

Nr 4
Zima 2025

ISSN 3071-8945

Oli-onko

Onkologia i Hematologia dla Pacjenta

W NUMERZE

- Badania kliniczne – czym są?
Dlaczego warto w nich uczestniczyć?
- Edukacja pacjentów w zakresie badań klinicznych
- Rak pęcherza moczowego – jak jest leczony w Polsce
- Medycyna nuklearna – w jakich obszarach diagnostyki i terapii powinna być wykorzystywana

BOHATER
NUMERU

Wojtek Żebrowski
pacjent w badaniach
klinicznych

BADANIA KLINICZNE

Pacjenci w badaniach klinicznych
współtworzą przyszłość medycyny





Od Redakcji

Droży Czytelnicy,

Badania kliniczne to temat 4. numeru Oli-onko Onkologii i Hematologii dla Pacjenta. Pragnę zaznaczyć, że choć czasopismo skierowane jest do pacjentów z chorobami nowotworowymi, to tym razem jego bohaterem jest 18-letni Wojtek Żebrowski, pacjent z dystrofią mięśniową Duchenne'a. Historia Wojtka, niezwykle dzielnego chłopca, który od 13 lat jest w badaniach klinicznych, zasługuje na opowiadanie. Jest On bowiem przykładem dla pacjentów, jak będąc jednym z wielu uczestników badań klinicznych, można przyczynić się do rozwoju medycyny.

Polska w obszarze badań klinicznych wspina się na coraz wyższą pozycję. Obecnie jest na 5. miejscu w Europie pod względem liczby wykonywanych badań, ale jak podkreśla Ireneusz Staroń, zastępca prezesa Agencji Badań Medycznych – *Największą barierą w rozwoju badań klinicznych w Polsce pozostaje złożoność środowiska regulacyjno-organizacyjnego*. Dotyczy to m.in. uczestnictwa w badaniach poszczególnych chorych, jak i organizacji pacjentów w charakterze współkonsorcjantów, o czym dyskutowali uczestnicy debaty *Badania kliniczne – czym są i dlaczego warto w nich uczestniczyć?* podczas konferencji THE VOICE OF PATIENTS 2025. Temat roli, jaką mają do spełnienia w edukacji i propagowaniu badań klinicznych organizacje pacjentów porusza liderka powołanej przez ABM grupy przedstawicieli pacjentów „Aktywni w Badaniach Klinicznych”. Działania edukacyjne ABM na rzecz badań klinicznych wśród pacjentów opisują przedstawicielki tej instytucji: dr Daria M. Urbańska i Natalia D. Ciężczyk. Aneta Sitarska-Haber, wiceprezes Stowarzyszenia na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce GCP.pl, odpowiadając na pytanie – *Dlaczego współpraca z organizacjami pacjentów zmienia badania kliniczne?* – podkreśla, że ma na to wpływ nowy model współpracy z pacjentami, którzy nie są traktowani tylko jako uczestnicy badań, podporządkowani procedurom tworzonemu przez sponsorów, ale stają się partnerami w tworzeniu badań. Fundacja „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową” przedstawia Projekt LiBRha – przełomowe badanie dotyczące płynnej biopsji, które otrzymało pierwsze miejsce w rankingu ABM. Gdzie znaleźć informacje o aktualnie prowadzonych badaniach klinicznych, informuje w swoim artykule prezes Fundacji StopDuchenne – Dariusz Żebrowski.

W dziale: Innowacje w onkologii i hematologii dr Damian Widz, specjalista urolog wyjaśnia, jak wprowadzenie standardów oraz ścieżki diagnostyki i terapii może wpłynąć na zmianę niedostatecznych wyników leczenia raka pęcherza moczowego w Polsce, a Szymon Chrostowski, prezes Zarządu Fundacji Wygrajmy Zdrowie podkreśla, że nowotwór ten jest cichym przeciwnikiem, którego wciąż rozpoznajemy za późno. Dr n. med. Andrzej Kołodziejczyk, prezes Polskiego Towarzystwa Medycyny Nuklearnej przekonuje, w jakich obszarach diagnostyki i terapii wykorzystywanie medycyny nuklearnej jest optymalną metodą. W dziale: Prawa pacjenta, omawiamy 5. prawo Europejskiego Kodeksu Opieki Onkologicznej – WSPÓLNE PODEJMOWANIE DECYZJI, które zapewnia pacjentowi udział we wszystkich decyzjach na temat leczenia i opieki podejmowanych przez opiekującego się nim zespół medyczny. Funkcjonowanie tego prawa, na podstawie swoich doświadczeń komentuje Beata Białkowska-Cybula – pacjentka ze szpiczakiem plazmocytowym. W numerze także relacja z konferencji THE VOICE OF PATIENTS zorganizowanej przez Stowarzyszenie Onkologiczne SANITAS w ramach projektu Pacjent podmiotem systemu opieki zdrowotnej.

Z wielkim żalem i smutkiem żegnamy nasze koleżanki Anię Leoniuk i Monikę Sieńską-Pieczyską. Pozostaną w naszej pamięci.

Aleksandra Rudnicka

BOHATER NUMERU

4 Wojtek – odkrywca nowych łądów
pacjent Wojtek Żebrowski

TEMAT NUMERU BADANIA KLINICZNE

6 Największą barierą w rozwoju badań klinicznych w Polsce pozostaje złożoność środowiska regulacyjno-organizacyjnego

Wywiad z Ireneuszem Staroniem, zastępcą prezesa ds. finansowania badań Agencji Badań Medycznych

8 Badania kliniczne – czym są i dlaczego warto w nich uczestniczyć?

*Deбата na konferencji
THE VOICE OF PATIENTS 2025*

12 Edukacja pacjentów w zakresie badań klinicznych

*Dr Daria M. Urbańska, koordynatorka grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych”,
Natalia D. Ciężczyk, kierownik Działu Edukacji i Jakości w Badaniach Klinicznych ABM*

15 Pacjenci jako partnerzy, nie tylko uczestnicy – dlaczego współpraca z organizacjami pacjentów zmienia badania kliniczne?

Aneta Sitarska Haber, wiceprezes Stowarzyszenia na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce

17 Jak skutecznie szukać badań klinicznych

Dariusz Żebrowski, prezes Fundacji StopDuchenne

20 Grupa „Aktywni w Badaniach Klinicznych”

dr n. med. i n. o zdr. Monika Zamarlik

INNOWACJE W ONKOLOGII I HEMATOLOGII

22 Wprowadzenie standardów oraz ścieżki diagnostyki i terapii odpowiedzią na niedostateczne wyniki leczenia raka pęcherza moczowego w Polsce

*Lekarz Damian Widz, specjalista urolog,
FEBU*

24 Rak pęcherza. Cichy przeciwnik, którego wciąż rozpoznajemy zbyt późno

*Szymon Chrostowski, prezes Zarządu
Fundacji Wygrajmy Zdrowie*

26 Medycyna nuklearna – w jakich obszarach diagnostyki i terapii powinna być wykorzystywana

*dr n. med. Andrzej Kołodziejczyk, prezes
Polskiego Towarzystwa Medycyny Nuklearnej*

PRAWA PACJENTA

29 Europejski Kodeks Opieki Onkologicznej
Prawo 5. Wspólne Podejmowanie Decyzji

*Beata Białkowska-Cybula, pacjentka
ze szpiczakiem plazmocytowym*

DZIAŁANIA ORGANIZACJI PACJENTÓW

32 Konferencja The Voice of Patients
Stowarzyszenie Onkologiczne SANITAS

ONKOLOGIA I HEMATOLOGIA PEDIATRYCZNA

34 KONSORCJUM LiBRha
*Fundacja „Na Ratunek Dzieciom
z Chorobą Nowotworową”*

POŻEGNANIE

35 Pożegnanie
*Ś.P. Anna Leoniuk
Ś.P. Monika Sieńska-Pieczynska*

WOJTEK – ODKRYWCA NOWYCH ŁĄDÓW

Pacjenci w badaniach klinicznych współtworzą przyszłość medycyny

Wojtek Żebrowski ma 18 lat, jest pacjentem żyjącym z dystrofią mięśniową Duchenne’a (DMD). Od 13 lat uczestniczy w badaniach klinicznych, walcząc przy wsparciu rodziny o lepszą jakość życia, o lek, który zmieni rokowania pacjentów z DMD.

ETIOLOGIA, EPIDEMIOLOGIA I CHARAKTERYSTYKA DMD

Dystrofia mięśniowa Duchenne’a jest rzadką, genetyczną chorobą spowodowaną różnymi mutacjami w genie dystrofiny (najdłuższym genie ludzkiego organizmu liczącym 2,5 miliona par zasad). Mutacje te powodują brak wytwarzania białka, zwanego również dystrofina, odpowiedzialnego za stabilność błon komórkowych naszego organizmu.

Choroba Duchenne’a dotyczy głównie chłopców, ale również dziewczynki. Na podstawie danych z Rocznika Statystycznego GUS 2024 szacuje się, że liczba chorych chłopców z DMD w Polsce waha się od 800 do 1200, a dziewczynek od około 70 do 100.

DMD charakteryzuje się postępującym, nieodwracalnym zanikiem mięśni szkieletowych, serca i oddechowych, prowadząc do utraty samodzielności, a 30-40% chorych cierpi również na różnego rodzaju problemy neurobehawioralne, spowodowane brakiem odmian białka dystrofiny w mózgu.

PIERWSZE OBJAWY I DIAGNOZA

Przebieg choroby u Wojtka był klasyczny. Pierwsze objawy występowały powoli od urodzenia. Było to opóźnione chodzenie, trudności ze wstawaniem z pozycji siedzącej (tzw. objaw Gowersa), kaczkowy chód, wchodzenie i schodzenie po schodach z dostawianiem nogi do nogi przed następnym krokiem, przerost łydek czy upadki. W zależności od dziecka jedne objawy uwydatniają się mocniej a inne słabiej, ponieważ DMD nie przebiega dokładnie tak samo u wszystkich chorych, choć ich wystąpienie jest przewidywalne z niewielkimi odchyleniami czasowymi.

Rodzice Wojtka, Kasia i Darek czuli, że coś jest nie tak, ale lekarze ich uspokajali twierdząc, że to typowe problemy związane z rozwojem dziecka. Jak mówi Dariusz – *Po urodzeniu Wojtka widzieliśmy jego uwydatnione łydki i myśleliśmy, że Wojtek odziedziczył je po dziadku (również Wojtku), który był piłkarzem i też miał mocne i grube łydki.*

Niestety problem nie ustępował, wręcz się nasilał. Szczęśliwie, dzięki zaangażowaniu Kasi, Wojtek w wieku 4 lat i 9 miesięcy trafił do specjalisty ortopedy, który miał już do



czynienia z dziećmi chorymi na DMD i skierował go do Centrum Zdrowia Dziecka na badania diagnostyczne, skąd Wojtek trafił do poradni neurologii. *To było szczęście w nieszczęściu, bo już po czterech miesiącach od wizyty u ortopedy wyniki analizy DNA wykonane w IPIN w Warszawie potwierdziły, że Wojtek ma dystrofię mięśniową Duchenne’a – wspomina Kasia.*

To był dla nas bardzo trudny okres – dodaje Darek – ponieważ dowiedzieliśmy się, że choroba jest nieuleczalna i nie ma na nią leku, a rokowania są bardzo złe. Do momentu diagnozy byłem w depresji, co wyłączyło mnie całkowicie z życia rodziny. Wszystko, co do tej chwili się działo, działo się dzięki Kasi. Jej działania doprowadziły do diagnozy. Ta diagnoza dodała mi jednak siłę, która wyciągnęła mnie z łóżka i pozwoliła walczyć o syna.

POSZUKIWANIA

To, że diagnoza była tak szybka, co w chorobach rzadkich i ultrzadkich, zdarzało się wtedy niezbyt często i niestety dalej ma miejsce, pozwoliło na szybkie rozpoczęcie rehabilitacji i wdrożenie leczenia sterydoterapią. *Diagnoza, która niektórych rodziców prowadzi do rozpacz i niemocy mnie zmobilizowała do intensywnych działań – mówi Darek – Przede wszystkim starałem się dowiedzieć jak najwięcej o samej chorobie i możliwych sposobach leczenia. Niestety moje poszukiwania potwierdziły dotychczasową wiedzę, że nie ma skutecznego leku na DMD, ale dzięki rozmowom z rodzicami innych chorych na DMD dowiedziałem się, że prof. Laurent Servais rozpoczyna w Paryżu w szpitalu Hôpital Armand-Trousseau badania kliniczne nad czymś, co może pomóc Wojtkowi. Wielokrotnie pisałem do profesora i w końcu, 10 miesięcy od otrzymania wyniku DNA zostaliśmy zaproszeni do Paryża. Tak zaczęło się nasze trwające już 13 lat życie z badaniami obserwacyjnymi i klinicznymi.*

ŻYCIE Z BADANIAMI KLINICZNYMI

Od momentu, gdy usłyszałem, że jest coś takiego jak badania kliniczne, zacząłem się o nich uczyć – mówi Darek – Skończyłem studia podyplomowe Metodologia Badań Klinicznych na Warszawskim Uniwersytecie Medycznym, kurs The European Patients' Academy (EUPATI), kursy z zakresu GCP ICH (R3) i inne, które pomagają mi lepiej zrozumieć badania kliniczne. Wracając jednak do Francji, niestety, po przyjeździe do Paryża dowiedzieliśmy się, że Wojtek nie kwalifikuje się do tych planowanych badań nad lekiem. Profesor zaproponował Wojtkowi udział w projekcie NAT-His, czyli badaniu obserwacyjnym naturalnej historii choroby i zapewnił, że jak tylko będzie badanie dla Wojtki, to będzie mógł On w nim wziąć udział.

Początkowo rodzina pokrywała koszty związane z wyjazdami na badania Nat-His do Francji z własnych środków. Nieważne było dla nich ile to kosztuje, ważne było, aby pomóc naukowcom i badaczom, ponieważ tylko na nich można było liczyć w walce o jakiś skuteczny lek. Później okazało się, że w projekcie przewidziany był zwrot kosztów podróży, hoteli i wyżywienia i ten zwrot wydatków był refundowany, co umożliwiło rodzinie Wojtki wydobyć się z problemów finansowych. Podróż do Francji odbywały się co 3 miesiące i dopóki Wojtek mógł samodzielnie chodzić w czasie wyjazdów zwiedzał Paryż. Wielkim przeżycie było dla niego zobaczenie katedry Notre-Dame, Muzeum Luwr czy paryskiego ZOO.

Wojtek uczestniczył w badaniu Nat-His cztery lata, do roku 2018. W tym samym roku okazało się, że może przystąpić do trzeciej fazy badania klinicznego nad *givinostatem*. Celem badań nad *givinostatem* jest stworzenie leku modyfikującego

przebieg choroby, poprzez zmniejszenie stłuszczeń, zwłóknień i śmiertelności komórek mięśniowych. Przez 1,5 roku Wojtek był w grupie *placebo*. *Wiedzieliśmy od samego początku – mówi Darek – że był w tej grupie, ponieważ nie było żadnych skutków ubocznych, które opisane były w pracach naukowych po zakończeniu drugiej fazy badań klinicznych u wszystkich uczestniczących w badaniu chłopców.* Po ukończeniu trzeciej fazy badań zaproponowano, aby Wojtek przystąpił do fazy IIIa, prowadzonej metodą otwartej próby, czyli badania dotyczącego długoterminowego bezpieczeństwa, tolerancji i skuteczności leku. W 2026 roku zaczął się siódmy rok tej fazy badania. Wysiłek Wojtki i innych dzieci (także polskich) doprowadził do tego, że *givinostat* został w 2025 roku warunkowo dopuszczony na rynek europejski przez Komisję Europejską, po wcześniejszej rekomendacji EMA. W Polsce formalnie wpisał lek do rejestru i objął kontrolę nad jego dostępnością prezes Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL). Obecnie trwają prace nad zgłoszeniem wniosku o objęcie refundacją *givinostatu* w Polsce.

Mimo że rodzice i brat Bartek robią, co mogą dla Wojtki, stałe, co 3 miesiące wyjazdy na badania kliniczne do Paryża, to nie przysłowiowa „bułka z masłem”, ale wielkie wyzwanie psychiczne i fizyczne. Całodzienne badania są męczące i wyczerpujące, zarówno dla Wojtki, jak i towarzyszącej mu rodziny.

Rodzice Wojtki uważają, że w sytuacji, w której *de facto* nie ma skutecznego leczenia w tak rzadkiej chorobie, udział w badaniu klinicznym to właściwa, przynosząca realne korzyści droga, zapewniająca lepszą opiekę nad chorym w jego aktualnej sytuacji klinicznej, która daje szansę na stworzenie efektywnego leku. Dlatego Darek od lat z pełnym zaangażowaniem uczestniczy w propagowaniu badań klinicznych i zachęcaniu pacjentów do uczestnictwa w nich.

ODKRYWCA NOWYCH ŁĄDÓW

Czym jest dla Wojtki uczestniczenie w badaniach klinicznych? Jest z pewnością trudnym doświadczeniem, o którym niewiele mówi, bo dla niego badania kliniczne są już stałą, zwykłą częścią Jego życia.

My jednak postrzegamy Wojtkę jako pioniera, jak odkrywcę nowych obszarów, jak kogoś, kto odkrywa nowe lądy, robi coś ważnego także dla innych chorych. Potwierdza to, że pacjenci w badaniach klinicznych współtworzą przyszłość medycyny.

Aleksandra Rudnicka

NAJWIĘKSZĄ BARIERĄ W ROZWOJU BADAŃ KLINICZNYCH W POLSCE

pozostaje złożoność środowiska regulacyjno-organizacyjnego

Wywiad red. Aleksandry Rudnickiej z zastępcą prezesa ds. finansowania badań w Agencji Badań Medycznych – Ireneuszem Staroniem, na temat misji, celów, dotychczasowych dokonań i planów na najbliższy rok oraz kierunków strategicznego rozwoju Agencji, a także współpracy z organizacjami pacjentów.

■ **Panie prezesie zacznijmy od podstawowego pytania – czym jest badanie kliniczne i jaka jest korzyść dla pacjenta z uczestniczenia w nim?**

Badaniem klinicznym jest każde badanie z udziałem ludzi, przeprowadzane w celu oceny bezpieczeństwa i skuteczności substancji aktywnej zawartej w badanym produkcie leczniczym. Stanowi ono niezbędny etap w procesie opracowywania nowych sposobów leczenia i ich późniejszego wprowadzenia do praktyki klinicznej.

Udział w badaniu klinicznym daje pacjentowi możliwość skorzystania z innowacyjnych rozwiązań, które nie są jeszcze dostępne w standardowym systemie opieki zdrowotnej. Zapewnia także regularny nadzór specjalistów oraz bezpłatny dostęp do badań diagnostycznych i leczenia. Dzięki stałej opiece medycznej pacjent otrzymuje dokładną ocenę stanu zdrowia i zyskuje większe poczucie kontroli nad przebiegiem choroby. Udział w badaniu może poprawić jakość życia i zwiększyć szansę na wyzdrowienie, ale jednocześnie wymaga świadomości związanej z możliwym ryzykiem.

■ **Jaką rolę w prowadzeniu badań klinicznych w Polsce odgrywa Agencja Badań Medycznych, jaka jest misja i cele tej instytucji?**

Jednym z głównych celów działalności ABM jest likwidowanie luki w finansowaniu niekomercyjnych badań klinicznych. Agencja finansuje badania kliniczne, które dają polskim pacjentom dostęp do nowoczesnych terapii oraz umożliwiają naukowcom nawiązywanie współpracy w ramach międzynarodowych badań klinicznych.

Co więcej, Agencja tworzy systemowe i kompleksowe rozwiązania, które mają służyć zwiększeniu konkurencyjności polskiego rynku badań klinicznych, poprzez m.in. utworzenie Polskiej Sieci Badań Klinicznych oraz programów edukacyjnych i szkoleniowych dla zespołów badawczych. Jednym z flagowych kursów Agencji jest organizowany we współpracy z Harvard Medical School *Polish Clinical Scholar Research*

Training. Celem inicjatywy jest podnoszenie kompetencji polskich badaczy w planowaniu i prowadzeniu badań klinicznych.

■ **Jakie są największe osiągnięcia ABM od momentu jej powstania w 2019 roku?**

Skala działań ABM z roku na rok przybiera na sile. W latach 2019-2025 Agencja sfinansowała realizację blisko 500 projektów. W ciągu tych 6 lat w ramach 33 konkursów blisko 95 tys. pacjentów, zyskało szansę na dostęp do innowacyjnych terapii i diagnostyki.

Zawarcie umów o łącznej wartości 6,2 mld zł, w tym 1 mld zł w ramach KPO, umożliwiło natomiast finansowanie działalności naukowej sięgającego obecnie nawet 90% w instytutach badawczych i 50% na uczelniach medycznych, co realnie napędza rozwój polskiej nauki w obszarze biomedycznym, buduje gospodarkę opartą na wiedzy oraz długoterminowo wzmacnia konkurencyjność i pozycję Polski na świecie. Co więcej, działalność Agencji doprowadziła do rozwoju infrastruktury badań klinicznych poprzez dofinansowanie 35 Centrów Wsparcia Badań Klinicznych oraz utworzenia Polskiej Sieci Badań Klinicznych wykorzystującej potencjał znajdujący się w polskich publicznych ośrodkach realizujących badania kliniczne.

■ **Jakie są plany ABM na ten rok, o jakie obszary chcecie poszerzyć swoje działania, ale też jakie macie plany strategiczne na dalsze lata?**

Jak co roku, ABM planuje ogłoszenie konkursów wspierających rozwój terapii i procedur medycznych – od niekomercyjnych badań klinicznych, przez eksperymenty badawcze, po projekty nakierowane na opracowanie nowych postaci leków i rozszerzenie portfolio leków generycznych.

Po raz pierwszy w historii Agencji ogłoszony zostanie konkurs na międzynarodowe niekomercyjne badania kliniczne prowadzone według jednolitego protokołu, w których polskie ośrodki wystąpią jako narodowi koordynatorzy (*National Coordination Center*). Konkurs otwiera drogę do udziału Polski w badaniach

o globalnej skali i pozwala krajowym zespołom badawczym pracować ramię w ramię z najlepszymi instytucjami w Europie i na świecie. Kolejną nowością stanie się konkurs „Powroty” będący wspólną inicjatywą z Narodową Agencją Wymiany Akademickiej (NAWA). Konkurs na realizację niekomercyjnych badań klinicznych lub eksperymentów medycznych skierowany będzie do powracających do Polski naukowców.

■ **Jakie są Pana zdaniem największe bariery w rozwoju badań klinicznych w Polsce – prawne, organizacyjne, finansowe, kadrowe?**

W mojej ocenie największą barierą w rozwoju badań klinicznych w Polsce pozostaje złożoność środowiska regulacyjno-organizacyjnego, w którym funkcjonują ośrodki.

Proces uruchamiania badania bywa rozproszony pomiędzy wiele komórek i procedur, co wydłuża czas startu projektów i obciąża zespoły badawcze. Dodatkowym wyzwaniem jest często długotrwały i niejednolity proces negocjacji umów pomiędzy sponsorem a ośrodkiem, angażujący wiele działań, co w praktyce znacząco opóźnia rozpoczęcie badania. Największym wyzwaniem dla Europy, w tym Polski, jest harmonizacja procedur, która skróciłaby czas realizacji badań i zwiększyła naszą konkurencyjność. Polska, mimo trudności na rynku europejskim, ma realny potencjał, aby stać się liderem innowacji medycznych.

■ **Polska jest na 5. miejscu w Europie, jeśli chodzi o badania kliniczne, ale są to badania fazy III. Na zeszłorocznym Forum Ekonomicznym w Karpaczu, jak i na Konferencji Organizacji Pacjentów THE VOICE OF PATIENTS 2025 eksperci i przedstawiciele pacjentów mówili jednym głosem na temat potrzeby prowadzenia większej liczby własnych badań klinicznych nad lekami poczynając od badań fazy I. Dlaczego jest to tak ważne, a zarazem tak trudne?**

Prowadzenie własnych badań fazy I jest jednocześnie strategicznie niezwykle ważne i organizacyjnie bardzo wymagające. Posiadanie kompetencji do realizacji badań fazy I pozwala ośrodkom badawczym i instytucjom naukowym na większą niezależność, szybsze podejmowanie decyzji rozwojowych

oraz realny udział w tworzeniu przełomowych innowacji.

Jednocześnie badania pierwszej fazy należą do najtrudniejszych w realizacji. Wiążą się z wysokim poziomem niepewności oraz potencjalnym ryzykiem dla uczestników, ponieważ badany produkt nie był wcześniej stosowany u ludzi. Wymaga to bardzo rygorystycznych procedur bezpieczeństwa, stałego monitorowania stanu uczestników oraz doświadczonej, interdyscyplinarnej kadry. Dodatkowym wyzwaniem są wysokie koszty infrastruktury, konieczność spełnienia zaawansowanych wymogów regulacyjnych oraz ograniczona liczba ośrodków posiadających odpowiednie zaplecze i kompetencje.

■ **Jaką rolę nie tylko w edukacji, ale i prowadzeniu badań klinicznych odrywają organizacje pacjentów, jakie regulacje prawne trzeba przeprowadzić, aby ta rola nie ograniczała się tylko do rekrutacji pacjentów do udziału w badaniach klinicznych, ale polegała też na ich realnym współtworzeniu i prowadzeniu?**

Organizacje pacjentów odgrywają dziś coraz ważniejszą rolę nie tylko w edukacji, ale także w kształtowaniu kierunków rozwoju badań klinicznych, wnosząc perspektywę realnych potrzeb, doświadczeń i oczekiwań pacjentów. Aby ich udział nie ograniczał się wyłącznie do wsparcia rekrutacji, konieczne jest stworzenie jasnych ram prawnych, umożliwiających formalne włączanie przedstawicieli pacjentów w proces projektowania badań, opiniowania protokołów czy definiowania punktów końcowych istotnych z perspektywy jakości życia pacjentów. Potrzebujemy rozwiązań, które umożliwią im udział w gremiach doradczych, komitetach sterujących czy zespołach badawczych, w sposób transparentny i bezpieczny dla wszystkich stron.

Rola organizacji pacjentów w badaniach klinicznych powinna być systemowo umocowana jako partnerska, a nie wyłącznie konsultacyjna. Tylko wtedy badania kliniczne będą w pełni odpowiadały na realne potrzeby chorych i staną się bardziej dostępne, zrozumiałe i użyteczne społecznie. Jako Agencja już dziś konsekwentnie budujemy taki model współpracy, powołaliśmy grupę Aktywni w Badaniach Klinicznych, która tworzy przestrzeń do realnego dialogu między pacjentami, badaczami i instytucjami systemu.



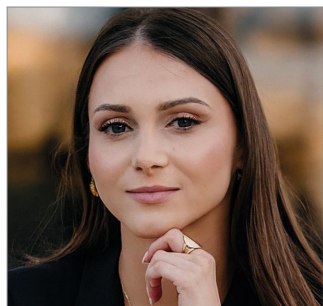
Ireneusz Staroń, zastępca prezesa Agencji Badań Medycznych ds. finansowania badań. Menadżer projektów badań klinicznych z ponad 10-letnim doświadczeniem w sektorze akademickim i komercyjnym. Brał udział w kilkudziesięciu projektach klinicznych, pełniąc kluczowe role operacyjne i zarządcze.

W ostatnich latach realizował globalne projekty kliniczne w wiodących firmach CRO. Posiada również doświadczenie w zarządzaniu organizacjami *non profit* jako członek Zarządu Fundacji dla Uniwersytetu Medycznego w Łodzi oraz członek Zarządu – skarbnik Polskiego Towarzystwa Naukowego Leczenia Ran i Organizacji Opieki.

BADANIA KLINICZNE – CZYM SĄ I DLACZEGO WARTO W NICH UCZESTNICZYĆ?

W ramach konferencji „THE VOICE OF PATIENTS 2025” zorganizowanej przez Stowarzyszenie Onkologiczne SANITAS odbyła się debata na temat badań klinicznych.

W debacie wzięła udział Natalia Ciężczyk, kierownik Działu Edukacji i Jakości w badaniach klinicznych Agencji Badań Medycznych oraz przedstawiciele grupy eksperckiej i opiniotwórczej złożonej z liderów organizacji pacjentów „Aktywni w Badaniach Klinicznych”: Monika Zamarlik – liderka grupy, Hubert Godziątkowski i Dariusz Żebrowski. Uczestnicy debaty starali się odpowiedzieć na pytanie: *Badania kliniczne – czym są i dlaczego warto w nich uczestniczyć?* Panel moderowała red. Agnieszka Katrynicz.



NATALIA CIĘSZCZYK
kierownik Działu Edukacji
i Jakości w badaniach
klinicznych Agencji Badań
Medycznych

Agencja powołała grupę „Aktywni w Badaniach Klinicznych” i zaprosiła do tego projektu pacjentów, więc nie mogę nie zapytać – jakiego rodzaju współpracy oczekujecie Państwo od tego zespołu, jakiego rodzaju działań?

Grupę Aktywni w Badaniach Klinicznych powołaliśmy w marcu 2025 r. Dla osób, które jeszcze jej nie znają, jest to forum organizacji pacjentów tworzone przez ich liderów. Już dziś widzimy, jak dużą wartość wnosi ta inicjatywa, ponieważ pozwala nam włączyć do działań realną perspektywę pacjentów. Jeśli chodzi o nasze oczekiwania, można je podzielić na trzy główne obszary. Pierwszy to edukacja pacjentów. Drugi aktywne angażowanie organizacji pacjentów. Trzeci udział tych organizacji w projektowaniu i realizacji badań klinicznych. W obszarze edukacji kluczowe jest promowanie i upowszechnianie wiedzy o serwisie „Pacjent w badaniach klinicznych”. To miejsce, do którego każdy pacjent zainteresowany udziałem w badaniu powinien trafić. Znajdują się tam rzetelne, eksperckie treści dotyczące badań klinicznych, a także praktyczne wskazówki, jak wyszukać badanie kliniczne. Ważnym elementem są również spotkania edukacyjne dla pacjentów oraz wspólne doskonalenie materiałów, które Agencja Badań Medycznych już przygotowała. Chcemy tworzyć edukację nie tylko dla pacjentów, ale razem z pacjentami, to jest nasze podstawowe założenie. Drugi obszar, czyli angażowanie organizacji pacjentów, postrzegamy jako budowanie mostu między

środowiskiem pacjentów a instytucjami prowadzącymi badania kliniczne. Widzimy tu ogromny potencjał współpracy i wymiany doświadczeń. Natomiast w trzecim obszarze, czyli projektowania i realizacji badań klinicznych, zależy nam na wypracowywaniu lepszych rozwiązań w zakresie rekrutacji pacjentów, usprawnienia komunikacji z uczestnikami badań, przygotowywania dokumentów w sposób bardziej przystępny i czytelny dla pacjentów, a także upowszechniania wyników badań na ich późniejszych etapach. Grupa działająca przy Agencji Badań Medycznych ma mieć charakter partnerski. Naszym celem jest budowanie zaangażowanego środowiska pacjentów, świadomego, dobrze poinformowanego i realnie współtworzącego rozwój badań klinicznych.



MONIKA ZAMARLIK
liderka grupy „Aktywni
w Badaniach Klinicznych”

Pani Moniko, jaka jest rola organizacji pacjentów w propagowaniu wiedzy na temat badań klinicznych i przekonywaniu pacjentów do wzięcia w nich udziału?

Uważam, że na razie zbyt mała. Zrobimy jednak wszystko, żeby była większa. Gdybyśmy wykonali metaanalizę różnych badań dotyczących wiedzy naszego społeczeństwa o badaniach klinicznych, to z takim pojęciem zetknęło się około 60% osób. Natomiast, jeżeli zadalibyśmy kolejne pytanie: *Jak osoby te oceniają swoją wiedzę o badaniach klinicznych?* to przynajmniej połowa z nich powie, że niewystarczająco. Mamy więc

wiele do zrobienia. Organizacje pacjentów to takie podmioty, do których chorzy, późniejsi ewentualni uczestnicy badań klinicznych, przychodzą po wsparcie, po edukację, po wiedzę. Przychodzą do organizacji pacjentów, dlatego, że nam ufają i chcielibyśmy to zaufanie – w dobrym tego słowa znaczeniu – wykorzystać i edukować ich o znaczeniu badań klinicznych, o możliwości wzięcia udziału w takich badaniach. Wiele osób nie ma pojęcia o fazach, o tym, że badania kliniczne to nie są programy lekowe. Zdarza się to bardzo często, i co ciekawe, jak się ostatnio przekonałam na jednym ze spotkań, dotyczy również profesjonalistów medycznych. Chcielibyśmy tę skomplikowaną materię tłumaczyć naszym podopiecznym językiem prostym, ale jednocześnie profesjonalnym.

Generalnie boimy się tego, czego nie znamy, dlatego propagowanie wiedzy, edukacja to jest to, co grupa „Aktywni w Badaniach Klinicznych” będzie robić w roku 2026. Stąd prośba do Państwa – jeśli jesteście przedstawicielami organizacji pacjentów i chcielibyście umieścić informację na swoich stronach internetowych o badaniach klinicznych, to przygotowaliśmy skrypt, który bezpośrednio można na Waszych stronach zamieścić.

Nie jest to chyba proste w przypadku pacjentów wytłumaczyć w sposób przystępny, czym są badania kliniczne?

Tak, bo myślę, że sporo takiej „niedobrej prasy”, jeśli tak można powiedzieć, pojawiło się wokół tematu badań klinicznych. Wiadomo, że w znakomitej większości kojarzą się one z tym, że uczestnicy zgłaszają się, kiedy mają poważne problemy zdrowotne. Natomiast chcielibyśmy pokazać, że badania kliniczne nie muszą się wiązać z poważnymi problemami zdrowotnymi, że one nie tylko mogą dotyczyć tych obszarów zdrowotnych, które będą dotyczyły onkologii czy hematologii. Dotyczą oczywiście spraw, gdzie mówimy o przeżyciu, ale również o jakości życia. Mam przyjemność prowadzić organizację pacjentów, która jest konsorcjantem niekomercyjnego badania klinicznego prowadzonego przez Agencję Badań Medycznych, gdzie przedmiotem badania jest związek cukrzycy typu 1 w populacji pediatrycznej z zaburzeniem, jakim jest ADHD. Więc nie mówimy tutaj o ratowaniu życia, ale o jakości życia. Co więcej, bardzo nam zależy na tym, jako uczestnikom grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych”, żeby udział organizacji pacjentów w badaniach klinicznych, jako konsorcjantów podmiotów, był też jakościowy. Czyli, żeby nie było tak, że organizacje pacjentów są zapraszane do badania klinicznego, ponieważ w konkursie grantowym za to są dodatkowe punkty, tylko żeby na każdym etapie projektowania tego badania, dokumentów i realizacji organizacja pacjentów była podmiotem i była merytorycznie w to badanie zaangażowana. Tak jest w przypadku badania, w którym właśnie mamy okazję, jako organizacja pacjentów

wspierająca chorych z cukrzycą, uczestniczyć. Natomiast chciałam jeszcze powiedzieć, że nie sądziliśmy, jako organizacje, które będą działać w ramach grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych”, że już prawie na początku naszej aktywności będziemy musieli starać się o to, żeby badania kliniczne w Polsce zostały utrzymane na takim samym poziomie, jak do tej pory. Polska jest piątym krajem w Europie, jeśli chodzi o badania kliniczne. Ogólnie bardzo dużo dobrych rzeczy robi Agencja Badań Medycznych – w hematologii, w onkologii, w pediatrii. Właśnie Agencja Badań Medycznych finansuje badania, które ratują życie pacjentom, ratują życie dzieciom. Dlatego chciałam prosić przedstawicieli organizacji pozarządowych o podpisanie apelu, który jako organizacje pacjentów skierowaliśmy do Pana premiera. Apel jest prośbą o to, żeby nie redukować finansowania Agencji Badań Medycznych, żeby badania kliniczne, które tak świetnie się w Polsce rozwijają i dają szansę na innowacyjne leczenie, na ratowanie życia pacjentów, mogły dalej się rozwijać.



DARIUSZ ŻEBROWSKI

grupa „Aktywni w Badaniach Klinicznych”

Panie Dariuszu, powstała grupa organizacji pacjentów, która inicjuje i zachęca do prowadzenia badań klinicznych. Proszę, niech opowie pan więcej o tej inicjatywie, jakie są jej cele i założenia?

To grupa złożona z organizacji działających na rzecz chorób ultrazadkich i rzadkich. Jej celem nie jest wyłącznie rekrutacja pacjentów do badań klinicznych, lecz przede wszystkim inicjowanie i współtworzenie badań podstawowych, przedklinicznych oraz klinicznych. W przypadku chorób ultrazadkich i rzadkich (przy bardzo małej liczbie chorych) często brakuje zainteresowania prowadzeniem badań, które mogłyby realnie przełożyć się na pomoc pacjentom. Dlatego opiekunowie dzieci coraz częściej decydują się sami inicjować takie działania, aby szukać rozwiązań i terapii dla swoich dzieci.

Chciałbym jednak w tym miejscu odejść od tego wątku i, nawiązując do wypowiedzi koleżanki, podkreślić, że odebranie części środków Agencji Badań Medycznych przeznaczanych na niekomercyjne badania kliniczne w Polsce jest złą decyzją. Oznacza to ograniczenie finansowania innowacji. W praktyce prowadzi to do hamowania własnych badań naukowych

i spowalnia rozwój nauki, a przecież dążymy do tego, aby być krajem innowacyjnym (posiadającym wiedzę i technologię) a nie jedynie odbiorcą produktów zaprojektowanych i wytworzonych w innych państwach.

Nasza Fundacja stara się wspierać ten kierunek. Razem z Warszawskim Uniwersytetem Medycznym, Śląskim Uniwersytetem Medycznym oraz Instytutem Centrum Zdrowia Matki Polki wygraliśmy konkurs na przeprowadzenie badania klinicznego III fazy „To Slow DMD” — projektu prowadzonego na rzecz dzieci chorych na dystrofię mięśniową Duchenne’a (DMD). Zależy nam również na tym, aby w Polsce prowadzono więcej badań klinicznych i aby więcej światowych firm farmaceutycznych chciało realizować je w naszym kraju.

Inwestowanie w badania przynosi państwu polskiemu wymierne korzyści. Efektem nie są wyłącznie koszty systemowe czy oczekiwania pacjentów związane z rejestracją nowych terapii. Każde badanie kliniczne to także rozwój kompetencji, infrastruktury oraz wiedzy o tym, jak takie badania prowadzić, a także wymierna aktywność gospodarcza i wpływy podatkowe. Co ważne, korzyści systemowe nie wynikają wyłącznie z badań zakończonych sukcesem. Nawet badania, które nie potwierdzą skuteczności danej interwencji, budują doświadczenie zespołów, wzmacniają ośrodki i podnoszą jakość prowadzenia kolejnych projektów.

Warto mieć na uwadze, że (mówiąc obrazowo) jeśli część badań kończy się powodzeniem, to pozostałe, nawet przy braku oczekiwanego rezultatu, wciąż generują realne efekty: rozwój infrastruktury, wzrost wiedzy naukowej oraz doświadczenia badaczy. To są wartości, które w dłuższej perspektywie mogą okazać się ważniejsze niż krótkoterminowe oszczędności wynikające z ograniczenia finansowania niekomercyjnych badań klinicznych.

Musimy inwestować w badania kliniczne, bo inaczej będziemy tracić pozycję i konkurencyjność w Europie. Państwa, które stały się liderami w tym obszarze, osiągnęły to m.in. dzięki spójnym regulacjom i konsekwentnemu budowaniu ekosystemu badań. My także powinniśmy iść tą drogą tak, aby nasi naukowcy i badacze mogli się rozwijać, a w Polsce powstało jak najwięcej ośrodków badań klinicznych, gromadzących niezbędną wiedzę i umiejętności.

Jako pacjenci również powinniśmy dążyć do tego, aby współtworzyć i inicjować badania kliniczne.

Nieprawdą jest, że jesteśmy wyłącznie po to, by (mówiąc wprost) „dostarczać” pacjentów. Warto brać przykład z najlepszych, a do takich należą organizacje pacjentów we Francji, m.in. AFM — największa organizacja pacjentów działająca od 1958 roku. To właśnie dzięki jej konsekwentnym działaniom powstały ośrodki badawcze Généthon, które prowadzą badania podstawowe, przedkliniczne i kliniczne.

Warto też pamiętać, że w rozwoju innowacyjnych terapii rolę odgrywają nie tylko podmioty komercyjne, ale również organizacje i instytucje *non-profit*, które budują zaplecze naukowe i technologiczne oraz podejmują ryzyko badań na wczesnych etapach, a następnie komercjalizują ich wyniki poprzez licencjonowanie.

Dodam na koniec, że publiczne nakłady związane z rozwojem badań klinicznych nie są stratą. Inwestowanie w niekomercyjne badania kliniczne może przynieść m.in. nowe zastosowania terapeutyczne dla już znanych leków, czyli rozwiązania, które pomagają chorym, także dzieciom, przy nieporównywalnie mniejszych kosztach niż w sytuacji, gdy jedyną drogą pozostaje zakup terapii od zagranicznego producenta.



HUBERT GODZIĄTKOWSKI

Grupa „Aktywni w Badaniach Klinicznych”

W badaniach klinicznych trzeba też pamiętać o jakości. I to jest pytanie do pana Huberta, członka komisji bioetycznej ABM. Jako przedstawiciele organizacji pacjentów, jak możecie dbać o jakość badań klinicznych? Jak jest Państwa rola w tej komisji?

Dobre pytanie. Zaczniemy od tego, że jesteśmy na konferencji, na której mówimy, jak ważny jest głos pacjentów i ten głos pacjentom na równi z ekspertami i decydentami jest tu dany. To dobrze, że wpisujemy się w ogólnoswiatowy trend, że w coraz większej liczbie instytucji przedstawiciele pacjentów faktycznie biorą udział. Mówiliśmy tutaj m.in. o grupie „Aktywni w Badaniach Klinicznych” powstałej przy ABM. Jeżeli chodzi o uczestnictwo przedstawicieli pacjentów w komisjach bioetycznych, to jest całkiem nowe prawo, które zyskali pacjenci, które funkcjonuje dopiero od ponad roku. Faktycznie tak jest, że przedstawiciele pacjentów biorą udział w pracach komisji bioetycznej i naszym zadaniem jest zwracanie szczególnej uwagi na weryfikowanie dokumentów, z którymi spotykają się pacjenci. To są zarówno materiały marketingowe, jak i też najistotniejszy w badaniu dokument, czyli formularz świadomej zgody na udział w badaniu klinicznym. Jest to długi dokument podpisywany przez uczestników badania klinicznego bądź ich opiekunów. My w komisjach bioetycznych sprawdzamy te dokumenty, zapisy w nich pod

kątem etyki, dobrostanu uczestników badania klinicznego. Sprawdzamy, czy ta zgoda była faktycznie zgodą świadomą, niewymuszoną, czy uczestnik badania klinicznego ma cały czas pełne prawo od takiego badania klinicznego odstąpić bez żadnych konsekwencji. Na tym polega nasza rola, nasza praca w tych komisjach. Mamy możliwość składania rekomendacji dla istotnych zmian w badaniu klinicznym lub uwag w przypadku wniosków o nowe badanie kliniczne. Nie jest to jeszcze takie rozwiązanie w stu procentach idealne, ponieważ sponsor może uwzględnić te nasze rekomendacje, może tych rekomendacji nie uwzględnić, ale generalnie idzie to w dobrym kierunku. Dla mnie istotne jest też to, że te zmiany i włączanie pacjentów do prac nad badaniami klinicznymi dzieją się w innych obszarach. Sponsorzy prowadzą projekty międzynarodowe, gdzie angażują przedstawicieli pacjentów z różnych krajów, czasami z różnych kontynentów. I my już współpracujemy ze sponsorami na etapie tworzenia takich modelowych formularzy świadomej zgody. Obserwuję, że ta współpraca faktycznie znacząco usprawnia cały proces: zarówno wnioskowania o badanie kliniczne, czy też zmian w badaniach klinicznych, których jest dosyć dużo. Także myślę, że trzeba się cieszyć, że kierunek zmian w badaniach klinicznych jest dobry. Natomiast w kwestii finansowania badań klinicznych słyszałem, że chyba już nasi rządzący się wycofali z tego pomysłu.

Razem z pacjentami też próbujemy działać i będziemy działać. Robimy dla pacjentów jako Stowarzyszenie razem z ABM różnego rodzaju spotkania po to, żeby szerzyć wiedzę o badaniach klinicznych, ale także robimy to pośrednio poprzez różnego rodzaju inicjowanie zmian prawnych, które powodują to, że te badania kliniczne toczą się w bardziej przyjazny sposób dla pacjenta i sprawiają, że pacjenci są lepiej zaopiekowani.

DARIUSZ ŻEBROWSKI

Panie Dariuszu, jakby Pan miał jednym zdaniem powiedzieć, czego nam najbardziej brakuje w badaniach klinicznych: zmian prawnych, pieniędzy, organizacji...

Spotkałem się ostatnio z dużym problemem. Są zbiórki po kilkanaście milionów na lek, który nie jest zatwierdzony w Europie. 15, 16, 17 milionów – chyba słyszeliście. My chcemy zaproponować coś innego. My chcemy nawiązać współpracę właśnie z organizacją *non-profit* z Francji i chcemy przeprowadzić *screening* w Polsce dla 10 chłopców, z których czterech mogłoby pojechać do Francji czy do Belgii na badania kliniczne. Nawet jak będzie trzeba, to zrobimy zbiórkę na te dzieci. To jest tylko półtora miliona dla czterech chłop-

ców. Można by było zrobić coś, na co w innym przypadku trzeba było znaleźć 60 milionów. To w takim kierunku powinniśmy iść, prowadzić badania, sprowadzać te badania i robić wszystko, żeby dzieci oczywiście miały szansę, bo badanie kliniczne nie jest czymś, co wyleczy. To nie jest terapia. Potrzeba zrozumienia wśród naukowców, lekarzy, badaczy, instytucji, że my jesteśmy też takimi sprawczymi organizacjami, nie tylko, tak jak powiedziałem wcześniej, dostarczającymi pacjentów. Kiedy zgłaszają się do nas firmy farmaceutyczne? Wtedy, kiedy tych pacjentów po prostu nie mają, a my oczekujemy współpracy. Jestem przeciwny takiemu traktowaniu pacjentów, organizacji pacjentów. Uważam, że pacjentocentryzm to jest najgorsze, co może nas spotkać, ponieważ pacjentocentryzm, to jest obradowanie ponad naszymi głowami, ponad nami o naszych problemach. A my powinniśmy być przy stole i obradować nad problemem, a nie nad tym, co zrobić z nami, tylko razem ze wszystkimi mówić o tym, co zrobić, żeby było lepiej, żeby rozwiązać problem.

HUBERT GODZIĄTKOWSKI

To samo pytanie zadam panu Hubertowi. Czego nam brakuje, żeby badania kliniczne rozwijały się w Polsce?

Podjęliśmy się jako grupa edukacji na temat badań klinicznych. Edukacja jest potrzebna po to, żeby zlikwidować to, o czym Monika powiedziała – tą całą „złą prasę”.

Wróć do tematu rekrutacji, wcale nie takiego oczywistego. Faktycznie wiele badań w Polsce zamyka się ze względu na to, że proces rekrutacyjny jest słaby, że nie ma chętnych pacjentów do włączenia do badań klinicznych.

W ramach pracy dla komisji bioetycznej obserwuję, że planowane przez sponsorów procesy rekrutacyjne niestety w większości przypadków nie uwzględniają współpracy z organizacjami pacjentów. Czasami uwzględniają współpracę z takimi podmiotami zewnętrznymi, które są pośrednikami bardzo szeroko reklamującymi te badania komercyjne w Internecie, w sieci.

I tutaj właśnie jest ten problem, że jeżeli informacja o rekrutacji nie jest wspomagana przez organizacje pacjentów, tylko jest taka masowa i do wszystkich, to ona się spotyka z bardzo negatywnymi komentarzami, z hejtem, ponieważ trafia do osób, które ani nie są zainteresowane badaniami klinicznymi, ani w ogóle o takich badaniach nie słyszały i one traktują je, jako działania utożsamiane ze złem, jakim jest eksperymentowanie na dzieciach. Chcemy, aby takie postrzeganie badań klinicznych z mediów zniknęło, na rzecz rzetelnej informacji.

NATALIA CIĘSZCZYK

Pani Natalio, proszę o podsumowanie i jak układa się wasza współpraca z organizacjami pacjentów? Już pewnie macie jakieś doświadczenia i możecie ją ocenić?

Choć ta współpraca trwa stosunkowo krótko, już teraz widzimy bardzo duże zaangażowanie członków grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych”. Jeśli chodzi o podsumowanie 2025 roku i naszych wspólnych działań, jednym z najważniejszych efektów jest przygotowanie skryptu dla organizacji pacjentów zawierającego rekomendacje, jak ulepszać i rozwijać zakładki dotyczące badań klinicznych na ich stronach internetowych. Chodzi o to, aby pacjent mógł w prosty sposób dotrzeć do rzetelnych i wiarygodnych informacji. Wszystkie organizacje zainteresowane tematyką badań klinicznych konsekwentnie kierujemy również do serwisu „Pacjent w badaniach klinicznych”, o którym już wspominałam. To miejsce traktujemy jako podstawowe, sprawdzone źródło wiedzy i dlatego będziemy je stale promować. Podjęliśmy także współpracę z towarzystwami naukowymi oraz z Rzecznikiem Praw Pacjenta.

Za nami spotkania warsztatowe, a obecnie pracujemy nad rekomendacjami dla organizacji pacjentów. Chcemy wskazać, jak rzetelnie mówić o badaniach klinicznych w mediach i jak unikać dezinformacji czy uproszczeń, które niestety wciąż pojawiają się w przestrzeni publicznej.

Jako Agencja jesteśmy bardzo pozytywnie nastawieni do tej współpracy. Grupa AwBK jest niezwykle merytoryczna, zaangażowana i aktywna nie tylko w działaniach realizowanych wspólnie z nami, ale także w swoich własnych inicjatywach edukacyjnych. Jej przedstawiciele uczestniczą w konferencjach oraz wydarzeniach kierowanych do pacjentów. Dlatego jesteśmy przekonani, że kolejny rok przyniesie równie konkretne rezultaty i pozwoli zrealizować plany, które wyznaczyliśmy sobie na 2026 rok.

red. Agnieszka Katrynicz:

Bardzo się cieszę, że udało nam się zakończyć ten panel pozytywnie i optymistycznie. W przyszłym roku będzie lepiej. Bardzo dziękuję.

EDUKACJA PACJENTÓW W ZAKRESIE BADAŃ KLINICZNYCH

Dr Daria M. Urbańska i Natalia D. Ciężczyk poruszają temat edukacji pacjentów na temat badań klinicznych, która wciąż jest niewystarczająca. Autorki wskazują na rzetelne merytorycznie, fachowe źródła takich informacji, którymi są personel medyczny i profesjonalnie zredagowane w zrozumiały sposób materiały drukowane czy publikowane w sieci. Prezentują działania i materiały przygotowane przez Agencję Badań Medycznych w ramach edukacji pacjentów na temat badań klinicznych.

EDUKACJA PACJENTÓW

W ostatnich latach coraz większą rolę odgrywa podejście skoncentrowane na pacjencie, które zakłada jego aktywny udział w procesie leczenia i dbania o zdrowie. Kluczowym elementem tego modelu jest edukacja. Jej celem jest zwiększenie wiedzy i umiejętności potrzebnych do podejmowania świadomych decyzji zdrowotnych, skutecznej samoopieki, rozpoznawania i kontrolowania objawów choroby, a także świadomego udziału w programach zdrowotnych i przestrzegania zaleceń lekarskich.

Rozwój technologii oraz powszechny dostęp do Internetu sprzyjają wzrostowi świadomości społecznej i sprawiają, że pacjenci coraz chętniej poszukują rzetelnych informacji, dotyczących zdrowia i opieki medycznej.¹

BADANIA KLINICZNE

Efektywna opieka medyczna nie byłaby możliwa bez skutecznych i bezpiecznych leków. W tym zakresie kluczowych dowodów dostarczają badania kliniczne, a uzyskane wyniki mogą być wykorzystywane w praktyce klinicznej. Z kolei, ich uczestnicy zyskują możliwość skorzystania z innowacyjnych metod leczenia.²

Jednocześnie prowadzenie badań klinicznych wiąże się z wieloma wyzwaniami, jednym z nich jest rekrutacja uczestników. Do badania mogą zostać zakwalifikowane osoby spełniające określone kryteria włączenia i niespełniające kryteriów wyłączenia, po uprzednim wyrażeniu świadomej zgody. Aby taka zgoda była rzeczywiście świadoma i ważna, potencjalny uczestnik musi rozumieć zasady udziału w badaniu, jego prze-

bieg, możliwe korzyści oraz ryzyka. Wymaga to odpowiedniego poziomu wiedzy pacjentów na temat badań klinicznych oraz jasnego i zrozumiałego przekazywania informacji przez personel medyczny.³

ŹRÓDŁA INFORMACJI O BADANIACH KLINICZNYCH

Istotną rolę w edukacji pacjentów odgrywają lekarze i pielęgniarki, którzy stanowią podstawowe źródło informacji na temat badań klinicznych.⁴ Jednakże temat ten jest rzadko omawiany podczas regularnych wizyt lekarskich, w związku z czym nadal brakuje społecznego zrozumienia tego procesu.⁵ Odpowiednia edukacja może zwiększyć chęć pacjentów do udziału w badaniu klinicznym.⁶ Niemniej jednak często napotykają oni szereg niepewności, które mogą zniechęcić ich do wyrażenia zgody na udział.⁷

Innym ważnym, pomocnym i efektywnym narzędziem edukacyjnym mogą być przejrzyste i wiarygodne materiały edukacyjne zawierające informacje m.in. na temat procesu uzyskiwania świadomej zgody, uzasadnienia konieczności prowadzenia badań klinicznych oraz wyjaśniające pojęcia branżowe.⁸



SERWIS „PACJENT W BADANIACH KLINICZNYCH”

W odpowiedzi na tę potrzebę Agencja Badań Medycznych wraz z partnerami, którymi są: Fundacja Urszuli Jaworskiej, Stowarzyszenie na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce (GCPpl), INFARMA, Instytut „Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka”, Krajowi Producenci Leków, Naczelna Izba Aptekarska, POLCRO, Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, prowadzi serwis „Pacjent w badaniach klinicznych”. Na jego stronie internetowej oraz na profilu Facebook cyklicznie zamieszczane są artykuły branżowe i materiały edukacyjne, stworzone z myślą o pacjentach i ich rodzinach.⁹

Jednym z czynników wpływającym na decyzję o udziale w badaniu klinicznym jest zrozumienie konsekwencji uczestnictwa w badaniu klinicznym.¹⁰ Z tego względu w ramach serwisu zostały opracowane materiały edukacyjne, z których pacjenci mogą dowiedzieć się m.in.: czym są badania kliniczne

DOSTĘPNE MATERIAŁY EDUKACYJNE

- Folder informacyjny
- Broszura „Badania kliniczne bliżej Ciebie – wyszukiwarki badań klinicznych”
- Broszura „Karta praw i obowiązków uczestnika badania klinicznego”
- Broszura „Placebo w badaniach klinicznych”
- Broszura „Badania kliniczne, a standardowa opieka medyczna”
- Broszura „Powszechne mity na temat badań klinicznych”
- Broszura „W jaki sposób chronione jest moje bezpieczeństwo, jeśli zdecyduję się na udział w badaniu klinicznym?”
- Broszura „Źródła danych w medycynie”
- Broszura „Pytania pomocne w podjęciu decyzji o udziale w badaniu klinicznym”
- Broszura „Jak rozmawiać z bliskimi o swojej decyzji dotyczącej udziału w badaniu klinicznym?”
- Ulotka „DLA CIEBIE I TWOICH BLISKICH – jak radzić sobie z trudnymi emocjami w trakcie badania klinicznego”
- Poradnik dla rodziców „Twoje dziecko w badaniach klinicznych”



SERWIS „PACJENT W BADANIACH KLINICZNYCH”

i jaki jest ich cel, w jaki sposób chronione jest bezpieczeństwo uczestnika badania klinicznego oraz jakie ma prawa i obowiązki, a także poznać różnice między badaniami klinicznymi a standardową opieką medyczną, czy zapoznać się z powszechnymi mitami na ich temat.¹¹

Na decyzję o udziale w badaniu klinicznym wpływ mają również czynniki psychospołeczne, które obejmują zaangażowanie rodziny w proces decyzyjny.¹² Z tego względu zostały opracowane

cowane materiały zawierające pytania pomocne w podjęciu decyzji o udziale w badaniu klinicznym oraz wskazówki, jak rozmawiać na ten temat z bliskimi.¹³

Pacjenci, którzy są już uczestnikami badania klinicznego również mogą zapoznawać się z przedstawionymi treściami. Dodatkowo przygotowano dla nich ulotkę poświęconą wsparciu emocjonalnemu oraz radzeniu sobie z trudnymi emocjami podczas udziału w badaniu klinicznym.¹⁴

Ważne dla rozwoju leków są także pediatryczne badania kliniczne. Dostarczają one niezbędnych dowodów dotyczących opieki pediatrycznej i dawkowania leków w różnych grupach wiekowych. Rodzice i opiekunowie prawni interesują się możliwościami udziału ich dzieci w badaniach klinicznych ze względu na potencjalne korzyści zdrowotne, czy chęć pomocy innym dzieciom w przyszłości. Z drugiej strony, odczuwają również lęk przed ryzykiem oraz strach przed wyzwaniem logistycznymi.¹⁵ Kwestie te zostały szeroko omówione w Po-

radniku dla rodziców „Twoje dziecko w badaniach klinicznych” dostępnym w serwisie „Pacjent w Badaniach Klinicznych”.¹⁶ Dzieci również mogą odczuwać strach przed nieznanym procesem.¹⁷ Dlatego, aby oswoić z nim najmłodszych uczestników udostępniono dwa materiały edukacyjne: bajkę „Zosia w badaniu klinicznym” oraz kolorowaną z Tadzikiem – Ambasadorem Pediatrycznych Badań Klinicznych.¹⁸

PODSUMOWUJĄC

Edukacja w zakresie badań klinicznych jest niezwykle istotna w każdej grupie wiekowej, zarówno w populacji dorosłych jak i pediatrycznej. W ramach działań serwisu „Pacjent w Badaniach Klinicznych” nieustannie identyfikowane są tematy wymagające omówienia, a następnie opracowane rzetelne materiały, dostosowane do potrzeb uczestników oraz ich opiekunów.



dr Daria M. Urbańska

Absolwentka studium doktoranckiego IGHZ PAN. Kilkunastoletnie doświadczenie w badaniach podstawowych i ponad 5 letnie w badaniach klinicznych. Autorka materiałów edukacyjnych i publikacji naukowych. Koordynator-

ka w projekcie „Akademii Badań Klinicznych” oraz grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych”.



Natalia D. Ciężczyk

Absolwentka Uniwersytetu Medycznego w Lublinie na kierunku farmacja.

Zawodowo związana z badaniami klinicznymi.

Obecnie kieruje działem Edukacji i Jakości w Badaniach Klinicznych w Agencji Badań Medycznych.

Koordynuje i realizuje projekty skierowane do zespołów badawczych i pacjentów.

BIBLIOGRAFIA

- ^{1/} Harris SM, Kelly CG. Patient education in clinical trials and throughout the product lifecycle. *Medical Writing*. 2025;25(4)
- ^{2/} Jin, Q., Wang, Z., Floudas, CS i in. Dopasowanie pacjentów do badań klinicznych z dużymi modelami językowymi. *Nat Commun* 15, 9074 (2024). <https://doi.org/10.1038/s41467-024-53081-z>
- ^{3/} Cameron P, Pond GR, Xu RY, Ellis PM, Goffin JR. A comparison of patient knowledge of clinical trials and trialist priorities. *Curr Oncol*. 2013 Jun;20(3):e193-205. doi: 10.3747/co.20.1323. PMID: 23737689; PMCID: PMC3671026.
- ^{4-5/} Anderson A., Borfitt D., Getz K. Globalne postawy społeczne wobec badań klinicznych i doświadczenia pacjentów z badaniami klinicznymi. *JAMA Netw Open*. 2018;1(6):e182969. doi:10.1001/jamanetworkopen.2018.2969
- ^{6-8/} Cameron P, Pond GR, Xu RY, Ellis PM, Goffin JR. A comparison of patient knowledge of clinical trials and trialist priorities. *Curr Oncol*. 2013 Jun;20(3):e193-205. doi: 10.3747/co.20.1323. PMID: 23737689; PMCID: PMC3671026.
- ^{9/} Serwis Pacjent w Badaniach Klinicznych [dostęp: 12.01.2026, g.12:45] <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/>
- ^{10/} Bell JAH, Forcina V, Mitchell L, Tam S, Wang K, Gupta AA, Lewin J. Perceptions of and decision making about clinical trials in adolescent and young adults with Cancer: a qualitative analysis. *BMC Cancer*. 2018 Jun 4;18(1):629. doi: 10.1186/s12885-018-4515-2. PMID: 29866065; PMCID: PMC5987432.
- ^{11/} Serwis Pacjent w Badaniach Klinicznych [dostęp: 12.01.2026, g.12:45] <https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/>
- ^{12/} Bell JAH, Forcina V, Mitchell L, Tam S, Wang K, Gupta AA, Lewin J. Perceptions of and decision making about clinical trials in adolescent and young adults with Cancer: a qualitative analysis. *BMC Cancer*. 2018 Jun 4;18(1):629. doi: 10.1186/s12885-018-4515-2. PMID: 29866065; PMCID: PMC5987432.
- ^{13-14/} Serwis Pacjent w Badaniach Klinicznych [dostęp: 12.01.2026, g.12:45]
- ^{15/} Tromp K, Zwaan MC, van de Vathorst S. Motivations of children and their parents to participate in drug research: a systematic review. *Eur J Pediatr*. 2016;175(6):547-558. PMID: 27041121; PMCID: PMC4839044.
- ^{16/} Serwis Pacjent w Badaniach Klinicznych [dostęp: 12.01.2026, g.12:45]
- ^{17/} Tromp K, Zwaan MC, van de Vathorst S. Motivations of children and their parents to participate in drug research: a systematic review. *Eur J Pediatr*. 2016;175(6):547-558. PMID: 27041121; PMCID: PMC4839044.
- ^{18/} Serwis Pacjent w Badaniach Klinicznych [dostęp: 12.01.2026, g.12:45]

PACJENCI JAKO PARTNERZY, NIE TYLKO UCZESTNICY – dlaczego współpraca z organizacjami pacjentów zmienia badania kliniczne?

Aneta Sitarska-Haber, wiceprezes Stowarzyszenia na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce, przedstawia rosnące znaczenie organizacji pacjentów w rozwoju badań klinicznych w Polsce i możliwości partnerskiej współpracy pacjentów w tworzeniu modelu badań klinicznych przyjaznych i odpowiadających na potrzeby uczestników.



KONCEPCJA *PATIENT CENTRICITY* W BADANIACH KLINICZNYCH

W ostatnich dwóch dekadach badania kliniczne przeszły istotną transformację – od modelu skoncentrowanego na produkcie do modelu skoncentrowanego na pacjencie. Koncepcja *Patient Centricity*, szeroko opisana w literaturze i wytycznych regulacyjnych, zakłada, że pacjent nie jest jedynie uczestnikiem badania, lecz równoprawnym partnerem w procesie rozwoju leków.

Coraz częściej mówi się o „pacjentocentryczności” (*patient centricity*), czyli podejściu, w którym pacjent staje się partnerem w projektowaniu i prowadzeniu badań klinicznych. W centrum tej zmiany powinny znajdować się organizacje pacjentów – fundacje i stowarzyszenia, które reprezentują osoby chore i ich rodziny. Ich rola rośnie zarówno w Europie, jak i w Polsce. Dlaczego współpraca z nimi jest tak ważna? Jakie przynosi korzyści? I z jakimi wyzwaniem nadal się mierzymy? Czy wszystkie organizacje pacjentów rozumieją koncepcję badań klinicznych?

DOŚWIADCZENIE PACJENTÓW – NIEZBĘDNY ELEMENT BADAŃ KLINICZNYCH

Badania kliniczne to niezbędny etap wprowadzania nowych leków na rynek. To właśnie w ich trakcie sprawdza się skuteczność i bezpieczeństwo terapii. Jednak przez wiele lat projekty badań były tworzone głównie przez naukowców i sponsorów – często bez realnego udziału osób, których choroba dotyczy bezpośrednio. Dziś coraz częściej zadaje się proste pytanie: *Skoro to pacjenci żyją z daną chorobą, dlaczego nie mieliby współdecydować o tym, jak wygląda badanie?*

Pacjenci najlepiej wiedzą:

- które objawy są najbardziej uciążliwe,
- jakie działania niepożądane są trudne do zaakceptowania,

- ile wizyt w ośrodku badawczym są w stanie realnie odbyć,
- jak choroba wpływa na ich codzienne życie.

Ta wiedza nie zawsze jest widoczna w tabelach i analizach statystycznych, ale ma ogromne znaczenie dla jakości badań.

CO TO SĄ ORGANIZACJE PACJENTÓW?

Organizacje pacjentów to fundacje i stowarzyszenia działające *non-profit*, najczęściej powstałe z osobistych doświadczeń choroby – własnej lub bliskiej osoby. W Polsce działa kilka tysięcy organizacji związanych z ochroną zdrowia. Wiele z nich koncentruje się na konkretnych chorobach, takich jak nowotwory, choroby rzadkie, cukrzyca czy choroby autoimmunologiczne.

Działalność organizacji pacjentów obejmuje:

- edukację i podnoszenie świadomości,
- wsparcie psychologiczne dla chorych i rodzin,
- działania rzecznicze,
- współpracę z lekarzami i instytucjami publicznymi.

Coraz częściej ich rola rozszerza się również na obszar badań klinicznych.

JAK ORGANIZACJE PACJENTÓW WSPIERAJĄ BADANIA KLINICZNE?

1. Projektowanie badań bardziej przyjaznych uczestnikowi.
2. Organizacje pacjentów mogą opiniować protokoły badań jeszcze przed ich rozpoczęciem. Dzięki temu możliwe jest:

- ograniczenie nadmiernie uciążliwych procedur,
- zmniejszenie liczby wizyt wymagających długich podróży,
- lepsze dopasowanie punktów końcowych do tego, co naprawdę ma znaczenie dla pacjentów.

To przekłada się na badania, które są bardziej realistyczne i przyjazne uczestnikom.

3. Szybsza rekrutacja

Jednym z największych wyzwań badań klinicznych jest rekrutacja odpowiedniej liczby pacjentów. Organizacje pacjentów, dzięki bezpośredniemu kontaktowi ze swoimi członkami, mogą:

- informować o trwających badaniach,
- tłumaczyć, na czym polega udział w badaniu klinicznym,
- rozwiewać obawy i obalać mity.

Zaufanie, którym cieszą się wśród pacjentów, bywa kluczowe dla podjęcia decyzji o uczestnictwie.

4. Lepsze zrozumienie świadomej zgody

Formularze świadomej zgody na udział w badaniu klinicznym są często długie i napisane specjalistycznym językiem. Organizacje pacjentów mogą pomagać w redagowaniu tych dokumentów w bardziej przystępny sposób, organizując konsultacje i webinary, podczas których mogą przedstawiać proces uzyskiwania świadomej zgody na udział w badaniu.

To zwiększa poczucie bezpieczeństwa uczestników i sprawia, że decyzja o udziale jest naprawdę świadoma.

5. Udział w ocenie etycznej

Nowe regulacje europejskie i polskie przewidują możliwość udziału przedstawicieli organizacji pacjentów w procesie oceny etycznej badań klinicznych.

To oznacza, że głos pacjenta może mieć wpływ na ocenę stosunku korzyści do ryzyka jeszcze przed rozpoczęciem badania.

6. Promowanie nowoczesnych form badań

Pandemia COVID-19 przyspieszyła rozwój badań zdecentralizowanych, w których część procedur odbywa się zdalnie, w domu pacjenta. Organizacje pacjentów odgrywają ważną rolę w edukowaniu uczestników na temat nowych technologii, takich jak telemedycyna czy urządzenia monitorujące stan zdrowia.

Pozostaje jednak pytanie, czy przedstawiciele organizacji pacjentów w Polsce rzeczywiście korzystają z powyższych możliwości i przywileju wpływania na rozwój badań klinicznych.

CO ZYSKUJĄ FIRMY PROWADZĄCE BADANIA NA WSPÓŁPRACY Z ORGANIZACJAMI PACJENTÓW?

Współpraca z organizacjami pacjentów to nie tylko kwestia wizerunku.

To konkretne korzyści:

- Lepsza jakość protokołów – badania są bardziej dopasowane do realiów życia pacjentów.
- Skrócenie czasu rekrutacji – dzięki wsparciu społeczności pacjentów.
- Wyższa retencja uczestników – mniejsza liczba osób wycofujących się z badania.
- Większe zaufanie społeczne – transparentna współpraca buduje wiarygodność.

- Lepsze dane dotyczące jakości życia – coraz większe znaczenie mają tzw. PRO (*Patient Reported Outcomes*), czyli dane zgłaszane bezpośrednio przez pacjentów.

W efekcie badania kliniczne stają się bardziej efektywne i lepiej odpowiadają na potrzeby rynku.

BARIERY I WYZWANIA UCZESTNICTWA ORGANIZACJI PACJENTÓW W BADANIACH KLINICZNYCH W POLSCE

Mimo rosnącej świadomości znaczenia organizacji pacjentów w badaniach klinicznych, współpraca w Polsce w tym obszarze napotyka wiele trudności. Wiele organizacji działa w oparciu o wolontariat i niewielkie budżety.

Brakuje im:

- stabilnego finansowania,
- profesjonalnego zaplecza administracyjnego,
- specjalistycznych szkoleń.

Organizacje często wskazują na skomplikowane procedury grantowe i administracyjne, które utrudniają ich rozwój. Współpraca z firmami farmaceutycznymi wymaga przejrzystości finansowej. W Polsce obowiązują kodeksy dobrych praktyk, które regulują zasady takiej współpracy, jednak nadal pojawiają się obawy dotyczące niezależności organizacji.

PROBLEM PROFESJONALIZACJI

Niektóre organizacje są bardzo doświadczone i aktywnie uczestniczą w międzynarodowych inicjatywach. Inne dopiero rozpoczynają działalność i potrzebują wsparcia w budowaniu kompetencji.

W Europie rozwijane są programy szkoleniowe dla pacjentów-ekspertów, które pozwalają im lepiej rozumieć proces badań i rozwoju leków. W Polsce również rośnie liczba inicjatyw edukacyjnych, takich jak portal „Pacjent w badaniach klinicznych”.

Im większa wiedza pacjentów, tym bardziej świadome i partnerskie mogą być relacje ze sponsorami badań.

PACJENT JAKO WSPÓŁTWÓRCA PRZYSZŁOŚCI MEDYCYNY

Najważniejsza zmiana polega na odejściu od postrzegania pacjenta jako biernego odbiorcy innowacji. Współczesne badania kliniczne coraz częściej opierają się na dialogu i współpracy. Pacjent staje się podmiotem badań, decydującym o ich przebiegu.

Pacjenci mogą:

- współtworzyć projekty badań,
- wpływać na kształt regulacji,
- inicjować własne programy badawcze,
- wspierać rozwój terapii w obszarach zaniedbanych przez przemysł.

Przykłady z Europy pokazują, że organizacje pacjentów potrafią finansować badania, tworzyć biobanki, a nawet inicjować rozwój nowych terapii.

CO DALEJ?

Przyszłość badań klinicznych będzie jeszcze bardziej pacjento-centriczna. Rozwój badań zdecentralizowanych, personalizacja terapii oraz rosnące znaczenie danych zgłaszanych przez pacjentów sprawiają, że ich głos staje się kluczowy.

Aby pacjent stał się podmiotem badań klinicznych w Polsce potrzebne jest:

- uproszczenie procedur administracyjnych,
- wsparcie finansowe i szkoleniowe dla organizacji,
- budowanie kultury przejrzystości,
- długoterminowe partnerstwa zamiast jednorazowych projektów.

PODSUMOWANIE

Współpraca z organizacjami pacjentów to nie chwilowy trend, lecz kierunek rozwoju nowoczesnych badań klinicznych. To model, w którym pacjent nie jest już tylko uczestnikiem, lecz współtwórcą.

W Polsce potencjał współpracy jest znaczący, jednak wymaga dalszej profesjonalizacji, uproszczenia procedur oraz inwestycji w edukację i budowanie kompetencji organizacji pacjentów. Transformacja z modelu „pacjent jako odbiorca” do modelu „pacjent jako partner” jest nie tylko trendem regulacyjnym, lecz koniecznością wynikającą z rosnącej złożoności badań klinicznych i oczekiwań społecznych. Silne, transparentne i etyczne partnerstwo między sponsorami badań a organizacjami pacjentów stanowi jeden z fundamentów przyszłości badań klinicznych – badań bardziej efektywnych, dostępnych i rzeczywiście odpowiadających na potrzeby pacjentów.

JAK SKUTECZNIE SZUKAĆ BADAŃ KLINICZNYCH PORADNIK cz. I

Dariusz Żebrowski, Prezes Fundacji StopDuchenne, członek Zarządu Stowarzyszenia GCPpl



Wielu pacjentów i ich opiekunów po otrzymaniu diagnozy doświadcza szoku i poczucia bezradności. Jednym z pierwszych pytań, jakie się pojawia, jest: *Co mogę zrobić, aby pomóc sobie lub swoim bliskim?* Niestety, w wielu przypadkach nie istnieje skuteczna terapia przyczynowa ani terapia działająca na objawy choroby lub zmieniająca jej przebieg, która mogłaby zatrzymać lub istotnie opóźnić jej postęp. Problem ten jest szczególnie widoczny w chorobach rzadkich i ultrarzadkich. Obecnie opisano już blisko 10 000 takich chorób, jednak tylko około 5-6% z nich ma zatwierdzone leczenie przyczynowe lub modyfikujące przebieg choroby. Oznacza to, że zdecydowana większość pacjentów pozostaje bez jakiegokolwiek dostępnej terapii.

Dla wielu pacjentów, szczególnie w chorobach rzadkich, udział w badaniu klinicznym może być jedną z niewielu dostępnych możliwości działania. Należy jednak jasno podkreślić, że badanie kliniczne nie jest leczeniem, lecz procesem sprawdzania, czy dana terapia jest skuteczna i bezpieczna.

Spora grupa chorych postrzega udział w badaniu jako szansę na wyleczenie lub dostęp do nowej terapii niedostępnej

jeszcze na rynku. Takie oczekiwania są zrozumiałe, ale nie zawsze realistyczne. Badany produkt leczniczy może okazać się skuteczny, ale może również nie przynieść oczekiwanych efektów lub powodować działania niepożądane. Celem badania klinicznego jest właśnie ustalenie, czy potencjalne korzyści przewyższają ryzyko.

Szansa, że badany produkt stanie się w przyszłości zarejestrowanym lekiem, jest ograniczona. Dane naukowe pokazują, że spośród wszystkich produktów wchodzących do badań klinicznych jedynie około 10% ostatecznie zostaje dopuszczonych do obrotu jako leki. Oznacza to, że większość badanych terapii nie przechodzi całego procesu rozwoju.

Sytuacja wygląda bardziej optymistycznie w późniejszych etapach badań. Jeżeli produkt osiągnął trzecią fazę badania klinicznego, prawdopodobieństwo jego rejestracji wzrasta do około 40-60%. Nadal jednak oznacza to, że nawet na tym zaawansowanym etapie nie ma pewności, że terapia okaże się skuteczna i bezpieczna. Dlatego decyzja o udziale w bada-

niu klinicznym powinna być podejmowana świadomie. Udział w badaniu jest przede wszystkim udziałem w procesie naukowym, który może przyczynić się do rozwoju przyszłych terapii – zarówno dla danego pacjenta, jak i dla innych chorych w przyszłości.

Jeśli więc podejmujemy decyzję o przystąpieniu do badania klinicznego warto szukać tych badań w zaufanych źródłach i po znalezieniu dopytać się badacza (czyli lekarza zajmującego się prowadzeniem badania klinicznego), czy rzeczywiście możemy wziąć w nim udział. Znalezienie odpowiedniego badania bywa trudne. Informacje są rozproszone, często nieaktualne albo zapisane językiem, który bardziej przypomina dokument urzędowy niż realną pomoc dla pacjenta. Istnieje jednak kilka wyszukiwarek badań klinicznych, z których bez obawy można skorzystać, jednak każda z nich ma swoje zalety i wady. Poniżej wyjaśniam, gdzie pacjent w Polsce i w Europie powinien szukać badań klinicznych, jakie są zalety i wady poszczególnych narzędzi oraz jak z nich korzystać w sposób świadomy.

W tym artykule opisuję cztery najważniejsze wyszukiwarki badań klinicznych:

1. **CTIS** – europejska baza badań klinicznych,
2. **ClinicalTrials.gov** – największa baza na świecie, prowadzona w USA,
3. **WHO ICTRP** – wyszukiwarka Światowej Organizacji Zdrowia,
4. **<https://BadaniaKliniczne.pl>** – wyszukiwarka komercyjna badań klinicznych.

Każde z tych narzędzi pełni inną rolę i warto rozumieć, do czego najlepiej je wykorzystać.

CTIS – EUROPEJSKA BAZA, KTÓREJ MOŻNA UFAĆ

CTIS to oficjalna europejska baza badań klinicznych. Zawiera informacje o badaniach prowadzonych w Unii Europejskiej, w tym w Polsce. Jeżeli badanie rzeczywiście jest prowadzone i dopuszczone do realizacji w UE, powinno być właśnie tam zarejestrowane i widoczne. Jeśli znalazłeś badanie kliniczne w Internecie i nie możesz go znaleźć w CTIS, może to oznaczać, że badanie nie jest prowadzone w Unii Europejskiej lub Europejskim Obszarze Gospodarczym, albo zostało zatwierdzone przed wejściem w życie Rozporządzenia (UE) nr 536/2014 i znajduje się w starszej bazie EU *Clinical Trials Register*, albo nie jest badaniem klinicznym produktu leczniczego w rozumieniu tego rozporządzenia.

CTIS zawiera badania kliniczne:

- leków chemicznych,
- leków biologicznych,
- terapii genowych,
- terapii komórkowych,
- szczepionek,

- podlegające Rozporządzeniu (UE) 536/2014, natomiast starsze badania mogą być dostępne w poprzednim rejestrze EU *Clinical Trials Register*.

Wiedz, że nie każde badanie musi być rejestrowane w CTIS. Rejestracji podlegają tylko badania kliniczne, w bazie nie ma np. tzw. badań obserwacyjnych.

CTIS nie zawiera:

- badań wyrobów medycznych,
- badań obserwacyjnych,
- badań behawioralnych,
- badań procedur medycznych,
- badań poza UE.

Każde badanie w CTIS posiada unikalny numer EU CT numer w formacie YYYY-NNNNN-CC-SS, który identyfikuje badanie kliniczne zgodnie z Rozporządzeniem (UE) nr 536/2014 gdzie YYYY to rok, NNNNN to numer sekwencyjny, CC to kod kraju (*country code*), a SS to numer kolejnej wersji dokumentacji lub wniosku dla danego kraju.

Największą zaletą CTIS jest wiarygodność. Dane pochodzą bezpośrednio z procesu zatwierdzania badania i są traktowane jako źródło referencyjne.

ZALETY:

- możliwość wyboru języka interfejsu,
- możliwość ograniczenia wyszukiwania przez podanie kryteriów zawężających np. kraj i wiele innych,
- możliwość uzyskania ogólnych informacji o badaniu w zakładce „Streszczenie”,
- możliwość uzyskanie pełnych informacji o badaniu w zakładce „Pełne informacje o badaniu”,
- możliwość pobrania i przeglądnięcia dokumentacji badania w zakładce „Dokumenty badania”, w tym np. „Streszczenia protokołu badania” w języku polskim,
- możliwość pobrania wyników badania w zakładce „Wyniki badania” w tym:
 - podsumowanie wyników w prostym języku,
 - podsumowanie wyników w języku profesjonalnym,
 - raportów badania,
- możliwość sprawdzenia, gdzie toczą się badania i uzyskania informacji kontaktowych w tym numerów telefonów i maili do badaczy w zakładce „Lokalizacje i punkty kontaktowe”.

WADY:

- konieczność wpisania nazwy choroby w języku angielskim – w innym przypadku może nie wyszukać/pokazać wszystkich badań,
- w przypadku, gdy wybrany zostanie język polski w zakładce „Streszczenie”, nie wszystkie opisy pokazywane są w języku polskim; tłumaczenie na język polski pojawia się po przejściu do zakładki „Pełne informacje o badaniu”, ale trzeba to tłumaczenie znaleźć wśród innych języków tam obecnych, co utrudnia swobodne czytanie.

Rozwiązaniem tego problemu jest pobranie protokołu badania lub jego streszczenia z zakładki „Dokumenty badania”.

PODSUMOWANIE

CTIS ma duży plus z punktu widzenia pacjenta: zwykle można w nim łatwo sprawdzić status badania (w tym rekrutację), kraje i lokalizacje oraz znaleźć informacje kontaktowe w zakładce „Lokalizacje i punkty kontaktowe”. Jednocześnie opisy badania bywają napisane językiem formalnym i technicznym, co może utrudniać szybkie zrozumienie, czy badanie jest odpowiednie w danej sytuacji klinicznej pacjenta, potencjalnego uczestnika badania.

ClinicalTrials.gov – NAJWIĘKSZA BAZA BADAŃ KLINICZNYCH NA ŚWIECIE

ClinicalTrials.gov to największa publiczna baza badań klinicznych na świecie, prowadzona przez *National Library of Medicine* (NLM) w Stanach Zjednoczonych.

Baza została utworzona na podstawie przepisów prawa amerykańskiego, w szczególności:

- *Food and Drug Administration Modernization Act* (FDAMA)
- *FDA Amendments Act* (FDAAA 801)

Obecnie zawiera ponad 450 000 badań klinicznych z ponad 220 krajów, zarówno interwencyjnych, jak i obserwacyjnych.

ClinicalTrials.gov obejmuje:

- badania kliniczne produktów leczniczych,
- badania wyrobów medycznych,
- badania procedur medycznych,
- badania behawioralne,
- badania obserwacyjne.

W przeciwieństwie do CTIS, który obejmuje wyłącznie badania kliniczne produktów leczniczych zgodnie z Rozporządzeniem (UE) nr 536/2014.

ZALETY:

- największa baza badań klinicznych na świecie,
- możliwość ograniczenia wyszukiwania przez podanie kryteriów zawężających np. kraj i wiele innych,
- zawiera badania prowadzone na całym świecie w tym w UE, a zatem i w Polsce,
- zawiera badania z wszystkich faz, w tym fazy I, II, III i IV, przy czym zgodnie z prawem USA obowiązek publikacji wyników dotyczy głównie badań faz II-IV, natomiast badania fazy I mogą być rejestrowane dobrowolnie przez sponsora, ponieważ większość z nich nie podlega obowiązkowi rejestracji wynikającemu z przepisów FDAAA 801.

WADY:

- w przeciwieństwie do CTIS, gdzie badanie kliniczne przed uzyskaniem zgody podlega ocenie regulacyjnej i etycznej przez właściwe organy państw UE/EEA, obecność badania w *ClinicalTrials.gov* oznacza rejestrację rekordu, a nie

wcześniejszą recenzję naukową ani potwierdzenie zasadności badania przez FDA,

- brak obowiązku rejestracji wszystkich badań prowadzonych poza USA,
- część badań może mieć nieaktualny status (sponsor jest odpowiedzialny za aktualizację),
- interfejs użytkownika wyłącznie w języku angielskim,
- konieczność wpisania nazwy choroby w języku angielskim – w innym przypadku może nie wyszukać wszystkich badań,
- brak obowiązku publikacji wyników wszystkich badań klinicznych,
- obowiązek publikowania dotyczy głównie tzw. *Applicable Clinical Trials* (ACT) FDAAA 801 i 42 CFR Part 11,
- dane kontaktowe do ośrodków badawczych są dostępne w wielu badaniach, jednak w praktyce często są niepełne, nieaktualne lub ograniczone do kontaktu ogólnego sponsora, co może utrudniać bezpośredni kontakt z lokalnym ośrodkiem.

Czym są badania zwane ACT:

W uproszczeniu są to badania interwencyjne (czyli badania kliniczne, nie obserwacyjne) dotyczące:

- badanych produktów leczniczych regulowanych przez FDA jako *drug* lub *biological product*,
 - wyrobów medycznych,
- które zazwyczaj odpowiadają badaniom faz II, III i IV.

Nie obejmuje:

- większości badań fazy I,
- badań obserwacyjnych.

Jeśli badanie jest ACT, sponsor musi:

- zarejestrować badanie w *ClinicalTrials.gov*,
- opublikować wyniki zwykle w ciągu 12 miesięcy od zakończenia badania (tzw. *primary completion date*),
- jeśli sponsor tego nie zrobi grożą mu kary finansowe i inne sankcje regulatora FDA.

Jest to bardzo ważne dla pacjentów, ponieważ *ClinicalTrials.gov* zawiera również wyniki badań, w których badany produkt leczniczy lub wyrób medyczny nie wykazał skuteczności. Zmniejsza to zjawisko tzw. stronniczości publikacyjnej (*publication bias*), czyli sytuacji, w której publikowane są częściej badania z pozytywnymi wynikami niż badania negatywne.

PODSUMOWANIE

ClinicalTrials.gov jest bardzo dobrą bazą do wyszukiwania badań klinicznych globalnie, szczególnie jeśli pacjent rozważa udział w badaniu poza Unią Europejską lub chce sprawdzić wszystkie badania prowadzone w danej chorobie na świecie.

Ciąg dalszy Poradnika, przygotowanego przez Dariusza Żebrowskiego w następnym numerze *Oli-onko Onkologia i Hematologia dla Pacjenta* wraz z praktyczną instrukcją, jak samodzielnie wyszukać badanie kliniczne w wyszukiwarkach.

GRUPA „AKTYWNI W BADANIACH KLINICZNYCH”

Dr n. med. i n. o zdr. Monika Zamarlik, liderka Grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych” przedstawia cele i zadania tej grupy powołanej i działającej we współpracy z Agencją Badań Medycznych.

Jak podkreśla: Grupa pełni funkcję doradczą i opiniotwórczą, a jej działalność ma charakter ekspercki, dzięki czemu głos praktyków badań klinicznych z organizacji pozarządowych może być realnie uwzględniany w procesach decyzyjnych i kształtowaniu kierunków rozwoju badań klinicznych w Polsce.



ZNACZENIE BADAŃ KLINICZNYCH DLA PACJENTA I SYSTEMU

Badania kliniczne stanowią jeden z kluczowych filarów nowoczesnej medycyny opartej na dowodach naukowych oraz wyjątkową szansę zarówno dla pacjentów, jak i dla systemu ochrony zdrowia. Dla chorych oznaczają dostęp do nowoczesnych metod diagnostycznych i terapeutycznych często na etapie, na którym nie są one jeszcze szeroko dostępne w praktyce klinicznej. Dla systemu ochrony zdrowia badania kliniczne stanowią źródło wiarygodnych danych naukowych, umożliwiających poprawę jakości leczenia oraz podejmowanie racjonalnych decyzji klinicznych i refundacyjnych w oparciu o rzeczywiste potrzeby zdrowotne populacji.

MIEJSCE POLSKI W BADANIACH KLINICZNYCH

Polska od lat zajmuje czołowe miejsce na mapie badań klinicznych w Europie i na świecie. O jej atrakcyjności decydują: dobrze wykształcona kadra medyczna, wysoka jakość ośrodków klinicznych oraz duży potencjał rekrutacyjny. Jednocześnie wciąż istnieje przestrzeń do dalszego wzmacniania pozycji Polski, szczególnie w obszarze badań inicjowanych przez środowisko akademickie i kliniczne oraz badań, odpowiadających na lokalne, niezaspokojone potrzeby zdrowotne. Na tym tle niekomercyjne badania kliniczne mają charakter wyjątkowy i strategiczny. Są one projektowane z myślą o pytaniach istotnych z perspektywy pacjentów i codziennej praktyki medycznej, a nie wyłącznie potencjału rynkowego. Często dotyczą optymalizacji istniejących terapii, porównań standardów leczenia, nowych wskazań dla znanych leków oraz grup pacjentów pomijanych w badaniach komercyjnych, takich jak osoby starsze, pacjenci z chorobami rzadkimi lub wielochorobowością, dzieci. Badania niekomercyjne wzmacniają niezależność naukową systemu, budują kompe-

tencje badawcze ośrodków klinicznych i bezpośrednio przyczyniają się do poprawy jakości opieki zdrowotnej.

ROLA ORGANIZACJI PACJENTÓW W BADANIACH KLINICZNYCH

W Polsce w ostatnich latach obserwuje się wyraźny wzrost znaczenia badań niekomercyjnych, jednak ich dynamiczny rozwój ujawnił również liczne wyzwania systemowe – od kwestii formalno-prawnych i organizacyjnych, po rekrutację pacjentów oraz jakość informacji przekazywanej potencjalnym uczestnikom badań. Analizy prowadzone w Polsce i Europie wskazują, że zdecydowana większość pacjentów dowiaduje się o badaniach klinicznych bezpośrednio od lekarzy specjalistów lub przypadkowo, natomiast jedynie niewielki odsetek czerpie informacje od organizacji pozarządowych, mimo że to właśnie one należą do najbardziej zaufanych źródeł wsparcia, edukacji i informacji zdrowotnej.

Ten rozdźwięk ujawnia istotną lukę systemową. Organizacje pozarządowe działające na rzecz pacjentów są podmiotami, którym pacjenci ufają, w których poszukują zrozumienia, wsparcia emocjonalnego oraz rzetelnej, przystępnej edukacji. Jednocześnie ich potencjał w zakresie edukacji, dotyczącej badań klinicznych – ich celów, zasad bezpieczeństwa, praw uczestników oraz znaczenia dla rozwoju medycyny – pozostaje w dużej mierze niewykorzystany. Wypełnienie tej luki stanowi realną szansę na poprawę jakości rekrutacji, zwiększenie świadomości pacjentów oraz budowanie zaufania społecznego do badań klinicznych.

WSPÓŁPRACA AGENCJI BADAŃ MEDYCZNYCH Z GRUPĄ „AKTYWNI W BADANIACH KLINICZNYCH” (AWBK)

Istotną rolę w integrowaniu interesariuszy badań klinicznych odgrywa Agencja Badań Medycznych (ABM), która poza

finansowaniem projektów, aktywnie wspiera dialog i współpracę pomiędzy różnymi środowiskami. Jedną z takich inicjatyw jest powołanie grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych” (AwBK).

Grupa została utworzona, jako platforma współpracy, dialogu i wymiany doświadczeń pomiędzy osobami aktywnie zaangażowanymi w realizację badań klinicznych w Polsce: badaczami, koordynatorami, przedstawicielami ośrodków klinicznych, instytucji naukowych, administracji publicznej oraz organizacji pozarządowych działających na rzecz pacjentów. Jej celem jest realne włączenie perspektywy pacjenta – przyszłego uczestnika badania klinicznego – w proces planowania i realizacji badań.



Na zdjęciu członkowie grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych”: Monika Zamarlik, Jolanta Czernicka-Siwiecka, Kamil Dolecki, Sebastian Gawlik, Hubert Godziątkowski, Urszula Jaworska, Magdalena Kołodziej, Barbara Kucharska, Ewa Majewska, Aleksandra Rudnicka, Anna Wiktorow-Bojska, Dariusz Żebrowski oraz pracownicy Agencji: Elżbieta Bylina – dyrektor Centrum Wsparcia Badań Klinicznych, Monika Trawińska – dyrektor Krajowego Centrum Bioetyki, Natalia Cięszczyk – kierownik Działu Edukacji i Jakości w Badaniach Klinicznych, Daria Urbańska – koordynator grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych”

CELE DZIAŁAŃ AwBK

Głównym celem działania grupy jest wzmacnianie jakości, efektywności i bezpieczeństwa badań klinicznych prowadzonych w Polsce, ze szczególnym uwzględnieniem badań finansowanych ze środków publicznych. Cele szczegółowe obejmują:

- identyfikację barier organizacyjnych i prawnych w prowadzeniu badań klinicznych,
- wymianę dobrych praktyk,
- formułowanie rekomendacji dla ABM i innych instytucji zaangażowanych w badania kliniczne,
- promocję badań niekomercyjnych, jako narzędzia poprawy jakości opieki zdrowotnej,
- systemowe włączanie organizacji pozarządowych w działania edukacyjne, informacyjne i projektowe związane z badaniami klinicznymi.

Grupa pełni funkcję doradczą i opiniotwórczą, a jej działalność ma charakter ekspercki, dzięki czemu głos praktyków badań klinicznych z organizacji pozarządowych może być realnie uwzględniany w procesach decyzyjnych i kształtowaniu kierunków rozwoju badań klinicznych w Polsce.

PLAN DZIAŁAŃ GRUPY AwBK

W najbliższym czasie Grupa „Aktywni w Badaniach Klinicznych” planuje skoncentrować swoje działania na kilku kluczowych obszarach istotnych z perspektywy pacjentów i organizacji pozarządowych. Należą do nich: pogłębienie współpracy z towarzystwami naukowymi w obszarze edukacji i komunikacji

dotyczącej badań klinicznych, rozważenie utworzenia dedykowanej infolinii dla potencjalnych uczestników badań klinicznych przed podpisaniem świadomej zgody (ICF), a także wypracowanie rozwiązań umożliwiających realny udział organizacji pozarządowych w badaniach klinicznych, jako konsorcjantów w projektach finansowanych w ramach konkursów ABM. Obecne wymogi formalne i finansowe stanowią bowiem istotną barierę dla wielu organizacji.

Równolegle planowana jest kontynuacja i pogłębianie współpracy z Rzecznikiem Praw Pacjenta w celu podejmowania wspólnych, praktycznych działań na rzecz poprawy jakości informacji, ochrony praw pacjentów oraz zwiększania ich bezpieczeństwa w badaniach klinicznych.

Działalność grupy „Aktywni w Badaniach Klinicznych” stanowi przykład nowoczesnego, partnerskiego podejścia do rozwoju badań klinicznych – opartego na dialogu, zaufaniu i wykorzystaniu potencjału organizacji działających na rzecz pacjentów. Jej prace wpisują się w długofalową strategię wzmacniania potencjału badawczego Polski oraz budowy systemu ochrony zdrowia, w którym pacjent jest nie tylko uczestnikiem, ale świadomym i aktywnym partnerem procesu badawczego od samego jego początku.

Więcej informacji o Grupie „Aktywni w Badaniach Klinicznych” dostępnych jest na stronie: www.abm.gov.pl/pl/dla-pacjenta/

WPROWADZENIE STANDARDÓW ORAZ ŚCIEŻKI DIAGNOSTYKI I TERAPII – odpowiedzią na niedostateczne wyniki leczenia nowotworu pęcherza moczowego

Dr Damian Widz, lekarz specjalista urologii zwraca uwagę, że nawet dostęp do najlepszych technologii terapeutycznych nie zastąpi właściwej organizacji leczenia, a wdrożenie spójnej ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej jest koniecznością, jeśli chcemy poprawić przeżycie chorych z rakiem pęcherza, zmniejszyć nierówności regionalne i racjonalnie gospodarować publicznymi środkami. Ścieżka taka powinna być elementem systemu informatycznego jednostki i opierać się na aktualnych wytycznych, umożliwiając indywidualne prowadzenie pacjenta, wspomaganie decyzji klinicznych, usprawnienie skierowań na badania oraz współpracę wielospecjalistyczną.

WŁAŚCIWA ŚCIEŻKA DIAGNOSTYKI I TERAPII PODSTAWĄ SKUTECZNOŚCI LECZENIA RAKA PĘCHERZA

Rak pęcherza moczowego jest nowotworem, którego diagnostyka i leczenie w szczególny sposób obnażają słabości systemów ochrony zdrowia. Nie wynika to z braku skutecznych metod terapeutycznych czy diagnostycznych. Współczesna urologia i onkologia dysponują zaawansowanymi technikami chirurgicznymi, skutecznymi terapiami systemowymi oraz czułą diagnostyką obrazową, a postępowanie kliniczne regulują precyzyjne wytyczne międzynarodowe.

Skuteczność leczenia raka pęcherza zależy od właściwej sekwencji działań podejmowanych we właściwym czasie, a nie od pojedynczej procedury.

Nawet najlepsza technologia zastosowana z opóźnieniem lub w oderwaniu od kolejnych etapów leczenia traci znaczną część swojej wartości.

Rak pęcherza wymaga długofalowego, konsekwentnego prowadzenia chorego: od pierwszego objawu, przez diagnostykę, leczenie miejscowe i uzupełniające, po wieloletni nadzór. Każde odejście od tej ścieżki zwiększa ryzyko nawrotu i progresji choroby, prowadząc do kolejnych procedur, pogorszenia rokowania i wzrostu śmiertelności.

EPIDEMIOLOGIA RAKA PĘCHERZA W POLSCE

W Polsce co roku rozpoznaje się około 9 000 nowych zachorowań na raka pęcherza, a w 2019 roku odnotowano 4 148 zgonów z jego powodu [1].

Okolo 70% pacjentów w momencie rozpoznania ma nowotwór nienaciekający mięśniówkę pęcherza (NMIBC) – postać choroby potencjalnie wyleczalną metodami małoinwazyjnymi, lecz obciążoną wysokim ryzykiem wznowy oraz progresji do

postaci naciekającej [2]. Pozostałe 30% chorych zgłasza się już z rakiem naciekającym mięśniówkę, wymagającym leczenia radykalnego.

Pięcioletnie przeżycie względne wynosi około 55%, podczas gdy średnia europejska sięga 68%, a w krajach skandynawskich 70-75% [6,7].

Tak duże różnice nie mogą być wyjaśnione wyłącznie czynnikami biologicznymi czy stylem życia i wskazują na kluczowe znaczenie organizacji opieki oraz dostępu do skoordynowanego leczenia.

LECZENIE RAKA PĘCHERZA

Rak pęcherza, w zależności od stadium choroby, wymaga wielokrotnych interwencji zabiegowych, leczenia dopęcherzowego, regularnych cystoskopii lub terapii radykalnych, zawsze przy ścisłej współpracy urologa z onkologiem i radioterapeutą. Efekty leczenia są silnie zależne od terminowości. Nawet niewielkie opóźnienia mają kumulatywny, negatywny wpływ na przeżycie, co czyni organizację procesu leczenia równie istotną, jak same metody terapeutyczne [9].

Europejskie wytyczne opracowane przez *European Association of Urology* (EAU) precyzyjnie opisują optymalne postępowanie na każdym etapie choroby [3]. Dane z krajów europejskich pokazują jednak, że nawet w systemach wysokorozwiniętych ich realizacja bywa niepełna [4]. Chorzy, którzy nie przechodzą pełnej sekwencji leczenia, częściej doświadczają progresji choroby i gorszych wyników przeżycia.

Liczne analizy potwierdzają, że **leczenie w ośrodkach o dużym doświadczeniu, zwłaszcza w zakresie leczenia operacyjnego, obniża śmiertelność okołoperacyjną i poprawia wyniki długoterminowe** [10]. Kraje, które wdrożyły

centralizację leczenia (np. Anglia), odnotowały poprawę wyników w skali populacyjnej [11]. Podobne korzyści przynosi usprawnienie diagnostyki – wprowadzenie przyspieszonej ścieżki krwiomoczu skróciło czas do rozpoznania z 50 do 29 dni i obniżyło koszty diagnostyki z 767 do 655 euro na pacjenta [5].

PROPONOWANY MODEL ZINTEGROWANEJ ŚCIEŻKI LECZENIA PACJENTA Z RAKIEM PĘCHERZA W POLSCE

W Polsce obserwujemy dynamiczny rozwój nowoczesnych technologii: chirurgii robotycznej, zaawansowanej diagnostyki obrazowej oraz terapii onkologicznych. Rozwój ten ma jednak często charakter punktowy i nieskoordynowany. Poszczególne elementy systemu funkcjonują niezależnie, bez spójnego powiązania w jeden proces leczenia pacjenta, co skutkuje wysokimi kosztami, ryzykiem dublowania procedur oraz utrudnionym poruszaniem się pacjentów i lekarzy po systemie.

Odpowiedzią na te wyzwania są ścieżki diagnostyczno-terapeutyczne, porządkujące kolejne etapy leczenia w określonych ramach czasowych, z jednoznacznym wskazaniem odpowiedzialnych jednostek.

Centrum Onkologii Ziemi Lubelskiej w Lublinie podjęło się zaprojektowania i wdrożenia takiego modelu opieki

dla pacjentów z rakiem pęcherza – nie jako dodatkowej procedury administracyjnej, lecz jako sposobu racjonalnej organizacji istniejących zasobów. Ścieżka została osadzona w systemie informatycznym jednostki i oparta na aktualnych wytycznych, umożliwiając indywidualne prowadzenie pacjenta, wspomaganie decyzji klinicznych, usprawnienie zlecania badań oraz współpracę wielospecjalistyczną.

Dla pacjenta oznacza to jasną informację „co dalej”, przewidywalność terminów i mniejsze ryzyko zagubienia w systemie, a dla systemu – lepsze wykorzystanie środków publicznych i redukcję kosztów leczenia powikłań oraz nawrotów. Badania jakościowe potwierdzają, że pacjenci leczeni w ramach uporządkowanych ścieżek zgłaszają mniejsze poczucie niepewności i większe zaufanie do systemu [12].

PODSUMOWANIE

Rak pęcherza moczowego pokazuje, że granice skuteczności leczenia wyznacza dziś przede wszystkim organizacja systemu, a nie brak technologii. Wdrożenie spójnej ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej nie jest luksusem, lecz koniecznością, jeśli chcemy poprawić przeżycie chorych, zmniejszyć nierówności regionalne i racjonalnie gospodarować publicznymi środkami.



Damian Widz, lekarz specjalista urologii, asystent w Oddziale Urologii Centrum Onkologii Ziemi Lubelskiej im. św. Jana z Dukli w Lublinie. Posiada tytuł FEBU (*Fellow of the European Board of Urology*), nadawany przez Europejskie Towarzystwo Urologiczne. Zajmuje się leczeniem nowotworów układu moczowego, ze szczególnym uwzględnieniem technik chirurgii minimalnie inwazyjnej: robotycznej, laparoskopowej oraz endoskopowej. Posiada certyfikat operatora systemu robotycznego da Vinci, uzyskany po pełnym szkoleniu w Bernie (Szwajcaria). Prowadzi również leczenie nieonkologicznych schorzeń i dysfunkcji układu moczowo-płciowego, w tym operacyjne leczenie nietrzymania moczu u mężczyzn. Jest aktywnym uczestnikiem polskich i europejskich kongresów urologicznych, regularnie podnosi swoje kwalifikacje w ramach krajowych i zagranicznych kursów specjalistycznych. Prowadzi również działalność naukową.

BIBLIOGRAFIA

[1]	Narodowy Instytut Onkologii. Nowotwór pęcherza moczowego – dane epidemiologiczne. Warszawa; 2019.	[7]	Sant M, Allemani C, et al. EURO CARE-5 survival analysis. <i>Lancet Oncol.</i>
[2]	Babjuk M, Burger M, Capoun O, et al. EAU Guidelines on Non-muscle-invasive Bladder Cancer. <i>Eur Urol.</i>	[8]	8. Krajowy Rejestr Nowotworów. Przeżycia chorych na nowotwory według województw.
[3]	European Association of Urology. EAU Guidelines on Non-muscle-invasive Bladder Cancer 2025. Arnheim: EAU.	[9]	9. Boeri L, et al. Delay to cystectomy and survival. <i>Eur Urol Oncol.</i>
[4]	Seidl C, et al. Real-world adherence to BCG therapy in NMIBC. <i>Eur Urol Focus.</i>	[10]	10. Finks JF, et al. Hospital volume and cystectomy outcomes. <i>J Urol.</i>
[5]	Liedberg F, et al. Fast-track hematuria pathways. <i>Br J Cancer.</i>	[11]	11. Hounsborne L, et al. Centralisation of bladder cancer surgery in England. <i>Eur Urol.</i>
[6]	Didkowska J, Wojciechowska U, et al. Przeżycia chorych na nowotwory w Polsce. <i>Nowotwory J Oncol.</i>	[12]	12. Paterson C, et al. Patient experience in hematuria pathways. <i>BMC Urol.</i>

RAK PĘCHERZA

Cichy przeciwnik, którego wciąż rozpoznajemy zbyt późno

Rak pęcherza moczowego to jeden z częstszych nowotworów układu moczowego, a jednocześnie choroba, która w Polsce wciąż bywa rozpoznawana zbyt późno. Każdego roku diagnozuje się ponad 7 tys. nowych przypadków, a w ciągu ostatnich dziesięciu lat liczba zachorowań wzrosła aż o połowę. Niestety, także dane dot. śmiertelności z powodu tego nowotworu w Polsce nie napawają optymizmem, ponieważ należą do najwyższych w Europie. Podczas gdy wyniki leczenia wczesnego stadium raka pęcherza w Polsce są porównywalne z europejskimi standardami, to sytuacja pacjentów z zaawansowaną postacią choroby wciąż pozostaje trudna.

KTO JEST NAJBARDZIEJ NARAŻONY?

Rak pęcherza znacznie częściej dotyka mężczyzn. To jeden z najczęstszych nowotworów w tej grupie i jedna z głównych przyczyn zgonów onkologicznych. Lekarze wskazują trzy kluczowe czynniki ryzyka: palenie tytoniu, które odpowiada nawet za połowę wszystkich przypadków, wiek (aż 90 proc. chorych ma powyżej 55 lat) oraz długotrwałe narażenie na substancje chemiczne, w tym aminy aromatyczne wykorzystywane m.in. w przemyśle skórzanym, farbiarskim, gumowym i tekstylnym, a także przy produkcji barwników oraz materiałów drukarskich.

Pierwsze sygnały raka pęcherza, ze względu na ich niespecyficzność, często bywają bagatelizowane. Krew w moczu, ból w podbrzuszu czy trudności z oddawaniem moczu to objawy, które łatwo pomylić z infekcją dróg moczowych. Wielu pacjentów trafia do urologa dopiero wtedy, gdy choroba jest już zaawansowana, a możliwości terapeutyczne – ograniczone.

DIAGNOSTYKA: OD PROSTEGO BADANIA DO SPECJALISTYCZNYCH PROCEDUR

Lekarze podkreślają, że kluczowe znaczenie ma profilaktyka. Szerzenie świadomości wśród społeczeństwa w zakresie przyczyn nowotworu, jego objawów i metod wykrywania może przyczynić się do zmniejszenia liczby zachorowań. Ponadto, promowanie regularnych badań diagnostycznych, takich jak ogólna analiza moczu i USG dróg moczowych, pozwala na szybkie wykrycie ewentualnych nieprawidłowości. Są to nieskomplikowane i nie pochłaniające zbyt wiele czasu czynności, które są dostępne w ramach podstawowej opieki zdrowotnej.

Kluczowe znaczenie ma też cystoskopia. To badanie, podczas którego przez cewkę moczową wprowadza się cienki wizerunek umożliwiający obejrzenie wnętrza pęcherza i pobranie

wycinków do analizy histopatologicznej. Jeśli rozpoznanie zostanie potwierdzone lub istnieje jego silne podejrzenie, wykonywane są badania obrazowe – tomografia komputerowa lub rezonans magnetyczny.

LECZENIE – NAJCZĘŚCIEJ KONIECZNA OPERACJA

W leczeniu pacjenta z rakiem pęcherza moczowego kluczową rolę odgrywa szybka reakcja na krwimocz. Od jego wystąpienia do pełnej diagnostyki nie powinny minąć więcej niż trzy miesiące. W praktyce częstymi przeszkodami są obowiązek posiadania skierowania oraz kolejki do urologa, a także długi czas oczekiwania na wyniki histopatologii.

Strategia leczenia zależy od wielu czynników – stadium choroby, liczby i lokalizacji zmian, obecności przerzutów, wieku i ogólnej kondycji chorego. Decyzje terapeutyczne powinien podejmować interdyscyplinarny zespół specjalistów wspólnie z pacjentem.

W przypadku leczenia zabiegowego we wczesnych stadiach choroby stosuje się przezcewkową resekcję guza – małoinwazyjny zabieg endoskopowy. W bardziej zaawansowanych przypadkach konieczna bywa radykalna cystektomia, czyli usunięcie pęcherza. Eksperci podkreślają potrzebę centralizacji zabiegów operacyjnych w najbardziej doświadczonych ośrodkach.

Alternatywą dla wybranych pacjentów jest leczenie trójmodalne, łączące resekcję, radioterapię i chemioterapię. Chemioterapia może poprzedzać zabieg lub być wdrażana po nim, by zmniejszyć masę guza i zniszczyć mikrop przerzuty.

Coraz większą rolę w całej ścieżce leczenia pacjenta odgrywają nowoczesne terapie lekowe, takie jak immunoterapia, leczenie celowane i terapie skojarzone. Większość z nich jest



dostępna w ramach programu lekowego, co realnie wpływa na wyniki leczenia pacjentów. Obecnie są one najczęściej stosowane w zaawansowanych stadiach choroby, jednak kolejne wyniki badań klinicznych wskazują na ich wartość także na wcześniejszych etapach choroby.

GŁOS PACJENTÓW – POTRZEBA LEPSZEJ KOORDYNACJI

Jeszcze niedawno rak pęcherza określano mianem „zapomnianego nowotworu”. Dziś świadomość rośnie, ale jak podkreślają sami pacjenci wciąż brakuje wiedzy o objawach i czynnikach

ryzyka. Problemem pozostaje także kompleksowość i koordynacja opieki, szczególnie po rozległych operacjach.

Eksperci i organizacje pacjentów apelują o konieczność usprawnienia całej ścieżki terapeutycznej, od szybkiej diagnostyki w podstawowej opiece zdrowotnej, przez sprawny dostęp do urologa i nowoczesnych badań, po leczenie innowacyjnymi metodami i rehabilitację. Jest to kluczowe, ponieważ w przypadku raka pęcherza od momentu pierwszego objawu do rozpoczęcia terapii to czas decyduje o rokowaniu.



Szymon Chrostowski, prezes Zarządu Fundacji Wygrajmy Zdrowie.

Członek Grupy Sterującej All.Can Poland. Ekspert ds. immuno-onkologii przy Parlamencie Europejskim. Od 22 lat działa społecznie w obszarze profilaktyki i edukacji onkologicznej. Założyciel i prezes Fundacji Wygrajmy Zdrowie. Pełnił funkcję prezesa Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych i *Member of the Board European Cancer Patient Coalition*. Powołał Koalicję Walki z Bólem „Wygrajmy z Bólem”. W 2013 roku powołał Obywatelskie Porozumienie na rzecz Onkologii.

MEDYCYNĄ NUKLEARNA – w jakich obszarach diagnostyki i terapii powinna być wykorzystywana

Dr n. med. Andrzej Kołodziejczyk, prezes Polskiego Towarzystwa Medycyny Nuklearnej w rozmowie z red. Aleksandrą Rudnicką przedstawia efektywność kliniczną i finansową metod medycyny nuklearnej w diagnostyce, terapii i monitorowaniu leczenia.

Wskazuje, że kluczowe cechy tej innowacyjnej dziedziny to szybkość i precyzyjność, a jej rozwój w Polsce wpłynie na obniżenie kosztów opieki nad pacjentami.



■ Panie doktorze, czym tak właściwie jest medycyna nuklearna?

To jest ciekawa kwestia, ponieważ trudno sobie wyobrazić, aby takie pytanie zadać kardiologom, neurologom, chirurgom, laryngologom czy nawet radiologom. Oznacza to, że w świadomości społecznej medycyna nuklearna jest mało znana i niezbyt popularną dziedziną – jest trochę niszowa. Ludzie często szeroko otwierają oczy, słysząc, że jestem medykiem nuklearnym. Pytają: *Słucham, kim?!* Pojęcie nuklearny różnie się kojarzy, często jest nadinterpretowane, kojarzy się z bombą, wojną czy awarią. To bardzo mylące. *Nucleus* to jądro, w tym przypadku jądro atomu, a medycyna nuklearna, to taki dział medycyny, który opiera się na wykorzystaniu zjawisk związanych z przemianami jądra atomowego skutkującymi emisją promieniowania. Właśnie to słowo, czyli promieniowanie, sprawia, że dziedzina, którą reprezentuję, jest kojarzona głównie z radiologią. Nie do końca słusznie, ponieważ istnieją bardzo widoczne różnice pomiędzy nami a tym, czym się zajmują radiolodzy. Przede wszystkim radiologia pokazuje strukturę narządu. My natomiast pokazujemy ten narząd przez pryzmat jego funkcji. Obraz radiologiczny to obraz transmisji promieniowania. Mówiąc prościej, jeżeli postawimy źródło światła za obiektem, na przykład za nami, to na ścianie widzimy cień, czyli jest to transmisja tego światła przez nasze ciało dająca cień na ścianie. W przypadku medycyny nuklearnej emisja prowokuje narząd, do którego my to światło dostarczamy. Musimy w jakiś sposób to światło dostarczyć, aby mogło emitować promieniowanie. Więc nie jest to obraz transmisyjny, tylko emisyjny. A więc, musimy ten znacznik doprowadzić do tego narządu i odbywa się to drogą układu krwionośnego. Nie da się więc wykonać obrazowania nuklearnego u martwego osobnika. W każdym przypadku promieniowanie emitowane jest przez niestabilne odmiany pierwiastków, czyli izotopy.

Są one sztucznie wytwarzane m.in. na potrzeby medycyny i to właśnie izotop jest punktem wyjścia i odniesienia, słowem kluczowym. Z medycyną nuklearną kojarzą się takie pojęcia jak: pracownia izotopowa, diagnostyka izotopowa, terapia izotopowa, wszystko co jest związane z izotopem.

■ Jak wykorzystywane są metody medycyny nuklearnej w diagnostyce i terapii pacjentów onkologicznych? Medycyna nuklearna od jakiegoś czasu jest coraz bardziej obecna w opcjach terapeutycznych, w jakich?

Wspominałem już, że izotopy emitują promieniowanie, ale są to różne rodzaje promieniowania. Tym podstawowym, takim, który możemy przetworzyć na obraz widzialny to promieniowanie *gamma*. Nie chcę się tutaj zagłębiać w szczegóły techniczne i technologiczne, w jaki sposób te obrazy uzyskujemy, ale proszę mi uwierzyć, że ten uzyskany obraz pokazuje zaburzenia funkcji narządów, które są charakterystyczne dla poszczególnych chorób, również nowotworowych. Są to przeważnie zmiany ogniskowe, które istotnie różnią się od zdrowej części narządu. Co ważne, często badania strukturalne, takie jak rentgen, tomografia, rezonans czy USG jeszcze tych ognisk nie pokazują, ponieważ we wczesnych etapach większości chorób zmiana struktury poprzedzona jest zmianami metabolizmu, czyli funkcji narządów. Kolejnym rodzajem promieniowania jest *beta* i *alfa*. To są rodzaje promieniowania, które mają właściwości cytotoksyczne, zabijają komórki między innymi poprzez destrukcję ich DNA. Medycyna nuklearna skupia się na unicestwieniu komórek zmienionych chorobowo i oszczędzaniu tych, które są zdrowe. Inaczej jest w metodach systemowych, gdzie podajemy lek, który oddziałuje na cały organizm, jak chemioterapia. Nasza dziedzina oferuje leczenie celowane, spersonalizowaną terapię, wynikającą ze szczegółowej diagnostyki już na poziomie komórki. Diagnosty-

ka, która świadomie wykorzystuje izotopy pierwiastków, będących składową lub ważnym elementem prawidłowego działania naszego organizmu. Należy pamiętać, że nie posługujemy się jakimiś metalami ciężkimi, tylko biologicznymi pierwiastkami, z których nasze ciało jest zbudowane. Powiedziałbym kolokwialnie, że to taka mikrochirurgia bez użycia noża. Taki sposób terapii ma przede wszystkim zastosowanie na etapie leczenia przerzutów nowotworowych. Onkologia ma to do siebie, że najpierw usuwamy duże zmiany pierwotne, czyli takie, którymi chirurg może się zająć. A my jesteśmy od tego, żeby usuwać to, co przy okazji tego nowotworu przeszkadza w dalszej egzystencji pacjenta.

■ A gdzie mają zastosowanie procedury z wykorzystaniem radiofarmaceutyków?

Zakres działania radiofarmaceutyków jest bardzo szeroki, ale konkretny i często niemający skuteczniejszej alternatywy. Przede wszystkim: onkologia. Około 80% procedur, które wykonujemy to właśnie procedury u pacjentów onkologicznych: leczenie celowane raka tarczycy, leczenie glejaków w ośrodkowym układzie nerwowym za pomocą emiterów promieniowania alfa, leczenie przerzutów. Ostatnio najszerzej rozpowszechniona metoda PET to właśnie przykład diagnostyki izotopowej, która jest diagnostyką celowaną dla izotopowego, personalizowanego leczenia. Inne specjalności, które szeroko, a zarazem konkretnie, wykorzystują medycynę nuklearną to endokrynologia: choroby łagodne tarczycy, choroby rozrostowe jak guzy neuroendokryne, nadczynność przytarczyc. Obecnie jesteśmy bardzo dużą pomocą dla neurologów, ponieważ badania z wykorzystaniem izotopów istotnie różnicują chorobę Parkinsona od drżenia samoistnego. Tutaj zwrócę uwagę, że ma to przede wszystkim wpływ na obniżenie kosztów leczenia dla całego systemu opieki zdrowotnej. Nie można pominąć kardiologii, gdzie diagnostyka izotopowa determinuje dalsze postępowanie – ocenia żywotności mięśnia sercowego przed przeszczepem, pozwala też na ocenę zaburzeń perfuzji, czyli ukrwienia mięśnia sercowego w chorobie wieńcowej. Możemy oceniać wady serca u dzieci oraz wady nabyte. W pulmonologii oferujemy jedyne skuteczne różnicowanie w diagnostyce zatorowości płucnej. W ortopedii i reumatologii zastępujemy operatorów – wykonujemy synowektomie izotopowe w przebiegu zapalenia wysiękowego stawów i mamy przewagę nad tradycyjnymi metodami operacyjnymi, ponieważ czas rekonwalescencji chorego jest istotnie krótszy – wynosi kilka dni, a nie kilka miesięcy. Urologia i nefrologia potrzebują nas ze względu na powtarzalność przy ocenie funkcji nerek w stanach zapalnych, zaburzeniach produkcji moczu, a także w ocenie skuteczności przeszczepu. Należy też wspomnieć, że szeroko pojęta interna używa naszych badań do diagnostyki nadciśnienia naczyniowo-nerkowego, a stwierdzenie takiego

nadciśnienia pozwala na szybkie i dokładnie usunięcie przyczyny tej choroby.

■ Medycyna nuklearna kojarzy się trochę z działaniami niszczącymi organizm i wśród pacjentów niestety wciąż istnieją mity, że te procedury nie są bezpieczne. Proszę powiedzieć, jak chroni się personel i pacjentów przed ewentualnymi działaniami niepożądanymi promieniowania oraz jak pacjent powinien przygotować się do takiego badania?

Procedury izotopowe w medycynie są w pełni bezpieczne i biorę za te słowa pełną odpowiedzialność. Jak wcześniej powiedziałem, izotopy, które są stosowane w medycynie, są wytwarzane sztucznie i są ściśle kontrolowane, dlatego wykazują stałe, optymalne parametry, które przy właściwym doborze dawki i czasu ekspozycji są prawidłowo przyswajalne i dopuszczalne do kontaktu z pacjentem. To właśnie od doboru parametrów zależy bezpośrednie narażenie i nie ma mowy o jakimkolwiek zagrożeniu działania promieniowania jonizującego. Kwalifikacje zawsze mają charakter indywidualny, obliczenia są wykonywane dla każdego pacjenta, więc nie ma tu jednego standardu. Standardem jest jedynie dopuszczalna ilość aktywności na jednostkę masy ciała. Staramy się nie wykonywać badań u kobiet w ciąży i u małych dzieci, choć istnieją procedury wykonywane też w tych grupach. Potrafimy jednak tak dobrać parametry izotopów, aby nie zagrażać ani kobiecie, ani dziecku, które się rozwija. W kwestii przygotowania do badania nie chciałbym się rozwodzić, ponieważ z przygotowaniem jest podobnie jak z kwalifikacją – różnie dla różnych procedur. Zawsze przekazujemy niezbędne informacje, choćby drogą telefoniczną. Natomiast informacje o w miarę ujednoliconych procedurach można znaleźć na stronie internetowej każdego ośrodka. Czy my się chronimy? Tak. Jesteśmy do tego szkoleni, ponieważ dla nas są to otwarte źródła promieniowania. Takim źródłem jest i strzykawka i pacjent, który ma podany izotop. Dlatego musimy się umieć odpowiednio zachować przy tym pacjencie i podlegamy ciągłym szkoleniom w tym zakresie. Istnieje zasada ALARA (*As Low As Reasonably Achievable* – tak nisko, jak to rozsądnie osiągalne), która jest „abecedłem”, każdego medyka nuklearnego, czyli tak mało, jak tylko możliwe, ale nie mniej niż potrzeba dla prawidłowości i skuteczności procedury. Nie za mało, bo badanie może nie wyjść, ale też nie za dużo, aby nie narażać pacjentów i personelu.

■ Wspominał Pan o tym, że w niektórych obszarach medycyna nuklearna, ma przewagę nad innymi metodami diagnostyki obrazowej. Proszę powiedzieć, na czym polega ta przewaga? Zarówno w kwestiach czysto medycznych jak i finansowych?

To trudne pytanie, ponieważ ja bym nie gloryfikował medycyny nuklearnej. Przede wszystkim, trzeba pamiętać, że żadna dziedzina, w tym medycyna nuklearna, to nie jest *perpetuum mobile*. Uważam, że nie powinniśmy mówić o przewadze, a raczej o kompatybilności z innymi metodami, bo w jednym przypadku przewaga jest istotna, a innym razem to my musimy prosić o rozszerzenie spojrzenia na problem, który napotkamy. Osobiście jestem za optymalizacją postępowania z pacjentami, ale przede wszystkim za odejściem od zastających i mało aktualnych standardów. Powinniśmy stosować rozwiązania, które przyspieszają diagnozę i są zgodne z międzynarodowymi rekomendacjami. Jeśli podejrzewamy złamanie, to wystarczy rentgen. Nie musimy myśleć o innych metodach. Jeśli podejrzewamy odmę płuc, to wystarczy tomografia komputerowa. Diagnostyki choroby wieńcowej nie zaczynamy od bardzo skomplikowanych metod, wystarczy nam EKG, USG, a dopiero

na bardzo późnym etapie ewentualnie zastanawiamy się nad wykonaniem PET w celu oceny perfuzji mięśnia sercowego. Ale jeżeli już mamy do czynienia z chłoniakiem, który do niedawna był diagnozowany za pomocą obrazowania rentgenologicznego, to takie postępowanie nie jest już aktualne. Należy od razu stosować PET, który pozwoli nam na pokazanie stopnia zaawansowania, monitorowanie leczenia i ocenę ewentualnej wznowy. Tu nie są potrzebne żadne inne metody, które dotychczas były stosowane standardowo. Ważne słowa: szybciej, dokładniej i z większą powtarzalnością. To są cechy, które w pewnych sytuacjach, stawiają medycynę nuklearną ponad inne metody i przed innymi metodami, ale nie jest to jeszcze standardem postępowania. Mówię też o wskazaniach do pozytonowej tomografii emisyjnej, standardowego w tej chwili badania medycyny nuklearnej.

Te wskazania są ściśle określone w przepisach nadrzędnych i to jest jedyny taki przypadek w polskiej medycynie, że jakieś badanie możemy zrobić tak, jak nam na to pozwala przepis nadrzędny, w tym przypadku – rozporządzenie ministra zdrowia. Czyli tylko w określonych w ustawie przypadkach badanie jest refundowane. Więc jeśli jest już na przykład rozpoznanie histopatologiczne i zanim podejmiemy decyzję o sposobie leczenia, to jest to możliwe, że określimy stopień zaawansowania w badaniu dedykowanym, a nie w serii zbędnych badań. To samo dotyczy monitorowania leczenia, ale niestety metody izotopowe w Polsce są nadal postrzegane jako te ostateczne i trudno jest przekonać nawet lekarzy do tego, żeby już na wcześniejszym etapie te metody stosowali.

■ **Przed Polskim Towarzystwem Medycyny Nuklearnej stoi wiele wyzwań i problemów, m.in. trzeba przekonać zarówno lekarzy, jak i decydentów, że to są metody potrzebne i opłacalne, czasem najbardziej efektywne. Jak wynika z naszej rozmowy medycyna nuklearna to metoda innowacyjnej diagnostyki i leczenia, której kluczową cechą jest precyzyjność. Proszę powiedzieć, jakie w związku z tym są priorytety Towarzystwa na najbliższy czas? Co byście Państwo chcieli zmienić, wprowadzić, aby upowszechnić medycynę nuklearną?**

Z problemami i wyzwaniami mierzymy się od wielu lat. Właśnie staramy się przekonać innych, że możemy się przydać i to trochę bardziej niż im się to wydaje. Co do planów, przed nami są problemy i zadania, które wymagają jeszcze trochę czasu na realizację. Wszystko niestety trwa dość wol-

no. Takim głównym problemem, którym się obecnie zajmujemy jest edukacja na osi student – rezydent – specjalista medycyny nuklearnej. Programy nauczania medycyny nuklearnej na studiach zatrzymały się, pomimo tego, że według mnie (a mam 40-letni staż w tej dziedzinie) już ponad 20 lat temu medycyna nuklearna eksplodowała i nadal jest na krzywej wznoszącej, więc nie widać jeszcze końca tego progresu, który ta dziedzina w tej chwili pokazuje. Potrzebujemy nowych młodych specjalistów. W tej chwili na rynku jest około 140 specjalistów w 85 zakładach. To bardzo mało. W tym celu walczymy o status specjalizacji deficytowej, może dzięki temu osoby bez większych motywacji uznają tę specjalizację za bardziej

atrakcyjną i uda nam się spełnić nasz cel. Chcemy, aby nasi młodszy koledzy wiedzieli, że specjalizacja da im coś więcej niż tylko satysfakcję, że staną się jednym z tych 140 w Polsce. Kolejnym ważnym zadaniem Towarzystwa i całego naszego środowiska jest dotarcie do decydentów. Chodzi tutaj o administrację państwową i samorządową, ponieważ to od nich zależy rozszerzanie wskazań. Przypomnę, że ostatnie wskazania do PET zostały w styczniu tego roku zaktualizowane pierwszy raz od 2011 roku. Dodatkowo, badanie PET jest podwójnie limitowane. Każdy, kto ma skierowanie na PET, musi najpierw przejść przez sito wskazań ministerialnych, a potem ustawić się w kolejce. Nie wszystkie badania są finansowane automatycznie, tylko według limitu przyznanego przez NFZ. Kolejna przeszkoda to produkcja własna. Możemy produkować izotopy na potrzeby wewnętrzne poszczególnych, odpowiednio wyposażonych zakładów i wykonywać rzadkie badania naszym



pacjentom wszystkimi dostępnymi metodami. Natomiast niestety od prawie 10 lat, zła interpretacja przepisów unijnych, z którymi poradziły sobie jakoś inne kraje Unii, powodują, że laboratoria w naszych zakładach medycyny nuklearnej (na ten moment dwóch, trzech) zostały zamknięte i nie możemy leczyć produktami, które moglibyśmy sobie wyprodukować na własny użytek. I co się wtedy dzieje?

Otóż kuriozum! Nasi pacjenci, kierowani przez rodzime placówki z Polski mogą, po uzyskaniu opinii właściwych konsultantów, wykonać te badania na przykład w Niemczech, i za te badania płaci NFZ. Chcielibyśmy więc docierać do pacjentów poprzez organizacje, które ich skupiają. Pacjenci bowiem są głównym celem i głównym odbiorcą naszej działalności, o tym należy pamiętać. Pacjent musi wiedzieć, czego wymagać, a przynajmniej, czego może oczekiwać od systemu. To są nasze zadania.

■ **Organizacje pacjentów chętnie włączą się w propagowanie metod diagnostyki i leczenia medycyny nuklearnej. My wiemy, że są one skuteczne, ale słyszymy, że są zbyt drogie i nierefundowane, gdy w innych krajach są już standardem, ale ich zastosowanie w chłoniaku się udało...**

Ogólnie hematologia jest bardzo zadowolona z naszych metod i rzeczywiście na każdym etapie te metody stosuje. Nie mogę powiedzieć nic złego na temat współpracy z pulmonologami i chirurgami, którzy doskonale zdają sobie sprawę z tego, co możemy zrobić, żeby przyspieszyć ich proces diagnostyczno-terapeutyczny, a przede wszystkim ten proces jakoś urealnić i zoptymalizować. Ale jeszcze bardzo długa droga przed nami, żeby dotrzeć do innych dziedzin, które nie do końca wiedzą, jakie mają możliwości i zaplecze w naszych zasobach.

EUROPEJSKI KODEKS OPIEKI ONKOLOGICZNEJ

5. Prawo EK00 - Wspólne Podejmowanie Decyzji

Przedstawiamy wyniki ankiet przeprowadzonych wśród ekspertów medycznych i pacjentów dotyczące 5. prawa EK00, które daje pacjentowi możliwość wspólnego podejmowania decyzji, udziału we wszystkich decyzjach na temat leczenia i opieki podejmowanych przez opiekującego się nim zespół medyczny. Respektowanie tego prawa komentuje z perspektywy pacjenta Beata Białkowska-Cybula, pacjentka ze szpiczakiem plazmocytowym, podopieczna Fundacji CARITA. Prawo to zostało ocenione przez ekspertów jako najłatwiejsze do wdrożenia w polskim systemie opieki zdrowotnej i w skali ocen od 1 do 5 otrzymało wynik 3,90.

5. WPÓLNE PODEJMOWANIE DECYZJI: Masz prawo do udziału we wszystkich decyzjach na temat leczenia i opieki podejmowanych przez opiekującego się Tobą zespół medyczny.

Trzy najważniejsze pytania, które może zadać pacjent:

- W jaki sposób podejmuje się w moim ośrodku decyzje dotyczące opieki nade mną i czy mój głos będzie brany pod uwagę?
- Czy możemy wspólnie podejmować decyzje, tak abym mógł/mogła mieć wpływ na wybór postępowania w mojej chorobie?
- Czy mój ośrodek onkologiczny zachęca pacjentów do zaangażowania i aktywności w procesie opieki?

WYNIKI ANKIETY WDRAŻALNOŚCI EUROPEJSKIEGO KODEKSU OPIEKI ONKOLOGICZNEJ PRZEPROWADZONEJ WŚRÓD EKSPERTÓW DOTYCZĄCE 5. PUNKTU – WSPÓLNE PODEJMOWANIE DECYZJI

W ankiecie przeprowadzonej przez Polską Ligę Walki z Rakiem wzięło udział 222 respondentów, członków medycznych towarzystw. Uczestnicy ankiety oceniając 5. prawo w skali od 1 do 5 uznali je za najłatwiejsze do wdrożenia w polskim systemie opieki zdrowotnej.

Średnia ocen wyniosła 3,90 i była to najwyższa ocena spośród 10 praw.

Tylko 11 spośród ankietowanych osób (5%) uznało 5. prawo za bardzo trudne do wdrożenia, a 49 ankietowanych (22,1%) za trudne. Zdecydowana większość uczestników ankiety – 62 osoby (27,9%) stwierdziły, że jest ono średnio trudne do wprowadzenia, a 55 (24,8%), że łatwe. W opinii 45 (23%) ankietowanych wdrożenie prawa o wspólnym podejmowaniu decyzji do systemu opieki zdrowotnej jest bardzo łatwe.

Respondenci podzielili się też swoimi refleksjami na temat możliwości wdrażania 5. prawa, dotyczącego wspólnego podejmowania decyzji do systemu opieki onkologicznej w Polsce.

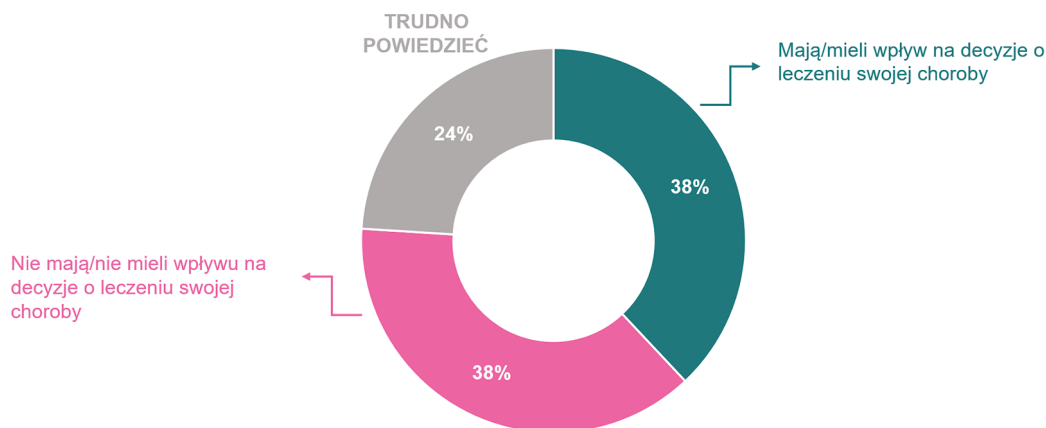
- *Centralizacja leczenia onkologicznego utrudni dostępność pacjentów do możliwości decydowania o sobie.*
- *Pacjenci nie chcą brać udziału w tych decyzjach.*
- *Cały czas lekarze preferują komunikację dyrektywną, pacjent raczej ma się podporządkować.*
- *Ograniczony czas dostępności zespołu medycznego oraz wciąż królujący (zwłaszcza w mniejszych ośrodkach) paternalizm w kontakcie z pacjentem powoduje, że opieka skoncentrowana na pacjencie wciąż stanowi duże wyzwanie.*

WYNIKI ANKIETY NA TEMAT EUROPEJSKIEGO KODEKSU OPIEKI ONKOLOGICZNEJ PRZEPROWADZONEJ WŚRÓD PACJENTÓW, DOTYCZĄCE 5. PUNKTU – WSPÓLNE PODEJMOWANIE DECYZJI

Opinie badanych na temat wpływu na decyzje dotyczące leczenia nowotworu są równo podzielone – **38% twierdzi, że miało na nie wpływ, podczas gdy tyle samo osób stwierdza, że nie miało takiej możliwości.**

Wpływ na decyzje o leczeniu choroby nowotworowej

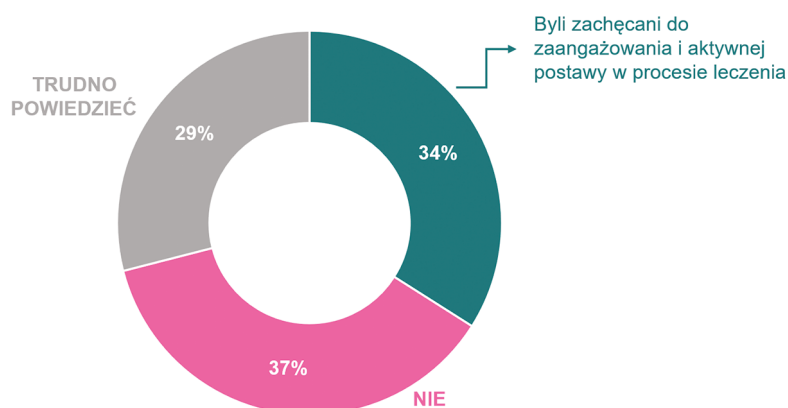
Czy ma/miała Pan/Pani wpływ na decyzje o leczeniu swojej choroby nowotworowej?



34% respondentów było zachęcanych do aktywnego zaangażowania w proces leczenia, podczas gdy 37% nie otrzymało takiej zachęty. Dodatkowo, 29% badanych nie potrafiło udzielić odpowiedzi na to pytanie.

Zachęcanie pacjentów do zaangażowania w proces leczenia

Czy był(a) Pan(i) zachęcany(a) przez lekarza prowadzącego/zespół lekarski do zaangażowania i aktywnej postawy w procesie leczenia?



BEATA BIAŁKOWSKA-CYBULA
pacjentka ze szpiczakiem
plazmocytowym

Od 2015 r. choruję na nieuleczalny nowotwór układu krwionośnego – szpiczaka plazmocytoowego. Od momentu zdiagnozowania szpiczaka pacjent doświadcza zazwyczaj wielokrotnych nawrotów choroby i okresów remisji o różnym okresie trwania. Obecnie pozostaję w trzeciej linii leczenia w ramach Programu Lekowego NFZ.

Z mojego doświadczenia wynika, że w momencie rozpoznania choroby, a szczególnie jeśli szpiczak zostaje wykryty w zaawansowanym stadium, sposób wyboru pierwszej linii leczenia jest ściśle zdeterminowany przez ogólny stan chorego. Mam na myśli np. decyzję o wdrożeniu leczenia ukierunkowanego na przeszczep komórek macierzystych. Rola pacjenta sprowadza się do akceptacji informacji o proponowanym leczeniu i pacjenci w pełni zdają się na autorytet szpitala. Tak było także w moim przypadku. Całkowicie zaskoczona diagnozą choroby, o której nigdy nic nie słyszałam, i jednocześnie boleśnie doświadczająca jej obecności, bez dyskusji poddałam się leczeniu, które ratowało mi życie.

Sytuacja zmieniła się, gdy przeszczep komórek macierzystych w ramach pierwszej linii leczenia nie dał wystarczających rezultatów i szpital zaproponował powtórny przeszczep. Mój wewnętrzny opór zmusił mnie do pogłębienia wiedzy o chorobie i sposobach leczenia w Polsce i zagranicą. Wówczas też nawiązałam kontakt z Fundacją Carita im. Wiesławy Adamiec, zrzeszającą chorych na szpiczaka i ich opiekunów, prezentującą ogromną wiedzę na temat choroby. Dało mi to możliwość po raz pierwszy podjęcia dialogu ze szpitalem, czego efektem były wspólne ustalenia dotyczące leczenia podtrzymującego.

Od tamtej pory na każdym etapie leczenia wszystkie decyzje były podejmowane wspólnie. Zarówno te dotyczące kierunków dalszego leczenia w momencie nawrotu choroby, jak i te dotyczące modyfikacji dawek przyjmowanych leków, uwzględniające uboczne skutki leczenia i możliwości mojego organizmu. Na terenie mojej Przychodni, Oddziału Dziennego Hematologii oraz Kliniki Chorób Wewnętrznych i Hematologii Wojskowego Instytutu Medycznego dostępne są materiały edukacyjne dla pacjentów. Dzięki życzliwości Pana profesora Piotra Rzepeckiego, ordynatora ww. Kliniki oraz z jego udziałem, organizowane były spotkania edukacyjne dla pacjentów inicjowane przez Fundację Carita im. Wiesławy Adamiec.

Mając doświadczenie, jako pacjentka i jako wolontariuszka mogę stwierdzić, że jedynie aktywny, wyedukowany pacjent świadomy swoich praw może podjąć merytoryczny dialog z ośrodkiem onkologicznym i stać się partnerem. Druga strona w większości wypadków doceni taką postawę i zaowocuje to wzajemną długotrwałą relacją zwiększającą poczucie sprawczości i bezpieczeństwa, tak potrzebne w chorobie.

KONFERENCJA ORGANIZACJI PACJENTÓW THE VOICE OF PATIENTS 2025

Stowarzyszenie Onkologiczne SANITAS w ramach realizowanego od 3 lat projektu „Pacjent podmiotem systemu opieki zdrowotnej” zorganizowało 5 grudnia 2025 r. trzecią już konferencję THE VOICE OF PATIENTS, a dzień wcześniej warsztaty dla liderów organizacji pacjentów. Tematem przewodnim Konferencji była rola organizacji pacjentów w tworzeniu ponad podziałami zmian w zdrowiu.

Celem spotkania liderów 27 organizacji pacjentów z różnych obszarów zdrowia było: **przyjęcie definicji organizacji pacjentów w Polsce na podstawie przeprowadzonej wśród liderów dyskusji i dokumentów przygotowanych przez biuro prawne.**

Tegoroczna konferencja THE VOICE OF PATIENTS nie była, tak jak w poprzednich edycjach, ograniczona do jednej debaty, ale składała się z 3 paneli:

1. MODELE OPIEKI JAKICH OCZEKUJĄ PACJENCI
2. KOMPLEKSOWOŚĆ, INTERDYSCYPLINARNOŚĆ I WSPARCIE LECZENIA
3. PACJENT W SYSTEMIE

W ramach paneli eksperci i pacjenci prowadzili kilka tematycznych debat.

Konferencję zakończyło **wręczenie po raz pierwszy nagród „PRZYJACIEL PACJENTÓW”** przyznanych przez liderów organizacji pacjentów w 13 kategoriach. Zgodnie z nazwą i tradycją konferencji, której celem jest oddanie głosu pacjentom, **50% uczestników debat stanowili**, obok ekspertów i decydentów, **reprezentanci pacjentów.**

Patronat honorowy nad wydarzeniem objął prezes Agencji Badań Medycznych prof. dr hab. n. med. Wojciech Fendler.

Patronaty merytoryczne nad konferencją THE VOICE OF PATIENTS sprawowali: Polskie Towarzystwo Medycyny Paliatywnej i Stowarzyszenie na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce.

Debaty moderowali *pro publico bono* dziennikarze medyczni: Agnieszka Katrynica, Bożena Stasiak, Iwona Schymalla, Michał Dobrołowicz, Krzysztof Jakubiak, Bartosz Kwiatek.

LAUREACI NAGRODY „PRZYJACIEL PACJENTÓW” 2025 PRYZNANEJ W KATEGORIACH:

Lekarz – dr n. med. Janusz Hałka

Pielęgniarka – mgr Iwona Król

Specjalista – dr Hanna Tchórzewska-Korba

Badacz – prof. dr hab. n. med. Lidia Gil

Decydent – prof. dr hab. n. med. Piotr Czauderna

Ekspert – dr n. ekon. Małgorzata Gałązka-Sobotka

Parlamentarzysta – senator RP Agnieszka Gorgoń-Komor

Wolontariusz – student medycyny WUM Piotr Dudek

Dziennikarz – red. Ewa Podolska

Społecznik – dr n. med. Łukasz Rakarz

Placówka medyczna – Klinika Transplantacji Szpiku i Onkematologii, NIO Gliwice

ORGANIZATOR 	PATRONAT HONOROWY  AGENCJA BADAŃ MEDYCZNYCH	PATRONATY MERYTORYCZNE   	PATRONAT MEDIALNY  
SPONSORZY			
   			
    			

Relacja video z konferencji na: www.oli-onko.pl, www.sanitas.sanok.pl
YouTube OLI-onko, YouTube Stowarzyszenie Sanitas



Debata OPIEKA PALIATYWNA / na foto. od lewej: moderator – red. Michał Dobrowicz, Aleksandra Rudnicka – rzecznik Osób Objętych Opieką Paliatywną, dr hab. Tomasz Dzierżanowski, dr. hab. Aleksandra Ciałkowska-Rysz, Małgorzata Maksymowicz – Grupa Wsparcia Pacjentów z Rakiem Płuca



Debata NEUROLOGIA I PSYCHIATRIA / na foto. od lewej: moderatorka – Iwona Schymalla, dr Łukasz Rakasz, dr Marek Balicki, Paweł Nowicki z Fundacji eKropka



Na foto. od lewej: Agnieszka Głaz-Żebracka, Aleksandra Rudnicka i Bogusława Dubielczyk ze Stow. SANITAS, red. Iwona Schymalla, Anna Nowakowska – prezes Stow. SANITAS, Maria Szuba – prezes Stow. PRZEBISNIEG



Marek Augustyn – zastępca prezesa NIFZ, Anna Nowakowska – prezes Stowarzyszenia Onkologicznego SANITAS



Laureaci Nagrody „Przyjaciół Pacjentów” 2025 i osoby wręczające

KONSORCJUM LiBRha



Projekt LiBRha – przełomowe na świecie badanie dotyczące płynnej biopsji – otrzymał pierwsze miejsce na liście rankingowej Agencji Badań Medycznych. To kontynuacja działań Fundacji „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową” – szansa na zmianę komfortu życia dzieci, które zmagają się z nowotworami. Całkowita wartość grantu to ponad 26 milionów zł, a projekt będzie realizowany przez 8 lat – od 2025 do 2033 roku.

NAZWA PROJEKTU

Płynna biopsja i kompleksowe badania molekularne w przypadku mięsaków tkanek miękkich u dzieci w Polsce w celu poprawy diagnozy, oceny ryzyka i wyniku leczenia. Skrót: **LiBRha** – *Liquid Biopsy for Rhabdomyosarcoma*.

CEL I ZNACZENIE PROJEKTU

Konsorcjum Uniwersytetu Medycznego we Wrocławiu, Uniwersytetu Medycznego w Łodzi i Fundacji „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową” pozyskało środki na przełomowe w skali świata badania nad płynną biopsją – projektem, który ma ogromne szanse na poprawę trafności i szybkości diagnostyki dzieci z chorobami nowotworowymi, a tym samym – na ratowanie życia dzieci. Fundacja „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową” od lat angażuje się nie tylko w bieżącą, codzienną pomoc pacjentom i ich rodzinom, ale także w działania na rzecz budowania przyszłości onkologii pediatrycznej poprzez dofinansowanie badań, które zmieniają jej oblicze, stypendia dla doktorantów czy tworzenie ogólnopolskiej bazy danych nowotworów wieku dziecięcego.

LiBRha to pionierski eksperyment medyczny, który wprowadza w Polsce nowoczesne metody diagnostyki molekularnej u dzieci z mięsakiem tkanek miękkich o typie prążkowano-komórkowym – złośliwych nowotworów, które występują praktycznie wyłącznie u dzieci, rzadziej u nastolatków. W ramach badania planowane jest wykonanie zaawansowanych badań genetycznych komórek nowotworowych (m.in. sekwencjonowanie całego genomu i analizę profilu metylacji DNA – obrazu zmian w DNA, które nie zmieniają samej sekwencji genów, ale wpływają na to, jak geny są włączane lub wyłączane: innymi słowy, to „mapa” tego, które geny są aktywne, a które uśpione w komórkach).

Dodatkowo powstanie ogólnopolski tzw. biobank, w którym deponowane będą tkanki do dalszych badań diagnostycznych i naukowych. Projekt ma na celu szybszą i precyzyjniejszą diagnostykę, lepszą ocenę ryzyka oraz monitorowanie leczenia za pomocą analizy krwi, co znacząco zwiększy skuteczność terapii i poprawi jakość życia pacjentów. Dzięki wprowadzeniu płynnej biopsji pacjenci nie będą musieli przechodzić procesu pobierania wycinków tkanek, a zamiast tego badania będą wykonywane wyłącznie na podstawie pobranej próbki krwi. To o wiele prostszy, niemal rutynowy proces, który jest nieodłączną częścią diagnostyki, a nie wymaga bolesnych zabiegów i ingerencji.

CO TO JEST BIOPSJA PŁYNNĄ (LIQUID BIOPSY)?

Biopsja płynna to innowacyjna metoda diagnostyczna polegająca na analizie materiału genetycznego nowotworu z krwi pobranej od pacjenta. Aktualnie konieczne jest pobranie wycinka tkanki, co jest metodą inwazyjną, powodującą dyskomfort i niosącą za sobą ryzyko zakażeń i powikłań. Dzięki pierwotnej identyfikacji tradycyjnej nowotworu można wykrywać obecność komórek nowotworowych lub ich fragmentów krążących we krwi na poszczególnych etapach leczenia, śledzić zmiany genetyczne i tym samym oceniać odpowiedź na leczenie oraz monitorować remisję choroby. Nie wymaga to przeprowadzania wspomnianej biopsji, pobierania materiału z tkanek i narażania pacjenta na nieprzyjemne doświadczenia. Dla młodych pacjentów onkologicznych oznacza to ogromny krok naprzód: mniej bólu i stresu – badanie wymaga jedynie pobrania krwi, możliwość częstszego monitorowania bez konieczności hospitalizacji, lepsze dopasowanie terapii do aktualnego profilu genetycznego nowotworu.

UCZESTNICY KONSORCJUM

Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu – lider projektu, odpowiada za część kliniczną, organizację badań i analizę danych.

Uniwersytet Medyczny w Łodzi – prowadzi diagnostykę patologiczno-molekularną, będzie referencyjnym ośrodkiem patologii dla dziecięcych nowotworów tkanek miękkich.

Fundacja „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową” koordynuje ogólnopolską bazę danych nowotworów pediatrycznych *Hope for children*, dzięki czemu możliwa będzie wymiana wiedzy między ośrodkami onkologii dziecięcej oraz porównanie i analiza protokołów wdrożonego leczenia i ich efektów, co pozwoli na ustandaryzowanie i ujednolicenie tego, jak leczone są choroby nowotworowe u dzieci i młodzieży.

ZNACZENIE DLA PACJENTÓW I SYSTEMU OPIEKI

Mięsaki tkanek miękkich u dzieci to choroby rzadkie i trudne diagnostycznie. Obecnie w Polsce tylko część dzieci ma dostęp do pełnych badań molekularnych. Projekt LiBRha ma to zmienić – wprowadza nowy standard opieki: wczesną diagnozę, precyzyjne terapie dobrane do profilu genetycznego, monitorowanie leczenia minimalnie inwazyjnymi metodami. Biobank i dane pacjentów będą stanowiły solidną podstawę do przyszłych badań i terapii.

Ostatnio środowisko pacjentów hematologicznych poniosło dwie bolesne straty. Pożegnaliśmy w ciągu tygodnia dwie koleżanki. Osoby wspierające innych chorych, zaangażowane w prace swoich organizacji. Obie prawie w jednym wieku: Ania – 50 lat, Monika – 49 lat. Obie piękne kobiety o blond włosach. Na koniec życia ich losy splotły się; odchodziły na tym samym szpitalnym oddziale, w tym samym czasie. Pozostaje wierzyć, że spotkają się w innym świecie. Pozostawiły nam po sobie piękne wspomnienia.

ANNA MARIA LEONIUK

Moja Ania była taka, jak na tym zdjęciu – uśmiechnięta, do wszystkich nastawiona przyjaźnie, zawsze służąca radą i pomocą. Mimo że od 10 lat żyła ze szpiczakiem, przeszła 10 linii leczenia, choroba nie odebrała jej radości życia i tą radością dzieliła się z innymi. Kiedyś jeden z lekarzy powiedział o Ani, że to przemiła osoba i to najbardziej oddaje jej osobowość.

Wszyscy, którzy zetknęli się z Anią – pacjenci, lekarze zapamiętywali ją właśnie, jako osobę wdzięczną za każde dobro słowo, za każdy przyjazny gest, nie roszczącą pretensji by być w centrum uwagi. Ania wiele robiła na rzecz innych pacjentów w ramach Fundacji CARITA, m.in. prowadziła Facebooka, ale przede wszystkim służyła wsparciem i dobrą radą.

Była osobą niezwykle skromną, trudno było ją namówić do publicznych wystąpień. Jednak gdy chodziło o ludzkie życie, przełamывała się, mimo że był to dla niej ogromny emocjonalny wysiłek. W zeszłym roku zabrała głos na Radzie Przejrzystości AOTMiT w sprawie refundacji terapii CAR-T dla pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym. Sama czekała na tę terapię, ale nie miała już czasu, choroba była zbyt zaawansowana, a wszystkie możliwości leczenia wyczerpane. Poddała się transplantacji, wszystko szło dobrze, szpik od siostry przyjął się, jednak pojawiły się powikłania. Paradoksalnie, odeszła wyleczona ze szpiczaka, nie miała już komórek nowotworowych.

Ania była moją przyjaciółką, miałyśmy wiele planów, nie mogłam się doczekać, kiedy wróci do zdrowia i będziemy wspólnie spacerować po parku. Odejście Ani to dla mnie ogromna strata, jakbym utraciła część mnie i to tę najlepszą. Nie potrafię sobie wyobrazić, czym jest to dla Jej męża, syna, siostry... Nie mam dla nich słów pocieszenia.

MONIKA BLANKA SIEŃSKA-PIECZYŃSKA

Monikę znałam od lat jako pacjentkę, która mimo choroby, czynnie i z zaangażowaniem wspierała w ramach Stowarzyszenia Hematoonkologiczni pacjentów z chorobami krwi, a zwłaszcza z mielofibrozą. Nigdy nie odmawiała udziału w kampaniach edukacyjnych, czy konferencjach, podczas których dzieliła się swoją wiedzą i doświadczeniem choroby.

Choroba, a zwłaszcza skutki leczenia Jej nie oszczędzały. Ciągłe zmagania się z działaniami niepożądanymi terapii, które wywoływały kolejne choroby nowotworowe. Często kończyło się to pobytem w szpitalu. Patrząc na Monikę, spokojną, zrównoważoną, zawsze pięknie się prezentującą, nikt by nie pomyślał, że jest tak ciężko chora. A jednak. Kolejne, nie do końca zdiagnozowane schorzenie związane z płucem, odebrało Jej życie.

Nie wiedziałam, że Monika miała na drugie imię Blanka. Jakże do niej pasujące. Nie tylko ze względu na typ Jej urody – pięknej, eleganckiej blondynki, ale przede wszystkim na osobowość. Monika była bowiem jasną, świetlistą osobą, bardzo delikatną, o wielkiej kulturze i wrażliwości, otwartą na innych.

Taka pozostanie w mojej pamięci.



*Zdjęcie Moniki z kampanii "Mielofibroza nie zna wieku" – autorski pomysł Stowarzyszenia Hematoonkologiczni
fot. Michał Gromada, stroje: Agnieszka Wyrwał Aga Pou*



Zmieniamy życie pacjentów dzięki nauceTM

Naszą misją jest odkrywanie, opracowywanie oraz dostarczanie innowacyjnych leków, które pomagają pacjentom przezwyciężyć poważne choroby.



Dowiedz się więcej na bms.com