



# Badania kliniczne.

## Co każdy pacjent wiedzieć powinien

**Po co prowadzone są badania kliniczne? Czym się różnią? Jakie są korzyści, a jakie ryzyka wynikające z uczestnictwa w badaniu klinicznym? Na te i inne pytania znajdziesz odpowiedź w tym artykule.**

Każdy lek przed wprowadzeniem na rynek musi zostać zatwierdzony przez odpowiednie organy regulacyjne, w Unii Europejskiej jest to Europejska Agencja Leków (EMA), w Stanach Zjednoczonych Agencja ds. Żywności i Leków (FDA). Obie instytucje podejmują decyzję o dopuszczeniu (lub nie) do obrotu na rynku danego leku w oparciu o dokumentację z badań przedklinicznych i klinicznych, która to potwierdzać musi jego bezpieczeństwo i skuteczność. Proces ten podlega rygorystycznym regulacjom i musi być zgodny z Zasadami Dobrej Praktyki Klinicznej, które są jednakowe i stosowane na całym świecie.

### Miliardy i lata

W tym miejscu należałoby przybliżyć proces powstawania nowego leku oraz wprowadzania go na rynek. Proces ten jest bardzo kosztowny i długotrwały, wymagający nakładów dochodzących do kilku miliardów złotych i trwa z reguły od 10 do 15 lat.

W efekcie badań laboratoryjnych, badawczo-rozwojowych wynajdowane są związki chemiczne które mają potencjał terapeutyczny w danym schorzeniu. Szacuje się, że z 10-15 tys. wynalezionych związków jedynie 250 o największym potencjale przechodzi do badań przedklinicznych, w których poddawane są próbom laboratoryjnym na hodowlach komórkowych oraz testom na zwierzętach (najczęściej myszach). W tej fazie badań oceniany jest sposób działania substancji na żywy organizm oraz jej bezpieczeństwo. Z tych kilkuset badanych związków jedynie kilka przejdzie do kolejnego etapu, czyli badań klinicznych z udziałem ludzi.

### Badania kliniczne podzielone są na cztery fazy

#### Faza I

Bierze w niej udział niewielka liczba osób (20-100 osób), najczęściej zdrowych ochotników. Podczas badań oceniane jest bezpieczeństwo oraz wstępne dawkowanie danej substancji. Badania rozpoczynają się od zastosowania bardzo małej dawki, która nie wykazała toksyczności podczas badań z udziałem zwierząt. Ocenia się reakcję organizmu na tę substancję oraz czy nie jest ona szkodliwa. Następnie stopniowo zwiększa się dawkę aż do pożądanego poziomu. Podczas tej fazy badań ocenia się także farmakokinetykę substancji, czyli jak jest ona „traktowana” przez organizm oraz farmakodynamikę, czyli jak dana substancja wpływa na organizm.

#### Faza II

W fazie drugiej biorą udział osoby z jednostką chorobową lub wskazaniem zdrowotnym, którego leczenie daną substancją może być skuteczne. Badania prowadzone są najczęściej na grupie 100-500 ochotników. Faza druga badań

jest obowiązkowa nie tylko dla nowych leków, ale także dla istniejących już leków i kombinacji obecnych na rynku substancji czynnych, w przypadku oceny bezpieczeństwa i skuteczności w leczeniu innych schorzeń. Często badana jest również skuteczność różnych dawek, tak, by w kolejnej fazie badań móc określić dawkowanie. W zależności od protokołu, ocenie podlegać mogą także inne kryteria, jak farmakokinetyka, farmakodynamika, zmiany w obrazowaniu, biomarkery, jakość życia pacjentów. Na zakończenie fazy II, jeżeli korzyści (skuteczność i bezpieczeństwo) danego produktu przewyższają znacznie ryzyko, podejmowana jest decyzja o przejściu do fazy trzeciej.

#### Faza III

W trzeciej fazie badań klinicznych lek testowany jest na grupie liczącej od 500 nawet do 5 tysięcy ochotników dobranych według ściśle określonych kryteriów. Jej celem jest ostateczne potwierdzenie skuteczności i bezpieczeństwa danego leku, jak również ocena innych kryteriów, np. farmakokinetyka, farmakodynamika, zmiany w obrazowaniu, biomarkery, jakość życia pacjentów, itd. Wyniki badań tej fazy są podstawą do uzyskania rejestracji danego leku jak również są wykorzystywane w dalszych działaniach marketingowych.

#### Faza IV

Faza czwarta prowadzona jest po wprowadzeniu danego leku na rynek. Oceniana w niej jest długoterminowa skuteczność leku w codziennej praktyce klinicznej jak również bezpieczeństwo – szczególnie pod kątem mniej powszechnych działań niepożądanych, których nie zaobserwowano na wcześniejszych etapach badań. Celem tej fazy jest także potwierdzenie wyników badań z wcześniejszych faz.

Istnieje wiele schematów przeprowadzania badań klinicznych. Najlepszą, biorąc pod uwagę wiarygodność otrzymanych wyników (najmniejsze ryzyko błędu statystycznego) formą badań, jest badanie randomizowane, przeprowadzone metodą podwójnie ślepej próby z grupą kontrolną. Co to oznacza?

**Randomizacja** – w przypadku randomizacji każdy pacjent, który spełnia warunki włączenia do badania, ma takie same szanse by znaleźć się w jednej z badanych grup (ramion badania), czy to pod względem przyjmowanej substancji (lek badany/ lek standardowy/ placebo), czy stosowanej dawki. Jest to losowa metoda przydziału do danej grupy. Każda z grup musi być dobrze zbilansowana pod względem np. płci, czasu trwania czy aktywności choroby, przyjmowanych leków, itd. w konsekwencji grupy badane są ze sobą porównywalne.

**Podwójne zaślepienie** – metoda ta oznacza, że zarówno zespół prowadzący badanie, jak i osoba biorąca w nim udział, nie wie do której z grup została przypisana. Natomiast w badaniu pojedynczo zaślepionym, zespół prowadzący badanie wie, w której grupie znajduje się uczestnik, z kolei uczestnik takiej wiedzy nie posiada.

**Grupa kontrolna** – uczestnicy grupy kontrolnej otrzymują lek standardowy porównywany względem badanego leku lub placebo.



Czym jest **placebo**? Placebo jest nieaktywną substancją, która jednak wygląda identycznie jak prawdziwy lek, musi mieć ten sam smak, kolor, formę podania. Użycie placebo w badaniach klinicznych jest istotne, aby wyeliminować czynnik psychologiczny stosowania danego leku. Ze względów etycznych, stosuje się limity czasowe w podawaniu placebo. Efekt placebo obserwuje się w niektórych badaniach u co trzeciego pacjenta.

## Proces przystąpienia do badania klinicznego

Przystąpienie do badania klinicznego poprzedza rekrutacja. Osoby zainteresowane przechodzą wstępną kwalifikację w oparciu o kryteria włączenia i wyłączenia. Kryteriami takimi mogą być: wiek, płeć, historia leczenia, rodzaj i stadium choroby, wyniki badań laboratoryjnych i inne. Osoby spełniające wymagania wstępne są kierowane na badania przesiewowe, podczas których potwierdza się spełnienie kryteriów włączenia. Podczas kolejnego spotkania, osoba spełniająca kryteria uzyskuje szczegółowe informacje o badaniu klinicznym. Przekazywany jest jej dokument – informacja dla uczestnika badania klinicznego. Dokument ten jest bardzo istotny i należy się z nim dokładnie zapoznać. Muszą być w nim opisane wszystkie aspekty badania, m.in.: charakterystyka i cel badania, stosowane leki, faza badania, grupy badane, potencjalne działania niepożądane, obowiązki uczestnika, schemat badania, czas jego trwania, harmonogram badań kontrolnych oraz procedur medycznych i wiele innych. Dokument ten może liczyć kilkadziesiąt stron. Uczestnik musi mieć wystarczającą ilość czasu na zapoznanie się z nim oraz możliwość skonsultowania z lekarzem wszystkich wątpliwości. Po zaznajomieniu się z informacjami uczestnik badania oraz lekarz podpisują formularz świadomej zgody. Ponowne podpisanie dokumentu jest konieczne w przypadku dokonania jakiegokolwiek zmiany w procedurze badania.

## Jak znaleźć badanie?

1. Zapytaj lekarza czy bierze udział w jakimś projekcie lub posiada informację o prowadzonych badaniach klinicznych w twoim wskazaniu chorobowym.
2. Poszukaj w Internecie korzystając z wyszukiwarek internetowych badań klinicznych
  - strony międzynarodowe: [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) (badania kliniczne prowadzone na całym świecie - największa i prawdopodobnie najbardziej przyjazna użytkownikowi wyszukiwarka), [www.clinicaltrialsregister.eu](http://www.clinicaltrialsregister.eu) (badania kliniczne prowadzone w Unii Europejskiej),
  - polskojęzyczne wyszukiwarki badań klinicznych wyszczególnione na stronie Agencji Badań Medycznych (załadka Dla pacjenta/ Wyszukiwarki badań klinicznych): [www.abm.gov.pl](http://www.abm.gov.pl)

## Decyzja o udziale w badaniu klinicznym

Decyzja o przystąpieniu do badania klinicznego może być trudna i każdy powinien ją podjąć indywidualnie, analizując wszystkie za i przeciw. Poniżej znajdują się korzyści i ryzyka.

### Korzyści:

- dostęp do nowoczesnego leku lub metody leczenia,

- uczestnictwo w badaniu klinicznym może okazać się najlepszą dostępną metodą leczenia, w przypadku gdy inne formy leczenia w kraju są ograniczone,
- możliwość wykonywania szerokiego wachlarza badań, które standardowo nie są dostępne w ramach standardowej opieki medycznej (badania kliniczne wymagają często lepszej diagnostyki i monitorowania przebiegu choroby oraz skuteczności stosowanej terapii),
- przyczynienie się do postępu w medycynie (każdego roku na świecie prowadzonych jest ok. 100 tys. badań klinicznych, w rezultacie których rejestrowanych jest ok. 50 nowych leków).

### Ryzyka:

- efekty leczenia oraz działania niepożądane mogą być gorsze niż przy standardowej terapii,
- możliwe znaczne pogorszenie stanu zdrowia lub przebiegu choroby w przypadku otrzymania placebo,
- możliwość doświadczenia nieprzyjemnych, poważnych działań niepożądanych wynikających z terapii eksperymentalnej,
- udział w badaniach może być bardziej angażujący niż przy standardowej terapii (częste podróże, pobyty w szpitalu, wizyty u lekarza, większa ilość badań).

W tym miejscu warto dodać, że zgodnie z polskim prawem farmaceutycznym zarówno sponsor badania (firma farmaceutyczna) jak i zespół badawczy, muszą posiadać ubezpieczenie odpowiedzialności cywilnej. Wysokość minimalnej sumy ubezpieczenia uzależniona jest od liczby uczestników badania. W przypadku gdy pacjent doświadczy trwałego uszczerbku na zdrowiu może domagać się odszkodowania. Roszczenie może zostać złożone do lekarza prowadzącego badanie lub bezpośrednio do ubezpieczyciela lekarza bądź sponsora. Uczestnik badania ma prawo wglądu do polisy ubezpieczeniowej badania przez cały okres jego trwania. Należy pamiętać, że przed przystąpieniem do badania uczestnik podpisał świadomą zgodę na udział w nim, przez co zaakceptował udział w testowaniu leku będącego w fazie badań klinicznych i związane z nim ryzyko, w tym wystąpienie możliwych działań niepożądanych. Dlatego nie wszystkie wnioski o odszkodowanie mogą być uwzględnione.

Artykuł powstał w oparciu o materiały edukacyjne w ramach Akademii prowadzonej przez Europejską Federację Stowarzyszeń Crohna i Colitis Ulcerosa - EFCCA Academy, strony internetowe: <https://www.badaniaklinicznepolsce.pl/>, <https://eupati.eu/>

Magdalena Sajak-Szczerba, dr n. med. Ariel Liebert



## Propozycja najważniejszych pytań, które można zadać lekarzowi przed podjęciem decyzji o udziale w badaniu klinicznym:

1. Na czym polega badanie kliniczne, w którym mam wziąć udział? Jaki jest cel jego prowadzenia?
2. Jakie leki lub leczenie będzie stosowane w ramach badania klinicznego? Kto będzie decydować o tym, jakie leki otrzymam? Na jakiej podstawie będą podejmowane te decyzje?
3. Jakie badania, testy lub zabiegi będą u mnie wykonywane podczas badania klinicznego?
4. Czy uczestnictwo w badaniu klinicznym wiąże się z jakimiś obowiązkami? Jakie to obowiązki?
5. Czy moje uczestnictwo w badaniu klinicznym wiąże się dla mnie z jakimkolwiek ryzykiem lub niebezpieczeństwem? Czy jakieś niebezpieczeństwo może grozić mojemu dziecku lub mnie, jeśli w trakcie badania zajdę w ciążę? Czy karmienie piersią w czasie trwania badania może być szkodliwe lub niebezpieczne dla dziecka?
6. Czy uczestnictwo w badaniu klinicznym będzie się dla mnie wiązać z jakimiś wymiernymi korzyściami finansowymi lub materialnymi? Czy za uczestnictwo w badaniu otrzymam wynagrodzenie?
7. Czy dostępne są metody leczenia mojej choroby inne niż stosowane w tym badaniu klinicznym? Jakie to metody i czy są one skuteczne? Jakie jest związane z nimi ryzyko?
8. Czy będę leczony i w jakim ośrodku, jeżeli w trakcie badania klinicznego mój stan zdrowia się pogorszy lub poniosę jakieś szkody wynikające z mojego udziału w badaniu? Czy w takiej sytuacji otrzymam odszkodowanie i w jakiej wysokości?
9. Jak będą przekazywane wypłaty związane z moim uczestnictwem w badaniu?
10. Czy w związku z moim uczestnictwem w badaniu klinicznym będę musiał(a) ponosić jakieś koszty? Jeżeli tak, to za co mam płacić, jakie kwoty i kiedy?
11. Czy mój udział w badaniu jest dobrowolny? Czy mogę wycofać się z badania? Czy są jakieś ograniczenia co do czasu wycofania się z badania? Czy w razie wycofania się z badania lub odmowy uczestniczenia w nim będę musiał(a) ponieść koszty lub stracę dostęp do jakichś świadczeń, leków lub opieki?
12. Czy dokumentacja dotycząca mnie, mojego stanu zdrowia lub mojej choroby będzie udostępniana komukolwiek? Jeśli tak, czy będę o tym fakcie i informowany(a) lub pytany(a) o zgodę?
13. Czy ktokolwiek będzie miał dostęp do mojej wcześniejszej dokumentacji medycznej lub historii mojej choroby? Jeżeli tak, to kto? Czy będę w takiej sytuacji informowany(a) o tym fakcie lub pytany(a) o zgodę?
14. Czy moja dokumentacja medyczna oraz moje dane osobowe mogą zostać w jakikolwiek sposób ujawnione? Jeżeli badanie zostanie opublikowane w formie np. artykułu, to czy znajdą się w nim moje dane osobowe, zdjęcie lub inne informacje, które umożliwią identyfikację mojej osoby?
15. Czy zostanę poinformowany, jeżeli w trakcie mojego uczestnictwa w badaniu klinicznym znajdą jakiekolwiek nowe okoliczności, które mogą wpłynąć na moją ewentualną rezygnację z uczestnictwa?
16. Z kim mogę się kontaktować, aby otrzymać informacje na temat badania, moich praw jako uczestnika oraz uzyskać pomoc w razie poniesienia szkody w związku z uczestnictwem w badaniu?
17. Czy istnieje możliwość, że będę musiał(a) przerwać uczestnictwo w badaniu klinicznym? Jakie okoliczności lub zdarzenia mogą spowodować przerwanie udziału w badaniu?
18. Jak długo ma trwać mój przewidywany udział w badaniu klinicznym?
19. Jaka jest przewidywana liczba uczestników badania klinicznego, w którym mam wziąć udział?

Pytania pochodzą z bazy danych Związku Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA <https://www.badaniaklinicznepolsce.pl/najwazniejsze-informacje-dla-uczestnika-badan/wazne-dla-uczestnikow-badan-klinicznych/o-co-zapytac-przed-podjeciem-decyzji/>

## Góry moja pasja

Moja historia z chorobą Leśniowskiego-Crohna zaczęła się na początku 2011 roku. Cztery lata później, będąc kolejny raz w szpitalu, poznałem przesympatyczne wolontariuszki, które dały mi do poczytania broszurki na temat NZJ, a następnie wprowadziły mnie do stowarzyszenia „J-elita” i przekonały, że my też możemy żyć normalnie. Zachęcany, z wielką nieśmiałością zdecydowałem się pojechać w sierpniu na mój pierwszy turnus z „J-elitą” do Poronina. Nie byłem przygotowany, żeby pójść w góry, ale bardzo miła Marlena, widząc moje obawy, zachęcała: „Chodź, spróbuj. Zobaczysz, że dasz radę”. Nie ukrywam, obawiałem się o to, jak się zachowa mój organizm, ale ku mojemu miłemu zaskoczeniu na szlaku zapomniałem o biegunce i bólach brzucha! Pamiętam pierwszy zdobyty przeze mnie poważny górski punkt - Czarny Staw pod Rysami. Następne dni też były ciekawe. Codziennie gdzieś wychodziliśmy.

Od sześciu lat co roku jestem w górach i co roku zdobywam nowe szczyty. Staram się cieszyć tym na maksa, nieraz pot leje się po czole, organizm się męczy, mam już dosyć, ale mimo to idę dalej i wdrapuję się na kolejny wierzchołek. Nie inaczej było podczas letniego turnusu w 2021 roku. Już pierwszego dnia, wspólnie z Jolką Michalik, wyszliśmy w poszukiwaniu nowych widoków przez Kalatówki na Kopę Kondracką. Łatwo nie było łatwo, gdyż wracaliśmy już po zmroku. Następnego dnia poszliśmy na Kasprowy Wierch, a kolejnego w Dolinę Pięciu Stawów. Gdy tylko się tam pojawiliśmy, mgła się rozstąpiła, odsłaniając piękne widoki. Nie byłbym sobą, gdybym jeszcze nie zahaczył o Morskie Oko.

Jestem dumny ze swoich górskich osiągnięć. Dwa lata temu wszedłem na Czerwone Wierchy i na Rysy. Nie wymienię wszystkich szczytów, które zdobyłem. Mam ich już sporo na koncie. Mimo barier, jakie stawia przede mną choroba, jestem szczęśliwy, że mogę chodzić po górach. Przemie-

ranie tatrzańskich szlaków daje mi radość i siłę, których życzę sobie i innym z rodziny „J-elity”. Pasja, którą się zaraziłem sześć lat temu, jest ze mną do dziś. Zakochałem się w górach, a wędrówki po grzbietach i dolinach to moje lekarstwo. Zachęcam wszystkich do skorzystania z wyjazdów na turnusy z „J-elitą”!

Leszek Morawski

