



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Konferencja z okazji
Międzynarodowego Dnia
Badań Klinicznych
20 maja 2015





GCP_{pl}

POLCR



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

20 maja 2015

*Wsparcie merytoryczne i
logistyczne niekomercyjnych badań
klinicznych*

Badanie kliniczne

definicje

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

art. 2 pkt. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2008 r. Nr 45, poz. 271, z późn. zm.)



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Badanie kliniczne

definicje

- **Eksperyment medyczny** - przeprowadzany z udziałem ludzi może być **eksperymentem leczniczym** lub **badawczym**.

Eksperymentem leczniczym jest wprowadzenie przez lekarza nowych lub tylko częściowo wypróbowanych metod diagnostycznych, leczniczych lub profilaktycznych w **celu osiągnięcia bezpośredniej korzyści** dla zdrowia osoby leczonej. Może on być przeprowadzony, jeżeli dotychczas stosowane metody medyczne nie są skuteczne lub jeżeli ich skuteczność nie jest wystarczająca.

Eksperyment badawczy ma na celu przede wszystkim **rozszerzenie wiedzy medycznej**. Może być on przeprowadzany zarówno na osobach chorych, jak i zdrowych. Przeprowadzenie eksperymentu badawczego jest dopuszczalne wówczas, gdy uczestnictwo w nim nie jest związane z ryzykiem albo też ryzyko jest niewielkie i nie pozostaje w dysproporcji do możliwych pozytywnych rezultatów takiego eksperymentu.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Badanie kliniczne

definicje

- **badanie kliniczne produktu leczniczego** jest eksperymentem medycznym z użyciem produktu leczniczego przeprowadzanym na ludziach w rozumieniu przepisów ustawy z dnia 5 grudnia 1996 r. o zawodach lekarza i lekarza dentysty (Dz. U. z 2005 r. Nr 226, poz. 1943, z późn. zm.), zwanej dalej „ustawą o zawodzie lekarza”.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekomercyjne badanie kliniczne

definicje

- **Jeżeli właścicielem danych uzyskanych w trakcie badania klinicznego jest sponsor, będący uczelnią** (lub inną jednostką), którego celem działalności nie jest osiągnięcie zysku w zakresie prowadzenia i organizacji badań klinicznych bądź wytwarzania lub obrotu produktami leczniczymi.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekomercyjne badanie kliniczne

podsumowanie

- Określenie badania klinicznego jako niekomercyjnego poprzez wskazanie jego **sponsora** oraz **celu prowadzenia badania**.
- Niekomercyjne badanie kliniczne jest eksperymentem medycznym z wykorzystaniem produktu leczniczego.
- **Dane** uzyskane w trakcie badania klinicznego niekomercyjnego **nie mogą być wykorzystane** w celu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego, dokonania zmian w istniejącym pozwoleniu lub w celach marketingowych.
- **Wykorzystanie** w badaniu klinicznym niekomercyjnym badanych produktów leczniczych uzyskanych od wytwórcy lub podmiotu odpowiedzialnego bezpłatnie lub po obniżonych kosztach, **wsparcie** merytoryczne lub techniczne **wytwórcy lub podmiotu odpowiedzialnego** wymaga **niezwłocznego poinformowania właściwej komisji bioetycznej i Prezesa Urzędu**.
- Zasady prowadzenia niekomercyjnych badań klinicznych są takie same jak w przypadku projektów komercyjnych.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekomercyjne badanie kliniczne

podsumowanie

- W większości przypadków prowadzone są na podstawie **preparatów zarejestrowanych**.
- Dotyczą **porównania skuteczności klinicznej** stosowanych terapii (np.: wybór bardziej skutecznego z dwóch dostępnych ramion terapeutycznych).
- Prowadzone są w celu zbadania możliwości zastosowania produktów leczniczych zarejestrowanych dla dorosłych w terapii pediatrycznej.
- **Służą poszukiwaniu metod leczenia rzadkich chorób** z zastosowaniem preparatów zarejestrowanych.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekomercyjne badania kliniczne w Polsce



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekomercyjne badania kliniczne

Liczba zarejestrowanych niekomercyjnych badań klinicznych w Polsce:

- 2011 rok – **3** badania (**0.6%** wszystkich badań klinicznych)
- 2012 rok – **8** badań (**1.7 %** wszystkich badań klinicznych)
- 2013 rok – **2** badania (**0.4%** wszystkich badań klinicznych)
- 2014 rok – **2** (+ **4** badania w trakcie rejestracji)

Średni współczynnik procentowy niekomercyjnych badań klinicznych rejestrowanych w Unii Europejskiej wynosi **39%**.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekomercyjne badania kliniczne

- Prowadzenie badań przed 2010 rokiem.
- Krajobraz po kontroli NIK w badaniach komercyjnych (lipiec 2010 r.)
(podwójne finansowanie, podwójna dokumentacja).
- Przyspieszenie prac nad nowymi zasadami finansowania świadczeń zdrowotnych w związku z realizacją badania klinicznego.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Finansowanie procedur medycznych

(art. 37k PF)

- **Sponsor finansuje świadczenia opieki zdrowotnej** związane z badaniem klinicznym oraz objęte protokołem badania, **które wykraczają poza zakres świadczeń gwarantowanych** (IMP, komparatory, urządzenia stosowane do ich podawania).
- **Sponsor jest zobowiązany do finansowania świadczeń zdrowotnych:**
 - niezbędnych do usunięcia skutków pojawiających się powikłań zdrowotnych wynikających z zastosowania badanego produktu leczniczego,
 - których konieczność udzielenia wynika z zastosowania badanego produktu leczniczego,
 - niezbędnych do zakwalifikowania pacjenta do udziału w badaniu klinicznym,

nawet, jeśli te należą do grupy świadczeń gwarantowanych w rozumieniu przepisów Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekomercyjne badania kliniczne największe wyzwania w praktyce



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Obowiązki sponsora niekomercyjnego badania klinicznego

- Obowiązkowe ubezpieczenie OC dla badacza i sponsora,
- Przygotowanie ISF dla każdego ośrodka,
- Szkolenie dla zespołu badawczego z zasad ICH GCP,
- Opracowanie i stosowanie etykiet na badane produkty lecznicze,
- Rejestracja w URPLW MiPB (EudraCT),
- Uzyskanie pozytywnej opinii Komisji Bioetycznej,
- Monitorowanie badania (feasibility, qualification visit, initiation visit, monitoring visit, close-out visit),
- Audyty i inspekcje (certyfikacja sprzętu i laboratorium, doświadczenie zespołu),
- Raportowanie AE / SAE / SUSAR oraz roczne raporty ASR,
- Wiele, wiele innych...



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Obowiązki sponsora niekomercyjnego badania klinicznego

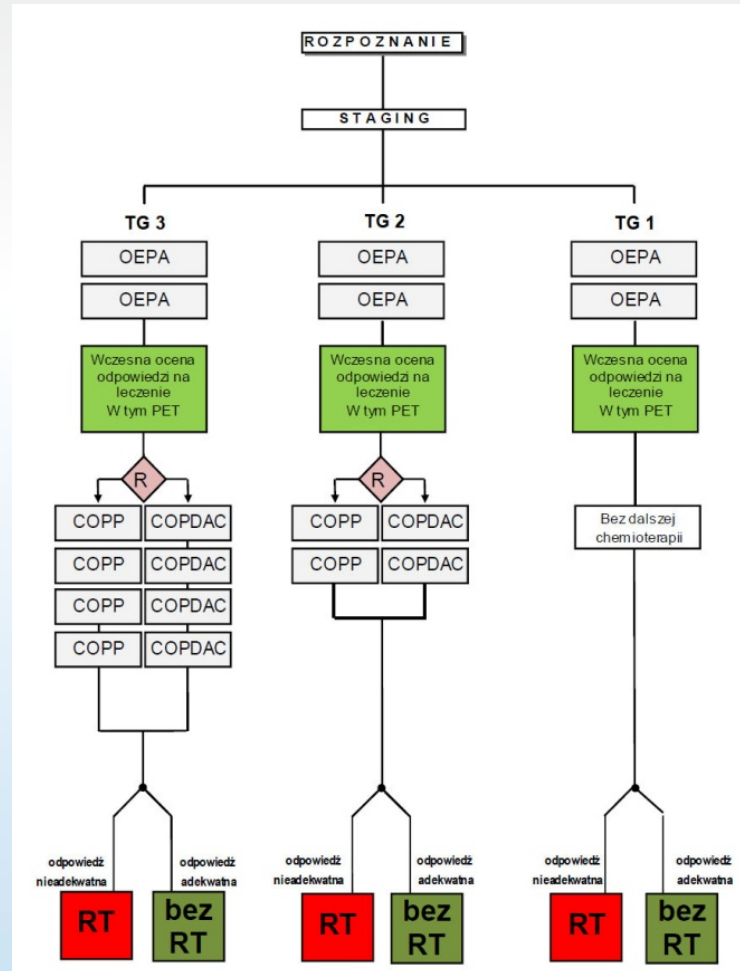
Przede wszystkim:

- Obowiązek finansowania procedur medycznych oraz kosztów ewentualnych powikłań Uczestników badania klinicznego



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Przykład I



Podstawowe fakty:

- Chłoniak Hodgkina
- Porównanie prokarbazy i dakarbazy w terapii Chłoniaka Hodgkina.
- Chłoniak Hodgkina – nowotwór wieku dziecięcego.
- Wysoka wyleczalność (ok. 95%).
- Duża liczba późnych powikłań.



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Przykład II

Podstawowe fakty:

- Neuroblastoma wysokiego ryzyka
- Terapia eksperymentalna – badanie kliniczne II fazy.
- Przeciwciała Anty – GD2

Standardowa terapia

Terapia
eksperymentalna
Przeciwciała Anty-GD2



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Przykład II

Standardowa terapia

Etopozyd, Cisplatyna, Winkrystyna, Doksorubicyna,
Cyklofosfamid

Leczenie standardowe realizowane w oparciu o zarejestrowane w Polsce preparaty stosowane zgodnie z IMPD (ChPL)

**Terapia eksperymentalna
Przeciwciała Anty-GD2**

**Interleukina 2
Przeciwciała Anty-GD2**

Leczenie eksperymentalne
- import docelowy
- eksperymentalne przeciwciała anty-GD2

Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Przykład II

Standardowa terapia

K

(...)

R4

Terapia
eksperymentalna
Przeciwciała Anty-GD2

Etopozyd, Cisplatyna, Winkrystyna, Doksorubicyna,
Cyklofosfamid.

Interleukina 2
Przeciwciała Anty-GD2

Całość leczenia wpisana do
protokołu badania klinicznego

Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Przykład II

Standardowa terapia

Terapia
eksperymentalna
Przeciwciała Anty-GD2

Etopozyd, Cisplatyna, Winkrystyna, Doksorubicyna,
Cyklofosfamid

Interleukina 2
Przeciwciała Anty-GD2

- Ubezpieczenie
- Szkolenie ICH GCP
- Etykiety
- Monitoring badania
- Audyty i inspekcje

- Certyfikaty i normy laboratoryjne
- Raportowanie AE/SAE/SUSAR
- **Finansowanie kosztów procedur medycznych oraz kosztów ewentualnych powikłań**



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Praktyka UJ CM

Badacz zgłasza
Projekt

1. **Eksperyment medyczny** (POMOC)
(wymaga pozytywnej opinii Komisji Bioetycznej)

W realizowanym eksperymencie medycznym badany będzie:
 - a) Produkt leczniczy (POMOC)
 - b) Wyrób medyczny (POMOC)
 - c) Żadne z powyższych (POMOC)

2. **Badanie epidemiologiczne, obserwacyjne lub badanie kwestionariuszowe**
(wymaga pozytywnej opinii Komisji Bioetycznej)

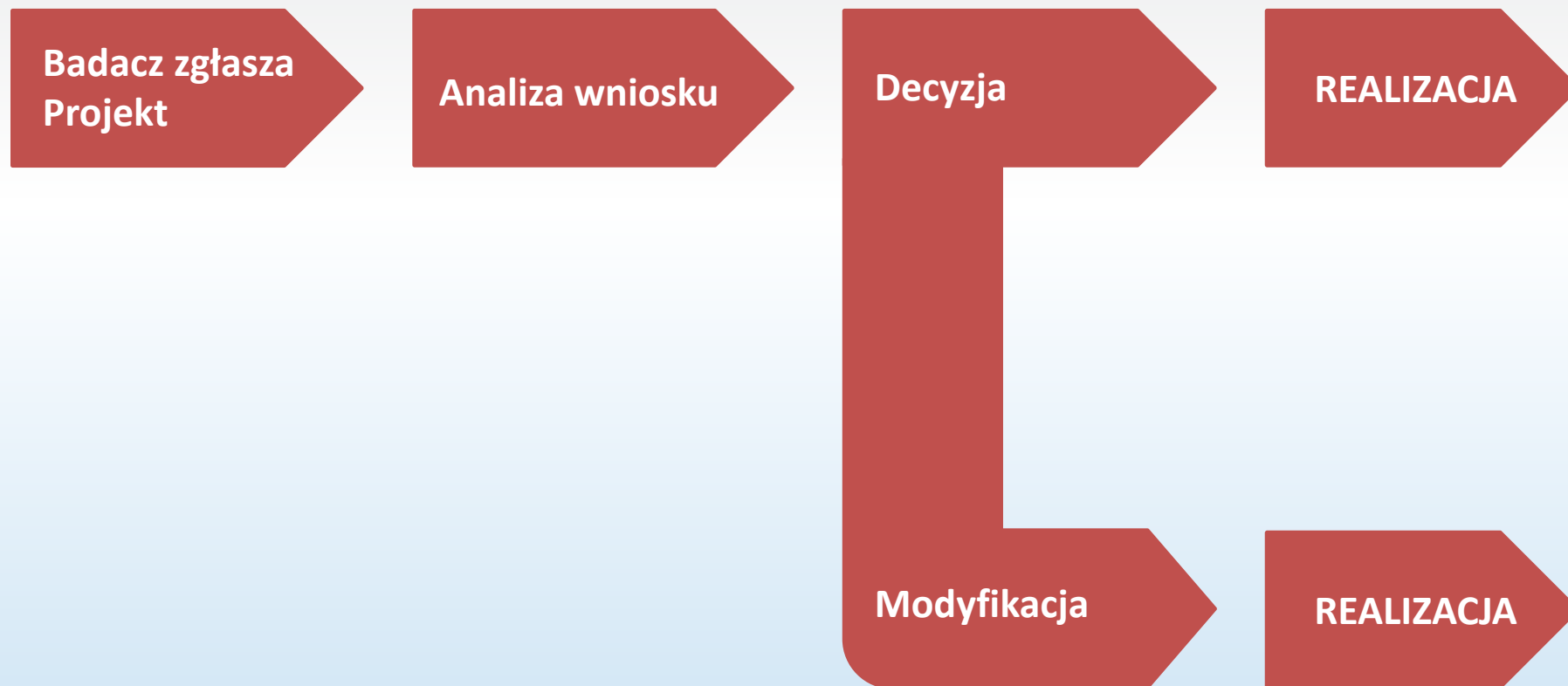
3. **Badanie ograniczone do badania pozostających po zabiegach/testach tkanek lub krwi/płynów ustrojowych ew. materiałów pochodzących od osób zmarłych**
(wymaga pozytywnej opinii Komisji Bioetycznej)

4. **Badanie naukowe bez udziału ludzi**
 - a) Badanie z udziałem zwierząt / GMO (POMOC)
(wymaga pozytywnej opinii Komisji Etycznej ds. Doświadczeń na Zwierzętach, a w przypadku GMO także zgody Ministra Środowiska)
 - b) Inne
(nie wymaga opinii Komisji Bioetycznej)



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Praktyka UJ CM



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Szara strefa niekomercyjnych badań klinicznych

Wiele badań klinicznych, z uwagi na wspomniane koszty ich prowadzenia oraz złożone kwestie formalno-prawne nie jest wpisywanych do Centralnej Ewidencji Badań Klinicznych, pomimo tego, że spełniają definicję badania klinicznego.

- Ubezpieczenie (odpowiedzialność)
- Finansowanie procedur medycznych
- Grzywna i ograniczenie wolności



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Niekomercyjne badania kliniczne planowane zmiany legislacyjne



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Planowane zmiany legislacyjne

perspektywa bliska

- Nowelizacja art. 37k Ustawy Prawo Farmaceutyczne:
 - Zniesienie obowiązku finansowania świadczeń zdrowotnych w badaniach niekomercyjnych
 - Zbieranie nr PESEL uczestników badania (przesyłanie do NFZ)
 - Zmiana kwalifikacji badania z niekomercyjnego na komercyjne

- Termin zgłaszania uwag upłynął **14 kwietnia 2015 r.**



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Planowane zmiany legislacyjne

perspektywa dalsza

- **Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r. w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylenia dyrektywy 2001/20/WE**
- **Rozpoczęcie prac nad zupełnie nowymi przepisami w zakresie badań klinicznych (w tym niekomercyjnych)**



Badania kliniczne – nowe otwarcie!

Dziękuję za uwagę

Grzegorz Jaworski

grzegorz.jaworski@uj.edu.pl

+48 501 715 804



Badania kliniczne – nowe otwarcie!