

Niekomercyjne badania kliniczne jako remedium na wykluczenie społeczne w Polsce

Wstęp

Niekomercyjne badania kliniczne – w odróżnieniu od komercyjnych, których głównym celem jest zysk dla firmy farmaceutycznej wprowadzającej nowy lek na rynek – ukierunkowane są na poszukiwanie czynników predykcyjnych i stanowią w praktyce jedyną możliwość racjonalizacji i zmniejszenia kosztów leczenia. Dzieje się tak często, ponieważ niekomercyjne badania kliniczne prowadzone są w obszarach, którymi przemysł farmaceutyczny nie jest zainteresowany, np. nowe wskazania dla już zarejestrowanych i ogólnie dostępnych procedur terapeutycznych, optymalizacja wskazań terapii, a także leczenia skojarzonego z udziałem kilku metod (np. radiochemioterapia, okołooperacyjna chemioterapia i inne)¹.

1. Badania niekomercyjne

Zgodnie z art. 2 pkt 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne² (dalej: ustawa Pr. farm.) badaniem klinicznym jest każde badanie prowadzone z udziałem ludzi w celu odkrycia lub potwierdzenia klinicznych, farmakologicznych, w tym farmakodynamicznych, skutków działania jednego lub wielu badanych produktów leczniczych, w celu zidentyfikowania działań niepożądanych jednego lub większej liczby badanych produktów leczniczych lub śledzenia wchłaniania, dystrybucji, metabolizmu i wydalania jednego lub większej liczby badanych produktów leczniczych, mając na względzie ich bezpieczeństwo i skuteczność.

Artykuł 37a ust. 2 ustawy Pr. farm. doprecyzowuje, że badanie kliniczne produktu leczniczego jest eksperymentem medycznym z użyciem produktu leczniczego

¹ A. Byszek, P. Rutkowski, *Badania kliniczne w obliczu nowych przepisów Unii Europejskiej, nowe możliwości realizacji niekomercyjnych badań klinicznych w Polsce*, „Nowotwory. Journal of Oncology” 2015, vol. 65, no. 2, s. 94.

² Ustawa z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (t.j. Dz. U. z 2021 r. poz. 1977).

przeprowadzanym na ludziach w rozumieniu przepisów ustawy z dnia 5 grudnia 1996 r. o zawodach lekarza i lekarza dentysty³. Badanie to przeprowadza się zgodnie z zasadami określonymi w art. 37b–37ag ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (art. 37a. ust. 1 ustawy Pr. farm.).

Według art. 37ia ust. 1 ustawy Pr. farm. niekomercyjnym badaniem klinicznym jest takie badanie kliniczne, którego właścicielem danych uzyskanych w trakcie badania jest sponsor, będący uczelnią lub federacją podmiotów systemu szkolnictwa wyższego i nauki w rozumieniu ustawy z dnia 20 lipca 2018 r. – Prawo o szkolnictwie wyższym i nauce⁴ lub innym podmiotem posiadającym uprawnienie do nadawania co najmniej stopnia naukowego doktora zgodnie z przepisami tej ustawy, podmiotem leczniczym, o którym mowa w art. 4 ust. 1 ustawy z dnia 15 kwietnia 2011 r. o działalności leczniczej⁵, badaczem, organizacją pacjentów, organizacją badaczy lub inną osobą fizyczną lub prawną lub jednostką organizacyjną nieposiadającą osobowości prawnej, której celem działalności nie jest osiąganie zysku w zakresie prowadzenia i organizacji badań klinicznych bądź wytwarzania lub obrotu produktami leczniczymi.

Dane uzyskane w trakcie badania klinicznego niekomercyjnego nie mogą być wykorzystane w celu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego, dokonania zmian w istniejącym pozwoleniu lub w celach marketingowych. Sponsor, składając wniosek o rozpoczęcie badania klinicznego niekomercyjnego, oświadcza, że nie zostały zawarte i nie będą zawarte podczas prowadzenia badania klinicznego jakiegokolwiek porozumienia umożliwiające wykorzystanie danych uzyskanych w trakcie badania klinicznego niekomercyjnego w celu uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego, dokonania zmian w istniejącym pozwoleniu lub w celach marketingowych (art. 37ia. ust. 2 i 3 ustawy Pr. farm.).

Celem badań klinicznych niekomercyjnych – w zdecydowanej większości przypadków – nie jest wynalezienie nowej cząsteczki, która będzie mogła być wprowadzona na rynek jako lek. Badania te przeważnie mają na celu porównanie skuteczności klinicznej już zarejestrowanych leków oraz sprawdzenie bezpieczeństwa leków czy sprawdzenie możliwości terapeutycznych w nowym zastosowaniu, niezgodnym z dotychczasową praktyką medyczną, tzw. *off-label*, we wskazaniach nieobjętych w zgłoszeniu rejestracyjnym lub w zastosowaniu u dzieci leku przeznaczonego dla dorosłych w zmodyfikowanej dawce. Badania te najczęściej prowadzone są w oparciu o produkty już zarejestrowane, których okres ochrony patentowej wygasł⁶.

³ T.j. Dz. U. z 2021 r. poz. 790.

⁴ T.j. Dz. U. z 2021 r. poz. 478.

⁵ T.j. Dz. U. z 2021 r. poz. 711.

⁶ G. Jaworski, I. Pabisz-Zarębska, *Niekomercyjne badania kliniczne*, [w:] T. Brodniewicz (red.), *Badania kliniczne*, Warszawa 2021, s. 228.

Niekomercyjne badania kliniczne dotyczą zarówno projektów jednośrodkowych, jak i wielośrodkowych, prowadzonych w jednym kraju, czy też badań międzynarodowych. Mogą być przeprowadzone na dużej liczbie chorych, ale również na małej populacji kilkunastu pacjentów. Prowadzi się je przeważnie w kluczowych dziedzinach terapeutycznych, ale dotyczą również chorób rzadkich, gdzie poszukiwane są nowe metody leczenia⁷.

Dzięki niekomercyjnym badaniom klinicznym możliwe jest stworzenie lepszych, a także skuteczniejszych systemów leczenia osób chorych. Podnoszenie standardów leczenia pacjentów i opieki nad nimi stanowi także ważny element na drodze postępu dla nauk medycznych. Bardzo często są realizowane w onkologii, gdyż w tym sektorze bardzo trudno jest opracować nowe metody leczenia. Dzięki możliwości prowadzenia badań z innymi naukowcami z różnych części świata następuje wymiana doświadczeń, wiedzy i wyników badań, a to pozwala podnosić kwalifikacje młodych naukowców i badaczy⁸.

Należy podkreślić, że do badań klinicznych „komercyjnych” i badań klinicznych „niekomercyjnych” mają zastosowanie te same przepisy i te same wymagania zarówno na gruncie przepisów prawa, jak i etyki⁹. Jediną różnicą jest kwestia kosztów świadczeń opieki zdrowotnej¹⁰, udzielanych uczestnikom niekomercyjnych badań klinicznych, oraz wysokość opłaty za złożenie wniosku do Prezesa Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (dalej: URPL) o rozpoczęcie badania klinicznego produktu leczniczego¹¹.

Rzadko się zdarza, aby sponsorem niekomercyjnych badań klinicznych była firma farmaceutyczna, dlatego kwestia opłat wniosku o rozpoczęcia badania oraz kwestia pokrywania kosztów świadczeń zdrowotnych została odmiennie uregulowana niż w komercyjnych badaniach klinicznych. Sponsorem badań niekomercyjnych są najczęściej ośrodki naukowe, placówki medyczne, uczelnie lub sami badacze, dlatego podmiotów tych nie stać na ponoszenie wysokich kosztów prowadzenia badań klinicznych.

⁷ Definicja badania niekomercyjnego, Agencja Badań Medycznych, <https://polcrin.abm.gov.pl/pc/niekomercyjne-badania-k/definicja-badania-nieko/275,Definicja-badania-niekomercyjnego.html> [dostęp: 28.01.2022].

⁸ Centrum Badawczo-Rozwojowe, Niekomercyjne badania kliniczne, BioStat Sp. z o.o., <https://www.ecrf.biz.pl/niekomercyjne-badania-kliniczne.php> [dostęp: 28.01.2022].

⁹ Niekomercyjne badania kliniczne, portal Badania Kliniczne, 11.10.2017, <https://ebadaniakliniczne.pl/pl/artykuly/niekomercyjne-badania-kliniczne> [dostęp: 28.01.2022].

¹⁰ Zgodnie z art. 5 pkt 34 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (t.j. Dz. U. z 2021 r. poz. 1285) na świadczenie opieki zdrowotnej składa się świadczenie zdrowotne, świadczenie zdrowotne rzeczowe i świadczenie towarzyszące. Związane z procesem leczenia leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyroby medyczne są to świadczenia zdrowotne rzeczowe.

¹¹ Pozytywna bądź negatywna decyzja Prezesa URPL o wydaniu pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego jest zgodnie z art. 371 ust. 5 ustawy Pr. farm. rejestrowana w Centralnej Ewidencji Badań Klinicznych – CEBK).

Zgodnie z załącznikiem nr 4 do rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 12 października 2018 r. w sprawie wzorów dokumentów przedkładanych w związku z badaniem klinicznym produktu leczniczego oraz opłat za złożenie wniosku o rozpoczęcie badania klinicznego¹², dla badań klinicznych niekomercyjnych opłata za rozpatrzenie wniosku przez Prezesa URPL wynosi 2000 zł i jest znacznie niższa niż w przypadku poszczególnych faz badań komercyjnych, gdzie kwoty te wynoszą: badanie fazy I–III – 8000 zł; badanie biorównoważności – 7000 zł; badanie fazy IV – 4000 zł. Podobnie wiele komisji bioetycznych pobiera niższe opłaty za przeprowadzenie oceny etycznej badań niekomercyjnych, które nie mogą być rozpoczęte bez zgody tej komisji.

Nowelizacja ustawy Prawo farmaceutyczne z września 2015 r.¹³ wprowadziła ułatwienia w finansowaniu niekomercyjnych badań klinicznych, znosząc obowiązek finansowania przez sponsora świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych uczestnikom takich badań. Niezbędne świadczenia są finansowane przez Narodowy Fundusz Zdrowia¹⁴ i rozliczane w ramach świadczeń gwarantowanych w rozumieniu przepisów ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

2. Wykluczenie społeczne w Polsce do nowoczesnych terapii lekowych

W Polsce w 2019 r. liczba pacjentów, których śmierci moglibyśmy uniknąć dzięki profilaktyce i interwencjom medycznym, jest o ponad $\frac{1}{3}$ większa niż średnia w Unii Europejskiej (dalej: UE)¹⁵. Współczynnik zgonów do uniknięcia dzięki interwencji medycznej na 100 000 osób w UE wynosi 93 a w Polsce 130; współczynnik zgonów do uniknięcia dzięki profilaktyce na 100 000 osób w UE wynosi 161 a w Polsce 218¹⁶.

Gdyby poprawić wskaźniki zdrowotne Polski i dostosować je do skali wskaźników na poziomie średniej EU, można by uniknąć około 20 000 zgonów rocznie¹⁷. Dotychczasowy postęp, który się dokonał w naukach medycznych, doprowadził do wydłużenia

¹² Dz. U. z 2018 r. poz. 1994.

¹³ Ustawa z dnia 25 września 2015 r. o zmianie ustawy – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2015 r. poz. 1771).

¹⁴ PwC, *Przyczyny obecnego stanu rynku badań klinicznych w Polsce*, [w:] *Badania kliniczne w Polsce. Raport*, Warszawa, grudzień 2015, s. 33.

¹⁵ B. Cichowska-Duma, *Wyniki zdrowotne a nakłady na ochronę zdrowia*, [w:] S. Bogusławski, *Ochrona zdrowia w Polsce. Przegląd wybranych danych publicznych*, INFARMA 2020, s. 2, https://www.infarma.pl/assets/files/raporty/Ochrona_zdrowia_w%20Polsce_2020.pdf [dostęp: 28.01.2022].

¹⁶ OECD, European Observatory on Health Systems and Policies, *State of Health in the EU. Polska. Profil system ochrony zdrowia 2019*, s. 14, <https://www.oecd.org/poland/Polska-Profil-systemu-ochrony-zdrowia-2019-Launch-presentation.pdf> [dostęp: 28.01.2022].

¹⁷ INFARMA, IQVIA, *Raport 2018. Finansowanie ochrony zdrowia w kontekście efektów społeczno-gospodarczych*, Warszawa 2018, s. 15, https://www.infarma.pl/assets/files/raporty/Raport_Finansowanie_Ochrony_Zdrowia_v.5.0_19.09.2018.pdf [dostęp: 28.01.2022].

średniej długości życia w porównaniu z czasami starożytnymi – 20 lat, średniowieczem – 30 lat, XIX w. – blisko 40 lat, a po 1940 r. do 45 lat¹⁸. W 2020 r. średnia długość życia jest zdecydowanie wyższa i wynosi średnio w UE 80,6 lat; najwyższa w krajach Europy jest w Norwegii 83,3 lat, a jedna z niższych – w Polsce 76,6 lat (6 miejsce od końca)¹⁹.

Polacy żyją średnio o 4 lata krócej niż mieszkańcy innych krajów europejskich. Poprawie sytuacji nie sprzyja wieloletnie niedofinansowanie publicznej ochrony zdrowia²⁰. Rada Ministrów, chcąc zwiększyć środki finansowe w systemie ochrony zdrowia, dnia 26 czerwca 2018 r. przyjęła projekt nowelizacji ustawy z dnia 24 listopada 2017 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych²¹. Rząd zdecydował, że publiczne środki na ochronę zdrowia będą stopniowo rosły, osiągając poziom 6 proc. produktu krajowego brutto (dalej: PKB) w 2024 r.²² Dnia 2 sierpnia 2021 r. Rada Ministrów przyjęła kolejną nowelizację ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych²³. W projekcie tym założono, że dotychczas określony poziom nakładów na ochronę zdrowia w wysokości 6% PKB osiągnięty zostanie już w 2023 r., a do 2027 r. minimalna wartości nakładów wzrośnie do poziomu 7% PKB. Według rządu wzrost wartości nakładów pozwoli na zapewnienie szerszego dostępu do świadczeń opieki zdrowotnej, umożliwi unowocześnianie i modernizację infrastruktury w placówkach opieki zdrowia, zwiększenie wynagrodzeń kadr medycznych oraz rozwój nowoczesnych technologii w tym obszarze²⁴.

Poziom dostępności do świadczeń opieki zdrowotnej oraz stan systemu ochrony zdrowia w Unii Europejskiej jest badany od 2005 r. przez szwedzką firmę konsultingową Health Consumer Powerhouse (HCP). Z rankingu (przygotowanego na podstawie kilkunastu wskaźników, m.in. dostęp do leków, prawa pacjenta, dostęp do informacji, dostęp do lekarzy czy skuteczność służby zdrowia) przedstawionego przez tę firmę w 2018 r. wynika, że polski system ochrony zdrowia jest jednym z najgorszych w Europie. W 2018 r. zajęliśmy 32 miejsce na 35 badanych państw, uzyskując 585 punktów na

¹⁸ H. Skórzyńska, *Problemy zdrowotne i społeczne ludzi w podeszłym wieku*, [w:] M. Latański (red.), *Zdrowie publiczne*, Lublin 1999, s. 124.

¹⁹ OECD, European Observatory on Health Systems and Policies, *State of Health in the EU. Polska. Profil systemu ochrony zdrowia 2021*, s. 4, <https://www.oecd-ilibrary.org/deliver/b562ffe2-pl.pdf?itemId=%2Fcontent%2Fpublication%2Fb562ffe2-pl&mimeType=pdf> [dostęp: 28.01.2022].

²⁰ B. Cichowska-Duma, *Wyniki zdrowotne...*, s. 2.

²¹ Ustawa z dnia 24 listopada 2017 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r. poz. 2434).

²² Rada Ministrów przyjęła projekt ustawy o 6% PKB na zdrowie, Serwis Rzeczypospolitej Polskiej. Ministerstwo Zdrowia, 26.06.2018, <https://www.gov.pl/web/zdrowie/rada-ministrow-przyjela-projekt-ustawy-o-6-pkb-na-zdrowie> [dostęp: 28.01.2022].

²³ Ustawa z dnia 11 sierpnia 2021 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. z 2021 r. poz. 1773).

²⁴ Rząd przyjął nowelę ustawy o opiece zdrowotnej. 6% PKB na zdrowie w 2023 r., Dziennik.pl, 2.08.2021, <https://gospodarka.dziennik.pl/news/artykuly/8219201,ustawa-nowela-opieka-zdrowotna-6-pkb.html> [dostęp: 28.01.2022].

1000 możliwych²⁵. Gorzej od Polski wypadły jedynie Węgry, Rumunia i Albania. Dodatkowo odnotowaliśmy spadek z miejsca 7 od końca na 4 w stosunku do 2017 r. W innych latach też nie było lepiej. W 2015 r. z 3 miejscem od końca wyprzedziliśmy tylko Litwę i Rumunię²⁶, w rankingu za 2016 r. gorzej od Polski sklasyfikowano Albanie, Bułgarię, Czarnogórę i Rumunię²⁷.

Przyczyn tak niskiej oceny publicznego systemu ochrony zdrowia należy upatrywać w wydatkach na ten system. W Polsce wydatki te są jednymi z najniższych spośród krajów Unii Europejskiej oraz Organizacji Współpracy Gospodarczej i Rozwoju (dalej: OECD). Pomimo pozytywnego trendu w latach 2005–2017, gdzie wydatki publiczne na opiekę zdrowotną w Polsce wzrosły o 142%, Polska pozostaje jednym z krajów wydającym najmniej na opiekę zdrowotną w Europie²⁸.

Szacuje się, że w 2019 r. kraje UE wydały (środki publiczne i prywatne) średnio 8,3% ich PKB na ochronę zdrowia. Jedna czwarta wszystkich państw członkowskich UE wydała co najmniej 10% ich PKB na zdrowie, najwięcej Niemcy (11,7%) i Francja (11,2%). Najniższe wydatki PKB przeznaczonego na opiekę zdrowotną przypadały na Luksemburg (5,4%), Rumunia (5,7%), Polska (6,2%) i Łotwa (6,3%). W Europie najwięcej na opiekę zdrowotną przeznaczają Szwajcaria 12,1% PKB. Należy podkreślić, że mniejszy procentowy udział wydatków na opiekę zdrowotną państwa Luksemburg nie oznacza mniejszej kwoty tych wydatków na jedną osobę, ponieważ wynosi ona 3767 euro, a dla Polski tylko 1511 euro, a średnia w UE to 2572 euro²⁹.

Mniejsze wydatki na opiekę zdrowotną przekładają się na gorsze funkcjonowanie systemu ochrony zdrowia. Polska wciąż odstaje od najbardziej rozwiniętych krajów europejskich w zakresie oczekiwanej długości życia i śmiertelności z powodu chorób cywilizacyjnych. W perspektywie najbliższych 20 lat Światowa Organizacja Zdrowia prognozuje, że w krajach wysoko rozwiniętych choroby cywilizacyjne, takie jak nowotwory złośliwe, choroby układu krążenia (w tym nadciśnienie, zawał mięśnia

²⁵ A. Björnberg, A. Young Phang, *Euro Health Consumer Index 2018. Report*, Health Consumer Powerhouse, s. 18, <https://healthpowerhouse.com/media/EHCI-2018/EHCI-2018-report.pdf> [dostęp: 28.01.2022].

²⁶ T. Kobosz, *Polska ochrona zdrowia – nadal w „ogonie” Europy*, Medexpress.pl, 29.01.2015, <https://www.medexpress.pl/nauka/polska-ochrona-zdrowia-nadal-w-ogonie-europy/55707/> [dostęp: 30.12.2019].

²⁷ T. Kobosz, *EHCI 2017: Dwa szczebelki w górę*, Medexpress.pl, 29.01.2018, <https://www.medexpress.pl/ehci-2017-dwa-szczebelki-w-gore/69371> [dostęp: 28.01.2022].

²⁸ BFF Banking Group, *Finansowanie ochrony zdrowia a jakość systemu dla pacjentów Polska na tle wybranych krajów europejskich*, s. 9, <https://pl.bff.com/documents/2306774/2399401/PL+Raport+-+Finansowanie+ochrony+zdrowia+a+jakosc+systemu+dla+pacjentow+%283%29.pdf/9566cc9e-0b0a-34d5-abe1-3931c069543b> [dostęp: 28.01.2022].

²⁹ OECD/European Union (2020), *Health at a Glance: Europe 2020: State of Health in the EU Cycle*, OECD Publishing, Paris, <https://doi.org/10.1787/82129230-en>, s. 157 i n., https://ec.europa.eu/health/system/files/2020-12/2020_healthatglance_rep_en_0.pdf [dostęp: 28.01.2022].

sercowego i udar mózgu) pozostaną najczęstszą przyczyną zgonów³⁰. W 2016 r. standaryzowany współczynnik zgonów z powodu chorób nowotworowych dla Polski, pozwalający na porównanie z innymi krajami niezależnie od różnic w strukturze wieku populacji tych krajów, wyniósł 193,8/100 tys., podczas gdy średnia dla 27 krajów UE, wynosiła 164,6/100 tys.³¹

W Polsce publiczne wydatki na leki są jednymi z najniższych w Europie. W Niemczech średnio (środki publiczne i prywatne) w przeliczeniu na jednego mieszkańca w 2018 r. wydano na leki 615 euro, a w Polsce 316 euro³². Poziom wydatków na leki ma istotny wpływ na oczekiwaną długość życia w krajach UE³³. Sytuacja ta doprowadza do tego, że Polacy wydają corocznie z własnej kieszeni niemal 10 mld na świadczenia zdrowotne, a kwota ta jest jeszcze niepełna, bo nie obejmuje np. dopłat do leków³⁴.

Niski poziom finansowania dopłat do leków w Polsce objawia się również tym, że po zaspokojeniu podstawowych potrzeb lekowych stosunkowo niewielkie środki przeznaczane są na zapewnienie pacjentom dostępu do najnowocześniejszej i najskuteczniejszej technologii medycznej. W niektórych krajach Europy Zachodniej, np. we Włoszech, nowe leki stanowią nawet niemal 3% całkowitej konsumpcji farmaceutyków. W Polsce to zaledwie 0,3%, w efekcie czego wiele terapii będących obecnie standardem leczenia w krajach UE nie jest dostępnych dla polskich pacjentów lub jest dostępnych tylko dla nielicznej grupy chorych. Często również w przypadku wielu schorzeń moment uzyskania dostępu do leczenia przez pacjentów jest opóźniony, a to przekłada się na efekty leczenia, jako że opóźnienie wdrożenia terapii skutkuje progresją choroby, która często jest już nieodwracalna³⁵.

Biorąc pod uwagę dostęp do nowoczesnych terapii, przykładem, gdzie można jeszcze dużo zmienić są polscy pacjenci onkologiczni, którzy mają dostęp do mniejszej liczby nowoczesnych leków na raka niż chorzy w innych krajach europejskich. Na 30 najczęściej używanych w UE leków na raka w Polsce ze względu na brak refundacji z NFZ aż 12 jest w ogóle niedostępnych. Kolejne 16 na 30 leków jest dostępnych, ale dopiero po uzyskaniu indywidualnej zgody Ministerstwa Zdrowia. Tylko 2 leki na 30 mogą być przepisywane przez lekarza według jego uznania. W Holandii, Austrii, Niemczech nie

³⁰ *Strategiczny program badań naukowych i prac rozwojowych. Profilaktyka i leczenie chorób cywilizacyjnych, STRATEGMED*, Narodowe Centrum Badań i Rozwoju, Warszawa 2012, s. 1–6, https://archiwum.ncbr.gov.pl/fileadmin/user_upload/import/tt_content/files/strategmed_www.pdf [dostęp: 28.01.2022].

³¹ Ministerstwo Zdrowia, *Program wieloletni pn. Narodowa Strategia Onkologiczna na lata 2020–2030*, s. 7 i 8, <https://www.gov.pl/attachment/be17be43-04b3-46c5-8591-350f55650327> [dostęp: 28.01.2022].

³² OECD/European Union (2020), *Health at a Glance...*, s. 171.

³³ INFARMA, IQVIA, *Raport 2018. Finansowanie...*, s. 7.

³⁴ B. Cichowska-Duma, *Wyniki zdrowotne...*, s. 2.

³⁵ INFARMA, IQVIA, *Raport 2018. Finansowanie...*, s. 31 i 32.

ma leków, które byłyby niedostępne dla pacjentów. W Hiszpanii tylko 3 leki są niedostępne, a w Czechach 7³⁶.

Poziom niezaspokojonych potrzeb w zakresie opieki zdrowotnej w Polsce jest wyższy niż średnia UE. W 2017 r. odsetek ludności Polski zgłaszającej niezaspokojone potrzeby zdrowotne w zakresie badań medycznych ze względu na koszty, odległość albo czas oczekiwania wynosił 3,3% (średnia UE: 1,8%). Niezaspokojone potrzeby w zakresie opieki zdrowotnej wynikają głównie z czasu oczekiwania³⁷. Według 72% Polaków likwidacja kolejek do lekarzy specjalistów oraz do świadczeń zdrowotnych jest kluczowa dla poprawy kondycji systemu ochrony zdrowia³⁸. Średni czas oczekiwania na świadczenia specjalistyczne w 2018 r. wynosił 3,4 miesiąca. Najdłuższy średni czas oczekiwania zarejestrowano w przypadku świadczeń endokrynologicznych (11 miesięcy) i stomatologicznych (8,5 miesiąca)³⁹.

Obecny kształt budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia sprawia, że mamy zbyt niskie nakłady na podstawową opiekę zdrowotną oraz ambulatoryjną opiekę specjalistyczną, a to doprowadza do tego, że znaczna część potrzeb zdrowotnych jest realizowana poprzez usługi szpitalne. Według B. Cichowskiej-Dumy jest to nieefektywne zarówno z punktu widzenia ekonomicznego, jak i medycznego (m.in. ze względu na zagrożenie zakażeniami szpitalnymi)⁴⁰.

Za potrzeby zdrowotne uznaje się stwierdzone przez fachowy personel medyczny odchylenia w stanie zdrowia ludności⁴¹. Zaspokojenie tych potrzeb jest możliwe tylko przez dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej o odpowiedniej jakości⁴². Często się zdarza, że potrzeby zdrowotne pacjenta nie są zaspokajane ze względu na ograniczone możliwości finansowe tego pacjenta. Pacjenci nie mogą być pozostawieni sami sobie, gdy nie mogą podobać zasadzie ekwiwalentności świadczeń, dlatego administracja publiczna powinna w jeszcze większym stopniu współpartycypować w ponoszeniu kosztów świadczeń opieki zdrowotnej⁴³.

³⁶ ALIVIA Fundacja Onkologiczna Osób Młodych, *Polscy pacjenci mają dostęp do znacznie mniej-
szej ilości nowoczesnych leków na raka niż chorzy w innych krajach europejskich*, s. 1, https://alivia.org.pl/wp-content/uploads/sites/10/raport2015/Alivia_Raport_o_dostepnosci_lekow_press_release.pdf [dostęp: 28.01.2022].

³⁷ OECD, *European Observatory...*, s. 17.

³⁸ B. Cichowska-Duma, *Wyniki zdrowotne...*, s. 2.

³⁹ OECD, *European Observatory...*, s. 18.

⁴⁰ B. Cichowska-Duma, *Wyniki zdrowotne...*, s. 2.

⁴¹ M. Sygit, *Zdrowie publiczne*, wyd. 2, Warszawa 2017, s. 576 i 577.

⁴² R. Tabaszewski, *Prawo do zdrowia w systemach ochrony praw człowieka*, Lublin 2016, s. 214.

⁴³ M. Paplicki, *Bezpieczeństwo zdrowotne obywateli w polskim systemie ratownictwa medycznego*, Wrocław 2020, s. 55, https://www.bibliotekacyfrowa.pl/Content/125171/PDF/Bezpieczenstwo_zdrowotne_obywatela_w_polskim_systemie_ratownictwa_medycznego.pdf [dostęp: 28.01.2022].

3. Niekomercyjne badania kliniczne pomocą w walce z wykluczeniem społecznym

Definicje wykluczenia społecznego w literaturze przedmiotu koncentrują się na ustalonych wymiarach tego zjawiska, np. na ograniczeniach instytucjonalno-prawnych, grupach osób dotkniętych wykluczeniem społecznym lub na ukazywaniu obszarów, do których nastąpiło ograniczenie dostępu (np. do konsumpcji)⁴⁴. Wykluczenie społeczne według L. Frąckiewicza to sytuacja, która uniemożliwia lub znacznie utrudnia jednostce lub grupie korzystanie z dóbr publicznych i infrastruktury społecznej, pełnienia ról społecznych, gromadzenia zasobów i zdobywania dochodów zgodnie z obowiązującym prawem⁴⁵.

Według J. Blicharz wykluczenie społeczne jest zjawiskiem uniwersalnym i relatywnie dotyczy wszelkich typów społeczeństw i kultur, występuje w takich obszarach życia społecznego jak np. edukacja, opieka społeczna czy zdrowie. Oznacza to ograniczenie dostępu do dóbr i usług, jakie są zapewniane w tych obszarach⁴⁶. Artykuł 1 ust. 2 ustawy z dnia 13 czerwca 2003 r. o zatrudnieniu socjalnym⁴⁷ stanowi, że wykluczeniu społecznemu podlegają osoby, które ze względu na swoją sytuację życiową nie są w stanie własnym staraniem zaspokoić swoich podstawowych potrzeb życiowych. Nie jesteśmy w stanie tego uczynić bez utrzymania odpowiedniego poziomu zdrowia. Osoby chore nie mogą pracować, wymagają opieki ze strony państwa w formie rent z tytułu niezdolności do pracy czy odpowiednich świadczeń zdrowotnych, a nawet świadczeń socjalnych.

Pacjenci muszą mieć możliwość zaspokojenia swoich potrzeb zdrowotnych, a tę możliwość ma zapewnić państwo. Zdrowie jest pojęciem pozytywnym, a nie tylko brakiem choroby czy niepełnosprawności. Ze względu na to, że zdrowie wpływa na jakość życia⁴⁸, należy je postrzegać jako zasób życiowy, a nie cel życia. Korzystanie z najwyższego, osiągalnego poziomu zdrowia jest jednym z podstawowych praw istoty ludzkiej niezależnie od warunków ekonomicznych czy społecznych⁴⁹.

Jednym z najbardziej efektywnych sposobów na poprawę wskaźników zdrowotnych polskiego społeczeństwa jest dużo większe dofinansowanie ze środków publicznych

⁴⁴ D. Becker-Pestka, G. Kubiński, M. Łojko, *Różne obszary wykluczenia społecznego w Polsce. Wybrane zagadnienia*, Wrocław 2017, s. 7, <https://jbc.bj.uj.edu.pl/Content/478676/NDIGOZ031292.pdf> [dostęp: 28.01.2022].

⁴⁵ L. Frąckiewicz, *Wykluczenie społeczne w skali makro i mikroregionalne*, [w:] L. Frąckiewicz (red.), *Wykluczenie społeczne*, Katowice 2005, s. 11

⁴⁶ J. Blicharz, T. Kocowski, M. Paplicki, *Spółdzielnie socjalne przeciw wykluczeniu społecznemu. Raport*, Wrocław 2019, s. 15, <https://www.repozytorium.uni.wroc.pl/dlibra/publication/108240/edition/99627/content> [dostęp: 28.01.2022].

⁴⁷ T.j. Dz. U. z 2020 r. poz. 176.

⁴⁸ Zob. M. Dercz, *Samorząd terytorialny w systemie ochrony zdrowia*, Warszawa 2005, s. 12 i n.

⁴⁹ M. Paplicki, *op. cit.*, s. 40

refundacji leków. Ze względu na wysoką skuteczność kliniczną leków i jednocześnie znaczące niedofinansowanie tego obszaru (ostatnie miejsce w UE z wynikiem 0,5% PKP w ujęciu *per capita* publicznych wydatków na leki, przy średniej w UE 1,2%, a najwięcej w Niemczech 1,7%⁵⁰ – nieco ponad 550 zł na jednego mieszkańca, podczas gdy średnia dla krajów Europy środkowo-wschodniej to 1050 zł) byłaby to inwestycja dużo bardziej opłacalna niż inwestycja w inne obszary systemu ochrony zdrowia⁵¹.

Gdyby Polska zrównała poziom wydatków na leki ze standardami europejskimi, to według prognoz w 2024 r. żyłoby w naszym kraju 93 tys. osób więcej, a w 2050 r. wartość ta przekroczyłaby 500 tys. osób, co przyniosłoby budżetowi państwa 35 mld zł⁵².

Zanim jednak dojdziemy (jeżeli kiedykolwiek dojdziemy) do standardów europejskich, jeżeli chodzi o dostęp do nowoczesnych terapii, możemy bez większych nakładów finansowych wykorzystać potencjał, jaki drzemie w niekomercyjnych badaniach klinicznych.

Szansą dla rozwoju niekomercyjnych badań klinicznych, a niewątpliwie największą szansą dla polskich pacjentów, jest zjawisko tzw. klifu patentowego. Firmy farmaceutyczne restrykcyjnie chronią własne, wypracowane wysokim kosztem, rozwiązania technologiczne. Każda nowa substancja, zwłaszcza taka, która może stać się nowym lekiem, jest zgłaszana do ochrony patentowej na podstawie przepisów ustawy z dnia 30 czerwca 2000 r. Prawo własności przemysłowej⁵³ na maksymalnie 20 lat (art. 63 ust. 3).

W ostatnich latach wiele leków, które zostały opracowane około 20–30 lat temu, utraciły tę ochronę patentową. Zjawisko gwałtownego spadku przychodów firmy, spowodowane wygaśnięciem jednego lub kilku patentów na jej czołowe produkty, określa się mianem klifu patentowego. Klif patentowy rozpoczął się w 2010 r., a jego szczyt przypadł na lata 2012–2016. W samym tylko 2016 r. spod ochrony patentowej uwolnionych zostało 61 kluczowych substancji farmaceutycznych, a w 2017 r. dodatkowo 43 substancje. W roku 2022 było to jeszcze 7 leków⁵⁴.

Sytuacja z wygaśnięciem patentów ma dwojaki wpływ na rynek leków. Przedsiębiorstwa farmaceutyczne odnotowują poważne straty, związane z obniżeniem przychodów. Szacuje się, że w latach 2012–2018 przychody tych firm z tytułu wygaśnięcia patentów zmniejszyły się o ok. 148 mld dol. Klif patentowy jest jednocześnie szansą na rozwój

⁵⁰ INFARMA, IQVIA, *Raport 2018. Finansowanie...*, s. 31.

⁵¹ B. Cichowska-Duma, *Dobra inwestycja – zwiększenie budżetu na refundację leków*, [w:] S. Bogusławski, *Ochrona zdrowia w Polsce. Przegląd wybranych danych publicznych*, INFARMA 2020, s. 2 i 3, https://www.infarma.pl/assets/files/raporty/Ochrona_zdrowia_w%20_Polsce_2020.pdf [dostęp: 28.01.2022].

⁵² INFARMA, IQVIA, *Raport 2018. Finansowanie...*, s. 7 i 53.

⁵³ T.j. Dz. U. z 2021 r. poz. 324.

⁵⁴ B. Łania-Pietrzak, *Mapa rozwoju rynków i technologii dla leków; w tym leków z wysoką wartością dodaną*, Polska Agencja Rozwoju Przedsiębiorczości, 2018, s. 41 i 42, https://smart.gov.pl/images/BTR_Farmaceutyczny_Final.pdf [dostęp: 28.01.2022].

branży farmaceutycznej w krajach do tej pory niewystarczająco rozwiniętych do uruchomienia własnych prac nad nowymi lekami⁵⁵.

Szacuje się, że w zależności od badania łączny koszt wprowadzenia leku na rynek może wynieść od 1 mld do nawet 5 mld euro, a proces ten może trwać nawet ponad 10 lat⁵⁶. Niewiele jest w Polsce firm farmaceutycznych, które mają zasoby finansowe i są w stanie przez tak długi okres ponosić koszty „komercyjnego” badania klinicznego. Dlatego polskie firmy farmaceutyczne, polskie uczelnie i inne jednostki badawcze powinny skupić się w głównej mierze na prowadzeniu niekomercyjnych badań klinicznych, aby zniwelować, a nawet znieść całkowicie, ograniczenia polskich pacjentów w dostępie do nowoczesnych terapii lekowych.

W Polsce nie wykorzystuje się w pełni potencjału niekomercyjnych badań klinicznych, dlatego ich liczba wciąż pozostaje bardzo niska. W 2010 r. nie było zarejestrowane żadne badanie, a w 2011 r. zarejestrowano jedynie 3 badania niekomercyjne, w 2019 r. zarejestrowano już 15 badań niekomercyjnych, jednak stanowi to tylko 2,5% wszystkich badań klinicznych. W niektórych krajach Unii Europejskiej udział badań niekomercyjnych sięga nawet 40% wszystkich prowadzonych badań klinicznych⁵⁷.

Rada Ministrów przyjęła dnia 18 września 2018 r. dokument „Polityka Lekowa Państwa 2018–2022”. Określa on priorytety działań rządu RP w zakresie gospodarowania lekami w latach 2018–2022. Celem polityki lekowej państwa jest zapewnienie pacjentom szerokiego dostępu do skutecznych i bezpiecznych leków, a jednym z narzędzi jest powołanie Agencji Badań Medycznych⁵⁸.

Agencję Badań Medycznych (dalej: ABM) powołano ustawą z dnia 21 lutego 2019 r. o Agencji Badań Medycznych⁵⁹. Agencja jest podmiotem, którego działalność ma przynieść wymierne korzyści dla pacjentów dzięki ocenie i zastosowaniu nowoczesnych technologii medycznych i metod terapeutycznych, których stosowanie powinno zaspokoić potrzeb zdrowotne społeczeństwa. Założenie to ma być osiągnięte dzięki zaangażowaniu środków publicznych w niekomercyjne badania kliniczne⁶⁰.

Przykładem działalności ABM jest ogłoszony w styczniu 2022 r. konkurs na niekomercyjne badania kliniczne (ABM/2022/1). Celem konkursu jest opracowanie nowych

⁵⁵ B. Łania-Pietrzak, *op. cit.*, s. 43.

⁵⁶ PwC, *Wkład innowacyjnego przemysłu farmaceutycznego w rozwój polskiej gospodarki. Raport*, Warszawa 2011, s. 34, https://www.pwc.pl/pl/publikacje/pwc_wklad_innowacyjnego_przemyslu_farmaceutycznego_w_rozwoj_polskiej_gospodarki.pdf [dostęp: 28.01.2022].

⁵⁷ Agencja Badań Medycznych, *Statystyki*, <https://polcrin.abm.gov.pl/pc/niekomercyjne-badania-k/statystyki/278,Statystyki.html> [dostęp: 28.01.2022].

⁵⁸ Ministerstwo Zdrowia, *Polityka Lekowa Państwa 2018–2022*, s. 47, <https://www.gov.pl/attachment/bb36ad25-4342-4000-bfaa-64004c64a62c> [dostęp: 28.01.2022].

⁵⁹ T.j. Dz. U. z 2020 r. poz. 2150.

⁶⁰ Agencja Badań Medycznych, *O Agencji*, <https://abm.gov.pl/pl/o-nas/o-agencji/34,O-Agencji.html> [dostęp: 28.01.2022].

procedur diagnostycznych i terapeutycznych w różnych obszarach medycyny z premiovaniem chorób onkologicznych, chorób wieku dziecięcego, chorób wieku podeszłego, chorób zakaźnych i ich powikłań, np. w postaci zespołu postcovidowego oraz chorób o podłożu immunologicznym. Agencja zakłada, że realizacja konkursu umożliwi zwiększenie dostępu pacjentów do kompleksowej, wielospecjalistycznej, a przede wszystkim innowacyjnej diagnostyki, opieki i terapii lekowych⁶¹.

4. Podsumowanie

Wydaje się, że jedynie innowacyjne leki mogą zaspokoić potrzeby zdrowotne pacjentów i przyczynić się do przełomu w leczeniu np. nowotworów czy innych chorób, które powodują największą śmiertelność. Główną barierą ograniczającą rozwój i promocję oryginalnych innowacyjnych polskich leków jest bariera finansowa, której polskie firmy farmaceutyczne nie mogą udźwignąć. Dlatego niekomercyjne badania kliniczne powinny być wspierane i rozwijane przez władze publiczne. Dzięki temu polscy pacjenci nie będą wykluczeni z dostępu do nowoczesnych terapii lekowych, a przez to będą mogli cieszyć się lepszym zdrowiem i przestaną przodować w Europie we wskaźnikach zachorowań oraz śmiertelności.

⁶¹ Agencja Badań Medycznych, *Agencja Badań Medycznych ogłasza Konkurs na niekomercyjne badania kliniczne*, (ABM/2022/1), <https://abm.gov.pl/pl/najwazniejsze/1237,Agencja-Badan-Medycznych-oglasza-Konkurs-na-niekomercyjne-badania-kliniczne-ABM2.html> [dostęp: 28.01.2022].