



Badania kliniczne

PORADNIK DLA PACJENTÓW

Badania kliniczne to bardzo ważny element rozwoju medycyny. Mogą pomóc w leczeniu chorób, w których standardowe terapie zawodzą. Przyczyniają się także do postępu medycyny oraz znalezienia lepszych rozwiązań terapeutycznych dla setek pacjentów.

Co warto wiedzieć na temat badań klinicznych?



ZbadajRaka.pl

Spis treści:



Czym jest badanie kliniczne?	4
Fazy badań klinicznych - czym się od siebie różnią?	5
Faza 0	5
Faza I	6
Faza II	6
Faza III	7
Faza IV	7
Jak dołączyć do badania klinicznego?	8
Rekrutacja	8
Kryteria włączenia i wyłączenia	8
Formularz Świadomej Zgody	9
Randomizacja	9
Procedury i standardy etyczne	10
Bezpieczeństwo i wiarygodność wyników	10
Protokół badania klinicznego	10
Ośrodek badawczy	11
Strony biorące udział w badaniu klinicznym	11
Zalety udziału w badaniu klinicznym	12
Badania kliniczne w Polsce	13
Definicje pojęć	14
Zaślepienie	14
Placebo	14
Karta obserwacji klinicznej	14
Dobra Praktyka Kliniczna (GCP - Good Clinical Practice)	14
FAQ - Najczęściej zadawane pytania	15



Czym jest badanie kliniczne?

Badanie kliniczne to **każde badanie naukowe prowadzone z udziałem ludzi**, którego celem jest odkrycie lub potwierdzenie skutków działania produktów leczniczych[1]. Może dotyczyć ono nowych leków, kombinacji lekowych, technik zabiegowych lub badań diagnostycznych.





Fazy badań klinicznych Czym się od siebie różnią?

Kolejne etapy badań klinicznych różnią się od siebie między innymi ilością zbieranych danych, liczbą uczestników biorących w nich udział oraz czasem trwania. **Wyróżniamy 5 podstawowych faz badań klinicznych.** Najczęściej badania kliniczne dotyczą nowych leków, dlatego na nich skupimy się, aby ułatwić zrozumienie różnic między poszczególnymi fazami.

Faza 0

Skupia się na zebraniu jak największej ilości **informacji o potencjalnie nowych terapiach.** W tym etapie bierze udział maksymalnie kilkunastu uczestników. Zespół badawczy podaje pacjentom bardzo małą dawkę leku, aby upewnić się, że nie jest on szkodliwy. Mikrodawki pozwalają również sprawdzić jak lek oddziałuje na organizm człowieka[2].





Faza I

W tym etapie zazwyczaj bierze udział kilkudziesięciu ochotników. Dawka podawanego im leku **stopniowo się zwiększa** w celu znalezienia najwyższej, która **nie powoduje szkodliwych skutków ubocznych**.

Podczas tej fazy:

- ustala się bezpieczną dawkę leku, którą można podać pacjentom,
- poznaje się mechanizmy działania leku,
- obserwuje się skutki uboczne,
- sprawdza się najlepsze drogi podania.



Faza II

Badania II fazy są zwykle dwa razy większe niż badania fazy I. Może w nich wziąć udział nawet 300 ochotników z tą samą jednostką chorobową. Trwają od kilku miesięcy do 2 lat. Na tym etapie ustala się poziom **dawki terapeutycznej, częstość dawkowania i bezpieczeństwa**.





Faza III

Nową terapię ocenia się pod względem skuteczności, bezpieczeństwa i wpływu na jakość życia pacjentów, **porównując ją do najlepszego obecnie dostępnego leczenia** (tzw. leczenia standardowego). Badania tej fazy obejmują nawet do 3000 pacjentów i trwają od 3 do 5 lat.

Po pomyślnym zakończeniu trzeciej fazy badań klinicznych firma farmaceutyczna może ubiegać się o dopuszczenie leku do obrotu.



Faza IV

Po rejestracji nowej terapii rozpoczyna się IV faza badań klinicznych. Włączani są do niej **wszyscy pacjenci otrzymujący dane leczenie**. Podczas tego etapu ocenia się długoterminowe skutki stosowania leku i nieznane wcześniej lub rzadkie działania uboczne[3,4].





Jak dołączyć do badania klinicznego?

Udział w badaniu klinicznym jest **dobrowolny** i **całkowicie bezpłatny**. Zanim jednak to nastąpi ochotnik musi przejść etap kwalifikacji oraz wypełnić niezbędną dokumentację.

Rekrutacja

Podczas wizyty rekrutacyjnej Badacz podejmuje decyzję o włączeniu pacjenta do badania klinicznego. W trakcie wywiadu lekarz zbiera podstawowe dane o ochotniku. Jeśli jest potrzeba, zleca wykonanie niezbędnych badań. Po zebraniu koniecznych informacji podejmuje on **decyzję o kwalifikacji** ochotnika do badania.

Kryteria włączenia i wyłączenia

Warunki, które muszą być spełnione, aby dana osoba mogła wziąć udział w badaniu nazywa się **kryteriami włączenia**. Mogą one mieć charakter demograficzny (wiek, płeć, pochodzenie) lub kliniczny (historia medyczna, parametry kliniczne, przyjmowane leki).

Kryteria wyłączenia określają, które cechy dyskwalifikują pacjentów jako kandydatów do wzięcia udziału w badaniu. Dotyczą one przyczyn etycznych, praktycznych lub wynikających ze specyfiki badania (przykładowo pacjent ma choroby współistniejące, które mogłyby prowadzić do błędnej interpretacji wyników)[5].



Jak dołączyć do badania klinicznego?

Formularz Świadomej Zgody

Dokument ten potwierdza **dobrowolne wyrażenie zgody na udział w badaniu klinicznym**. Jest bardzo ważnym elementem wymaganym przez etyczne i prawne normy w większości krajów. Najczęściej formularz Świadomej Zgody składa się w formie pisemnej, jeśli nie ma jednak takiej możliwości, to w obecności dwóch świadków[6].



Randomizacja

Po wypełnieniu przez uczestników formularza Świadomej Zgody rozpoczyna się badanie kliniczne. Aby zagwarantować rzetelność wyników, w niektórych badaniach stosuje się randomizację. To **losowy przydział pacjentów** do jednej z dwóch grup: kontrolnej lub badawczej. W badaniach nierandomizowanych dzielenie uczestników do poszczególnych grup nie jest losowe[7].



Procedury i standardy etyczne



Bezpieczeństwo i wiarygodność wyników

Bezpieczeństwo pacjentów oraz **wiarygodność wyników** są kluczowe w badaniach klinicznych. W celu ich zapewnienia, badania kliniczne prowadzi się zgodnie z wytycznymi i standardami etycznymi. Całość monitorują niezależne komisje etyczne i organy regulacyjne.



Protokół badania klinicznego

To dokument zawierający plan postępowania, opis przebiegu i analizy wyników oraz wszelkie warunki badania klinicznego. To w nim znajdują się kryteria włączenia i wyłączenia, które określają zasady rekrutacji ochotników oraz wytyczne dotyczące sposobu zbierania i dokumentowania danych medycznych przez Zespół badawczy.

Protokół tworzy się przed rozpoczęciem badania. Musi spełniać **normy zgodne z zasadami Dobrej Praktyki Klinicznej**, a jego akceptacji dokonują komisje bioetyczne.



Ośrodek badawczy

Badania kliniczne odbywają się w ściśle określonych i odpowiednio wyposażonych placówkach. Mogą to być szpitale, uniwersytety lub gabinety lekarskie. Każdy Sponsor ma własne, określone w Protokole, kryteria dotyczące wyboru ośrodków badawczych, z którymi będzie współpracować.

Strony biorące udział w badaniu klinicznym:



Główny Badacz - nadzoruje wszystkie aspekty badania, kieruje rekrutacją ochotników i sporządza Protokół. Może to być lekarz lub lekarz-dentysta.



Zespół badawczy - składa się z lekarzy, pielęgniarek i innych pracowników służby zdrowia. Pomaga Badaczowi w opiece nad pacjentami i koordynowaniu przebiegu badania.



Sponsor - podmiot odpowiedzialny za rozpoczęcie, przeprowadzenie i finansowanie badania klinicznego. Może nim być osoba, firma lub organizacja.



Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych - ta instytucja odpowiada za nadzór badań klinicznych w Polsce oraz rejestrację nowych terapii.



Komisja Bioetyczna - zajmuje się opiniowaniem i weryfikacją przebiegu badania zgodnie z Protokołem.

Zalety udziału w badaniu klinicznym



Udział w badaniu klinicznym
to **wiele korzyści dla uczestników.**

Zaliczamy do nich między innymi:

- dostęp do nowych i innowacyjnych terapii,
- stałą, specjalistyczną opiekę medyczną,
- możliwość przyczynienia się do rozwoju medycyny i pomocy innym pacjentom,
- bezpieczeństwo terapii wynikające ze starannego monitorowania przebiegu badania klinicznego,
- regularne monitorowanie stanu zdrowia uczestników badania,
- terminowe wykonywanie badań (nie trzeba czekać w kolejkach),
- darmowe leczenie.

Badania kliniczne w Polsce

Badania kliniczne w Polsce prowadzi się na szeroką skalę, zarówno przez polskie, jak i międzynarodowe firmy farmaceutyczne i ośrodki naukowe. Co roku Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych rejestruje około **400 badań klinicznych**.

Polska jest także w **europejskiej czołówce** pod względem średniej liczby uczestników badań klinicznych[8].



Definicje pojęć

Zaślepienie

Technika stosowana w badaniach klinicznych, polegająca na ukryciu informacji o przypisaniu pacjentów do grupy badanej lub kontrolnej. Może dotyczyć zarówno uczestników badania, jak i członków Zespołu badawczego oraz osób odpowiedzialnych za zbieranie i analizę wyników.

Placebo

Substancja lub interwencja terapeutyczna, która nie zawiera aktywnych składników, ale jest identyczna z badaną terapią (na przykład pod względem wyglądu, smaku, czy sposobu podania). Placebo stosuje się w niektórych badaniach, aby umożliwić określenie efektów badanego leczenia oraz zwiększenie wiarygodności wyników. Nie jest ono stosowane w przypadku badań, w których nie byłoby to etyczne lub bezpieczne, jak w przypadku chorób nowotworowych czy stanów zagrażających życiu.

Karta obserwacji klinicznej

Dokument służący do zapisywania przez personel medyczny informacji o pacjencie w trakcie badania klinicznego lub leczenia. Zawiera informacje na temat stanu zdrowia, historii choroby, przeprowadzonych badań i procedur medycznych oraz stosowanych leków i innych terapii.

Dobra Praktyka Kliniczna (GCP – Good Clinical Practice)

Międzynarodowy standard zasad postępowania etycznego i naukowego w projektowaniu, prowadzeniu, monitorowaniu badań klinicznych i raportowaniu oraz archiwizowaniu danych. W Polsce standardy GCP reguluje Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 24. czerwca 2016 roku w sprawie wymagań w zakresie badań klinicznych produktów leczniczych dla ludzi.



FAQ

Najczęściej zadawane pytania



Chcę wziąć udział w badaniu klinicznym – gdzie się zgłosić?

Jeśli interesuje Cię wzięcie udziału w badaniach klinicznych, możesz poszukać organizacji lub ośrodków badawczych prowadzących badania kliniczne w Twoim regionie.

Aby ułatwić to zadanie pacjentom ze wskazaniami onkologicznymi i hematologicznymi, ZbadajRaka.pl stworzyło **Rejestr**. Dołączenie do niego pozwala nam dobrać dla Ciebie odpowiednie badanie kliniczne.



Czy udział w rekrutacji do badania klinicznego jest płatny?

Zarówno proces rekrutacji, jak i uczestnictwo w kolejnych etapach badania klinicznego jest **całkowicie darmowe**. Oznacza to, że uczestnik badania **nie musi płacić** za otrzymywany lek lub terapię, dodatkową diagnostykę wykonywaną w ramach procedur badania klinicznego, wizyty kontrolne, opiekę zespołu medycznego czy za pobyt w szpitalu.

Ponadto, jeśli badanie wymaga dłuższego pobytu w szpitalu lub innych szczególnych kosztów, organizacja prowadząca badanie **może zaoferować dodatkowe wynagrodzenie** za czas i wysiłek, jaki wkładasz w udział w badaniu. Informacje na temat przebiegu badania i korzyści płynących z uczestnictwa w nim, uzyskasz przed podjęciem decyzji o wypełnieniu formularza Świadomej Zgody.



Czy wyniki diagnostyki przeprowadzonej w ramach badania klinicznego będą dla mnie dostępne?

Tak, uczestnik **otrzymuje wyniki** dodatkowych badań diagnostycznych (na przykład badań obrazowych, czy morfologii krwi) wykonywanych bezpłatnie w ramach badania klinicznego. Mogą one być przydatne dla pacjenta w przyszłości.



Kiedy mogę ubiegać się o wydanie karty DiLO?

Kartę Diagnostyki i Leczenia Onkologicznego może otrzymać każdy pacjent, jeśli po wykonaniu badania diagnostycznego **istnieje podejrzenie wystąpienia nowotworu złośliwego**. Wystawieniem tego dokumentu zajmuje się lekarz POZ, lekarz z poradni specjalistycznej lub ze szpitala, w którym była wykonywana diagnostyka.

Zielona karta DiLO jest jak priorytetowe skierowanie – pozwala osobie z podejrzeniem nowotworu otrzymać **szybszą diagnostykę i leczenie onkologiczne**, omijając kolejki. Można ją dostać również w sytuacji nawrotu choroby.



Czy mogę poinformować swojego lekarza prowadzącego o braniu udziału w badaniu klinicznym?

Tak, informacja o udziale w badaniu **nie musi** być objęta tajemnicą. Dodatkowo jeśli Twój lekarz chciałby dowiedzieć się więcej o przebiegu badania i leczeniu jakie otrzymasz, może skontaktować się z Zespołem Badawczym.



Jakich skutków ubocznych mogę się spodziewać?

Skutki uboczne badania klinicznego mogą **różnić się** w zależności od typu badania, testowanego leku lub procedury oraz indywidualnych czynników zdrowotnych uczestnika. Informacje dotyczące możliwych skutków ubocznych uzyskasz już w trakcie pierwszej rozmowy rekrutacyjnej.



Czy w trakcie badania mogę trafić do grupy pacjentów otrzymujących jedynie placebo?

W badaniach klinicznych z dziedziny onkologii ze względów etycznych **nie stosuje się placebo**. Każdy pacjent ma zagwarantowane leczenie. Uczestnicy nieotrzymujący badanej terapii, uzyskują zazwyczaj leczenie uznane za standardowe.



Jak długo trwa badanie kliniczne?

Czas trwania badania klinicznego zależy od wielu czynników, takich jak rodzaj badania, faza badania, liczba uczestników, cel badania oraz ilość wymaganych danych, które należy skompletować. O przewidywany czas trwania badania, do którego chcesz przystąpić, możesz zapytać Badacza podczas **pierwszej rozmowy kwalifikacyjnej**.



Czy udział w badaniu klinicznym jest bezpieczny skoro otrzymywane leczenie nie jest jeszcze przebadane?

Wprowadzenie każdego nowego leku lub terapii do badań klinicznych poprzedza się **wieloletnimi badaniami** przeprowadzanymi zgodnie ze **ściśle określonymi wytycznymi**.

Są one monitorowane przez odpowiednie **organy regulacyjne** w danym państwie. W trakcie badania klinicznego każdy uczestnik pozostaje pod stałym nadzorem Zespołu Medycznego, który przez cały czas trwania badania monitoruje stan zdrowia pacjenta.



Skąd wiedzieć, do której fazy badania klinicznego dołączam?

Zespół badawczy ma **obowiązek poinformować** Cię o fazie badania, do której dołączasz. Zazwyczaj odbywa się to podczas procesu rekrutacji.



Czy można zrezygnować z badania klinicznego w trakcie jego trwania?

Tak, zgodnie z zasadami etycznymi, każdy uczestnik badania klinicznego **ma prawo rezygnacji z udziału w badaniu w dowolnym momencie**, bez podawania przyczyny.

Jeśli zdecydujesz się na rezygnację, powiadom koordynatora badania lub lekarza prowadzącego o swojej decyzji. W takim przypadku Zespół poinformuje Cię o dalszym postępowaniu i skutkach związanych z rezygnacją (na przykład konieczności odstawienia badanego leku).



Czy podczas trwania badania klinicznego trzeba cały czas przebywać w ośrodku badawczym?

Zależy to od fazy badania klinicznego oraz od procedur badawczych, które wykonywane są z udziałem uczestników badania. Niekiedy nie ma konieczności przebywania w ośrodku badawczym cały czas, ale mogą wystąpić potrzeby regularnych wizyt kontrolnych.

Zanim zdecydujesz się na udział w badaniu klinicznym, należy dokładnie **przestudiować plan badawczy oraz harmonogram wizyt kontrolnych**, aby dowiedzieć się, jakie wymagania będą nałożone na Ciebie podczas badania.



Dlaczego wizyty w badaniach klinicznych są tak częste?

Regularne wizyty u lekarza, badania laboratoryjne, obrazowe i inne badania **pozwalają monitorować reakcję organizmu** na badaną terapię i zidentyfikować niepożądane skutki uboczne. Ich częstotliwość uzależnia się, między innymi, od specyfiki badania i rodzaju otrzymywanej procedury badawczej.



Czy biorąc udział w badaniu klinicznym, nadal mogę być leczony w ramach Narodowego Funduszu Zdrowia?

Tak, uczestnictwo w badaniach klinicznych **nie wyklucza** możliwości korzystania z opieki zdrowotnej finansowanej przez NFZ. W niektórych przypadkach, uczestnictwo w badaniach klinicznych może być częścią opieki zdrowotnej oferowanej przez Narodowy Fundusz Zdrowia.



Z kim mogę skonsultować swoje pytania odnośnie badania?

Jeśli interesujesz się udziałem w badaniu klinicznym lub jesteś już jego uczestnikiem i masz pytania lub obawy, najlepiej skonsultować je bezpośrednio z **ośrodkiem badawczym** lub **lekarzem prowadzącym** badanie. W przypadku ogólnych pytań i wątpliwości dotyczących procedur badawczych, możesz również skontaktować się z lokalnymi lub krajowymi organizacjami pacjenckimi.



Jeśli nie zostaną włączony do badania klinicznego, jakie mam inne opcje leczenia?

Jeśli nie dostaniesz się do badania klinicznego, istnieje **wiele innych opcji leczenia**, które możesz rozważyć. Pierwszym krokiem jest konsultacja z Twoim lekarzem, który może zalecić odpowiednią terapię lub skierować Cię do specjalisty w danej dziedzinie medycyny. Istnieją różne metody leczenia - terapia farmakologiczna, behawioralna, chirurgia i inne terapie uzupełniające.



Czy badania kliniczne obejmują inne interwencje poza lekami?

Tak, badania kliniczne **mogą obejmować różne rodzaje interwencji**. W zależności od celu badania, mogą to być urządzenia medyczne, techniki chirurgiczne, terapie behawioralne, terapie genetyczne i wiele innych.



Czy moje dane osobiste i dokumentacja medyczna są bezpieczne?

Twoje dane osobiste i dokumentacja medyczna są chronione podczas trwania badania i po jego zakończeniu. Zespół Badawczy musi przestrzegać wytycznych regulujących ochronę prywatności i poufności informacji. Przed rozpoczęciem badania klinicznego musisz udzielić zgody na przetwarzanie Twoich danych, jednak są one nadal przechowywane i analizowane zgodnie z najwyższymi standardami bezpieczeństwa.



Wykaz źródeł

- [1] Dz.U. 2001 Nr 126 poz. 1381: Ustawa z dnia 6 września 2001 roku – Prawo farmaceutyczne
- [2] Kummar S. et al.: Phase 0 clinical trials: conceptions and misconceptions. *Cancer J.* 2008 May-Jun;14(3):133-7.
- [3] Cancer Research UK. Phases of clinical trials. 2022. [dostęp 04.05.2023]
- [4] Umscheid CA, Margolis DJ, Grossman CE. Key concepts of clinical trials: a narrative review. *Postgrad Med.* 2011 Sep;123(5):194-204.
- [5] Patino CM, Ferreira JC. Inclusion and exclusion criteria in research studies: definitions and why they matter. *J Bras Pneumol.* 2018 Apr;44(2):84.
- [6] Shah P, Thornton I, Turrin D, Hipskind JE. Informed Consent. 2022 Jun 11. In: *StatPearls [Internet]*. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2023 Jan-.
- [7] Lim CY, In J. Randomization in clinical studies. *Korean J Anesthesiol.* 2019 Jun;72(3):221-232. doi: 10.4097/kja.19049. Epub 2019 Apr 1. Erratum in: *Korean J Anesthesiol.* 2019 Aug;72(4):396.
- [8] European Medicines Agency. Clinical trials submitted in marketing-authorisation applications to the European Medicines Agency. 2013.



ZbadajRaka.pl