

# KLINICKÉ SKÚŠANIA NOVÝCH LIEKOV dostupnejšie aj pre pacientov na Slovensku

*Do klinických skúšaní sa ročne zapojí okolo 9 000 slovenských pacientov. Je to asi tretina v porovnaní so susednou Českou republikou. Pre mnohých pacientov je pritom účasť v klinickom skúšaní poslednou nádejou v boji s nevyliciteľným ochorením. O možnostiach, ako sa vďaka bezplatnej online poradni môžu slovenskí pacienti dostať k informáciám o klinických skúšaní na Slovensku, nám porozprávala MUDr. Tamara Milly, MBA, medicínska riaditeľka spoločnosti Sanofi na Slovensku, členka predstavenstva a vedúca pracovnej skupiny pre klinické skúšanie Asociácie inovatívneho farmaceutického priemyslu (AIFP).*



## KLINICKÉ SKÚŠANIA NOVÝCH LIEKOV PODLIEHAJÚ PRÍSNYM PRAVIDLÁM. AKO PRESNE PREBIEHAJÚ A PREČO SA VLASTNE ROBIA?

Klinické skúšania liekov sú v prvom rade výskumom, do ktorého sú zapojení dobrovoľníci. Ktokoľvek sa na skúšaní zúčastní, musí dať na takýto výskum súhlas a musí byť oboznámený o všetkých jeho aspektoch. O organizácii, podmienkach, prínosoch, ale aj o možných rizikách. Ide o špecializovanú a kontrolovanú činnosť, ktorú vykonáva vyškolený tím a ktorá podlieha prísnyim medzinárodným pravidlám. Bez klinických skúšaní by nebol možný inovatívny výskum diagnostických postupov, ani nových liekov. Výskum nového lieku trvá približne desať až dvanásť rokov a stojí za ním investícia vyše dvoch miliárd USD. Prvou fázou je predklinická fáza, kedy sa skúma samotná molekula, jej štruktúra a správanie ešte pred tým, ako sa liek dostane k skúšaniam v ľudskej populácii. Skúma sa predovšetkým na modeloch v laboratóriách a na tkanivových kultúrach. Samotné klinické skúšanie v ľudskej populácii má štyri fázy. Do prvej sa zapája malý počet zdravých dobrovoľníkov. Látka sa podá a sleduje sa jej osud v organizme, cesta, akou liek v organizme putuje, jej metabolizmus,

ako sa z neho vylučuje, a aj ako organizmus na ňu reaguje. Čiže bezpečnosť a možné toxické reakcie. Ešte nie je možné skúmať účinnosť lieku, keďže do tejto fázy sa nezapájajú chorí ľudia. V druhej fáze sa po prvýkrát liek dostáva k pacientom, keďže hlavným účelom klinického skúšania je overiť účinnosť a bezpečnosť lieku pri danom ochorení. Tieto dva základné ciele idú vždy ruka v ruku – a jeden bez druhého nemá zmysel. Pokiaľ liek nie je účinný, ale spĺňa bezpečnostné kritériá – nemá zmysel ho schváliť a používať, pretože nepomôže. A naopak – pokiaľ liek síce dobre účinkuje, ale nespĺňa bezpečnostné kritériá ako už zavedená liečba, nemôže byť schválený. Súčasťou klinických skúšaní je aj použitie neúčinnnej látky – placebo, ktoré vylučuje falošne pozitívne aj falošne negatívne výsledky. Placebo sa dáva presne určenému množstvu pacientov, väčšinou v druhej fáze klinických skúšaní, keď sa overujú prvé účinky a upresňuje sa aj dávka. Klinické skúšania bývajú často tzv. dvojito zaslepené. V takom prípade ani lekár, ani pacient nevedia, akú látku či liek pacient dostáva a či ide o inovatívnu alebo zavedenú liečbu, prípadne o placebo. Takýmto spôsobom sa objektivizujú výsledky. V tretej fáze sa liek, jeho účinky a bezpečnostné kritériá porovnávajú s inými štandardne používanými a zavedenými liekmi a postupmi. V štvrtej fáze klinického skúšania sa liek sleduje a overuje po registrácii na širokej populácii pacientov v rozsahu už schválených indikácií. Dizajny medzinárodných klinických skúšaní sú rôzne a slúžia nielen na to, aby sa zachovala objektivita, ale aby sa účinky a ich trvanie overili v rozdielnych populáciách pacientov. Napríklad na starších pacientoch, detských pacientoch, pacientoch s porušením funkcie obličiek, na rôznych etnikách a rasách.

### KOĽKO PACIENTOV ROČNE SA U NÁS DO KLINICKÝCH SKÚŠANÍ ZAPOJÍ?

V roku 2016 naša asociácia AIFP v spolupráci so spoločnosťou EY uskutočnila prieskum o klinických štúdiách organizovaných členskými spoločnosťami na

Slovensku. V 195 klinických skúšaniach členských spoločností sa zúčastnilo viac ako deväťtisíc pacientov. Mohlo by sa to zdať ako dobré číslo. Keď sme však údaje porovnávali so susednou Českou republikou, zistili sme, že za približne rovnaké obdobie sa u našich susedov zapojilo do klinických skúšaní viac ako 26-tisíc pacientov. V porovnaní s nami disponujú určite viacerými špecializovanými centrami, a to predovšetkým v rámci nemocníc, ktoré sa venujú klinickým skúšaniam. To je možno cesta rozvoja aj pre naše pracoviská a klinické tímy.

### AKÝ BENEFIT ZNAMENAJÚ KLINICKÉ SKÚŠANIA PRE ZÚČASTNENÝCH PACIENTOV?

Možnosť zúčastniť sa na klinických skúšaniach pre samotného pacienta znamená určite lepšiu a dôkladnejšiu zdravotnú starostlivosť. Už len z toho dôvodu, že chodí k lekárovi častejšie, viac ho vyšetrujú a je viac pod drobnohľadom. Má možnosť dostať sa k inovatívnym diagnostickým aj liečebným postupom. V prípadoch, kedy súčasná liečba už nepostačuje, môže byť inovatívna liečba istou nádejou alebo ďalšou možnosťou. Pre onkologických pacientov, ale aj pacientov s mnohými chronickými ochoreniami – napríklad neurologickými, reumatologickými, respiračnými, kardiovaskulárnymi, cukrovkou, ale aj pre pacientov so vzácnymi, tzv. zriedkavými ochoreniami, má inovatívna liečba veľký význam. Niekedy je benefitom predĺženie života, spomalenie progresie ochorenia alebo lepšia kvalita života, či jednoducho život bez obmedzení.

### ČO ZAPOJENIE DO KLINICKÝCH SKÚŠANÍ ZNAMENÁ PRE LEKÁRA?

Medzinárodný výskum prináša zapojenie do medzinárodných projektov – teda reputáciu. Jednak pre pracovisko, na ktorom skúšania prebiehajú, jednak pre samotného lekára a celý výskumný tím, vrátane sestier či iných zdravotníckych pracovníkov. Medzinárodný výskumný projekt prináša so sebou aj potrebné investície a nezanedbateľný

technologický transfer, teda možnosť naučiť sa pracovať s novými technológiami, diagnostickými a liečebnými metódami. V neposlednom rade je to aj možnosť zapojiť sa do publikačnej činnosti, čo zvyšuje kvalifikáciu výskumníkov a ich ďalšiu atraktivitu pre budúci výskum, čiže vytváranie už spomínaných špecializovaných centier na klinické skúšanie.

### A V ČOM SPOČÍVA PRÍNOS KLINICKÝCH SKÚŠANÍ PRE SPOLOČNOSŤ?

Pre spoločnosť je to prístup k inovatívnej liečbe. Nielen v klinickom skúšaní, ale aj jej dostupnosť po schválení a uvedení na trh. Ďalšie je prestížne zapojenie Slovenska do medzinárodných projektov a medzinárodnej spolupráce. Určite je to aj zahraničná investícia do výskumu, ktorá bola spomínaná a na druhej strane aj úspora nákladov na liečbu a vyšetrenia, keďže zdravotná starostlivosť o pacienta, ktorý je zaradený do klinických skúšaní, sa počas skúšania nehradí z prostriedkov verejného zdravotného poistenia.

### NA WEBE ASOCIÁCIE INOVATÍVNEHO FARMACEUTICKÉHO PRIEMYSLU [www.aifp.sk](http://www.aifp.sk) SA O AKTUÁLNE PREBIEHAJÚCICH KLINICKÝCH SKÚŠANIACH NOVÝCH LIEKOV MÔŽU VIAC DOZVEDIEŤ AJ SLOVENSKÍ PACIENTI V NOVEJ BEZPLATNEJ ONLINE PORADNI. ČO PACIENTOM PONÚKA?

Po zverejnení výsledkov prieskumu o klinických skúšaniach na Slovensku za rok 2016 sa na nás ako na zástupcov inovatívnych farmaceutických spoločností, rovnako ako aj na Asociáciu inovatívneho farmaceutického priemyslu, začalo obracať veľa pacientov a ich rodinných príslušníkov. Najčastejšie s otázkou, ako by sa na klinických skúšaniach mohli zúčastniť. To bolo impulzom poskytnúť slovenským pacientom novú službu – informácie o takýchto možnostiach. Pacient sa ku klinickým skúšaniam dostane obvykle na základe odporúčania svojho lekára, a to v prípade, že je zapojený v nejakom výskumnom tíme. Čiže informovanosť pacientov, ale vo veľkej miere aj odbor-

níkov-lekárov je limitovaná. Na medzinárodných portáloch sú však v tejto oblasti verejne dostupné informácie, i keď v cudzom a odbornom jazyku. Inšpirovali sme sa českou AIFP a ich bezplatnou on-line poradňou, ktorá úspešne funguje už dva roky. Práve na túto veľmi dobrú skúsenosť sme sa snažili nadviazať a poskytnúť rovnakú službu aj slovenským pacientom. Aj keď projekt beží ešte len v pilotnej fáze a máme čo vylepšovať, záujem je veľký – jednak zo strany pacientov a ich blízkych, ale aj zo strany lekárov, ktorí by svojich pacientov chceli do takýchto projektov zapojiť.

#### AKÝM SPÔSOBOM ONLINE PORADŇA FUNGUJE?

On-line poradňa na Slovensku je spoločný projekt s Asociáciou na ochranu práv pacientov (AOPP) a je dostupná priamo na stránke Asociácie inovatívneho farmaceutického priemyslu [www.aifp.sk](http://www.aifp.sk). Pacient v sekcii určenej pre zís-

kavanie informácií o klinických skúškaniach vyplní jednoduchý formulár, kde uvedie svoju diagnózu – buď slovnou či číslom, svoj vek, pohlavie a e-mailovú adresu. Následne mu príde notifikačný e-mail s informáciou, že do siedmich pracovných dní dostane odpoveď, aké klinické štúdie v danom ochorení na Slovensku prebiehajú. Službu aj pre slovenských pacientov robia už skúsení českí študenti z českého AIFP, ktorí vyhľadávajú informácie z verejne dostupných zdrojov a medzinárodných databáz. Dôležité však je, aby pacient vedel, ako s týmito informáciami naložiť. Pre tento účel je súčasťou odpovede pacientovi komunikácia pre jeho ošetrojúceho lekára. Ideálne v spolupráci s ošetrojúcim lekárom sa potom môže pacient dostať k ďalším informáciám už z konkrétneho pracoviska, kde sa klinické skúšania vykonávajú. Klinické skúšania však v žiadnom prípade nenahrádzajú bežnú zdravotnú starostlivosť ani konzultačné služby.

#### AKÉ PREDPOKLADY MUSÍ SPĽŇAŤ PACIENT, ABY HO DO KLINICKÝCH SKÚŠANÍ ZARADILI? A AKÝ JE POTOM ĎALŠÍ POSTUP?

Informácie, ktoré pacient dostane z online poradne sú vlastne len úvodnými informáciami. Na ich základe zväži jednak ošetrojúci lekár a rovnako aj lekár z výskumného tímu, či je konkrétny pacient vhodný. Samozrejme, nie všetky klinické skúšania sú vhodné pre všetkých pacientov. A tiež nie všade, na všetkých pracoviskách, beží napríklad aktuálne náborová fáza. Dôležité však je, aby sa pacienti viac dostávali k informáciám o ďalších možnostiach. Naším cieľom, a to spoločne s organizáciou AOPP je, aby boli pacienti viac aktívni a zainteresovaní a aby sa, v tomto konkrétnom prípade, ľahšie dostali k informáciám.

**IVANA BARANOVIČOVÁ**



„Možnosť zúčastniť sa na klinických skúškaniach pre samotného pacienta znamená určite lepšiu a dôkladnejšiu zdravotnú starostlivosť. Už len z toho dôvodu, že chodí k lekárovi častejšie, viac ho vyšetrujú a je viac pod drobnohľadom. Má možnosť dostať sa k inovatívnym diagnostickým aj liečebným postupom. V prípadoch, kedy súčasná liečba už nepostačuje, môže byť inovatívna liečba istou nádejou alebo ďalšou možnosťou.“



# Klinické skúšania v praxi

Online poradňa slúži pacientovi na získanie informácií o aktuálnych a relevantných klinických skúškaniach pre daného pacienta. Tieto informácie poradňa podáva pacientovi a ošetrojúcemu lekárovi v zrozumiteľnej forme, a tým zjednodušuje proces prepojenia pacientov a ich ošetrojúcich lekárov s výskumnými centrami.

1.



Pacient si klikne na [www.aifp.sk](http://www.aifp.sk) – sekcia online poradňa.

2.



Vyplní online formulár so žiadosťou na vyhľadanie všetkých aktuálne dostupných klinických skúšaní na Slovensku, relevantných pre svoju diagnózu.

3.



Po odoslaní formuláru dostane pacient informáciu o prijatí jeho požiadavky.

4.



Anonymizovanú požiadavku obdrží skupina vyškolených študentov medicíny, ktorá už niekoľko rokov riadi poradňu v ČR.



Indikáčná skupina  
Vyberte  
Vyberte indikáčnú skupinu, pre ktorú by mala byť klinická štúdia určená.

Diagnóza \*  
Zadajte kód, alebo názov diagnózy  
Do kolónky vyplňte kód diagnózy\*. Pokiaľ kód diagnózy neoznámate, vyplňte diagnózu slovnou.  
Např. Klasifikácia MKNO

Vek \*  
Vyberte vek

Pohlavie \*  
Vyberte pohlavie

Email \*  
Zadajte emailovú adresu

Zakliknutím tejto políčka potvrdzujem, že som si prečítal/a Podmienky spracovania osobných údajov, poroumem/a som si, a poskytujem týmto svoj vzhľad, slobodne dany, konkrétny, informovaný, jednoznačný a výslovný súhlas so spracovaním svojich osobných údajov zobrazených vo vyššie uvedenom formulári, to na účel a v rozsahu uvedenom v týchto Podmienkach spracovania osobných údajov. Súčasne potvrdzujem, že pri získavaní osobných údajov mi boli svo dotknutej osobe poskytnuté všetky informácie v súlade so zákonom o ochrane osobných údajov.

\* Souhlasím s vyššie uvedeným

\* údaje sú povinné

ODOSLAŤ FORMULÁR



Automatická odpoveď z poradne klinická hodnocení

Dobrý den,  
Děkujeme Vám za vaši žádost. Vaše údaje byly automaticky zpracovány do formuláře.

Informace o vaší žádosti:  
Jméno: [Name]  
Příjmení: [Surname]  
Věk: [Age]  
Pohlaví: [Gender]  
E-mail: [Email]

Váš požadavek byl automaticky zpracován a bude poslán na e-mailovou adresu [Email]. Pokud budete potřebovat další informace, kontaktujte nás na e-mailové adrese [Email].  
Děkujeme vám za pozornost a těšíme se na další spolupráci.



Študenti vyhľadajú prebiehajúce klinické skúšania na danú diagnózu **z nezávislých, verejne dostupných zdrojov**. Svoj postup konzultujú s odborníkmi – lekármi z AIFP. Na zaslanie odpovede majú 5 dní.



Pacient dostane email s informáciami o prebiehajúcich klinických skúšaniach relevantných pre jeho diagnózu.



V e-maile sú dve prílohy. Jedna príloha je pre pacienta, druhú prílohu pacient odovzdá svojmu ošetrojúcemu lekárovi.



Ošetrojúci lekár pomôže pacientovi kontaktovať centrum, v ktorom klinické skúšanie aktuálne prebieha. Toto centrum následne v spolupráci s pacientovým ošetrojúcim lekárom zhodnotí, či klinické skúšanie je pre daného pacienta vhodné a či pacient spĺňa kritéria protokolu.