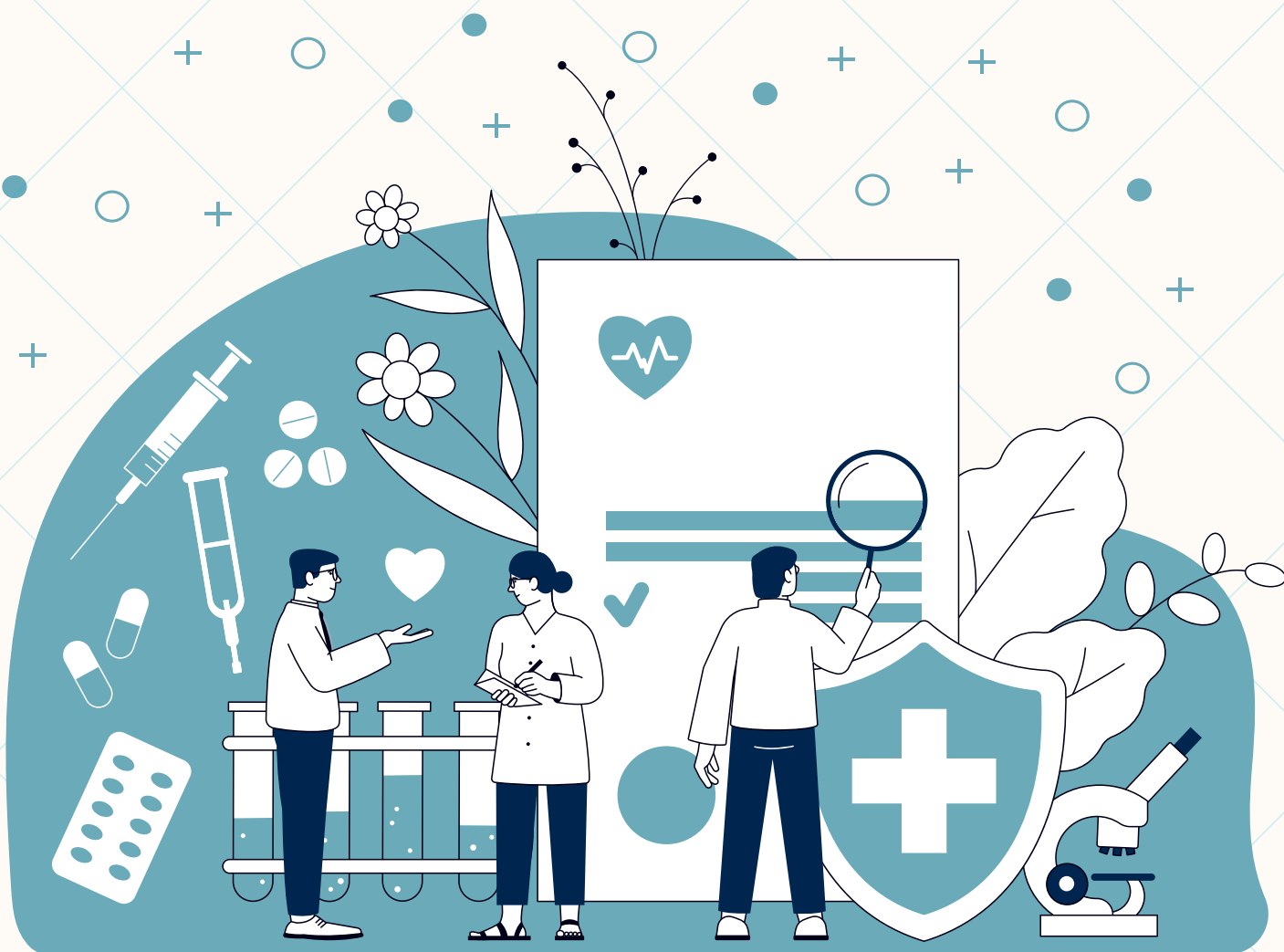


PACJENCI W BADANIACH KLINICZNYCH

KOMPENDIUM DLA LEKARZA
PODSTAWOWEJ OPIEKI ZDROWOTNEJ



Autorzy:

Mgr Baniewicz Magdalena

Dr n. med. Durda Katarzyna

Dr inż. Woroszyło Marta

Pod redakcją:

Lek. med. Czupryński Piotr

Mgr inż. Sorbian-Gajewska Karolina

ISBN: 978-83-64906-84-8

© Copyright by Centrum Wsparcia Badań Klinicznych
Pomorskiego Uniwersytetu Medycznego, Szczecin 2026

Ta publikacja została wydana na licencji Creative Commons - Uznanie Autorstwa –
CC BY (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>)



Spis treści

WSTĘP	3
WPROWADZENIE DO ZAGADNIENIA BADAŃ KLINICZNYCH	4
DEFINICJA I CEL PROWADZENIA BADAŃ OBOK STANDARDOWEJ OPIEKI MEDYCZNEJ	5
PRAKTYCZNE DEFINICJE DOTYCZĄCE BADAŃ KLINICZNYCH	7
PRZEBIEG PROCESU WPROWADZENIA NOWEGO LEKU NA RYNEK	13
AKTY PRAWNE I WYTYCZNE DOTYCZĄCE BADAŃ KLINICZNYCH	15
REJESTRACJA BADANIA KLINICZNEGO	18
REKRUTACJA UCZESTNIKÓW I PROCES PODPISANIA ŚWIADOMEJ ZGODY	19
ZAPEWNIENIE BEZPIECZEŃSTWA UCZESTNIKA W BADANIU KLINICZNYM	21
ZESPÓŁ BADANIA KLINICZNEGO – SKŁAD ZESPOŁU I ROLA POSZCZEGÓLNYCH CZŁONKÓW	23
PRAWA I OBOWIĄZKI PACJENTA W BADANIU KLINICZNYM	24
Q&A – PYTANIA NAJCZĘŚCIEJ ZADAWANE PRZEZ LEKARZY POZ	25
Q&A – PYTANIA NAJCZĘŚCIEJ ZADAWANE PRZEZ PACJENTÓW	28
BAZY BADAŃ – GDZIE SZUKAĆ INFORMACJI O BADANIACH KLINICZNYCH	32
SŁOWNIK PODSTAWOWYCH POJĘĆ UŻYWANYCH W BADANIACH KLINICZNYCH	33
WYKAZ SKRÓTÓW UŻYWANYCH W TEKŚCIE	35
ŹRÓDŁA	37
RECENZJA	38

WSTĘP

Badania kliniczne stanowią fundament rozwoju współczesnej medycyny. Dzięki nim możliwe jest wprowadzanie na rynek nowych leków, terapii i metod diagnostycznych, które poprawiają jakość i/lub długość życia pacjentów. U podstaw każdego badania klinicznego leży świadoma decyzja konkretnego człowieka – pacjenta, który wyraża zgodę na udział w badaniu. Zgoda pacjenta poprzedzona jest rozmową z lekarzem, a zaufanie do niego staje się jednym z kluczowych czynników wpływających na podjęcie decyzji. Tym lekarzem jest często lekarz podstawowej opieki zdrowotnej (POZ). To on zna pacjenta od lat, śledzi przebieg jego schorzeń oraz rozumie uwarunkowania rodzinne i społeczne, które mogą wpłynąć na proces leczenia. Rola lekarza POZ w kontekście badań klinicznych może obejmować:

- » udzielanie rzetelnych informacji o istocie badań klinicznych, ich celach, potencjalnych korzyściach i ryzyku;
- » pomoc pacjentowi w zrozumieniu treści formularza świadomej zgody;
- » ocenę bezpieczeństwa udziału pacjenta w badaniu w kontekście chorób przewlekłych i stosowanych terapii;
- » pełnienie funkcji osoby kierującej (referenta), który może kierować pacjenta do odpowiedniego ośrodka badawczego lub specjalisty, jeśli uzna, że może to być dla niego korzystne.

W ten sposób lekarz POZ może łączyć codzienną praktykę medyczną z działalnością naukowo-badawczą, wspierając rozwój medycyny opartej na dowodach (EBM – Evidence-Based Medicine), jednocześnie dbając o dobro i bezpieczeństwo pacjenta. Celem niniejszego podręcznika jest wsparcie lekarzy POZ w tej roli oraz przedstawienie aktualnych informacji i praktycznych wskazówek, które pomogą w:

- » zapoznaniu się z podstawowymi rodzajami badań klinicznych;
- » zrozumieniu podstaw prawnych i zasad etycznych badań klinicznych;
- » rozpoznawaniu potrzeb i wątpliwości pacjentów;
- » prowadzeniu rzeczowej, empatycznej rozmowy;
- » świadomym podejmowaniu decyzji o ewentualnym skierowaniu pacjenta do badania klinicznego.

Lekarz POZ pełni nie tylko kluczową rolę jako pierwsze ogniwo opieki zdrowotnej, lecz także jako ambasador zaufania i bezpieczeństwa w ramach procesu prowadzenia wszystkich etapów badania klinicznego. To jego głos – spokojny, kompetentny i niezależny – często przesądza o tym, że pacjent podejmuje decyzję w pełni świadomie i z poczuciem wsparcia.



PACJENCI W BADANIACH KLINICZNYCH WPROWADZENIE DO ZAGADNIENIA BADAŃ KLINICZNYCH

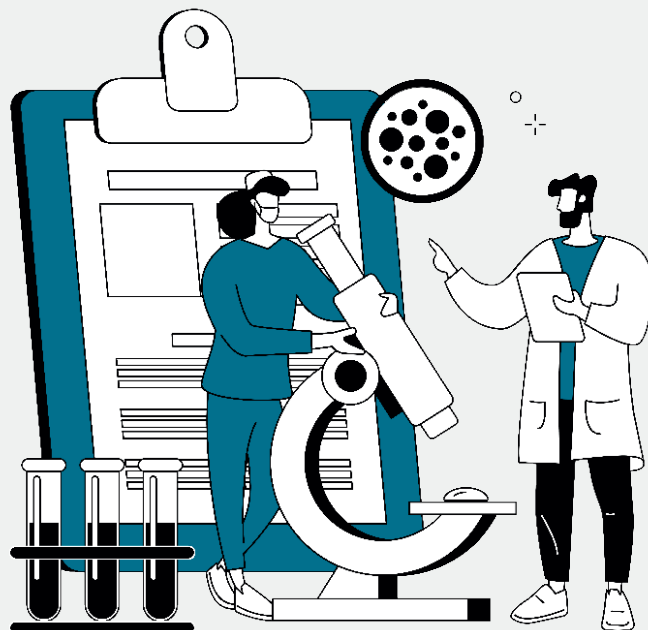
W latach 80. i 90. XX wieku, w okresie transformacji gospodarczej, rynek badań klinicznych w Polsce rozwijał się wyraźnie wolniej niż w krajach wysoko rozwiniętych. W tym czasie w Polsce nie funkcjonowały wysoko wyspecjalizowane ośrodki badań klinicznych typu *clinical trials unit*, które zajmowałyby się profesjonalnym prowadzeniem badań klinicznych.

Istniał natomiast rozbudowany publiczny system ochrony zdrowia, oparty na dobrze wykształconych, lecz słabo opłacanych pracownikach medycznych, przy jednoczesnym niedoborze środków publicznych na zakup nowoczesnych technologii medycznych, w tym nowych leków. Z czasem okazało się jednak, że Polska – podobnie jak inne kraje byłego bloku wschodniego – stała się ważnym miejscem prowadzenia komercyjnych badań klinicznych w ogólnodostępnych szpitalach i poradniach.

Przez ostatnie 30 lat w Polsce powstał stabilny, a zarazem dynamicznie rozwijający się rynek badań klinicznych. W 2024 roku wartość komercyjnego segmentu rynku badań klinicznych w Polsce osiągnęła niemal 2,2 mld USD (wg Raportu “Komercyjne Badania Kliniczne w Polsce – Analiza zmian rynku do 2024 r.”). Rozwój ten przełożył się na dostęp do innowacyjnych terapii dla ponad 26 800 pacjentów oraz stworzenie wielu nowych miejsc pracy, co znacząco wzmocniło krajowy sektor ochrony zdrowia. Struktura rynku pod względem faz i komercyjnego charakteru badań nie zmieniła się znacząco przez lata – nadal dominują badania fazy II i III, sponsorowane głównie przez zagraniczny przemysł farmaceutyczny. Przykładowo, spośród badań zarejestrowanych w Polsce w 2018 roku 57% stanowiły badania fazy III, 32% – fazy II, a jedynie 7,5% – fazy I.

Polska zajmuje obecnie 9. miejsce na świecie pod względem udziału w globalnym rynku komercyjnych badań klinicznych (2,68%). Pozycja ta wynika z dynamicznego wzrostu liczby rejestrowanych badań w latach 2019–2024. W 2023 roku osiągnięto najwyższą liczbę wniosków – 784 (wg URPL), z których 40 dotyczyło badań niekomercyjnych. Ważnym czynnikiem sprzyjającym rozwojowi rynku badań klinicznych w ostatnich latach było utworzenie w 2019 roku Agencji Badań Medycznych (ABM). Agencja ta wspiera finansowanie badań niekomercyjnych oraz rozwój infrastruktury badawczej, w tym tworzenie wyspecjalizowanych ośrodków, takich jak Centra Wsparcia Badań Klinicznych (CWBK).

Podobnie jak w innych krajach Europy, większość badań prowadzona jest w publicznych szpitalach i poradniach, a ich znaczną część stanowią również badania kliniczne prowadzone w prywatnych, wyspecjalizowanych ośrodkach badań klinicznych. Aktualne dane dotyczące prowadzonych badań klinicznych w Polsce można znaleźć w rejestrach publicznych, m.in. takich jak ClinicalTrials.gov.



DEFINICJA I CEL PROWADZENIA BADAŃ OBOK STANDARDOWEJ OPIEKI MEDYCZNEJ

Badanie kliniczne to starannie zaplanowany i kontrolowany proces prowadzony według ściśle określonych procedur, którego celem jest ocena czy nowy lek, terapia, urządzenie medyczne lub metoda leczenia jest bezpieczna i skuteczna. Wyniki uzyskane z prowadzenia badań klinicznych przyczyniają się do rozwoju wiedzy i umożliwiają opracowanie nowych sposobów zapobiegania, diagnozowania i leczenia chorób.

Badania są prowadzone zgodnie z precyzyjnie określonymi zasadami, co gwarantuje ich zgodność z obowiązującymi przepisami prawa oraz stałe monitorowanie bezpieczeństwa uczestników. W niektórych dziedzinach terapeutycznych stosowanie innowacyjnych technologii medycznych, w tym nowoczesnych leków, generuje wysokie koszty. Udział w badaniach klinicznych realizowanych w publicznych szpitalach i poradniach może także stanowić jedną z niewielu możliwości dostępu do terapii eksperymentalnych, niedostępnych w standardowej opiece zdrowotnej. Badania kliniczne mogą w ten sposób uzupełniać lub częściowo odciążać zakres świadczeń finansowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ), nie zastępując jednak standardowej opieki medycznej.

Zasada nadrzędna, uregulowana w prawie polskim i europejskim, nakłada na sponsora badania obowiązek nieodpłatnego dostarczenia badanego produktu leczniczego oraz ewentualnych produktów porównawczych (komparatorów), nawet jeśli są dostępne w obrocie. Sponsor pokrywa ponadto koszty procedur diagnostycznych, leczniczych i profilaktycznych przewidzianych w protokole badania. Przykładem potencjalnych korzyści systemowych jest onkologia, bowiem udział w badaniu klinicznym może umożliwić wybranym pacjentom dostęp do innowacyjnych i kosztownych terapii, takich jak leki biologiczne czy leczenie immuno-onkologiczne.

Badania kliniczne są kluczowym elementem rozwoju medycyny, ponieważ pozwalają ocenić skuteczność i bezpieczeństwo nowych terapii w sposób zgodny z zasadami naukowymi, przy jednoczesnym zachowaniu bezpieczeństwa uczestników. Pomimo rygorystycznych procedur i udokumentowanych korzyści, badania kliniczne nadal pozostają przedmiotem społecznych kontrowersji. W większości obawy wynikają z ograniczonej wiedzy na temat zasad prowadzenia badań klinicznych. Dlatego, niezwykle istotna jest rzetelna, otwarta i zrozumiała komunikacja z pacjentem, która pomaga mu zrozumieć cel i znaczenie badania oraz wzmacnia zaufanie do całego procesu.

Istotną rolą lekarza POZ może być wyjaśnienie pacjentowi różnic między standardową opieką medyczną a udziałem w badaniu klinicznym (tab. 1).



OBSZAR	BADANIE KLINICZNE	STANDARDOWA OPIEKA MEDYCZNA
CEL	Ocena skuteczności i bezpieczeństwa nowych metod leczenia, leków, metod diagnostycznych lub procedur.	Leczenie pacjenta zgodnie z aktualną wiedzą medyczną.
PODSTAWA PRAWNA	Regulowane przepisami prawa i zasadami Dobrej Praktyki Klinicznej (<i>GCP – Good Clinical Practice</i>).	Regulowana przepisami prawa i standardami zawodowymi.
DOBÓR PACJENTÓW	Uczestnicy spełniają określone przez protokół badania kryteria włączenia i wyłączenia.	Pacjenci przyjmowani na podstawie potrzeb zdrowotnych.
ZGODA PACJENTA	Wymagana pisemna i świadoma zgoda na udział w badaniu.	Jeżeli jest potrzebna zgoda na leczenie, to zazwyczaj jest mniej rozbudowana niż w badaniu klinicznym.
STOSOWANE LECZENIE	Może obejmować lek badany, placebo lub standardowe leczenie.	Stosowane są wyłącznie terapie zatwierdzone do rutynowego stosowania.
MONITOROWANIE PACJENTA	Systematyczne oraz szczegółowe badania i wizyty kontrolne.	Monitorowanie zgodne ze standardami opieki.
ELASTYCZNOŚĆ LECZENIA	Ograniczona – leczenie przebiega ściśle według protokołu badania.	Istotna – lekarz modyfikuje sposób leczenia adekwatnie do kondycji pacjenta i postępu choroby.
KOSZTY LECZENIA	Pokrywane przez sponsora badania – firmy farmaceutyczne i biotechnologiczne, lub instytucje akademickie.	Finansowane przez NFZ, pacjenta lub ubezpieczyciela prywatnego.
DOSTĘP DO INNOWACJI	Wcześniejszy dostęp do nowych terapii.	Dostęp dopiero po rejestracji i refundacji produktu badanego na rynku.
RYZYSKO	Możliwe nieznanne działania niepożądane.	Ryzyko występuje, ale jest znane i opisane.

Tabela 1. Różnice między badaniem klinicznym a standardową opieką medyczną
Opracowano na podstawie materiałów Agencji Badań Medycznych. Źródło: strona [ABM](#).

Zrozumienie przez pacjenta różnic między badaniem klinicznym a standardową opieką medyczną jest fundamentalne z uwagi na istnienie zjawiska „błędneho przekonania terapeutycznego” (*therapeutic misconception*). Pacjent, który nie potrafi wskazać różnic między standardem opieki a badaniem klinicznym, nie będzie odpowiednio przygotowany do poniesienia ewentualnego ryzyka, wynikającego z udziału w badaniu klinicznym. Niezwykle ważne jest dlatego wyjaśnienie pacjentowi, że badanie kliniczne nie jest równoznaczne ze standardowym leczeniem. Uczestnik badania może odnieść korzyści zdrowotne z zastosowania produktu badanego, jednak nie są one gwarantowane, ponieważ celem badania klinicznego jest przede wszystkim ocena jego skuteczności i bezpieczeństwa, a nie zapewnienie indywidualnej korzyści terapeutycznej.

PRAKTYCZNE DEFINICJE DOTYCZĄCE BADAŃ KLINICZNYCH

Zanim nowy produkt badany zostanie wprowadzony do obrotu, musi być oceniony w odpowiednio zaprojektowanym badaniu klinicznym, będącym w istocie eksperymentem naukowym. W niniejszym rozdziale przedstawiono definicje badań klinicznych oraz omówiono ich główne typy, różniące się zakresem, celem i metodologią.

Badanie biomedyczne oznacza każde badanie dotyczące ludzi, mające na celu:

- » odkrycie lub potwierdzenie klinicznych, farmakologicznych lub innych farmakodynamicznych skutków jednego lub większej liczby produktów leczniczych;
- » stwierdzenie działań niepożądanych jednego lub większej liczby produktów leczniczych lub;
- » zbadanie wchłaniania, dystrybucji, metabolizmu i wydalania jednego lub większej liczby produktów leczniczych; mające na celu upewnienie się co do bezpieczeństwa lub skuteczności tych produktów leczniczych (*art. 2 ust. 2 pkt 1 Rozporządzenia 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*).

Badanie kliniczne oznacza badanie biomedyczne spełniające którykolwiek z następujących warunków:

- » przydział uczestnika do danej strategii terapeutycznej jest ustalany z góry i odbywa się w sposób niestanowiący standardowej praktyki klinicznej zainteresowanego państwa członkowskiego;
- » decyzja o przepisaniu badanego produktu leczniczego jest podejmowana łącznie z decyzją o włączeniu uczestnika do badania biomedycznego;
- » u uczestników oprócz standardowej praktyki klinicznej wykonuje się dodatkowe procedury diagnostyczne lub procedury monitorowania (*art. 2 ust. 2 pkt 2 Rozporządzenia 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*).

Wszystkie badania kliniczne można przypisać do kategorii badań komercyjnych lub niekomercyjnych:

Badania kliniczne komercyjne realizowane są głównie w celu pozyskania danych niezbędnych do uzyskania pozwolenia na dopuszczenie produktu leczniczego do obrotu, wprowadzenia zmian w istniejącym pozwoleniu lub w celach marketingowych. Badania komercyjne najczęściej prowadzone są przez firmy farmaceutyczne i biotechnologiczne.

Niekomercyjne badania kliniczne są prowadzone w celu optymalizacji leczenia, poszerzenia wiedzy medycznej, rozwoju praktyki klinicznej, a także poprawy dostępu do nowoczesnych terapii. Prowadzone są zwykle przez instytucje akademickie, towarzystwa naukowe, szpitale lub niezależnych badaczy. Koncentrują się głównie na analizie skuteczności i bezpieczeństwa leków, które są już dostępne na rynku. Poniżej przedstawiono dodatkowe kryteria charakteryzujące badanie kliniczne niekomercyjne oraz spełniające łącznie następujące warunki:



- » sponsorem oraz współsponsorem badania klinicznego jest uczelnia, podmiot leczniczy, badacz, stowarzyszenie lub inna jednostka, której celem nie jest osiągnięcie zysku w zakresie prowadzenia badań klinicznych,
- » prawo dysponowania danymi uzyskanymi w toku badania klinicznego przysługuje wyłącznie sponsorom i współsponsorom wymienionym powyżej,
- » niekomercyjnym badaniem klinicznym jest także badanie kliniczne finansowane w całości ze środków publicznych, jeżeli spełnione są co najmniej kryteria określone w pkt 1 i 2 (art. 5 ustawy z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi (Dz.U. z 2023 r. poz. 605).

Wyniki niekomercyjnego badania klinicznego nie mogą być wykorzystywane w celu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie produktu leczniczego do obrotu ani do zmian w rejestracji produktu już zarejestrowanego. Wyjątkiem jest możliwość wykorzystania wyników do zaktualizowania danych dotyczących bezpieczeństwa stosowanego produktu.



Badania kliniczne ze względu na charakter interwencji, stopień kontroli nad zmiennymi oraz cele badawcze, można podzielić na dwie podstawowe kategorie:

Badania interwencyjne mają na celu ocenę skuteczności i bezpieczeństwa badanej interwencji medycznej, np. nowego produktu leczniczego czy terapii. Zazwyczaj zbierane dane koncentrują się na ocenie wpływu nowego produktu leczniczego na organizm człowieka. W badaniach interwencyjnych uczestnicy najczęściej są losowo przydzielani do różnych ramion badania, w których mogą otrzymać badany produkt, placebo lub standardowe leczenie dostępne na rynku. Rodzaje interwencyjnych badań klinicznych przedstawiono w tabeli 2.

KATEGORIA PROJEKTU	RODZAJ	OPIS
MASKOWANIE <i>(Blinding/Masking)</i>	Otwarte (Open Label)	Brak maskowania; uczestnik i badacz znają przydzieloną interwencję; stosowane w fazach wczesnych, chorobach rzadkich.
	Pojedynczo zaślepienie (Single Blind)	Uczestnik nie wie, jaką interwencję otrzymuje – ogranicza to efekt placebo u uczestników.
	Podwójnie zaślepienie (Double Blind)	Uczestnik i badacz nie znają przydzielonej interwencji.
	Potrójnie / wielokrotnie zaślepienie (Triple / Quadruple Blind)	Zaślepieni są uczestnik, badacz, oceniający wyniki i/lub analityk danych; służy to minimalizacji stronniczości na wszystkich etapach.
RODZAJ KONTROLI <i>(Control Type)</i>	Z placebo (Placebo – controlled)	Grupa kontrolna otrzymuje placebo, jeśli leczenie standardowe nie jest dostępne.
	Z aktywną kontrolą (Active – controlled)	Porównanie z leczeniem standardowym, gdy nieetyczne jest stosowanie placebo.
	bez grupy kontrolnej (Uncontrolled)	Brak grupy porównawczej.
PRZYDZIAŁ DO GRUP <i>(Allocation)</i>	Randomizowane (Randomized)	Losowy przydział uczestników do ramion badania.
	Nierandomizowane (Non-randomized)	Nielosowy przydział uczestników do poszczególnych ramion badania.
MODEL INTERWENCJI <i>(Intervention Model)</i>	Równoległy (Parallel Assignment)	Każda grupa otrzymuje inną interwencję przez cały czas trwania badania.
	Krzyżowy (Crossover Assignment)	Uczestnik poddawany jest kolejno różnym interwencjom.
	Sekwencyjny (Sequential Assignment)	Przydział do kolejnych interwencji odbywa się według ustalonego schematu.
	Jednoramienny (Single Group Assignment)	Wszyscy uczestnicy otrzymują tę samą interwencję.

Tabela 2. Rodzaje interwencyjnych badań klinicznych

Badania obserwacyjne prowadzone są w celu zrozumienia wpływu różnych czynników na zdrowie i rozwój chorób w populacji, bez dodatkowych interwencji ze strony badacza. Mogą obejmować analizę długotrwałego stosowania produktu leczniczego dostępnego na rynku. W ich przebiegu zbierane są dane dotyczące stylu życia, przebiegu choroby, stosowanych leków towarzyszących oraz występowania chorób współistniejących, innych niż choroba podstawowa objęta protokołem badania. Takie badania często stanowią podstawę formułowania hipotez, które później mogą być testowane w badaniach interwencyjnych.

W ramach wszystkich wyżej wymienionych rodzajów badań klinicznych możemy mówić o tzw. **badaniach zdecentralizowanych**, w których część lub wszystkie czynności związane z badaniem odbywają się poza tradycyjnym ośrodkiem badawczym. Dzięki zastosowaniu elementów zdecentralizowanych, pacjent może realizować procedury w miejscu dla niego dogodnym – w domu lub w lokalnej placówce medycznej. Jest to możliwe dzięki wykorzystaniu cyfrowych technologii zdrowotnych (DHT – *digital health technology*) oraz systemów do elektronicznego zbierania danych. Badania te są prowadzone w sposób bardziej elastyczny – umożliwiają angażowanie lekarzy POZ i innych specjalistów do wykonywania procedur przewidzianych w protokole badania klinicznego.

Przykładowe elementy zdecentralizowane:

- » wizyty zdalne z personelem badania (np. badaczem);
- » wizyty domowe realizowane przez pielęgniarki lub inny upoważniony personel;
- » wizyty w lokalnej placówce POZ (np. pobranie krwi, pomiary parametrów życiowych, podanie produktu badanego);
- » dostarczenie badanego produktu leczniczego bezpośrednio do uczestnika.

Korzyści dla uczestnika i badania klinicznego:

- » większa dostępność badań klinicznych – uczestnik nie musi podróżować do odległego ośrodka;
- » komfort i oszczędność czasu – procedury realizowane są w znanym otoczeniu;
- » dostępność procedur zdecentralizowanych może wpłynąć pozytywnie na retencję uczestników.

Decentralizacja badań klinicznych zwiększa ich dostępność, ponieważ wybrane procedury wymagane przez protokół mogą być wykonywane w otoczeniu uczestnika, a nie w ośrodku badawczym, często oddalonym od miejsca zamieszkania. Pozwala to podnieść komfort uczestnika i zaoszczędzić jego czas, przy jednoczesnym zachowaniu wszystkich wymogów dotyczących bezpieczeństwa i nadzoru nad realizacją badania klinicznego. Decentralizacji wymaga jednak dodatkowych mechanizmów kontroli – np. nad podwykonawcami procedur przewidzianych protokołem badania.

Badania kliniczne w populacji pediatrycznej

Badania kliniczne mogą być również prowadzone w populacji pediatrycznej, obejmującej osoby, które nie ukończyły 18. roku życia. Badania kliniczne z udziałem małoletnich mogą być prowadzone wyłącznie wówczas, gdy spełnione są m.in. następujące warunki:

- » badanie dotyczy schorzenia występującego w populacji pediatrycznej albo jest niezbędne do uzyskania wiedzy dotyczącej tej populacji i nie może zostać przeprowadzone wyłącznie z udziałem osób dorosłych;
- » uzyskano świadomą zgodę przedstawiciela ustawowego małoletniego, a sam małoletni – stosownie do wieku i stopnia dojrzałości – został poinformowany o badaniu oraz wyraził zgodę współuczestniczącą (*assent*);

- » istnieją naukowe podstawy do przypuszczenia, że udział w badaniu może przynieść małoletniemu bezpośrednią korzyść zdrowotną, przy czym ryzyko i obciążenia muszą pozostawać proporcjonalne do spodziewanych korzyści;
- » jeżeli badanie nie przynosi bezpośredniej korzyści zdrowotnej dla małoletniego, dopuszczalne jest wyłącznie wtedy, gdy wiąże się z minimalnym ryzykiem i minimalnym obciążeniem oraz ma na celu uzyskanie istotnej wiedzy dotyczącej stanu zdrowia lub choroby tej populacji.

Nadzór nad badaniem i monitorowanie zdarzeń niepożądanych przebiega podobnie jak w przypadku badań w populacji dorosłych. Badania pediatryczne również podlegają stałej kontroli przez instytucje państwowe i międzynarodowe. Badania kliniczne z udziałem dzieci stanowią wyzwanie, ponieważ małoletni uczestnicy wymagają szczególnej uwagi. Niezbędne jest zapewnienie przyjaznego otoczenia i poczucia bezpieczeństwa, które zapewnia nie tylko obecność bliskich, ale również wykwalifikowany i empatyczny personel.

Badania kliniczne w chorobach rzadkich

O chorobach rzadkich mówimy, gdy występowanie danego schorzenia nie przekracza 5 chorych na 10 tys. osób. Choroby te często mają podłoże genetyczne, a także przewlekły, poważny i zazwyczaj zagrażający życiu charakter. Około 50% chorób rzadkich rozpoznawanych jest w wieku dziecięcym.

Badania kliniczne w tym obszarze cechują się ograniczoną populacją uczestników i napotykają wiele wyzwań, m.in. natury organizacyjnej, etycznej i metodologicznej, oraz wymagają dużych nakładów finansowych, dlatego jedynie niektóre firmy farmaceutyczne decydują się na rozwój tzw. leków sierocych (*orphan drugs*), czyli produktów leczniczych przeznaczonych do leczenia chorób rzadkich.

Badania kliniczne wyrobów medycznych

Badania kliniczne kojarzone są głównie z lekami i innowacyjnymi terapiami. Należy jednak podkreślić, że niektóre wyroby medyczne podlegają badaniom klinicznym, zanim zostaną dopuszczone do stosowania. Wyroby medyczne to urządzenia, aparaty, oprogramowania, odczynniki, implanty lub inne materiały i artykuły przewidziane przez producenta, przeznaczone do diagnostyki, profilaktyki, leczenia lub łagodzenia chorób czy niepełnosprawności. Produkty te mogą także zastępować lub modyfikować budowę anatomiczną oraz funkcje fizjologiczne.

Wyroby medyczne podzielone są na klasy ryzyka: I, IIa, IIb, III, a w przypadku wyrobów do diagnostyki *in vitro* (IVD) wyróżnia się klasy: A, B, C, D. Klasyfikacja zależy od przewidzianego zastosowania, sposobu działania, miejsca użycia, czasu jego stosowania oraz poziomu ryzyka.

Badania kliniczne wyrobów medycznych to systematyczne badania z udziałem jednego lub większej liczby uczestników, prowadzone w celu oceny bezpieczeństwa i działania klinicznego wyrobu. Badania te dotyczą w szczególności wyrobów implantowalnych oraz wyrobów medycznych klasy III, a także niektórych wyrobów klasy IIb, jeżeli brakuje wystarczających danych klinicznych. Głównym celem przeprowadzenia takich badań jest:

- » weryfikacja założeń dotyczących działania wyrobu,
- » ocena bezpieczeństwa stosowania wyrobu,
- » ocena możliwych działań niepożądanych,
- » ocena ryzyka względem oczekiwanych korzyści wynikających z użycia wyrobu.

Badania kliniczne wyrobów medycznych podlegają podobnym regulacjom jak badania kliniczne produktów leczniczych. W ich prowadzeniu występuje jednak kilka następujących różnic:

- » tylko określone wyroby medyczne podlegają badaniom klinicznym, w przeciwieństwie do produktów leczniczych, bowiem każdy nowy lek musi zostać poddany badaniom klinicznym;
- » kilka wyrobów medycznych może podlegać ocenie w trakcie jednego badania klinicznego;
- » nie stosuje się faz badań – prowadzi się badania pilotażowe, badania bezpieczeństwa i efektywności oraz badania postmarketingowe;
- » zamiast protokołu stosuje się plan badania klinicznego (CIP – *Clinical Investigation Plan*);
- » Akty prawne regulujące stosowanie oraz wprowadzenie wyrobów medycznych na rynek to: Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/745 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych, zmiany dyrektywy 2001/83/WE, rozporządzenia (WE) nr 178/2002 i rozporządzenia (WE) nr 1223/2009 oraz uchylecia dyrektyw Rady 90/385/EWG i 93/42/EWG, znanym jako MDR;
- » Ustawa z dnia 7 kwietnia 2022 r. o wyrobach medycznych (Dz. U. 2022, poz. 974).

PRZEBIEG PROCESU WPROWADZENIA NOWEGO LEKU NA RYNEK

Opracowanie nowego leku to długi i złożony proces, który rozpoczyna się na długo przed tym, zanim gotowy produkt leczniczy trafi do aptek. Od momentu sformułowania koncepcji terapeutycznej do identyfikacji odpowiedniej cząsteczki mija wiele miesięcy, a często nawet lat intensywnych prac laboratoryjnych i przedklinicznych.



Proces ten kontynuowany jest przez realizację kolejnych faz badań klinicznych, służących potwierdzeniu skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii w warunkach kontrolowanych. Każda faza wymaga starannego zaplanowania, nadzoru i zgodności z obowiązującymi regulacjami, co sprawia, że cały proces może trwać nawet kilkanaście lat. Na **rysunku 1** przedstawiono kluczowe etapy powstawania nowego produktu badanego. Dopiero po pomyślnym zakończeniu badania klinicznego i uzyskaniu pozytywnej oceny wniosku przez odpowiednie instytucje regulacyjne, lek może zostać dopuszczony do obrotu i udostępniony pacjentom. Choć szczegółowe omówienie całego procesu – od odkrycia cząsteczki o potencjale terapeutycznym po jej dopuszczenie do obrotu – wykracza poza zakres niniejszego kompendium, poniżej zaprezentowano kluczowe etapy badań nad produktami badanymi.

Proces ten rozpoczyna się od badań przedklinicznych, w trakcie których ocenia się skuteczność produktu badanego na modelach zwierzęcych i liniach komórkowych oraz jego właściwości farmakologiczne, farmakokinetyczne i farmakodynamiczne. Określa się ponadto profil bezpieczeństwa produktu badanego – toksyczność ostrą i przewlekłą, immunogenność oraz potencjał karcynogeny.

Po zakończeniu badań przedklinicznych rozpoczyna się **faza I**, w której po raz pierwszy podaje się produkt badany ludziom – najczęściej zdrowym ochotnikom, jednak często w badaniach onkologicznych są to chorzy, którzy wyczerpali wszystkie inne dostępne metody terapeutyczne. Głównym celem fazy I jest określenie bezpieczeństwa, tolerancji, dawki początkowej oraz sposobu metabolizowania substancji. W tej fazie uczestniczy zwykle od 20 do 100 uczestników, co pozwala na wstępne określenie profilu bezpieczeństwa i wykrycie częstych działań niepożądanych.

Kolejna jest **faza II**, w której produkt badany otrzymują uczestnicy cierpiący na chorobę, którą ma leczyć badana terapia. Ocenia się wstępną skuteczność leku w danym wskazaniu oraz kontynuowane jest monitorowanie bezpieczeństwa. Badania te obejmują zazwyczaj kilkudziesięciu do kilkuset uczestników (najczęściej od 100 do 300), co pozwala na bardziej szczegółowe określenie działania terapeutycznego i określenie dawki skutecznej.

Faza III to duże, często wielośrodkowe lub międzynarodowe badania, w których bierze udział od kilkuset do kilku tysięcy uczestników (1000–3000), choć może być ich znacznie więcej w zależności od choroby i rodzaju terapii. Na tym etapie porównuje się produkt badany ze standardowym leczeniem lub placebo, aby jednoznacznie ocenić jego skuteczność i bezpieczeństwo w szerokiej populacji. Wyniki fazy III stanowią podstawę do wniosku o rejestrację produktu badanego.

Po dopuszczeniu produktu badanego do obrotu rozpoczyna się **faza IV**, czyli badania **porejestracyjne**. Ocenia się w nich działanie terapii w codziennej praktyce klinicznej, długoterminowe bezpieczeństwo oraz rzadko występujące działania niepożądane. Uczestniczy w nich od kilkuset do nawet dziesiątek tysięcy uczestników, ponieważ analiza odbywa się często na bardzo szerokiej skali, obejmując zróżnicowane grupy populacyjne. Etap ten trwa przez cały okres obecności leku na rynku. Przedstawione powyżej opisy poszczególnych etapów badań klinicznych mogą różnić się m.in. przedstawioną liczebnością uczestników.



Rysunek 1. Kluczowe etapy procesu badań mających na celu dopuszczenia produktu leczniczego do obrotu

Koszt opracowania nowego leku, obejmujący zarówno badania przedkliniczne, jak i kliniczne, szacuje się na 1,9–2,5 mld euro. Cały proces – od badań przedklinicznych do rejestracji leku – trwa zazwyczaj od 12 do 20 lat. W Polsce większość badań klinicznych ma charakter komercyjny i globalny, a ich sponsorami są głównie zagraniczne firmy farmaceutyczne. Badania niekomercyjne stanowią natomiast jedynie około 2% wszystkich badań klinicznych prowadzonych w kraju (wg “Plan Rozwoju Badań Klinicznych na lata 2020–2025”).

AKTY PRAWNE I WYTYCZNE DOTYCZĄCE BADAŃ KLINICZNYCH

Eksperymenty medyczne, a następnie badania kliniczne, od zawsze były prowadzone z udziałem ludzi. Przez wiele lat nie podlegały jednak żadnym uregulowaniom prawnym ani zasadom etycznym.

W przeszłości lekarze, dążąc do odkrycia nowych leków lub metod terapeutycznych, często w pierwszej kolejności testowali je na sobie. Prowadzili także eksperymenty na osobach, które miały ograniczone prawa i zdolność do decydowania o sobie lub znajdowały się w trudnej sytuacji społeczno-ekonomicznej. Nie można również pominąć tragicznych wydarzeń związanych z eksperymentami medycznymi prowadzonymi na ludziach w czasie II wojny światowej. To właśnie te dramatyczne doświadczenia stały się impulsem do stopniowego wprowadzania zasad regulujących prowadzenie badań klinicznych. Jedną z inicjatyw było sformułowanie przez amerykańskich sędziów Kodeksu Norymberskiego w 1947 roku, w którym zostały uwzględnione takie kwestie jak bezpieczeństwo uczestników, dobrowolna i świadoma zgoda, możliwość wycofania się z badania, uzasadnienie sensu prowadzenia eksperymentu z podaniem podstaw naukowych oraz odpowiednie kwalifikacje badacza. Dokument ten stał się podstawą prowadzenia badań na ludziach, a także fundamentem kolejnych standardów etycznych.



Współczesne badania kliniczne są ściśle regulowane przez międzynarodowe wytyczne i akty prawne, które mają na celu zapewnienie etycznego i naukowo rzetelnego prowadzenia badań z udziałem ludzi. Do obowiązujących dokumentów o kluczowym znaczeniu należą:

- » [Deklaracja Helsińska](#) – kodeks etyczny określający prawa pacjenta oraz zasady prowadzenia badań z udziałem ludzi.
- » [ICH E6 GCP](#) (*International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use – Good Clinical Practice*) – międzynarodowe wytyczne określające standardy planowania i prowadzenia badań klinicznych, monitorowania ich przebiegu, nadzoru oraz prowadzenia i archiwizacji dokumentacji badania. Stosowanie zasad GCP zapewnia wiarygodność i dokładność uzyskiwanych danych oraz właściwe raportowanie wyników, a także gwarantuje poszanowanie praw, bezpieczeństwa i dobrostanu osób uczestniczących w badaniach.
- » 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 – jest to kluczowy akt prawny regulujący prowadzenie badań klinicznych na terenie Unii Europejskiej. Zapewnia wysokie standardy etyczne, jakościowe i proceduralne prowadzonych badań oraz umożliwia ujednoczenie procedur we wszystkich państwach członkowskich UE. Wprowadza ponadto zintegrowany [System Informacji o Badaniach Klinicznych](#) (CTIS – *Clinical Trials Information System*) służący do składania wniosków o pozwolenie na badanie kliniczne, co upraszcza proces administracyjny. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/PL/TXT/PDF/?uri=CELEX:32014R0536>

Dodatkowo w Polsce obowiązują przepisy krajowe:

- » [Ustawa z dnia 6 listopada 2008 r. o prawach pacjenta i Rzeczniku Praw Pacjenta \(Dz.U. 2024 poz. 581\)](#));
- » [Ustawa z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi \(Dz.U. 2023 poz. 605\)](#));
- » [Ustawa z dnia 5 grudnia 1996 r. o zawodach lekarza i lekarza dentysty \(Dz.U. 1997 nr 28 poz. 152\)](#));
- » [Ustawa z dnia 23 kwietnia 1964 r. – Kodeks cywilny \(Dz.U. 2025 poz. 1071\)](#).

Nie można również pominąć [Ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne \(Dz.U. 2001 nr 126 poz. 1381\)](#), która nadal obowiązuje w Polsce w kontekście badań klinicznych, ale jej rola jest obecnie uzupełniająca w stosunku do pozostałych aktów prawnych. Prawo farmaceutyczne określa m.in. zasady dopuszczania produktów leczniczych do obrotu, warunki wytwarzania i obrotu produktami leczniczymi, wymagania dotyczące bezpieczeństwa stosowania leków oraz warunki prowadzenia badań klinicznych weterynaryjnych produktów leczniczych. Kwestie związane z prowadzeniem badań klinicznych produktów leczniczych u ludzi – w tym procedura uzyskania pozwolenia na badanie, ocena etyczna, obowiązki sponsora i badacza, funkcjonowanie Funduszu Kompensacyjnego – szczegółowo uregulowano w ustawie o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi z 2023 roku oraz w rozporządzeniu UE nr 536/2014.

Międzynarodowe instytucje odpowiedzialne za nadzór nad prawidłowym prowadzeniem badań klinicznych to:

- » **WHO** (*WHO – World Health Organization*) – opracowuje globalne wytyczne dotyczące projektowania, prowadzenia i nadzoru nad badaniami klinicznymi,
- » **EMA** (*EMA – European Medicines Agency*) – zapewnia ocenę naukową, nadzór i monitorowanie bezpieczeństwa produktów leczniczych stosowanych u ludzi i do celów weterynaryjnych w UE,
- » **FDA** (*FDA – Food and Drug Administration*) – nadzoruje badania kliniczne w USA, w tym zgodność z zasadami GCP,
- » **NIH** (*NIH – National Institutes of Health*) – amerykańska agencja wspierająca badania naukowe, w tym kliniczne,
- » **ICH** (*ICH – International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use*) – międzynarodowa inicjatywa, która zrzesza organy regulacyjne oraz przedstawicieli przemysłu farmaceutycznego w celu opracowywania wspólnych wytycznych dotyczących badań i rejestracji produktów leczniczych.

Polskie instytucje odpowiedzialne za nadzór nad prawidłowym prowadzeniem badań klinicznych to:

- » **Naczelna Komisja Bioetyczna przy Agencji Badań Medycznych (NKB)** – centralny organ oceny etycznej badań klinicznych odpowiedzialny za zatwierdzanie protokołów badawczych oraz monitorowanie przestrzegania zasad etyki badań.
- » **Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL)** – organ administracji państwowej, wydaje zgodę na rozpoczęcie badania i jest uprawniony do przeprowadzania inspekcji w ośrodkach prowadzących badania kliniczne.

Ponadto, w 2019 r. w Polsce powołano Agencję Badań Medycznych – państwową instytucję działającą pod nadzorem Ministra Zdrowia. Jej zadaniem jest wspieranie rozwoju badań klinicznych, prowadzenie działań edukacyjnych oraz legislacyjnych; finansuje projekty badawcze, w tym eksperymenty medyczne, badania kliniczne leków i wyrobów medycznych oraz wspiera rozwój innowacyjnych terapii i nowych technologii medycznych. ABM rozwija ponadto infrastrukturę badawczą przez tworzenie Centrów Wsparcia Badań Klinicznych i przyczynia się do zwiększenia dostępności nowoczesnych terapii dla pacjentów oraz do podniesienia jakości badań klinicznych prowadzonych w Polsce.

Przedstawione powyżej akty prawne, wytyczne oraz instytucje nadzorujące obrazują, jak złożonym i wieloaspektowym procesem jest prowadzenie badań klinicznych. Proces ten wymaga nie tylko precyzyjnego planowania i organizacji, ale także ścisłego przestrzegania licznych regulacji prawnych i zasad etycznych. W większości dokumentów skoncentrowano się na praktycznych aspektach prowadzenia badań, takich jak obowiązki sponsora, organizacja pracy ośrodka badawczego, zasady finansowania, reklamy oraz odpowiedzialności prawnej. Szczególną uwagę poświęca się kwestii bezpieczeństwa uczestników oraz procesowi udzielania świadomej zgody, co jest fundamentem etycznego prowadzenia badań klinicznych. Dodatkowe zapisy, takie jak kodeksy etyczne czy wytyczne międzynarodowe, mają na celu zapewnienie, że każda osoba biorąca udział w badaniu ma pełną świadomość jego celu, przebiegu oraz potencjalnego ryzyka – zarówno przed rozpoczęciem, jak i w trakcie trwania badania.



Badania kliniczne są prowadzone na podstawie międzynarodowych wytycznych, zasad etycznych i przepisów prawa oraz ustaw krajowych. Cały proces jest nadzorowany przez właściwe instytucje, co gwarantuje wysoką jakość prowadzonych badań i wiarygodność wyników, a przede wszystkim bezpieczeństwo uczestników.

REJESTRACJA BADANIA KLINICZNEGO

Aby ułatwić dostęp do informacji o badaniach klinicznych, uprościć procedurę uzyskiwania zgody na ich prowadzenie oraz zapewnić jeden kanał komunikacji między sponsorami a organami regulacyjnymi państw Unii Europejskiej i Europejskiego Obszaru Gospodarczego, utworzono [System Informacji o Badaniach Klinicznych](#).

Wszystkie badania kliniczne produktów leczniczych prowadzone w UE muszą być zarejestrowane w tym systemie.

Informacje zawarte w CTIS są ogólnodostępne – można sprawdzić, w których ośrodkach prowadzone są badania, jakiej terapii dotyczą, na jakim etapie realizacji się znajdują, a także zapoznać się z wynikami badań już zakończonych.

Uproszczony schemat rejestracji badania klinicznego w systemie CTIS wygląda następująco:

- » przygotowanie kompletnej dokumentacji,
- » złożenie wniosku w CTIS,
- » walidacja wniosku (w Polsce odbywa się w URPL),
- » ocena wniosku (merytoryczna – URPL, etyczna – Naczelna Komisja Bioetyczna),
- » wydanie decyzji organów regulatorowych.

Czas trwania tego procesu, zwykle liczony w miesiącach, jest uzależniony od złożoności badania, jakości i kompletności dokumentacji, dodatkowych zapytań ze strony państw członkowskich, a także od jego fazy i charakteru. CTIS pełni podwójną funkcję – dostarcza pacjentom i innym zainteresowanym rzetelnych informacji o prowadzonych badaniach klinicznych, a sponsorom umożliwia uzyskanie pozwolenia na rozpoczęcie badania w Unii Europejskiej.

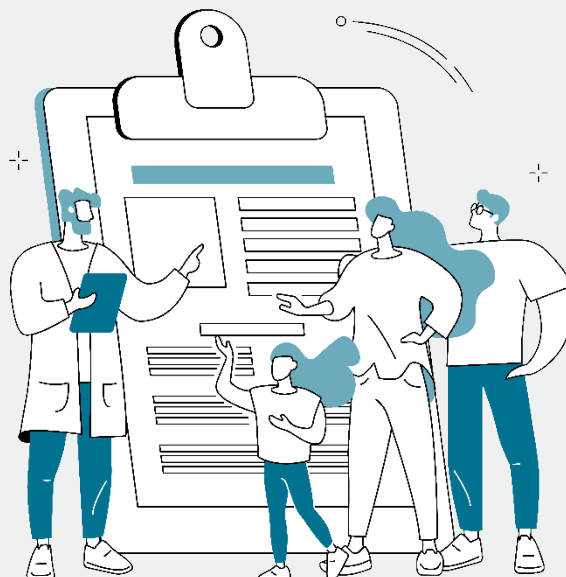


REKRUTACJA UCZESTNIKÓW I PROCES PODPISANIA ŚWIADOMEJ ZGODY

Rekrutacja to proces identyfikowania, informowania i kwalifikowania pacjentów, którzy mogą wziąć udział w badaniu klinicznym, zgodnie z określonymi kryteriami włączenia i wyłączenia, a następnie uzyskanie ich świadomej zgody na udział w badaniu. Celem rekrutacji jest zapewnienie odpowiedniej liczby uczestników, którzy reprezentują populację docelową oraz spełniają kryteria bezpieczeństwa i naukowej wiarygodności badania.

Źródłem wiedzy o badaniu klinicznym dla potencjalnych uczestników są:

- » lekarze rodzinni oraz specjaliści,
- » kampanie informacyjne w mediach,
- » materiały informacyjne dostarczane ośrodkom badań przez sponsora badania,
- » portale internetowe.



Każdy potencjalny uczestnik badania klinicznego musi wyrazić świadomą zgodę na udział w badaniu. Powinno to być poprzedzone przekazaniem pacjentowi egzemplarza świadomej zgody, zawierającej opis przebiegu badania oraz wszystkimi niezbędnymi danymi, z którymi pacjent może zapoznać się bez presji czasu. Wśród informacji zawartych w formularzu świadomej zgody można wymienić m.in.: cel badania, procedury medyczne wykonywane w trakcie badania, potencjalne korzyści i ryzyko. Informacje dotyczą również ochrony danych osobowych pacjenta, ubezpieczenia zdrowia i życia oraz możliwości wycofania zgody na udział w badaniu w dowolnym momencie. Pacjent po zapoznaniu się z informacjami dotyczącymi badania, musi mieć możliwość zadawania pytań i omówienia treści zgody z badaczem. Dopiero po pełnym zrozumieniu celu, przebiegu badania oraz potencjalnych korzyściach i ryzyku podpisuje formularz świadomej zgody.

Pacjent wyrażający chęć udziału w badaniu klinicznym zobowiązany jest do podpisania świadomej zgody, która stanowi formalną procedurę poprzedzającą jakiegokolwiek działania przewidziane w protokole badania. Zgoda jest podpisywana zawsze w dwóch egzemplarzach – jeden pozostaje w ośrodku prowadzącym badanie, a drugi jest wydany uczestnikowi. W momencie podpisania formularza świadomej zgody na udział w badaniu pacjent staje się uczestnikiem badania klinicznego. Określenie „uczestnik” zamiast „pacjent” podkreśla, że dana osoba dobrowolnie bierze udział w badaniu naukowym prowadzonym według ściśle określonych zasad etycznych i prawnych. Uczestnik ma prawo wycofać się z badania w dowolnym momencie jego trwania, bez podawania przyczyny, a decyzja ta nie może mieć wpływu na jego dalszą opiekę medyczną.

Podpisanie świadomej zgody jest jedną z najważniejszych procedur w przebiegu badania klinicznego. Procedurę tę często określa się jako proces pozyskania świadomej zgody, ponieważ pacjent musi mieć czas na zapoznanie się z treścią formularza i możliwość zadania pytań. Proces ten nie może odbywać się w pośpiechu lub w atmosferze nacisku, ponieważ zgoda na uczestnictwo w badaniu klinicznym jest decyzją, która może poważnie wpłynąć na zdrowie i życie uczestnika.

Po podpisaniu świadomej zgody następuje ocena kwalifikowalności uczestnika do badania, czyli przeprowadzona zostaje wizyta przesiewowa. Na wizycie tej dochodzi do wstępnej weryfikacji kryteriów włączenia i wyłączenia, przeprowadza się dokładny wywiad medyczny, przegląda dokumentację medyczną pacjenta oraz często wykonuje się pierwsze procedury diagnostyczne (np. pobranie krwi, biopsję, RTG, USG, EKG).

Na kolejnej wizycie, często nazywanej wizytą randomizacyjną następuje losowa alokacja uczestnika do grupy badawczej (interwencja, placebo/standardowa terapia) lub też przydzielenie produktu badanego w przypadku badań typu *open-label* (faza otwarta). W następnych krokach uczestnik realizuje kolejne wizyty według harmonogramu, aż do czasu zakończenia jego udziału w badaniu lub wycofania zgody na dalszy udział w badaniu klinicznym.

ZAPEWNIENIE BEZPIECZEŃSTWA UCZESTNIKA W BADANIU KLINICZNYM

System zapewnienia bezpieczeństwa w badaniach klinicznych jest wielopoziomowy i obejmuje nadzór etyczny, prawny, organizacyjny oraz kliniczny. Już na etapie projektowania badania prowadzi się szczegółową analizę potencjalnych zagrożeń, a wszystkie procedury planowane są tak, aby zminimalizować możliwość wystąpienia ryzyka dla uczestnika.

Każde badanie kliniczne tworzy się na podstawie międzynarodowych standardów etycznych i jakościowych, a jego rozpoczęcie wymaga uzyskania pozytywnej opinii niezależnej komisji bioetycznej oraz zgody właściwych organów regulacyjnych. Badania podlegają regularnemu nadzorowi, a za ich przebieg jest odpowiedzialny wykwalifikowany personel. W razie pojawienia się sygnałów o zwiększonym ryzyku, organy regulatorowe mogą zdecydować o czasowym wstrzymaniu lub też zakończeniu badania.



Z chwilą rozpoczęcia badania klinicznego wdrażane są szczegółowe procedury monitorowania bezpieczeństwa uczestników, które obejmują m.in. raportowanie działań niepożądanych, ocenę ich związku z badanym produktem oraz reagowanie na wszelkie sytuacje mogące zagrażać zdrowiu lub życiu uczestników. Przy ocenie zdarzeń niepożądanych badacze oprócz swojej wiedzy medycznej, odwołują się również do protokołu badania, broszury badacza oraz w przebiegu niektórych badań do [powszechnych kryteriów terminologicznych dla zdarzeń niepożądanych](#) (CTCAE – *Common Terminology Criteria for Adverse Events*). Jest to ustandaryzowany system oceny i klasyfikacji działań niepożądanych, stosowany do monitorowania bezpieczeństwa uczestników badań klinicznych. Uczestnicy badania pozostają pod stałą obserwacją medyczną, a proces badania klinicznego jest skonstruowany tak, aby maksymalnie chronić zdrowie, bezpieczeństwo i dobro uczestnika, które pozostają nadrzędną wartością na każdym etapie.



Nadrzędnym i absolutnym priorytetem każdego badania klinicznego jest bezpieczeństwo uczestnika. Żaden interes naukowy, ekonomiczny ani organizacyjny nie może stać ponad dobrem osoby uczestniczącej w badaniu.

W Polsce wymagane jest obowiązkowe ubezpieczenie OC sponsora i badacza, obejmujące szkody zdrowotne powstałe w związku z udziałem uczestnika w badaniu klinicznym. Uczestnik badania ma prawo do pełnej informacji o procedurze zgłaszania roszczenia, do niezbędnej opieki medycznej po wystąpieniu zdarzenia niepożądanego oraz do możliwości ubiegania się o rekompensatę.

Uzupełnieniem klasycznej ścieżki odszkodowania jest Fundusz Kompensacyjny Badań Klinicznych, który wprowadzono w ustawie o badaniach klinicznych i jest administrowany przez Rzecznika Praw Pacjenta. Celem funduszu jest zapewnienie szybszego i prostszego wsparcia finansowego dla osób, które w wyniku udziału w badaniu klinicznym produktów leczniczych doznały uszczerbku na zdrowiu. Uczestnik badania może otrzymać jednorazowe świadczenie w wysokości od 2000 do 200 tys. zł, a w przypadku śmierci uczestnika jego bliscy otrzymują od 20 tys. do 100 tys. zł na osobę. Postępowanie w ramach Funduszu Kompensacyjnego jest uproszczone w porównaniu z postępowaniem sądowym, jednak nadal wymaga spełnienia określonych kryteriów. Świadczenie może być także wypłacone, gdy nie można przypisać nikomu winy, a postępowanie trwa do trzech miesięcy od złożenia kompletnego wniosku. Działanie Funduszu Kompensacyjnego Badań Klinicznych jest regulowane przez poniższe przepisy:

- » [Ustawa z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi \(Dz.U. 2023 poz. 605\),](#)
- » Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r. w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/PL/TXT/PDF/?uri=CELEX:32014R0536>

ZESPÓŁ BADANIA KLINICZNEGO – SKŁAD ZESPOŁU I ROLA POSZCZEGÓLNYCH CZŁONKÓW

W skład zespołu badania klinicznego wchodzi osoby o zróżnicowanej wiedzy i zakresie obowiązków. Zazwyczaj, podstawowy skład zespołu badania klinicznego stanowią następujący członkowie:



- » Główny Badacz (PI – *Principal Investigator*) – główny badacz musi być lekarzem lub też wykonywać zawód, który wg regulacji krajowych uznawany jest za kwalifikujący do pełnienia tej funkcji w określonym badaniu. Główny badacz odpowiada za całokształt przebiegu badania klinicznego i nadzoruje czy jest ono prowadzone zgodnie z protokołem i obowiązującymi regulacjami. Odpowiada również za bezpieczeństwo uczestników badania i przydział zadań poszczególnym członkom zespołu badawczego.
- » Współbadacz (SI – *Sub-Investigator*) – najczęściej lekarz lub lekarz dentysta, odpowiedzialny zazwyczaj m.in. za przeprowadzanie wizyt pacjentów oraz ocenę zdarzeń niepożądanych. Główną rolą współbadacza jest zbieranie danych dotyczących zdrowia uczestnika badania oraz nadzór nad jego bezpieczeństwem.
- » Pielęgniarka (SN – *Study Nurse*) – w badaniu jest zazwyczaj odpowiedzialna za pomiar parametrów życiowych, pobieranie materiału biologicznego, podanie produktu badanego oraz zarządzanie materiałami laboratoryjnymi związanymi ze wstępnym opracowaniem pobranych próbek.
- » Farmaceuta (PHA – *Pharmacist*) – odpowiedzialny za zgodne z wytycznymi sponsora badania zarządzanie produktem badanym – jego odpowiednie przechowywanie oraz prowadzenie dokumentów dotyczących ilości produktu badanego, znajdującego się w ośrodku i wydanego uczestnikom badania.
- » Koordynator badań klinicznych (CRC – *Clinical Research Coordinator*) – odpowiada za obsługę administracyjno-logistyczną badania klinicznego oraz utrzymuje regularny kontakt z uczestnikami, organizując harmonogram i przebieg wizyt w ośrodku. Na co dzień ściśle współpracuje z głównym badaczem oraz pozostałymi członkami zespołu badawczego, zapewniając, że badanie jest prowadzone zgodnie z wymogami protokołu i wg najwyższych standardów jakościowych.

Przedstawione zakresy odpowiedzialności poszczególnych członków zespołu badawczego mogą różnić się w zależności od prowadzonego badania lub personelu, którym dysponuje ośrodek badawczy. W zależności od potrzeb danego badania klinicznego do zespołu mogą dołączyć również inni specjaliści tacy jak np. dietetyk, okulista, kardiolog, radiolog czy też diagnosta laboratoryjny.

PRAWA I OBOWIĄZKI PACJENTA W BADANIU KLINICZNYM

Decyzja o udziale w badaniu klinicznym jest zawsze dobrowolna i podejmowana po zapoznaniu się przez pacjenta z pełną oraz zrozumiałą informacją o badaniu. Pacjent nie jest „obiektem badania”, lecz aktywnym i chronionym uczestnikiem, którego prawa są gwarantowane zarówno przez prawo krajowe, jak i międzynarodowe regulacje etyczne. Jednocześnie uczestnictwo w badaniu wiąże się z pewnymi obowiązkami, które służą zapewnieniu rzetelności i bezpieczeństwa całemu procesowi.



Rolą lekarza POZ może być pomoc uczestnikowi badania klinicznego zrozumieć jego prawa i obowiązki oraz czuwać nad tym, by udział w badaniu nie zagrażał jego zdrowiu ani ciągłości leczenia. Poniżej przedstawiono podstawowe prawa pacjenta, które warto poruszyć w rozmowie z potencjalnym uczestnikiem badania klinicznego:


1. **Dobrowolność udziału** – podkreśl, że udział jest całkowicie dobrowolny – pacjent może odmówić lub wycofać zgodę w dowolnym momencie bez konsekwencji dla dalszego leczenia.
2. **Świadoma zgoda** – upewnij się, że pacjent rozumie: cel badania, procedury, ryzyko, możliwe korzyści, alternatywne sposoby leczenia oraz prawo do pytań.
3. **Prawo do rezygnacji** – pacjent może wycofać się z badania w każdym momencie, bez podawania przyczyny.
4. **Prawo do informacji** – pacjent ma prawo otrzymać szczegółowe informacje o badaniu, o swoim stanie zdrowia i o wszelkich nowych okolicznościach, które mogą wpłynąć na jego decyzję o dalszym udziale.
5. **Poufność danych** – zapewnij pacjenta, że jego dane będą chronione zgodnie z przepisami RODO i GCP, a wyniki badania są anonimowe.
6. **Odszkodowanie i opieka medyczna** – wyjaśnij, że sponsor badania jest ubezpieczony i pokrywa ewentualne koszty leczenia działań niepożądanych lub szkód powstałych w związku z udziałem w badaniu.
7. **Zwrot kosztów** – uczestnik może otrzymać zwrot kosztów poniesionych w związku z udziałem w badaniu, mogą być to koszty poniesione w związku z transportem, wyżywieniem lub noclegami.
8. **Szacunek i autonomia** – pacjent ma prawo być traktowany z poszanowaniem godności, prywatności i przekonań.

Wśród podstawowych obowiązków uczestnika w badaniu klinicznym wymienić można:

1. **Rzetelne informowanie o stanie zdrowia** – pacjent powinien przekazać lekarzowi pełne informacje o przyjmowanych lekach, chorobach i alergiach.
2. **Przestrzeganie protokołu badania** – istotne jest regularne przyjmowanie leku zgodnie z zaleceniami, zgłaszanie się na wizyty i wykonywanie badań kontrolnych.
3. **Zgłaszanie działań niepożądanych** – należy niezwłocznie zgłosić badaczowi lub personelowi medycznemu każdy niepokojący objaw.
4. **Zgoda na wgląd w dokumentację** – dane mogą być udostępniane wyłącznie osobom upoważnionym: członkom zespołu badania, monitorom, audytorom, komisji bioetycznej.
5. **Informowanie o rezygnacji** – w przypadku decyzji o zakończeniu udziału należy poinformować badacza o tym, ale nie trzeba podawać przyczyny rezygnacji.

Prawa i obowiązki pacjenta opracowano na podstawie materiałów Agencji Badań Medycznych. Źródło: strona ABM, [Prawa i obowiązki uczestnika badania klinicznego](#).

Q&A – PYTANIA NAJCZĘŚCIEJ ZADAWANE PRZEZ LEKARZY POZ


 Jak określić, który pacjent może odnieść korzyść z udziału w badaniu klinicznym?

Lekarz POZ nierzadko jest pierwszą osobą, która dostrzega u pacjenta brak odpowiedzi na standardowe leczenie oraz wyczerpanie dostępnych możliwości terapeutycznych. Podczas rozmowy lekarz może również zauważyć, że pacjent poszukuje nowocześniejszych metod terapii lub wyraża zainteresowanie udziałem w badaniu klinicznym.




W praktyce warto zwracać uwagę zwłaszcza na pacjentów z chorobami przewlekłymi o utrudnionej kontroli, licznymi nawrotami pomimo leczenia, nietolerancją standardowych terapii, rozpoznaniem nowotworowym i chorobami rzadkimi, w których dostęp do nowych terapii jest kluczowy.

W gabinecie warto kierować się zasadą – jeśli brakuje satysfakcjonujących możliwości terapeutycznych – warto sprawdzić dostępne badania kliniczne w danym wskazaniu.


 W jakim zakresie lekarz POZ powinien współpracować z zespołem badań klinicznych?

Lekarz POZ może utrzymywać kontakt z zespołem badań klinicznych, jeśli jego pacjent bierze udział w badaniu. Jego rolą jest prowadzenie standardowej opieki medycznej, monitorowanie stanu zdrowia pacjenta i reagowanie na możliwe działania niepożądane, o których powinien informować zespół badawczy. Wszelka wymiana informacji musi odbywać się za zgodą pacjenta. Lekarz POZ nie wykonuje procedur wynikających z protokołu badania klinicznego, ale dba o bezpieczeństwo pacjenta i może konsultować z zespołem badawczym każdą decyzję mogącą wpłynąć na przebieg leczenia pacjenta.


 Czy mogę zapoznać się z dokumentacją badania klinicznego, w którym będzie uczestniczył mój pacjent?

Lekarz POZ nie ma dostępu do pełnej treści protokołu badania, broszury badacza, wewnętrznych procedur ośrodka, danych innych uczestników i wielu dokumentów związanych z przebiegiem badania. Są to informacje poufne, do których dostęp mają wyłącznie członkowie zespołu prowadzącego badanie kliniczne. Należy wspomnieć, że lekarz POZ może zaczerpnąć informacji o danym badaniu klinicznym na stronie [Search for clinical trials - EMA](#).


Lekarz POZ ma prawo zapoznać się z dokumentacją medyczną uczestnika badania i z formularzem świadomej zgody na udział w badaniu, tylko jeśli pacjent wyrazi na to zgodę. Uczestnik badania ma pełne prawo udzielić lekarzowi POZ dostępu do swojej dokumentacji medycznej związanej z udziałem w badaniu.

 Jak powinien postąpić lekarz POZ w przypadku występowania działań ubocznych terapii u pacjenta?

Gdy u pacjenta biorącego udział w badaniu klinicznym pojawiają się działania uboczne (działania niepożądane), lekarz POZ powinien najpierw ocenić jego stan i udzielić niezbędnej pomocy. Następnie powinien odnotować objawy w dokumentacji medycznej oraz za zgodą pacjenta, skontaktować się z zespołem badań klinicznych, aby przekazać informacje o zdarzeniu. Wprowadzenie nowych leków lub zmian terapii powinno odbywać się po konsultacji z zespołem badawczym, chyba że sytuacja wymaga natychmiastowej interwencji. Priorytetem pozostaje bezpieczeństwo pacjenta.

 Czy pacjent biorący udział w badaniu klinicznym pozostaje pod moją opieką?


Tak. Udział pacjenta w badaniu klinicznym nie wyłącza pacjenta z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej. Nadal korzysta z porad, recept, skierowań i opieki w ramach NFZ.

 Jaki jest zakres mojej odpowiedzialności za pacjenta uczestniczącego w badaniu?


Za bezpieczeństwo i zdrowie uczestnika odpowiada główny badacz, ośrodek i sponsor badania. Lekarz POZ odpowiada za decyzje podejmowane w ramach standardowej opieki medycznej, zgodnie z obowiązującymi przepisami prawa.

 Czy mogę kontynuować lub modyfikować terapię pacjenta będącego w badaniu?


Tak – lekarz POZ może modyfikować terapię pacjenta, ale warto zwrócić uwagę, że niektóre leki mogą być niedozwolone przez protokół badania klinicznego, co może być związane z interakcjami z produktem badanym. Lekarz POZ, który prowadzi pacjenta będącego uczestnikiem badania powinien przed zmianą leczenia skonsultować się z głównym badaczem celem potwierdzenia, czy zmiana leczenia jest bezpieczna.

 Kto odpowiada za postępowanie w przypadku wystąpienia działania niepożądanego – ja czy badacz?


Za monitorowanie i raportowanie działań niepożądanych odpowiada badacz prowadzący badanie. Lekarz POZ odpowiada za standardową diagnostykę i leczenie. Jeśli lekarz POZ zauważy pogorszenie stanu zdrowia pacjenta uczestniczącego w badaniu może skontaktować się z ośrodkiem prowadzącym badanie, ponieważ może to być działanie niepożądane wynikające z przyjmowania produktu badanego.

 Czy lekarz POZ ponosi odpowiedzialność prawną za udział pacjenta w badaniu?


Nie. Za bezpieczeństwo i zdrowie uczestnika oraz wykonywanie procedur badania odpowiada sponsor i główny badacz. Lekarz POZ odpowiada jedynie za swoje decyzje kliniczne wynikające z podstawowej opieki zdrowotnej.

 Czy ośrodek powinien przekazać mi kartę informacyjną dotyczącą udziału pacjenta w badaniu klinicznym?

W praktyce – tak, to standard w większości badań. Formalnie – nie zawsze jest to wymagane.

 Czy pacjent musi mnie poinformować o udziale w badaniu?

Pacjent nie ma obowiązku informowania lekarza POZ o udziale w badaniu. Taka informacja może mieć jednak duże znaczenie dla bezpieczeństwa pacjenta, zarówno w przypadku chorób przewlekłych, jak i terapii doraźnej, np. chorób zakaźnych. Wynika to z ryzyka interakcji między lekami przepisany pacjentowi a produktem badanym, który przyjmuje w ramach badania klinicznego. Dlatego, pacjent jest zazwyczaj zachęcany przez zespół badania klinicznego do poinformowania lekarza POZ o udziale w badaniu klinicznym.

 Sygnały alarmowe – kiedy udział w badaniu klinicznym może NIE być odpowiedni dla danego pacjenta?

Choć udział pacjenta w badaniu jest dobrowolny, lekarz rodzinny może pomóc w ocenie, czy propozycja udziału pacjenta w badaniu klinicznym powinna zostać poddana głębszemu namysłowi. W szczególności, jeśli:

- » pacjent wykazuje brak zrozumienia ryzyka związanego z udziałem,
- » pacjent ma zbyt wiele chorób współistniejących lub przyjmuje liczne leki (wysokie ryzyko interakcji z produktem badanym),
- » pacjent deklaruje udział pod presją osób trzecich,
- » pacjent ma niską zdolność do przestrzegania zaleceń lekarskich,
- » przedstawiana pacjentowi informacja o badaniu jest niepełna lub budzi wątpliwości.

Ważne – lekarz POZ nie decyduje o kwalifikacji – to rola ośrodka badawczego. Nie może również wpływać w jakikolwiek sposób na decyzję pacjenta o udziale w badaniu – jest to indywidualna decyzja pacjenta.

Q&A – PYTANIA NAJCZĘŚCIEJ ZADAWANE PRZEZ PACJENTÓW



💡 Dlaczego proponuje mi się udział w badaniu klinicznym?

Lekarz powinien wyjaśnić spokojnie i rzeczowo, że propozycja udziału wynika ze stanu zdrowia pacjenta, odpowiadającego założeniom badania i jednostce chorobowej ujętej w badaniu klinicznym. Propozycja udziału w badaniu nie jest przypadkowa oraz niekoniecznie jest oznaką niepowodzenia dotychczasowego leczenia.

Proponowany udział w badaniu ma na celu ocenę nowej terapii pod ścisłym nadzorem specjalistów i może, lecz nie musi, przynieść korzyści kliniczne dla uczestnika.

💡 Czy udział w badaniu jest obowiązkowy?

Nie, udział w badaniu klinicznym nie jest obowiązkowy. Pacjent po zapoznaniu się z formularzem świadomej zgody na udział w badaniu oraz po rozmowie z lekarzem kwalifikującym ma prawo podjąć samodzielną, świadomą decyzję czy wyraża chęć na udział w badaniu klinicznym. Może również wycofać swoją zgodę na udział w badaniu w dowolnym momencie bez żadnych konsekwencji. Decyzja należy wyłącznie do pacjenta (w przypadku samodzielnych, dorosłych pacjentów) i nie może wynikać z jakiegokolwiek nacisku.

💡 Co dokładnie będzie się działo podczas badania klinicznego?

Lekarz powinien wyjaśnić, że badanie kliniczne przebiega według szczegółowego planu (protokołu), w którym określono wszystkie etapy, wizyty, badania i procedury. Można podkreślić, że pacjent otrzyma w formie pisemnej pełną informację przed rozpoczęciem udziału w badaniu, oraz że ma prawo zadawać wszelkie pytania na każdym etapie.

💡 Jakie korzyści mogę odnieść z udziału w badaniu klinicznym?

Udział w badaniu klinicznym może przynieść różnorodne korzyści – zarówno dla uczestników, jak i dla nauki oraz całego społeczeństwa. Najważniejsze z nich to: **dostęp do nowoczesnych metod leczenia** – uczestnicy mogą mieć dostęp do najnowszych terapii, które jeszcze nie są powszechnie dostępne na rynku; **profesjonalna opieka medyczna** – uczestnictwo często wiąże się z konsultacjami z wykwalifikowanymi specjalistami i regularnym monitorowaniem stanu zdrowia; **możliwość poprawy stanu zdrowia** – w niektórych przypadkach badania kliniczne mogą przyczynić się do poprawy stanu zdrowia i samopoczucia; **wkład w rozwój nauki i medycyny** – udział pomaga w opracowaniu nowych terapii i metod leczenia, które mogą przynieść korzyści innym pacjentom w przyszłości; **wiedza i świadomość** – uczestnicy często zyskują lepszą wiedzę na temat swojej choroby i dostępnych metod leczenia.

💡 Jakich działań niepożądanych mogę spodziewać się w trakcie badania klinicznego?

Lekarz powinien wyjaśnić, że każde leczenie, także standardowe, może wiązać się z ryzykiem wystąpienia działań niepożądanych. W badaniach klinicznych to ryzyko jest dokładnie opisane

w dokumentach informacyjnych, które pacjent otrzymuje przed podpisaniem zgody na udział w badaniu. Należy zaznaczyć, że uczestnik badania znajduje się pod ścisłą opieką medyczną a każdy niepokojący objaw należy natychmiast zgłosić lekarzowi prowadzącemu badanie.

Czy mogę otrzymać placebo?

Tak, w badaniach klinicznych pacjent może trafić do grupy otrzymującej placebo. Placebo to nieaktywny preparat, który jest używany do porównania z produktem badanym, aby ocenić jego skuteczność i bezpieczeństwo. Udział w grupie placebo jest możliwy, jeśli badanie jest zaprojektowane jako randomizowana kontrolowana próba z grupą placebo lub też, jeśli nie ma dostępnych skutecznych terapii, które uniemożliwiałyby stosowanie placebo. Informacja o możliwości trafienia do grupy otrzymującej placebo będzie zawarta w formularzu świadomej zgody.

Czy będę wiedzieć, czy otrzymuję produkt badany czy placebo?

Nie zawsze. Lekarz powinien wyjaśnić, że w wielu badaniach klinicznych stosuje się tzw. ślepe próby – ani pacjent, ani lekarz prowadzący nie wiedzą, kto otrzymuje nowy lek, a kto placebo. Takie postępowanie ma na celu obiektywną ocenę leczenia. Należy jednak zaznaczyć, że pacjent w razie potrzeby medycznej (np. zagrożenia zdrowia lub życia) może zostać „odślepiony”, tzn. zostanie ujawnione czy pacjent otrzymuje produkt badany, czy placebo.

Kto będzie miał dostęp do moich danych?

Dane osobowe i dokumentacja medyczna badania klinicznego są chronione przepisami prawa. Dostęp do nich mają wyłącznie osoby zaangażowane w dane badanie kliniczne, czyli zespół badawczy (lekarz prowadzący, koordynatorzy, pielęgniarki), przedstawiciele sponsora (monitorzy) oraz organy regulacyjne (audytorzy i inspektorzy). Pacjent ma prawo wycofać zgodę na przetwarzanie danych, jednak wiąże się to z zakończeniem udziału w badaniu, ponieważ bez tej zgody nie jest możliwe dalsze przeprowadzanie procedur badania. Przetwarzaniu mogą podlegać jednak dane zebrane w badaniu do momentu wycofania zgody.

Czy poniosę jakiegokolwiek koszty w związku z udziałem w badaniu?

Uczestnik nie ponosi żadnych kosztów procedur, badań ani leków przewidzianych w protokole badania. Zwracane są również poniesione koszty, wynikające np. z noclegu, posiłków czy podróży do ośrodka. Wszystkich informacji na ten temat powinien udzielić zespół badania klinicznego. Najczęściej informacji takich udziela koordynator badania.

Co się stanie, jeśli doświadczę działań niepożądanych?

Wystąpienie działań niepożądanych związanych z podaniem badanego produktu leczniczego każdorazowo jest indywidualnie rozpatrywane. Badacz musi ocenić zdarzenie niepożądane i podjąć odpowiednie działania, w tym zapewnić opiekę medyczną oraz zgłosić wystąpienie zdarzenia do sponsora badania. Badacz podejmuje również decyzję o dalszych krokach – decyduje czy uczestnik może kontynuować udział w badaniu, czy może dalej przyjmować produkt badany lub czy zostanie wyłączone z dalszego uczestnictwa w badaniu. Wszystkie decyzje mają na celu zapewnienie bezpieczeństwa uczestnika.

Czy po zakończeniu badania będę mógł dalej przyjmować lek otrzymywany w badaniu?

W aktualnym stanie prawnym brakuje w Polsce precyzyjnych regulacji dotyczących dostępu do tzw. programów rozszerzonego dostępu (*expanded access programs*) przeznaczonych dla uczestników badania klinicznego, pozytywnie odpowiadających na leczenie produktem podawanym w badaniu. W praktyce istnieją następujące scenariusze:

- » dalsze leczenie produktem badanym, jeśli jest on już zarejestrowany w Polsce w danym wskazaniu (refundacja lub zakup przez pacjenta),
- » dalsze leczenie innym lekiem zarejestrowanym, z podobnym działaniem lub takimi samymi substancjami aktywnymi,
- » dalsze leczenie niezarejestrowanym produktem badanym w ramach kolejnego badania klinicznego typu „*open-label*”,
- » dalsze leczenie niezarejestrowanym produktem badanym w ramach tzw. *compassionate use*. *Compassionate use* tłumaczone jest jako „humanitarne stosowanie” – to opcja leczenia, która pozwala na użycie leku, niedopuszczonego do obrotu w danym kraju. Ważnym warunkiem jest, że ww. grupy pacjentów nie można poddać skutecznemu leczeniu żadnym innym produktem leczniczym dopuszczonym do obrotu w danym kraju.

Czy mogę skonsultować się z rodziną/przyjaciółmi zanim podejmę decyzję o udziale w badaniu klinicznym?

Tak, przed podjęciem decyzji o udziale w badaniu klinicznym można omówić chęć udziału w badaniu i swoje wątpliwości z lekarzem rodzinnym, członkami rodziny, innymi bliskimi osobami lub też opiekunami prawnymi.

Czy udział w badaniu klinicznym wpłynie na moje dotychczasowe leczenie?

Przed zakwalifikowaniem do badania, badacz musi zweryfikować z protokołem badania, jakie leczenie jest dopuszczalne, a jakie zabronione w trakcie przyjmowania produktu badanego. Jest to ważne ze względu na możliwe interakcje między przyjmowanymi lekami a produktem badanym. Tym samym, w trakcie badania klinicznego dotychczasowe leczenie może ulec zmianom.

Czy otrzymam wynagrodzenie za udział w badaniu klinicznym?

Udział w badaniu klinicznym nie wiąże się z otrzymaniem wynagrodzenia finansowego. Co istotne, uczestnicy nie ponoszą kosztów związanych z udziałem, takich jak dojazd na wizyty, wyżywienie w dniu badania czy nocleg, jeśli zajdzie taka konieczność.

Czy w dniach wizyt w ramach badania klinicznego przysługuje mi zwolnienie lekarskie?

Tak, w trakcie wizyt w ramach badania klinicznego można uzyskać zwolnienie lekarskie, jeśli zostanie to uznane za konieczne. Zwolnienie lekarskie w tym okresie może być wystawione, jeśli jest uzasadnione stanem zdrowia lub leczeniem.

Czy są inne możliwości terapeutyczne, poza udziałem w badaniu klinicznym?

Głównym celem badań klinicznych jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa badanego leku, a udział w badaniu nie gwarantuje poprawy stanu zdrowia. Ważne jest dlatego, aby pacjent podjął decyzję wraz

z lekarzem, który zapozna go z dostępnymi metodami leczenia jego choroby. Inne możliwości terapeutyczne to przede wszystkim standardowa opieka medyczna oraz programy lekowe NFZ. Jest też możliwość zakupienia leków nierefundowanych i leczenia odpłatnie w prywatnych placówkach w kraju lub za granicą.

Czy nadal będę pozostawał pod opieką lekarza POZ podczas udziału w badaniu klinicznym?

Tak, podczas udziału w badaniu klinicznym pacjent nadal pozostaje pod opieką swojego lekarza POZ. Lekarz POZ nadal będzie zaangażowany w opiekę nad pacjentem, monitorowaniem jego stanu zdrowia i pomocą w przypadku schorzeń, które nie są objęte opieką w badaniu klinicznym. Ważne jest, aby poinformować swojego lekarza POZ o chęci udziału w badaniu klinicznym, aby mógł on odpowiednio nadzorować zdrowie i zapewnić wsparcie w trakcie i po zakończeniu badania klinicznego.

Jak badanie kliniczne może wpłynąć na moje codzienne życie?

Udział w badaniu klinicznym wiąże się z wykonywaniem pewnych procedur, które mogą być niestandardowe w codziennym życiu, np. raportowanie w dzienniczku elektronicznym przyjęcie leku badanego, dostarczanie materiału biologicznego do laboratorium, wizyty związane z pobraniem krwi, monitorowanie diety. Uczestnik będzie musiał zaplanować odpowiednią ilość czasu na wykonanie przewidzianych dla niego działań oraz odbycie wizyt związanych z badaniem. Cały harmonogram badania oraz wszelkie związane z nim aktywności (procedury) są opisane w formularzu świadomej zgody.

Czy możliwe jest, że nie zakwalifikuję się do badania klinicznego?

Tak, istnieje możliwość, że pacjent nie zakwalifikuje się do badania klinicznego. Decyzja ta zależy od wielu czynników, takich jak spełnienie określonych kryteriów włączenia i wyłączenia, stanu zdrowia, wieku, wcześniejszego leczenia czy specyficznych wymagań badania klinicznego.

Co będzie, jeśli moja choroba nasili się podczas badania klinicznego?

Stan zdrowia uczestnika badania jest pod stałą kontrolą badacza. Nasilenie podstawowej choroby podczas uczestnictwa w badaniu klinicznym może spowodować wstrzymanie podawania produktu badanego, zmiany dawkowania lub też częściowe/całkowite zaprzestanie podawania produktu badanego. Badacz, działając w porozumieniu z pacjentem, zaproponuje rozwiązanie najkorzystniejsze dla łagodzenia objawów choroby.

Czy otrzymam wyniki badań wykonywanych w trakcie udziału w badaniu klinicznym?

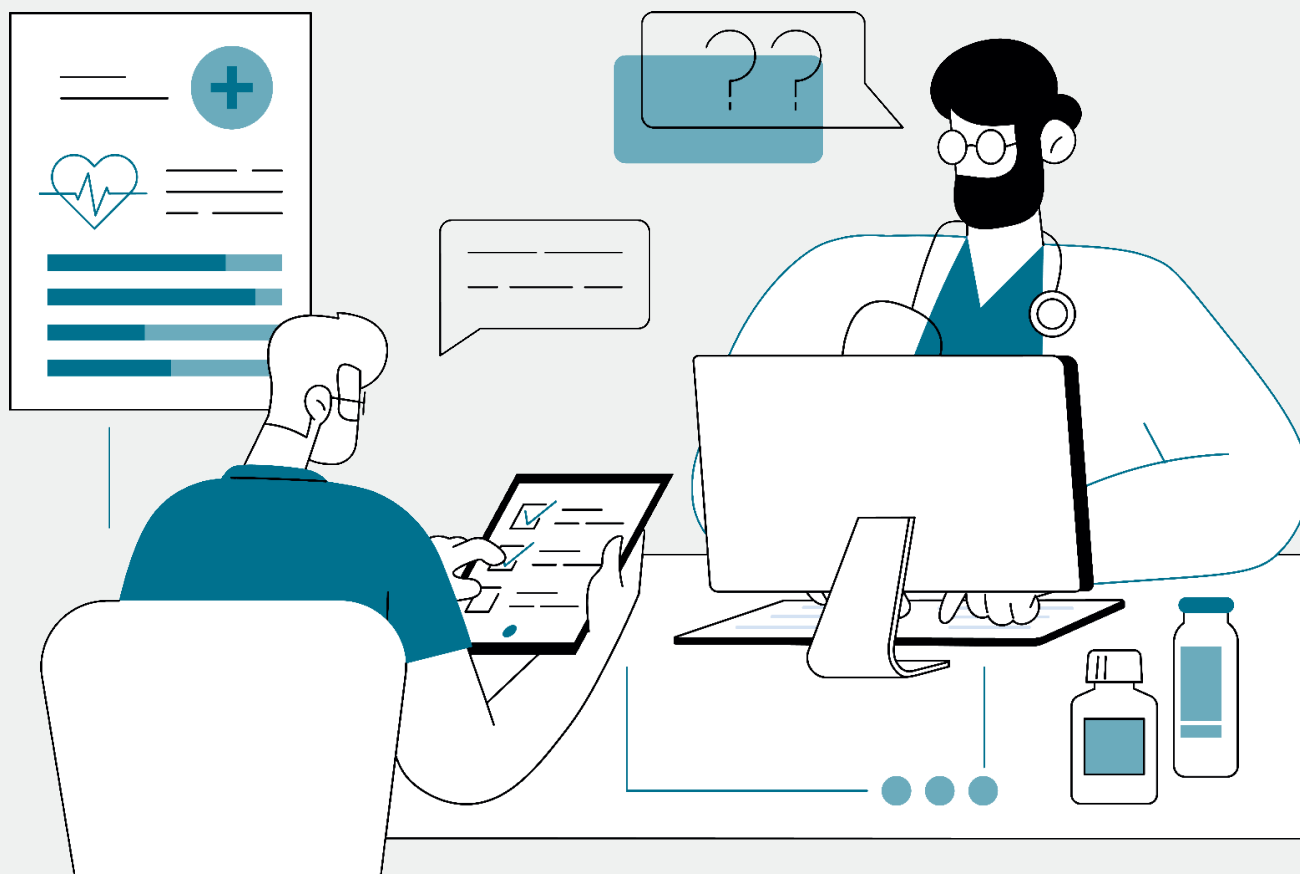
Uczestnik badania ma prawo dostępu do swojej dokumentacji medycznej. Wszystkie badania laboratoryjne i diagnostyczne mogą być przekazywane, z zaślepieniem danych poufnych dla prowadzonego badania.

Czy mogę zrezygnować z udziału w badaniu klinicznym?

Tak, pacjent ma prawo zrezygnować z udziału w badaniu klinicznym w dowolnym momencie, bez podawania przyczyny i bez żadnych negatywnych konsekwencji. Jeśli uczestnik zdecyduje się na wycofanie, wskazane jest poinformowanie zespołu badawczego, co umożliwi formalne zarejestrowanie decyzji i zagwarantowanie dalszej, właściwej opieki medycznej.

BAZY BADAŃ – GDZIE SZUKAĆ INFORMACJI O BADANIACH KLINICZNYCH

- » [Baza ogólnoświatowa](#)
- » [Baza europejska](#)
- » [WHO – rejestr, który zbiera i prezentuje treści z wielu światowych rejestrów](#)
- » [Rejestr badań klinicznych w Wielkiej Brytanii](#)
- » [Europejska Sieć Centrów Farmakoepidemiologii i Nadzoru nad Bezpieczeństwem Farmakoterapii](#)
- » [Baza Badań CenterWatch](#)
- » [Europejska Sieć Informacji o Badaniach Klinicznych](#)



SŁOWNIK PODSTAWOWYCH POJĘĆ UŻYWANYCH W BADANIACH KLINICZNYCH



ADR – (*Adverse Drug Reaction*) działanie niepożądane produktu leczniczego, jest to każda szkodliwa i niezamierzona reakcja/odpowiedź na produkt, która występuje przy jakiegokolwiek dawce.

AE – (*Adverse Event*) zdarzenie niepożądane – każde niepożądane zdarzenie natury medycznej występujące u pacjenta lub osoby uczestniczącej w badaniu, otrzymującej produkt farmaceutyczny, niezależnie od istnienia lub braku związku przyczynowo-skutkowego z otrzymywanym leczeniem. Za zdarzenie niepożądane może więc zostać uznany każdy szkodliwy i niezamierzony objaw przedmiotowy (również nieprawidłowy wynik badania laboratoryjnego, pogorszenie stanu zdrowia, nasilenie dotychczasowych objawów), podmiotowy lub choroba, której wystąpienie jest czasowo zbieżne z zastosowaniem badanego produktu medycznego, niezależnie od tego, czy związek przyczynowo skutkowy zachodzi czy nie.

AESI – (*Adverse Event of Special Interest*) zdarzenie niepożądane o szczególnym znaczeniu, jest to zdarzenie (poważne lub nie) o charakterze naukowym i medycznym, specyficzne dla produktu lub programu sponsora, w przypadku którego właściwe może być bieżące monitorowanie i szybkie przekazywanie informacji sponsorowi przez badacza. Takie zdarzenie może wymagać dalszego badania w celu jego scharakteryzowania i zrozumienia.

CRF – (*Case Report Form*), drukowany albo zawarty na nośniku elektronicznym (eCRF – electronic Case Report Form) lub optycznym dokument służący do zbierania wszystkich wymaganych w protokole informacji dotyczących poszczególnych uczestników badania.

CTCAE – (*Common Terminology Criteria for Adverse Events*) powszechne kryteria terminologiczne dla zdarzeń niepożądanych. Jest to ustandaryzowany system oceny i klasyfikacji działań niepożądanych, stosowany powszechnie do monitorowania bezpieczeństwa uczestników w trakcie badania.

EudraVigilance – internetowy system informacyjny służący do zarządzania danymi z raportów o bezpieczeństwie utworzonymi przez Europejską Agencję Leków (EMA), zawierającymi zgłoszenia o podejrzewanych działaniach niepożądanych leków zarejestrowanych w UE.

IB – (*Investigator Brochure*), broszura badacza.

ICF – (*Informed Consent Form*), formularz świadomej zgody podpisywany przez pacjenta przed wykonaniem jakiegokolwiek procedury wynikającej z badania klinicznego. Wśród informacji zawartych w formularzu świadomej zgody można wymienić m.in. cel badania, procedury medyczne wykonywane w trakcie badania, potencjalne korzyści i ryzyko wynikające z uczestnictwa w badaniu klinicznym.

Pharmacovigilance – nadzór nad bezpieczeństwem stosowania produktów leczniczych, zgodny z przepisami prawa polskiego oraz przepisami prawa Unii Europejskiej.

Protokół badania – (*ang. protocol*), dokument zawierający cel i plan badania, a także opis metodyki i analizy statystycznej wraz z opisem planowanego przebiegu i warunków badania. Zawiera opisy wszystkich procedur wykonywanych w trakcie badania.

SAE – (*ang. Serious Adverse Event*), ciężkie zdarzenie niepożądane – jest to każde zdarzenie natury medycznej, które bez względu na zastosowaną dawkę leku powoduje: zgon, zagrożenie życia, zagrożenie zdrowia, konieczność hospitalizacji lub przedłużenie trwającej hospitalizacji, trwałe lub znaczny uszczerbek na zdrowiu, wadę wrodzoną lub uszkodzenie okołoporodowe, inne niż wyżej wymienione zdarzenie, istotne medycznie w ocenie badacza.

SUSAR – (*ang. Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction*), podejrzewane niespodziewane ciężkie niepożądane działanie produktu leczniczego – to działanie niepożądane, którego rodzaj lub nasilenie nie odpowiada danym zawartym w referencyjnej informacji o bezpieczeństwie, takich jak broszura badacza czy Charakterystyka Produktu Leczniczego.

WYKAZ SKRÓTÓW UŻYWANYCH W TEKŚCIE

ABM – Agencja Badań Medycznych

ADR – *Adverse Drug Reaction* (działanie niepożądane produktu leczniczego)

AE – *Adverse Event* (zdarzenie niepożądane)

AESI – *Adverse Event of Special Interest* (zdarzenie niepożądane o szczególnym znaczeniu)

CRC – *Clinical Research Coordinator* (koordynator badania klinicznego)

CRF – *Case Report Form*

CTCAE – *Common Terminology Criteria for Adverse Events* (powszechne kryteria terminologiczne dla zdarzeń niepożądanych)

CTIS – *Clinical Trial Information System* (System Informacji o Badaniach Klinicznych)

CWBK – Centrum Wsparcia Badań Klinicznych

DHT – *digital health technology* (cyfrowe technologie zdrowotne)

EBM – *Evidence-Based Medicine* (medycyna oparta na dowodach)

EMA – *European Medicines Agency* (Europejska Agencja Leków)

FDA – *Food and Drug Administration* (Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków)

IB – *Investigator Brochure* (broszura badacza)

ICF – *Informed Consent Form* (formularz świadomej zgody)

ICH – *International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use* (Międzynarodowa Rada Harmonizacji Wymagań Technicznych dla Rejestracji Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi)

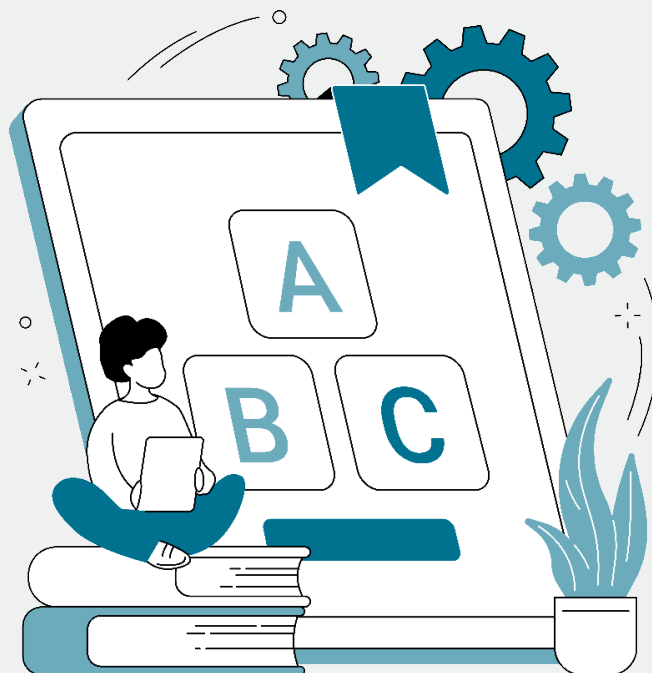
ICH GCP – *International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use – Good Clinical Practice* (Międzynarodowa Rada Harmonizacji Wymagań Technicznych dla Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi – Dobra Praktyka Kliniczna)

MDR – *Medical Device Regulation* (Rozporządzenie w sprawie wyrobów medycznych)

NFZ – Narodowy Fundusz Zdrowia

NIH – *National Institutes of Health*

PHA – *Pharmacist* (farmaceuta)



PI – *Principal Investigator* (główny badacz)

POZ – podstawa opieka zdrowotna

SAE – *Serious Adverse Event* (ciężkie zdarzenie niepożądane)

SI – *Sub-Investigator* (współbadacz)

SN – *Study Nurse* (pielęgniarka)

SUSAR – *Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction* (podejrzewane niespodziewane ciężkie niepożądane działanie produktu leczniczego)

URPL – Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych

WHO – *World Health Organization* (Światowa Organizacja Zdrowia)

ŹRÓDŁA

Przy opracowywaniu niniejszego kompendium, korzystano z następujących źródeł:

- » ABM. Poradnik dla rodziców. <https://abm.gov.pl/download/1/6736/Interaktywnyporadnikdlarodzicow.pdf>.
- » Agencja Badań Medycznych. (2024, marzec). Rozpocznij Badania Kliniczne! Podręcznik dla początkujących (s. 17–19).
- » Badania kliniczne – komercyjne i niekomercyjne. <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/2924,Badania-kliniczne-komercyjne-i-niekomercyjne.html> (dostęp 27.11.2025).
- » Badania kliniczne a standardowa opieka medyczna – błędne przekonania. <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/2565,Badania-kliniczne-a-standardowa-opieka-medyczna-czym-jest-bledne-przekonanie-ter.html> (dostęp 27.11.2025).
- » Badania kliniczne w chorobach rzadkich. <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/1310,Badania-kliniczne-w-chorobach-rzadkich.html> (dostęp 20.11.2025).
- » Brodniewicz, T., Jędrzejowski, A. (red.). (2024). Badania kliniczne. Praktyka, prawo, etyka. CeDeWu. S. 71–72, 90–93, 101–113, 291, 294–295, 334–339, 803–804.
- » [Common Terminology Criteria for Adverse Events \(CTCAE\) Version 6.0. Cancer Therapy Evaluation Program, Division of Cancer Therapy and Diagnosis, National Cancer Institute; 22.07.2025.](#)
- » Czasopismo: Badania Kliniczne. Elementy decentralizacji badań klinicznych. 2025 Jan–Mar; s. 9–14.
- » [ICH E6 \(R3\) Good Clinical Practice. International Council for Harmonisation.](#)
- » [Klasyfikacja wyrobów medycznych.](#)
- » Komercyjne badania kliniczne w Polsce. POLCRO, INFARMA, GCP.pl; s. 10-12.
- » Kontynuacja leczenia badanym produktem po zakończonym badaniu klinicznym. <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/1642,Kontynuacja-leczenia-badany-produktem-po-zakonczonym-badaniu-klinicznym.html> (dostęp 05.12.2025).
- » [Plan dla Chorób Rzadkich na lata 2024–2025. s. 20.](#) Załącznik do uchwały nr 88 Rady Ministrów z dnia 13 sierpnia 2024 r.
- » Plan rozwoju badań klinicznych 2020–2025. s. 4, 9.
- » Proces rejestracji badań klinicznych w Polsce. <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/2934,Proces-rejestracji-badan-klinicznych-w-Polsce.html> (dostęp 24.11.2025).
- » [Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady \(UE\) 2017/745 z dnia 5.04.2017 r. w sprawie wyrobów medycznych, Dz. Urz. UE L 117, 2017, s. 1–175, ze zm.](#)
- » [Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady \(UE\) nr 536/2014 z dnia 16.04.2014 r. w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylecia Dyrektywy 2001/20/WE.](#) <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/PL/TXT/PDF/?uri=CELEX:32014R0536>
- » Statystyki badań klinicznych. <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/o-badaniach/statystyki/132,Statystyki.html> (dostęp 18.11.2025).
- » [Ustawa z dnia 5 grudnia 1996 r. o zawodach lekarza i lekarza dentysty \(Dz.U. 2024 poz. 1287\).](#)
- » [Ustawa z dnia 7 kwietnia 2022 r. o wyrobach medycznych \(Dz.U. 2022 poz. 974\).](#)
- » [Ustawa z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi \(Dz.U. 2023 poz. 605\).](#)
- » Wyroby medyczne – informacje. <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/o-badaniach/rodzaje-i-fazy-badan-klinicznych/badania-wyrobow-medycznych/116,Badania-wyrobow-medycznych.html> (dostęp 20.11.2025).

Podręcznik „Pacjenci w badaniach klinicznych. Kompendium dla lekarza POZ” stanowi nowatorską i wyjątkowo potrzebną publikację na polskim rynku edukacji medycznej. Jest to pierwsze opracowanie, które w sposób kompleksowy, a jednocześnie praktyczny, podejmuje temat badań klinicznych z perspektywy lekarza podstawowej opieki zdrowotnej (POZ).

Najważniejszym walorem podręcznika jest jego praktyczne ukierunkowanie. Autorzy odchodzą od czysto teoretycznego ujęcia na rzecz przedstawienia realnej roli lekarza POZ w procesie badań klinicznych. Podkreślają jego znaczenie jako pierwszego kontaktu pacjenta z systemem ochrony zdrowia oraz jako osoby wspierającej pacjenta w podejmowaniu świadomej decyzji o udziale w badaniu. Takie podejście stanowi istotną innowację, ponieważ dotychczasowe publikacje koncentrowały się głównie na perspektywie badacza lub ośrodków klinicznych.

Podręcznik wyróżnia się także interdyscyplinarnością, łączy zagadnienia medyczne, prawne i etyczne, tworząc spójne kompendium wiedzy. Czytelnik znajdzie tu zarówno podstawowe definicje badań klinicznych, opis ich przebiegu i faz, jak i szczegółowe omówienie regulacji prawnych oraz zasad bezpieczeństwa uczestników. Szczególnie cenne jest odniesienie do aktualnych realiów w Polsce, w tym roli instytucji takich jak Agencja Badań Medycznych czy system CTIS.

Publikacja ma również duże znaczenie systemowe. W kontekście dynamicznego rozwoju rynku badań klinicznych w Polsce oraz rosnącego znaczenia medycyny opartej na dowodach (EBM), podręcznik wspiera lekarzy POZ w pełnieniu roli pośredników między pacjentem a nowoczesnymi terapiami. Przyczynia się tym samym do zwiększenia dostępności badań klinicznych oraz poprawy jakości opieki nad pacjentem.

Podsumowując, omawiany podręcznik można uznać za innowacyjne i pionierskie opracowanie w Polsce, które wypełnia istotną lukę w literaturze medycznej. Łączy wysoką wartość merytoryczną z praktycznym zastosowaniem, a dzięki nowoczesnej formie i podejściu dydaktycznemu ma potencjał stać się standardowym narzędziem edukacyjnym dla lekarzy POZ.

mgr farm. *Ernest Szubert*
Prezes Zarządu



„PACJENCI W BADANIACH KLINICZNYCH. Kompendium dla lekarza POZ” to praktyczny przewodnik przygotowany przez zespół CWBK PUM z myślą o lekarzach podstawowej opieki zdrowotnej. W publikacji w przystępny i logiczny sposób przybliżono najważniejsze zagadnienia dotyczące badań klinicznych – od informacji ogólnych, przez rekrutację pacjentów, po przebieg ich uczestnictwa w badaniu klinicznym.

W kompendium omówiono prawa i obowiązki pacjentów decydujących się na udział w badaniu klinicznym, uporządkowano kluczowe pojęcia oraz przedstawiono najważniejsze regulacje prawne i zasady etyczne, którymi na każdym etapie badania kierują się zespół badawczy i sponsor. Całość uzupełnia praktyczny rozdział Q & A, z odpowiedziami na najczęściej pojawiające się pytania lekarzy POZ oraz pacjentów.

Niniejsza publikacja została przygotowana jako narzędzie wspierające lekarzy POZ w pełnieniu funkcji niezależnych doradców pacjentów, umożliwiając im udzielanie rzetelnych informacji potrzebnych do świadomego i przemyślanego podjęcia decyzji o udziale w badaniu klinicznym.

