą obecnie w Polsce możliwość wypłaty gratyfikacji za udział w badaniu klinicznym wczesnej fazy zdrowym ochotnikom.
- **Współsponsorowanie.** Rozporządzenie nr 536/2014 wprowadza możliwość prowadzenia badania klinicznego przez kilku sponsorów.
- **Regulacje dla badań niekomercyjnych.** Zgodnie z rozporządzeniem nr 536/2014 zasady prowadzenia badań klinicznych, restrykcje i wymogi związane z uzyskiwaniem pozwolenia na prowadzenie komercyjnych i niekomercyjnych badań klinicznych są tożsame. Niemniej jednak rozporządzenie nr 536/2014 zawiera ogólną wskazówkę co do preferowanego stosunku państw członkowskich UE do badań niekomercyjnych:

„Aby w sposób maksymalny wykorzystać wartościowy wkład sponsorów niekomercyjnych oraz aby nadal zachęcać ich do prowadzenia badań naukowych, państwa członkowskie powinny podejmować środki w celu wspierania badań klinicznych prowadzonych przez tych sponsorów, co jednak nie powinno odbywać się kosztem jakości badań klinicznych”.

Tiret (81) rozporządzenia nr 536/2014

Rozporządzenie zmienia zasady gratyfikacji i rekompensaty kosztów dla uczestnika badania klinicznego

Rozporządzenie nr 536/2014 potwierdza konieczność wsparcia rozwoju niekomercyjnych badań klinicznych

Właściwie jedynym ograniczeniem wymogów formalnych, jakie przewiduje rozporządzenie nr 536/2014 dla badań niekomercyjnych, jest brak konieczności tworzenia i przekazywania do portalu UE sprawozdania z badania (oprócz streszczenia wyników badania i opracowania streszczenia dla osób nie posiadających wiedzy fachowej); ten wymóg dotyczy bowiem wyłącznie sponsorów badań, których celem jest rejestracja nowego leku.

Niemniej jednak rozporządzenie nr 536/2014 pozwala na ustalenie dla sponsorów niekomercyjnych niższych opłat związanych z procedurami przewidzianymi w rozporządzeniu nr 536/2014, w tym dopuszcza się wprowadzenie zwolnienia z ewentualnych opłat związanych z inspekcjami.

*Rozporządzenie nr 536/2014
pozostawia szereg istotnych
kwestii do regulacji
na poziomie krajowym*

Obszary pozostawione do kompetencji krajowej

Rozporządzenie nr 536/2014 stwarza jednolite ramy prawne uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne i prowadzenia badania klinicznego. Niemniej jednak nie ma charakteru wyczerpującego, ponieważ szereg kwestii pozostawia do „doregulowania” na poziomie krajowym. Wśród nich znajdują się w szczególności poniższe zagadnienia.

- **Organ kompetentny i punkt kontaktowy.** Określenie krajowego organu kompetentnego właściwego do naukowej oceny wniosków o pozwolenie na badanie kliniczne, jego organizacja oraz wskazanie jednego punktu kontaktowego w kraju członkowskim. Do kompetencji krajowej należy też utworzenie zasad dalszego przekazywania informacji organom zaangażowanym w procedury wynikające z rozporządzenia nr 536/2014.
- **System oceny etycznej.** Organizacja systemu oceny etycznej w zakresie badań klinicznych (ocena wniosków o pozwolenie na badanie kliniczne, o wprowadzenie istotnej zmiany, opiniowanie zdarzeń niepożądanych itp.), w tym wskazanie organów zaangażowanych w taką ocenę, procedur i zakresu oceny, z uwzględnieniem udziału organizacji pacjentów.
- **Świadoma zgoda.** Zasady uzupełniające regulacje rozporządzenia nr 536/2014 w zakresie: uzyskiwania świadomej zgody pacjenta na udział w badaniu klinicznym (w tym wyznaczanie przedstawiciela ustawowego, definicji małoletniego, uczestnika niezdolnego do wyrażenia zgody, zasad uwzględniania zgody małoletniego) i bezpieczeństwa uczestników badania (określenie osoby uprawnionej do udzielenia informacji o badaniu klinicznym i przeprowadzenia rozmowy wstępnej, wskazanie populacji, w których nie jest dopuszczalne prowadzenie badań klinicznych, szczególnych środków ochrony dla osób będących w sytuacji podporządkowania (np. więźniowie).
- **Niezależność oceny.** Zapewnienie niezależności osób oceniających wnioski oraz dokumentację.
- **Opłaty.** Ustalanie wysokości i zasad poboru opłaty/opłat w postępowaniu o uzyskanie pozwolenia na badanie kliniczne.
- **Odpowiedzialność cywilna i karna.** Zasady odpowiedzialności cywilnej i karnej (sankcji) sponsora, badacza, a potencjalnie również ośrodka badawczego za szkody wyrządzone w wyniku prowadzenia badania klinicznego.
- **System ubezpieczeń.** Utworzenie i ustalenie zasad funkcjonowania systemu ubezpieczeń w badaniach klinicznych, w zakresie odszkodowań za szkody poniesione przez uczestnika w związku z udziałem w badaniu klinicznym.
- **Wsparcie dla badań niekomercyjnych.** System finansowania, ubezpieczenia i wnoszenia opłat w przypadku badań niekomercyjnych.

Przewidywane skutki wejścia w życie rozporządzenia nr 536/2014

Kluczową zmianą z perspektywy pacjenta jest szerszy dostęp do informacji o badaniach klinicznych

Analiza potencjalnego wpływu przepisów rozporządzenia nr 536/2014 na poszczególnych uczestników rynku badań klinicznych w Polsce

Pacjent

Rozporządzenie nr 536/2014 wskazuje jednoznacznie, że w badaniu klinicznym należy chronić prawa, bezpieczeństwo, godność i dobrostan uczestników, a interesy uczestników zawsze powinny być nadrzędne wobec wszystkich innych interesów – jest to wartość nadrzędna.

Z perspektywy uczestnika badania klinicznego bardzo ważne jest planowane stworzenie portalu UE i bazy danych. Dzięki tym rozwiązaniom dużo łatwiej niż obecnie będzie można uzyskać informacje o planowanych, trwających i zakończonych badaniach klinicznych oraz ich wynikach. Może mieć to pozytywny wpływ na świadomość pacjentów w kwestii prowadzonych badań klinicznych.

Niewątpliwym efektem stosowania rozporządzenia nr 536/2014 będzie zwiększenie udziału pacjentów w opiniowaniu badań klinicznych – ww. rozporządzenie zapewnia konieczność udziału w komisjach bioetycznych przedstawicieli organizacji pacjentów.

Rozporządzenie wprowadza możliwość uzyskania szerszej rekompensaty przez uczestników badań klinicznych – nie tylko zwrotu kosztów z tytułu uczestnictwa w badaniu klinicznym, ale również zwrotu utraconych zarobków (także przez przedstawicieli ustawowych uczestników należących do szczególnie wrażliwych grup).

Wprowadzenie możliwości uzyskiwania zgody następczej w sytuacjach nagłych pozwala na stosowanie innowacyjnych terapii w schorzeniach o trudnym do przewidzenia biegu oraz takich, gdy potencjalny uczestnik – ze względu na swój stan – nie jest w stanie wyrazić świadomej zgody, jak może mieć to miejsce w przypadku udaru mózgu, zawału mięśnia sercowego czy urazu wielonarządowego. W obecnym kształcie wyrażenie świadomej zgody w sytuacjach nagłych może być zastąpione przez zgodę sądu opiekuńczego, co praktycznie uniemożliwia prowadzenie badań w takich przypadkach.

Badacz

Rozporządzenie nr 536/2014 poszerza aktualnie obowiązujący zakres informacji, jakie badacz musi przedstawić potencjalnemu uczestnikowi badania klinicznego przed uzyskaniem jego zgody.

Jednocześnie jednak wprowadzenie ułatwień w kwestii prowadzenia badań klinicznych o niskim stopniu interwencji (dotyczących leków już zarejestrowanych i stosowanych zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego) może przyczynić się do aktywizacji badaczy pochodzących ze środowiska naukowego oraz zwiększenia liczby niekomercyjnych badań klinicznych (badacz jako sponsor badania niekomercyjnego).

W przypadku badaczy – sponsorów badań niekomercyjnych, zwiększenie transparentności danych i wyników badań klinicznych może ułatwić ich późniejsze wykorzystanie do celów zaprojektowania nowego niekomercyjnego badania klinicznego.

Ośrodek badawczy

Ze względu na brak jednoznacznego uregulowania w rozporządzeniu nr 536/2014 zagadnień identyfikowanych obecnie jako problematyczne, tj. w szczególności (i) kwestii obowiązku przedkładania przez sponsora wraz z wnioskiem umów dotyczących badania klinicznego, podpisanych z badaczem i ośrodkiem oraz (ii) relacji między ośrodkiem badawczym a badaczem – w tym zakresie będą miały znaczenie przede wszystkim wprowadzone regulacje okołorozporządzeniowe oraz praktyka i relacje między uczestnikami rynku badań klinicznych.

Uproszczenie i ujednoczenie obowiązków administracyjnych to główna zachęta dla sponsorów, aby prowadzić badania kliniczne w Europie

Sponsor/CRO (w tym sponsor badań komercyjnych: krajowych i międzynarodowych oraz badań niekomercyjnych)

W kontekście obowiązków administracyjnych sponsorów i CRO regulacje rozporządzenia nr 536/2014 z pewnością przyczynią się do ich uproszczenia i ujednoczenia, przede wszystkim w zakresie uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne (jeden punkt kontaktowy, jedna platforma komunikacji, jedna dokumentacja, jedna opłata itd.), wprowadzenie do protokołu badania klinicznego istotnej zmiany, zasad zgłaszania SUSARs, warunków uzyskiwania świadomej zgody.

Rezultatem powyższego może być skrócenie czasu potrzebnego na rozpoczęcie badania oraz zwiększenie przewidywalności procesu uzyskiwania pozwolenia na badania kliniczne, a w konsekwencji również obniżenie kosztów prowadzenia badania klinicznego związanych z procesem administracyjnym.

Efektom może być zachęcenie sponsorów do prowadzenia większej liczby badań w Unii Europejskiej, a przede wszystkim stworzenie jednego systemu reguł prawnych dla wszystkich krajów członkowskich umożliwiających prowadzenie badań klinicznych z udziałem całej populacji UE w oparciu o jeden system prawny (w ten sposób UE może konkurować o zainteresowanie sponsorów np. z Chinami i innymi dużymi państwami azjatyckimi).

Jednocześnie skutkiem wejścia w życie rozporządzenia nr 536/2014 będzie doprecyzowanie (bezpośrednio w rozporządzeniu nr 536/2014 lub poprzez delegację dla ustawodawcy krajowego) wielu kwestii budzących wątpliwości i/lub w stosunku do których organy różnych krajów członkowskich przyjmowały odmienne interpretacje (m.in. zagadnienie istotnej zmiany, różnice między badanym produktem leczniczym a inną substancją stosowaną w badaniu klinicznym, zasady wytwarzania, importu i oznakowania badanego produktu leczniczego).

Rozporządzenie nr 536/2014 wprowadza możliwość współsponsorowania badania klinicznego. Rozwiązanie to może dać impuls do aktywizacji i współpracy środowisk naukowych w zakresie prowadzenia badań klinicznych, w szczególności poprzez partycypację w kosztach badania, a także wykorzystanie wspólnych zasobów (m.in. kadrowych, laboratoryjnych itd.).

Obecny model funkcjonowania oceny etycznej w Polsce wymaga gruntownej przebudowy

Komisja bioetyczna

Rozporządzenie nr 536/2014 potwierdza, że ocena etyczna badania klinicznego jest tak samo istotna jak jego ocena naukowa.

Stosowanie przepisów rozporządzenia nr 536/2014 wymaga przeorganizowania obecnego systemu funkcjonowania komisji bioetycznych w Polsce, aby terminy i procedury przeprowadzania oceny przez ww. organy były zgodne z terminami i procedurami określonymi w rozporządzeniu nr 536/2014 w odniesieniu do oceny wniosku o pozwolenie na badanie kliniczne.

Jednocześnie analogicznie jak w przypadku URPL, z perspektywy komisji bioetycznych, stosowanie rozporządzenia nr 536/2014 oznacza diametralną zmianę podstaw prawnych w oparciu, o które działają ww. organy, w szczególności w zakresie oceny etycznej badania klinicznego, wprowadzenia do protokołu badania klinicznego istotnej zmiany, zgłaszanych SUSARs.

W praktyce oznacza to konieczność przeprowadzenia szkoleń dla członków komisji bioetycznych i wprowadzenia nowych wewnętrznych procedur postępowania.

Opinia komisji bioetycznych będzie miała kluczowe znaczenie, w przypadku gdy zdaniem URPL wskazana byłaby odmowa wydania pozwolenia na badanie kliniczne. Na gruncie nowych regulacji będzie to jeden z niewielu sposobów zablokowania badania klinicznego, które spełnia wymogi prawne. Z tego względu szczególnie istotne jest zabezpieczenie procesu wydawania opinii etycznych pod względem terminów przewidzianych w rozporządzeniu nr 536/2014.

Rozporządzenie wprowadza zasadę jednej opłaty od wniosku o wydanie pozwolenia na badanie kliniczne. Zasady podziału kwoty pochodzącej z opłat pomiędzy URPL a komisje bioetyczne wymagają uregulowania. Przyjęcie zasad podziału ww. kwoty na poziomie centralnym będzie oznaczało brak możliwości ustalania opłat odrębnie, w odmiennej wysokości przez różne komisje bioetyczne.

Organ regulacyjny (w Polsce najprawdopodobniej URPL)

Z perspektywy krajowego organu oceny naukowej badania klinicznego (w Polsce – zgodnie z deklaracjami Ministerstwa Zdrowia – będzie to URPL) stosowanie rozporządzenia nr 536/2014 oznacza diametralną zmianę podstaw prawnych w oparciu, o które działa ww. organ, w szczególności w zakresie wydawania pozwolenia na badanie kliniczne, wprowadzenia do protokołu badania klinicznego istotnej zmiany, zasad zgłaszania SUSARs, warunków uzyskiwania świadomej zgody.

Z rozporządzenia nr 536/2014 wynikają również nowe obowiązki dla URPL, w szczególności konieczność ścisłej kooperacji z organami innych krajów członkowskich Unii Europejskiej, szybkiego reagowania na ich zapytania oraz aktywny udział w procesie wydawania pozwolenia na badanie kliniczne.

Jednocześnie nowe regulacje w pewnym zakresie ograniczają uprawnienia URPL w porównaniu do stanu obecnego (m.in. brak możliwości żądania dodatkowej dokumentacji badania klinicznego wynikający z ww. rozporządzenia).

Ze względu na powyższe niezbędne będzie wprowadzenie w URPL nowych wewnętrznych procedur postępowania, uwzględniających wynikające z rozporządzenia nr 536/2014 zasady prowadzenia postępowania, uprawnienia organu i terminy przewidziane na działanie ww. organu.

W praktyce oznacza to również konieczność przeprowadzenia szkoleń dla pracowników, weryfikacji zakresu ich obowiązków oraz liczby stanowisk pracy.

Przygotowanie do stosowania przepisów rozporządzenia nr 536/2014 będzie dużym wyzwaniem dla krajowego ustawodawcy i organów administracji publicznej

Państwo (ustawodawca, organy administracji publicznej, gospodarka, system ochrony zdrowia etc.)

Jednym z kluczowych pozytywnych skutków ujednoczenia procedury i terminów wydawania pozwoleń oraz prowadzenia badań klinicznych we wszystkich krajach Unii Europejskiej i – w efekcie – obowiązywania podobnych zasad prawnych na całym tym obszarze może być wzrost konkurencyjności (atrakcyjności) Unii Europejskiej dla sponsorów.

Niewątpliwie Polska jako kraj o istotnym i niewykorzystanym potencjale może na tym skorzystać; niemniej jednak warunkiem wykorzystania tej szansy jest posiadanie wachlarza argumentów, które pozwoliłyby Polsce skutecznie rywalizować z innymi krajami UE i stać się krajem, który sponsorzy wybierają na miejsce prowadzenia badań klinicznych (swoich inwestycji).

Rozporządzenie nr 536/2014 wymaga od państw członkowskich wprowadzenia regulacji prawnych, które umożliwią funkcjonowanie nowego systemu (np. ustalenie zasad funkcjonowania i finansowania komisji bioetycznych).

Jednocześnie należy mieć świadomość, że naruszenie terminów proceduralnych może wiązać się z pewnym ryzykiem, zwłaszcza po stronie pacjentów. W najgorszym wypadku sytuacja ta może wiązać się z koniecznością wydania pozwolenia na badanie kliniczne także przy negatywnej konkluzji w zakresie części II sprawozdania z oceny (brak spełniania wymogów prawa np. w zakresie świadomej zgody, kwalifikacji personelu czy ochrony danych osobowych) bądź negatywnej opinii komisji bioetycznej. Mowa o naruszeniu terminu na przekazanie sponsorowi decyzji, czy wydaje pozwolenie na badanie kliniczne czy odmawia wydania takiego pozwolenia (dotyczy to sytuacji, gdy badanie kliniczne zostało uznane za dopuszczalne na podstawie części I sprawozdania z oceny).

To od działań legislacyjnych polskiego ustawodawcy zależy, czy Polska wykorzysta szansę na poprawę stanu polskiego rynku badań klinicznych czy też – w wyniku tych działań – powstaną nowe bariery.

Wykorzystanie szansy do zmiany stanu rynku badań klinicznych w Polsce będzie zależało od krajowego prawodawcy

W gestii polskiego prawodawcy jest również podjęcie dodatkowych działań legislacyjnych, wykraczających poza zakres rozporządzenia nr 536/2014 i delegacji tam zawartych, które mogłyby stworzyć w Polsce przyjazny klimat dla badań klinicznych i zwiększyć konkurencyjność oraz atrakcyjność Polski jako miejsca prowadzenia badań klinicznych.

Wprowadzenie takich dodatkowych rozwiązań mogłoby pozwolić na pozytywne odróżnienie Polski od innych krajów unijnych, wprowadzających tylko plan minimum (tj. regulacje wymagane rozporządzeniem nr 536/2014), a także zmianę postrzegania Polski (tj. ugruntowanie opinii o Polsce jako kraju przyjaznego badaniom klinicznym, mającego wiele do zaoferowania). Wszystko to powinno w efekcie powodować zwiększenie liczby prowadzonych w Polsce badań klinicznych.

W rezultacie to od kształtu i zakresu działań legislacyjnych podjętych przez legislatora zależy przyszły stan polskiego rynku badań klinicznych, a w efekcie również stopień innowacyjności polskiej gospodarki.

Dodatkowo, aby umożliwić efektywną i skuteczną współpracę między państwami członkowskimi oraz w celu ułatwienia funkcjonowania procedur określonych w rozdziałach II (procedura wydawania pozwolenia na badanie kliniczne) i III (procedura wydawania pozwolenia na istotną zmianę badania klinicznego), każde państwo członkowskie powinno wyznaczyć jeden punkt kontaktowy. Polska zgłosiła do tej roli Ministerstwo Zdrowia.

Przyjąć należy, iż stało się tak ze względu na rolę, jaką Ministerstwo Zdrowia odgrywa w zakresie kształtowania polityki zdrowotnej państwa. Pojawia się jednak pytanie o zasadność takiej decyzji i potencjalne opóźnienia w ramach ww. procedur, z uwagi na fakt, że będzie w nie zaangażowany inny organ, tj. URPL.

Brak działań dostosowawczych po wdrożeniu rozporządzenia może zmniejszyć atrakcyjność polskiego rynku badań klinicznych

Skutki ewentualnych zaniechań oraz szansa na sukces

Wdrożenie rozporządzenia nr 536/2014 do polskiego systemu prawnego, bez niezbędnych działań dostosowawczych w obszarach pozostających poza jego zakresem, oznaczać będzie istotne pogorszenie sytuacji podmiotów operujących na rynku badań klinicznych.

Z punktu widzenia osób decydujących o prowadzeniu w naszym kraju badań klinicznych niektóre czynniki mogą spowodować, że Polska znajdzie się na końcu listy krajów atrakcyjnych do prowadzenia tego rodzaju działalności. Do czynników tych należą: brak przejrzystości procesów, rozwlekłość i nieprzewidywalność wyniku postępowań oraz niejasny podział kompetencji administracyjnych, które mogą wynikać z zaniechania podjęcia działań dostosowawczych.

Może to oznaczać nie tylko utrwalenie tendencji spadkowej dotyczącej liczby badań klinicznych prowadzonych na terenie naszego kraju, lecz także dalsze zwiększenie jej dynamiki (co w efekcie może doprowadzić do dalszego spadku atrakcyjności rynku w Polsce – mniejsza liczba badań oznacza m.in. mniejsze doświadczenie badaczy, konieczność dodatkowych szkoleń uaktualniających wiedzę itp.)

Z drugiej strony uznać należy, iż rozporządzenie nr 536/2014 stwarza okazję i bodźce do uporządkowania sytuacji panującej w obszarze badań klinicznych. Wymuszając konieczność dokładnego przeanalizowania skali i zakresu niezbędnych działań dostosowawczych, oferuje przy okazji unikalną możliwość zaangażowania wszystkich uczestników rynku w proces ich opracowywania i późniejszego wdrażania. Podejście takie nie tylko ułatwiłoby identyfikację obszarów wymagających interwencji prawodawcy, lecz co więcej – zapewniłoby, iż żadna z istotnych kwestii stanowiących bariery w rozwoju rynku nie zostanie pominięta. Z drugiej strony uatrakcyjnienie wizerunku Polski jako miejsca prowadzenia badań klinicznych będzie możliwe tylko dzięki aktywnemu udziałowi wszystkich interesariuszy tego obszaru w procesie tworzenia nowych rozwiązań.

Co więcej, ambicją Polski powinno być uczynienie z niej regionalnego centrum, nadzorującego prowadzenie badań klinicznych w krajach sąsiadujących. Powodem tego są chociażby uwarunkowania geograficzne i demograficzne oraz fakt, iż firmy międzynarodowe często lokują tu ponadnarodowe ośrodki decyzyjne. Realizacja takiego celu jest jednak możliwa jedynie w przypadku podjęcia przez wszystkich zaangażowanych interesariuszy świadomych działań nacelowanych na zmianę istniejącego wokół badań klinicznych klimatu, stworzenie podstaw prawnych do swobodnego rozwoju rynku oraz zaoferowanie potencjalnym inwestorom systemu zachęt (np. podatkowych) czyniących z Polski kraj wyróżniający się atrakcyjnością na tle naszych sąsiadów.

Warto podkreślić, iż nawet przy braku podjęcia opisanych powyżej skoordynowanych działań, tak długo jak efekt rozporządzenia nr 536/2014 w zakresie ujednoczenia procedury uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne nie zostanie zniweczony poprzez regulacje pozostawione do kompetencji krajowej lub niekorzystne interpretacje, Polska ze względu na dużą populację, wykształconą kadrę badaczy, ośrodki badawcze dobrze przygotowane do prowadzenia badań klinicznych oraz wciąż jeszcze niższe koszty prowadzenia badania klinicznego niż na zachodzie Europy – wciąż może stać się atrakcyjnym miejscem prowadzenia badań klinicznych.

Polska ma realną szansę, aby skorzystać na wprowadzeniu rozporządzenia nr 536/2014

3.



Jak wykorzystać potencjał Polski w dziedzinie badań klinicznych

Szansa na zmianę stanu rynku badań klinicznych w Polsce

Potrzebna jest kompleksowa analiza skali i zakresu niezbędnych dostosowań oraz strategii wykorzystania szansy, jaką daje Polsce rozporządzenie nr 536/2014

Rozporządzenie nr 536/2014 niewątpliwie stanowi nową jakość w obszarze regulacji prawnych dotyczących badań klinicznych – ujednolica, doprecyzowuje i harmonizuje we wszystkich państwach członkowskich szereg istotnych zagadnień w zakresie badań klinicznych. Niemniej jednak należy mieć świadomość, że ww. rozporządzenie nie stanowi regulacji wyczerpującej – pewne kwestie pozostawia do regulacji krajowej, a pewnych nie reguluje w ogóle.

Poza zakresem rozporządzenia nr 536/2014, ze swojej natury, pozostają zagadnienia z obszaru interpretacji prawa i praktyki, w tym w szczególności relacje pomiędzy interesariuszami rynku i ich wzajemne postrzeganie. Rozporządzenie nr 536/2014 reguluje tylko pewien wycinek rzeczywistości badań klinicznych, w tym tylko część zagadnień prawnych, które składają się na środowisko funkcjonowania interesariuszy rynku badań klinicznych. Pozostawia do uregulowania na poziomie krajowym szereg kwestii istotnych dla obszaru badań klinicznych, w tym również te wskazywane obecnie w Polsce jako kluczowe bariery rozwoju rynku badań klinicznych.

Jedną z istotniejszych implikacji ww. aktu prawnego jest więc de facto stworzenie szansy na zmianę obecnego stanu rynku badań klinicznych w Polsce. Sytuacja ta stanowi doskonały pretekst do wysłuchania głosu interesariuszy rynku badań klinicznych i przyjęcia aktów prawnych (adresując zagadnienia pozostawione przez rozporządzenie nr 536/2014 do regulacji krajowej, jak i przyjmując dodatkowe rozwiązania – w zakresie zagadnień, których nie uregulowano w ww. rozporządzeniu), czyniących z Polski atrakcyjne miejsce do prowadzenia badań klinicznych.

Ze względu na to, że badania kliniczne są niezbędnym elementem procesu opracowywania nowych terapii i przynoszą wymierne korzyści dla pacjentów, systemu ochrony zdrowia, finansów publicznych i gospodarki, konieczna jest wielopłaszczyznowa współpraca pomiędzy uczestnikami rynku badań klinicznych w Polsce w celu maksymalizacji korzyści płynących z badań klinicznych.

Droga Polski do pełnego wykorzystania potencjału rozporządzenia nr 536/2014



Kierunki zmian postulowane przez uczestników polskiego rynku badań klinicznych

Rozporządzenie nr 536/2014 jest doskonałą okazją do weryfikacji i udoskonalenia zasad funkcjonowania rynku badań klinicznych w Polsce.

Kluczowe jest stworzenie podstaw do stabilnego rozwoju badań klinicznych, który jest możliwy pod warunkiem zapewnienia bezpieczeństwa uczestnikom tych badań i zacieśnienia współpracy między podmiotami i instytucjami działającymi w tym obszarze.

Główna, zidentyfikowana obecnie bariera rozwoju rynku badań klinicznych to wymóg przedkładania wraz z wnioskiem o pozwolenie na prowadzenie badania klinicznego podpisanych umów z ośrodkiem badawczym i badaczem, stąd okres przygotowawczy przed złożeniem wniosku o pozwolenie na prowadzenie badania klinicznego jest w Polsce dłuższy o czas niezbędny na przeprowadzenie negocjacji. Obecnie w Polsce negocjacje umów, często z kluczowymi dla badania dużymi podmiotami leczniczymi, trwają od kilku do kilkunastu miesięcy. W załączniku nr 1 do rozporządzenia nr 536/2014, zawierającym wykaz dokumentów, które należy przedłożyć wraz z wnioskiem o wydanie pozwolenia na badanie kliniczne, wskazano informacje na temat transakcji finansowych oraz rekompensat wypłacanych uczestnikom i badaczom/ośrodkom za udział w badaniu klinicznym, a także opis wszelkich innych umów między sponsorem a ośrodkiem. Rozporządzenie nr 536/2014 nie wprowadza bezpośrednio wymogu przedłożenia podpisanych umów z badaczem i ośrodkiem umowy, natomiast nie jest jasne, co należy rozumieć przez pojęcie „opis umów” – w tym zakresie kluczowa będzie przyjęta interpretacja przepisów ww. rozporządzenia.

Dostęp do leku po badaniu i procedura *compassionate use*

Dla pacjenta ważny jest dostęp do skutecznej, innowacyjnej terapii po zakończeniu badania

- Zapewnienie pacjentowi dostępu do leku po zakończeniu badania klinicznego – możliwość kontynuacji skutecznej terapii po zakończeniu badania klinicznego;
- Wprowadzenie instrumentów finansowania innowacyjnych produktów leczniczych po zakończeniu badania klinicznego;
- Wprowadzenie możliwości objęcia refundacją leku dla pacjenta, który odniósł korzyść terapeutyczną w związku z uczestnictwem w zakończonym już badaniu klinicznym;
- Wprowadzenie *compassionate use*, tj. procedury pozwalającej na stosowanie leku przed jego zarejestrowaniem. Rozwiązanie to dedykowane jest pacjentom o szczególnych potrzebach terapeutycznych oraz tym, którzy nie mogli wziąć udziału w badaniach klinicznych;
- Likwidacja barier podatkowych związanych z nieodpłatnym przekazaniem leku przez sponsora, w tym wprowadzenie zwolnienia z opodatkowania przychodu uzyskanego przez pacjenta w związku z nieodpłatnym przekazaniem leku;
- Zwiększenie ochrony pacjenta;
- Dostęp do leku po zakończeniu badania klinicznego oraz procedura *compassionate use* zostały już wprowadzone w wielu krajach Unii Europejskiej, m.in. w Niemczech, Francji i we Włoszech.

Powinny być ustalone jasne zasady udzielania rekompensat i gratyfikacji

Gratyfikacje i rekompensaty

- Wprowadzenie możliwości dokonywania gratyfikacji za uczestnictwo w badaniu dla chorych i zdrowych pacjentów, którzy nie odnoszą korzyści terapeutycznej (badania I fazy, badania biorównoważności);
- Ustawowe określenie katalogu podmiotów uprawnionych do uzyskiwania rekompensaty za utracone zarobki;
- Zwolnienie z opodatkowania środków stanowiących rekompensatę kosztów poniesionych w związku z udziałem w badaniu klinicznym.

Konieczny jest łatwy dostęp pacjenta do wiedzy na temat innowacyjnych terapii i zasad prowadzenia badań klinicznych

Dostęp do informacji o badaniach klinicznych

- Zwiększenie dostępu pacjenta do informacji na temat możliwości wzięcia udziału w innowacyjnej terapii;
- Stworzenie publicznej niezależnej platformy informacyjnej dla pacjenta na temat prowadzonych w Polsce badań klinicznych. Koordynatorem projektu powinien być niezależny organ dysponujący autorytetem i zaufaniem społecznym (w Polsce np. URPL lub MZ);
- Publiczna platforma wiedzy o badaniach klinicznych mogłaby stanowić narzędzie do wstępnego kwalifikowania do poszczególnych badań klinicznych. W obecnym stanie prawnym brak jest takiej możliwości ze względu na uregulowania dotyczące ochrony danych osobowych;
- Stworzenie kampanii informacyjnej dla pacjenta dającej możliwość uzyskania podstawowej wiedzy na temat badań klinicznych (prawa uczestników, kwestie odszkodowania i odpowiedzialności, korzyści płynące z udziału w badaniach klinicznych) oraz zmierzającej do poprawy postrzegania badań klinicznych.

Sprawniejsze funkcjonowanie systemu oceny etycznej i lepsza ochrona pacjenta są niezbędne

System oceny etycznej

- Utworzenie sprawnie działającej struktury komisji bioetycznych, która umożliwi wydawanie opinii o badaniu klinicznym w terminach określonych rozporządzeniem nr 536/2014;
- Zwiększenie transparentności funkcjonowania i finansowania komisji bioetycznych oraz niezależności jej członków;
- Zapewnienie wysokiej jakości ochrony uczestników badań klinicznych poprzez:
 - zaangażowanie do udziału w komisjach bioetycznych ekspertów będących jednocześnie praktykami oraz prawników i przedstawicieli pacjentów,
 - organizacja obowiązkowych szkoleń dla członków komisji bioetycznych.

Powinna istnieć odpowiedzialność sponsora na zasadzie winy i ryzyka

Odpowiedzialność cywilna i system ubezpieczeń

- Zapewnienie uczestnikom badań klinicznych realnych możliwości uzyskania odszkodowania za szkody poniesione w związku z przeprowadzonym badaniem klinicznym;
- Wprowadzenie różnych kategorii ubezpieczeń odpowiednio dostosowanych do charakteru i skali ryzyka badania klinicznego, zgodnie z założeniami rozporządzenia nr 536/2014;
- Wprowadzenie odpowiedzialności sponsora częściowo na zasadzie ryzyka (szkody wyrządzone przez badany produkt leczniczy), a częściowo na zasadzie winy (inne szkody, np. wynikające z procedur wykonanych zgodnie z protokołem);
- Pozostawienie odpowiedzialności badacza i ośrodka badawczego na zasadzie winy. Stworzenie odpowiednich rozwiązań związanych z ubezpieczeniem samego uczestnika badań klinicznych.

Można rozważyć wprowadzenie funduszu ubezpieczeniowego dla uczestników biorących udział w badaniach klinicznych (takie rozwiązanie funkcjonuje np. w Danii, gdzie efektem utworzenia takiego funduszu przy rządzie było obniżenie kosztów ubezpieczenia oraz poprawa ochrony pacjentów).

Muszą być ustalone klarowne zasady podziału obowiązków finansowych sponsora badań komercyjnych i płatnika publicznego

Finansowanie świadczeń opieki zdrowotnej

- Zwiększenie transparentności zasad podziału obowiązków finansowych sponsora oraz płatnika publicznego za świadczenia opieki zdrowotnej udzielane w związku z badaniem klinicznym komercyjnym;
 - Zapobieganie sytuacjom, w których na sponsora badania klinicznego komercyjnego jest przerzucany ciężar finansowania świadczeń zdrowotnych gwarantowanych ze środków publicznych;
 - Wprowadzenie procedury odwoławczej dla sponsora badania klinicznego komercyjnego, kwestionującego faktyczny podział kosztów i możliwości odzyskania przez płatnika publicznego świadczeń, które powinien sfinansować sponsor.
- Rozwiązaniem do rozważenia może być wprowadzenie narodowego cennika dla procedur w badaniach klinicznych, ułatwiającego negocjacje umów (taki pomysł wdrożono w Wielkiej Brytanii).

Powinna istnieć pojedyncza opłata dla sponsora

Opłaty

- Pojedyncza opłata za dokonanie oceny naukowej i etycznej ustalona w jednoznaczny i przejrzysty sposób – opłata dla komisji bioetycznej powinna być w kalkulowana w tę jedną opłatę;
- Wysokość opłaty powinna być określona w powiązaniu z poziomem faktycznie poniesionych kosztów oraz nakładem pracy podczas przeprowadzania oceny.

Trzeba stworzyć sprzyjające warunki do prowadzenia niekomercyjnych badań klinicznych...

Wsparcie dla badań niekomercyjnych

- Zmniejszenie barier administracyjnych;
- Zapewnienie badaczom niezbędnych szkoleń i wsparcia merytorycznego w zakresie projektowania badania klinicznego i uzyskiwania pozwolenia;
- Redukcja obciążeń finansowych związanych z rozpoczęciem badania (opłaty urzędowe, ubezpieczenie);
- Stworzenie źródeł wspierających prowadzenie niekomercyjnych badań klinicznych z finansowego punktu widzenia (analogicznie jak w przypadku programów StrategMed i Innomed dopuszczających wspieranie badań komercyjnych);
- Ułatwienie podmiotom komercyjnym uczestnictwa w takich projektach i wprowadzenie ułatwień w zakresie dostarczania badanego leku.

...aby zachęcić sponsorów do prowadzenia badań w Polsce

Zachęty prawno-podatkowe i inwestycyjne

- Obecnie nie istnieją w Polsce tego rodzaju instrumenty dedykowane sponsorom badań klinicznych. Znaczenie tego typu rozwiązań jest bardzo istotne dla wypromowania Polski jako atrakcyjnego miejsca do prowadzenia badań klinicznych.

Zachęty prawno-finansowe występujące w innych krajach UE:

- Patent box – zespół regulacji prawno-podatkowych tworzących zachęty do prowadzenia działalności innowacyjnej (Wielka Brytania);
- Konkurs grantowy Biomedical Catalyst, skierowany do naukowców oraz małych i średnich przedsiębiorstw, których celem jest szybka komercjalizacja innowacyjnych rozwiązań; wygraną w konkursie są środki pieniężne (Wielka Brytania);
- Wprowadzenie systemu programów mających na celu niesienie wsparcia finansowanego na rzecz prowadzenia badań klinicznych (np. w Wielkiej Brytanii Research Programmes w ramach NIHR);
- Wprowadzenie grantów dla badań akademickich oraz wsparcie dla niekomercyjnych badań klinicznych ze środków publicznych (Włochy);
- Wprowadzenie ulg podatkowych na działalność badawczo-rozwojową (Węgry).

Wykorzystanie zagadnień nieuregulowanych w rozporządzeniu nr 536/2014

Warto korzystać z innych rozwiązań proponowanych przez uczestników rynku badań klinicznych

Opracowując regulacje krajowe, warto skorzystać z dorobku innych krajów członkowskich Unii Europejskiej.

Interesariusze rynku badań klinicznych – powołując się również na pozytywnie oceniane rozwiązania zagraniczne – wskazują poniżej na zagadnienia lub rozwiązania, które są ważne i warte wprowadzenia bądź doprecyzowania na gruncie polskich przepisów.

- **Utworzenie organu państwowego dbającego o rozwój i promocję badań klinicznych** (np. w Wielkiej Brytanii *National Institute for Health Research* – NIHR – jest instytucją państwową wspierającą rozwój badań klinicznych, w szczególności tych o znaczeniu międzynarodowym), w tym przeprowadzającego kampanie informacyjne dla pacjentów na temat badań klinicznych (np. w Wielkiej Brytanii była prowadzona kampania „OK to ask”, która miała na celu zwiększenie świadomości pacjentów w kwestii prowadzonych badań klinicznych, a także stworzenie pozytywnych warunków do zadawania pytań na ten temat).
- **Stworzenie platformy dialogu na płaszczyźnie sponsor – struktury państwowe** (np. w Wielkiej Brytanii działa *Ministerial Industry Strategy Group* – organ, w którym zasiadają jednocześnie przedstawiciele państwa oraz przemysłu farmaceutycznego; celem współpracy jest kreowanie środowiska atrakcyjnego z punktu widzenia podmiotów uczestniczących w badaniach klinicznych).
- **Wprowadzenie *Scientific advice* na poziomie krajowym**, tj. możliwości dialogu z Ministerstwem Zdrowia i/lub URPL przed złożeniem wniosku w zakresie kierunku badań klinicznych i rozwoju produktu leczniczego, warunków przeprowadzenia badania klinicznego. Takie rozwiązanie jest przewidywane m.in. w Wielkiej Brytanii oraz w Niemczech. W Wielkiej Brytanii ma ono formę wiążącej opinii wydawanej w wątpliwych kwestiach formalnych i merytorycznych, które mogą pojawić się podczas uzyskiwania pozwolenia na badanie kliniczne (tzw. *pre-approval*). *Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency* (MHRA) wydaje sponsorowi wiążące wskazówki co do kwestii objętych wątpliwościami, sponsor zaś ma gwarancję, że ustalony z organem sposób postępowania nie zostanie zakwestionowany.
- **Rozdział obowiązków badacza i ośrodka badawczego.** W rozporządzeniu nr 536/2014 nie zawarto żadnych regulacji w tym zakresie. W rezultacie nadal będą pojawiały się wątpliwości co do podziału funkcji, obowiązków i innych relacji między ośrodkiem a członkami zespołu badawczego.
- **Wstępna rekrutacja pacjentów do badania klinicznego.** W rozporządzeniu nr 536/2014 brak jest regulacji lub wskazówek w zakresie prowadzenia rekrutacji uczestników badania. Jednym ze zgłaszanych obecnie pomysłów na usprawnienie procesu rekrutacji i ułatwienie pacjentom wzięcia udziału w badaniu byłaby możliwość wstępnej weryfikacji za pośrednictwem np. ankiety umieszczonej na portalu internetowym. Odpowiadając na pytania, pacjent mógłby wstępnie zweryfikować, czy spełnia warunki brzegowe do udziału w badaniu.

4.



Wnioski i rekomendacje

Wnioski i rekomendacje

Wyzwania stojące przed systemem ochrony zdrowia wymagają innowacyjnych leków, których skuteczność i bezpieczeństwo muszą być potwierdzone w trakcie badań klinicznych

Systemy ochrony zdrowia na całym świecie stoją obecnie przed szeregiem wyzwań związanych z dynamicznymi procesami demograficznymi, epidemiologicznymi i ekonomicznymi zachodzącymi w skali globalnej. Starzejące się społeczeństwo wymagające zintensyfikowania opieki i dostosowania terapii, wzrost zachorowań na choroby cywilizacyjne, antybiotykooporność drobnoustrojów oraz intensywne poszukiwanie sposobów zmniejszenia kosztów opieki zdrowotnej związane z globalnym kryzysem – to tylko niektóre z obszarów spędzających sen z powiek osób odpowiedzialnych za ochronę zdrowia.

Oznacza to rosnące problemy dla coraz bardziej świadomych i zorganizowanych pacjentów, którzy oczekują lepszych, tańszych i bardziej skutecznych rozwiązań terapeutycznych. Odnosi się to w szczególności do leków, które pozostają najistotniejszym składnikiem większości terapii.

Aby skutecznie odpowiedzieć na wspomniane wyżej wyzwania, niezbędne są nowe, przełomowe i innowacyjne leki zapewniające zarówno wysoką skuteczność procesu terapeutycznego, jak i jego bezpieczeństwo oraz ekonomiczną efektywność. Celów tych nie da się osiągnąć bez skoordynowania i intensyfikacji działań wszystkich interesariuszy procesu opracowywania i wprowadzania do obrotu produktu leczniczego.

Odnosi się to w szczególności do etapu ww. procesu, jakim są badania kliniczne. Badania kliniczne wciąż pozostają bowiem najbardziej czasochłonnym, kosztownym i obciążonym najwyższym ryzykiem niepowodzenia elementem opracowywania nowych rozwiązań terapeutycznych. Z drugiej strony bez dokonywanej w ich trakcie wszechstronnej weryfikacji bezpieczeństwa, skuteczności i efektywności danego leku – nie jest możliwe zaoferowanie go pacjentom.

Podkreślić przy tym należy, iż już faza badań klinicznych nad danym lekiem oferuje wszystkim uczestnikom procesu szereg korzyści obejmujących w przypadku pacjenta m.in. dostęp do najnowocześniejszych rozwiązań terapeutycznych, podwyższony standard świadczeń oraz diagnostyki etc., zaś w przypadku badaczy – dostęp do najnowszej wiedzy medycznej i innowacyjnych standardów postępowania. Korzyści odnosi też płatnik.

Zwiększenie liczby badań nad nowymi lekami nie będzie możliwe bez wsparcia legislacyjnego

Trudno się zatem dziwić, iż uczestnicy rynku podejmują szereg działań zmierzających do zwiększenia liczby leków, nad którymi są prowadzone badania kliniczne. Jednocześnie starają się zoptymalizować i skrócić sam proces badań – tak aby jak najszerza grupa pacjentów uzyskała dostęp do innowacyjnej terapii, tak wcześnie, jak tylko to jest możliwe (czasem jak np. w Wielkiej Brytanii – nawet warunkowo, jeszcze w trakcie badania).

Działania tego rodzaju pozostaną jednak nieskuteczne bez aktywnego zaangażowania ustawodawcy i właściwych organów administracji publicznej. Zależność ta została dostrzeżona także przez prawodawcę unijnego, który zdecydował się na interwencję na rynku badań klinicznych w Europie i wydał rozporządzenie nr 536/2014, które poprzez unifikację wymogów, procesów i standardów rejestrowania i prowadzenia badań klinicznych w krajach UE ma w intencji autorów doprowadzić do zwiększenia liczby badań klinicznych prowadzonych (z korzyścią dla pacjentów i systemów opieki zdrowotnej) na terenie Unii Europejskiej.

Zmiany na europejskim rynku badań klinicznych wywołane rozporządzeniem wymagają podjęcia przez Polskę zdecydowanych działań dostosowawczych

Decydując się na formę rozporządzenia (to jest aktu prawnego nadrzędnego, nie wymagającego implementacji do systemów prawnych państw członkowskich), prawodawca unijny dał jasny sygnał, iż celem legislacji jest osiągnięcie jak najwyższego stopnia integracji rynku badań klinicznych w UE, w jak najkrótszym czasie. Z punktu widzenia państw członkowskich może to oznaczać istotny impuls dla dynamicznego rozwoju przedmiotowego rynku, a co za tym idzie – zapewnienia pacjentom dostępu do innowacyjnych leków w szerszym zakresie i na wcześniejszym etapie ich opracowywania.

To dobra wiadomość dla Polski, której rynek badań klinicznych przeżywał w ostatnich latach stagnację, a wysoki potencjał demograficzny i naukowy oraz istniejąca infrastruktura i zgromadzone doświadczenia nie były w pełni wykorzystywane (w porównaniu chociażby do krajów ościennych). Optymizm powinien być tym bardziej uzasadniony, iż głównymi barierami w rozwoju przedmiotowego rynku w Polsce były bariery o charakterze administracyjnym (np. zbyt rygorystyczne regulacje czy skomplikowane rutyny urzędnicze), które powinny zostać usunięte przez zharmonizowane na poziomie europejskim przepisy.

Niestety, bliższa analiza sytuacji, która zaistnieje po wejściu w życie nowego rozporządzenia, prowadzi do wniosku, iż nie rozwiąże ono automatycznie wszystkich występujących obecnie w Polsce problemów dotyczących badań klinicznych. Niezbędne bowiem będzie podjęcie przez polskiego ustawodawcę szeregu inicjatyw i działań, które dostosują te obszary funkcjonowania rynku badań klinicznych, które pozostają poza zakresem regulacji rozporządzenia nr 536/2014. Brak zdecydowanych działań w tym zakresie i poleganie wyłącznie na ww. rozporządzeniu nie tylko nie polepszy sytuacji naszego kraju w konkurencji o prowadzenie w Polsce jak największej liczby badań klinicznych, lecz – w obliczu unifikacji zasad na pozostałej części jednolitego rynku – może prowadzić wręcz do marginalizacji polskiego rynku i pomijania go w procesie podejmowania decyzji o prowadzeniu badań.

Ryzyko takie występuje w szczególności w następujących obszarach funkcjonowania badań klinicznych w Polsce, które wymagają natychmiastowej interwencji:

- wyłączenie z procesu rejestracji badania klinicznego obowiązku przedłożenia do oceny umów z badaczami i / lub ośrodkami badawczymi;
- ułatwienie dostępu do leku po zakończeniu badania i określenie zasad *compassionate use* w Polsce;
- ustalenie warunków gratyfikacji i rekompensat dla wybranych kategorii uczestników badań;
- poprawa dostępu pacjentów do informacji o badaniach klinicznych;
- usprawnienie działania systemu oceny etycznej (komisje bioetyczne);
- modyfikacja zasad odpowiedzialności cywilnej i systemu ubezpieczeń (podmiotów uczestniczących w badaniu i pacjentów);
- zwiększenie przejrzystości zasad finansowania świadczeń opieki zdrowotnej oferowanych pacjentom uczestniczącym w badaniach;
- modyfikacja i ujednoczenie systemu opłat za dokonanie oceny naukowej i etycznej wniosku o rejestrację badania klinicznego.

Rozstrzygnięcie wątpliwości w opisanych wyżej obszarach oraz wprowadzenie przyjaznych rozwiązań legislacyjnych powinno pomóc w zapewnieniu w Polsce warunków prowadzenia badań klinicznych porównywalnych z tymi, jakie istnieją lub istnieć będą w większości pozostałych państw członkowskich. Niestety, nie wystarczą jednak do aktywnego zachęcenia sponsorów badań klinicznych do ich prowadzenia na terenie naszego kraju. Aby tak się stało, niezbędne jest bowiem wypracowanie przez Polskę spójnego i długofalowego programu wspierania badań klinicznych. Program taki musiałby powstać z udziałem Ministerstwa Zdrowia, URPL, Ministerstwa Finansów, NCBiR i innych podmiotów oraz powinien obejmować następujące strategiczne kierunki działań:

- wprowadzenie systemu zachęt podatkowych (np. w formie odliczeń od dochodu kwalifikowanych wydatków ponoszonych przez sponsorów);
- ustanowienie systemu grantów naukowych wspierających badania w wybranych obszarach terapeutycznych;
- opracowanie długofalowego programu monitorowania rynku badań klinicznych i ciągłego doskonalenia zasad jego funkcjonowania w wprowadzanie modyfikacji (powołanie polskiego odpowiednika NIHR);

Brak zdecydowanych działań polskiego ustawodawcy osłabi konkurencyjność polskiego rynku badań klinicznych

- wdrożenie programu wsparcia dla badań niekomercyjnych;
- stworzenie platformy dialogu: sponsor – instytucje państwowe mającej na celu dyskusję o sposobach wspierania rynku badań klinicznych w Polsce;
- poszerzenie możliwości prowadzenia wstępnej rekrutacji do badań;
- klarowny rozdział obowiązków badacza i ośrodka;
- wprowadzenie *scientific advice* na poziomie krajowym.

Opierając się na przedstawionych powyżej scenariuszach potencjalnego rozwoju sytuacji na rynku badań klinicznych w Polsce, można założyć trzy możliwe poniższe modele funkcjonowania tego rynku w perspektywie najbliższych kilku lat.

Scenariusz 1: negatywny

Scenariusz przewiduje, iż działania Polski ograniczą się wyłącznie do rozpoczęcia stosowania rozporządzenia nr 536/2014, które zastąpi wybraną legislacją krajową. W szczególności nie zostaną podjęte jakiegokolwiek działania dostosowawcze w obszarze nieuregulowanym bezpośrednio przez legislację unijną.

W efekcie utrzymujące się niejasności i specyficzne wymogi przesądzą o tym, iż Polska stanie się krajem jeszcze mniej atrakcyjnym, a w konsekwencji liczba badań prowadzonych w Polsce spadnie, a rynek badań klinicznych się skurczy.

Scenariusz 2: neutralny

Scenariusz zakłada, iż wprowadzeniu rozporządzenia nr 536/2014 do polskiego systemu prawnego towarzyszyć będą działania adaptujące/modyfikujące przepisy krajowe z obszarów nie objętych bezpośrednio ww. rozporządzeniem (w zakresie niezbędnym do wyeliminowania istniejących barier i uciążliwości).

W rezultacie takich działań Polska może stać się krajem o warunkach prowadzenia badań klinicznych porównywalnych do innych krajów UE. W szczególności oczekiwać można, iż zniesiona zostanie większość istniejących obecnie barier administracyjnych i skrócony zostanie czas potrzebny na rozpoczęcie badania.

Skutkiem będzie rozwój rynku polskiego na podobnym lub nieco wyższym poziomie do średniej europejskiej, tak jak to miało miejsce do 2009 roku, ze względu na potencjał Polski (m.in. duża populacja pacjentów, wykwalifikowany personel medyczny).

Scenariusz 3: pozytywny

Scenariusz opiera się na założeniu, iż wdrożenie rozporządzenia nr 536/2014 i likwidacja kluczowych barier połączone zostanie ze zmianą podejścia od badań klinicznych w Polsce. Oznaczać to będzie wprowadzenie rozwiązań, mających na celu zwiększenie atrakcyjności polskiego rynku na tle pozostałych krajów regionu CEE i Europy Zachodniej, m.in. zachęty finansowo-podatkowe, stworzenie platform informacyjnych dla pacjentów, wspieranie szpitali biorących udział w badaniach oraz zachęty do wprowadzania koordynatorów ds. współpracy ze sponsorami badań klinicznych itp. Dzięki temu Polska może wysunąć się na pozycję jednego z liderów wzrostu rynku w UE i umocnić swoje znaczenie – jako największy rynek badań klinicznych w CEE.

Dostęp do innowacyjnych terapii ma fundamentalne znaczenie dla zdrowia obywateli (a tym samym także dla sytuacji makroekonomicznej kraju). Ogromną rolę w ich opracowywaniu i udostępnianiu dotkniętej chorobami populacji odgrywają badania kliniczne. Dlatego też życzyć sobie należy, aby szanse Polski związane z unifikacją europejskiego rynku badań klinicznych nie zostały zaprzepaszczone i zrealizował się scenariusz najbardziej optymistyczny. Pomimo obaw nadzieję na taki rozwój wypadków pozwala żywić deklarowane przez decydentów przywiązanie do uczynienia z Polski kraju rzeczywiście innowacyjnego i partycypującego w działalności naukowo-badawczej w sposób adekwatny do posiadanego potencjału. Nie bez znaczenia jest też rosnące grono świadomych pacjentów/uczestników badań, którzy oczekują dalszego zwiększenia istniejących w tym zakresie możliwości.

Możliwy jest scenariusz, w którym Polska stanie się jednym z liderów badań klinicznych w EU – z korzyścią dla pacjentów, systemu ochrony zdrowia i budżetu państwa

Słownik pojęć i skrótów

Skrót	Definicja
CARG	Średnia roczna stopa wzrostu (<i>Compound Annual Growth Rate</i>)
CEE	Europa Środkowo-Wschodnia (<i>Central and Eastern Europe</i>), w tym raporcie region ten obejmuje: Polskę, Czechy, Słowację, Węgry, Estonię, Litwę i Łotwę
CIT	Podatek dochodowy od osób prawnych (<i>Corporate Income Tax</i>)
CRA	Monitor badań klinicznych (<i>Clinical Research Associate</i>)
CRO	Wyspecjalizowana firma usługowa nadzorująca proces prowadzenia badań klinicznych na zlecenie firmy farmaceutycznej (<i>Contract Research Organization</i>)
DiA	Dane-i-Analizy.pl Sp. z o.o.
Dyrektywa 2001/20	Dyrektywa 2001/20/WE Parlamentu Europejskiego i Rady UE z dnia 4 kwietnia 2001 roku w sprawie zbliżania 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.U.U.E.L.2001.121.34)
Dyrektywa 2005/28	Dyrektywa Komisji Europejskiej 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 (Tekst mający znaczenie dla EOG) (Dz.U.U.E.L.2005.91.13)
EUPATI	Platforma Akademii Pacjentów (<i>European Patients' Academy on Therapeutic Innovation</i>)
GCP	Dobra Praktyka Kliniczna (<i>Good Clinical Practice</i>)
GUS	Główny Urząd Statystyczny
HMA	Szefowie Agencji Leków (<i>Heads of Medicines Agencies</i>)
ICH	Międzynarodowa Konferencja na rzecz Harmonizacji (<i>International Conference on Harmonization</i>)
INFARMA	Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA
MHRA	Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych i Wyrobów Medycznych w Wielkiej Brytanii (<i>Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency</i>)
mld	miliardy
mln	miliony

Słownik pojęć i skrótów

Skrót	Definicja
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NCBiR	Narodowe Centrum Badań i Rozwoju
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NIHR	Instytucja państwowa wspierająca rozwój badań klinicznych w Wielkiej Brytanii (<i>National Institute for Health Research</i>)
PET	Pozytonowa tomografia emisyjna
PIT	Podatek dochodowy od osób fizycznych (<i>Personal Income Tax</i>)
PLN	Polski nowy złoty
Prawo farmaceutyczne	Ustawa z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2008 r. nr 45, poz. 271 z późn. zm.)
PwC	PricewaterhouseCoopers Sp. z o.o.
Rozporządzenie nr 536/2014	Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady UE nr 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r. w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylecia dyrektywy 2001/20/WE (Dz.U.U.E.L.2014.158.1)
SUSAR	Niespodziewane ciężkie niepożądane działanie produktu leczniczego (<i>Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction</i>)
tys.	tysiące
UE, Unia Europejska	Unia Europejska – gospodarczo-polityczny związek demokratycznych państw europejskich
UE-15	Kraje „piętnastki”, wszystkie kraje należące do UE przed majem 2004
URPL	Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych
VAT	Podatek od towarów i usług (<i>Value Added Tax</i>)
VHP	Dobrowolna procedura wspólnej oceny dokumentacji badań klinicznych produk- tów leczniczych (<i>Voluntary Harmonisation Procedure</i>)
ZOZ	Zakład Opieki Zdrowotnej



Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA

reprezentuje 28 wiodących firm sektora farmaceutycznego, prowadzących działalność badawczo-rozwojową i produkujących leki innowacyjne. INFARMA jest członkiem międzynarodowej organizacji zrzeszającej innowacyjną branżę farmaceutyczną – Europejskiej Federacji Przemysłu i Stowarzyszeń Farmaceutycznych (EFPIA), a także Pracodawców RP oraz Krajowej Izby Gospodarczej.



Stowarzyszenie Na Rzecz Dobrej Praktyki Badań klinicznych w Polsce (GCPpl)

powstało w 1997 roku. Od początku działania misją GCPpl było tworzenie i wspieranie inicjatyw sprzyjających wprowadzaniu w życie zasad etycznego i rzetelnego prowadzenia badań klinicznych. Stowarzyszenie odgrywa istotną rolę w środowisku badań klinicznych w Polsce. Prowadzi działalność edukacyjno-szkoleniową, tworzy i propaguje standardy, bierze udział w konsultacjach społecznych dotyczących nowych regulacji prawnych oraz wspiera pozytywny wizerunek badań klinicznych w oczach opinii publicznej. Dzięki społecznej pracy swoich członków GCPpl skutecznie integruje działania całego środowiska i działa na rzecz rozwoju badań klinicznych w Polsce.



Polski Związek Pracodawców Firm Prowadzących Badania Kliniczne na Zlecenie (POLCRO)

powstał we wrześniu 2012 roku. Powołanie Związku było podyktowane potrzebą stworzenia spójnej, a zwłaszcza umocowanej prawnie, reprezentacji interesów branży badań klinicznych w Polsce. Obecnie status członkowski ma 15 firm typu CRO (*Clinical Research Organizations*). W ramach POLCRO działają 3 grupy robocze – legislacyjna, szkoleniowa oraz jakości i standardów, w skład których wchodzi pracownicy firm członkowskich oraz niezależni doradcy współpracujący ze Związkiem.



PwC

jest globalną organizacją, działającą na świecie od ponad 150 lat, a w Polsce od 1990 roku. Korzystając z wiedzy i kwalifikacji ponad 208 tysięcy pracowników w 157 krajach, świadczy profesjonalne usługi w zakresie audytu, doradztwa biznesowego, podatkowego i prawnego. W Polsce PwC zatrudnia zespół ponad 2 tysięcy specjalistów i kadry wspierającej w siedmiu miastach: w Gdańsku, Katowicach, Krakowie, Łodzi, Poznaniu, Wrocławiu i Warszawie. Oferta firmy jest kierowana do podmiotów działających we wszystkich sektorach gospodarki – zarówno do największych koncernów, jak i lokalnych przedsiębiorstw rodzinnych.

