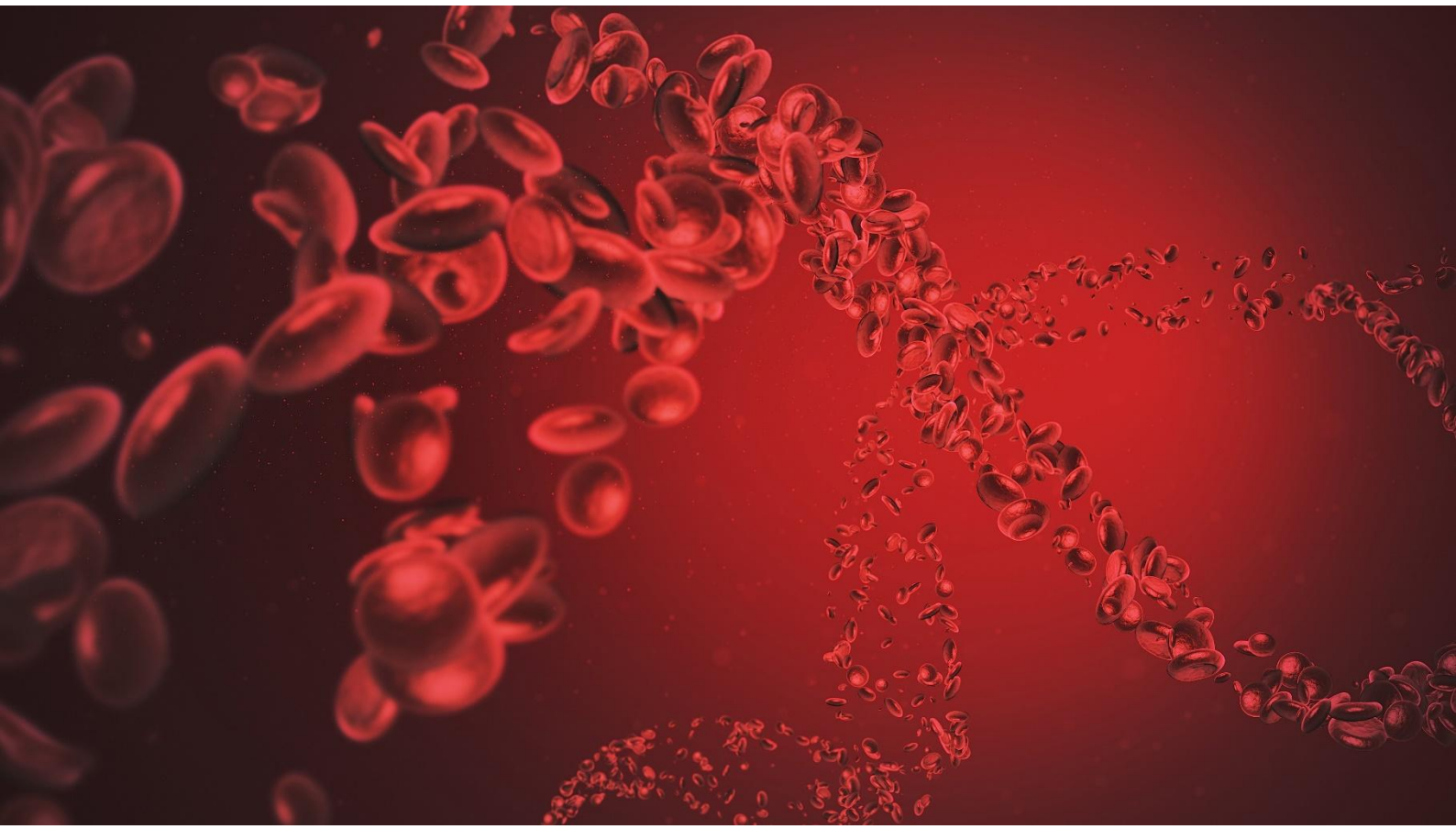
AGENCJA BADAŃ MEDYCZNYCH

# EWALUACJA FORMATYWNA PROJEKTÓW W KONKURSACH 2022/ABM/01 ORAZ 2022/ABM/03

Raport on-going



Warszawa, grudzień 2025

# Spis treści

1. GŁÓWNE WNIOSKI I REKOMENDACJE ..... 3
2. METODYKA EWALUACJI ..... 4
2.1. Konkurs 2022/ABM/01 ..... 4
2.2. Konkurs 2022/ABM/03 ..... 5
2.3. Ewaluowane projekty ..... 5
2.4. Metoda ewaluacji ..... 41
2.5. Ogólny opis projektów ..... 42
3. EWALUACJA ..... 48
3.1. Planowany czas trwania oraz terminy realizacji projektów ..... 48
3.2. Całkowity planowany czas leczenia/interwencji ..... 52
3.3. Planowana rekrutacja ..... 54
3.4. Zgody regulatorowe ..... 57
3.5. Współpraca z ośrodkami badawczymi ..... 59
3.6. Współpraca z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora ..... 67
3.7. Współpraca z jednostkami zarządzającymi badaniem ..... 68
3.8. Zmiany w projektach ..... 72
3.9. Rekrutacja uczestników i przebieg badania ..... 76
3.10. Biobankowanie ..... 91
3.11. Finasowanie projektów ..... 94
3.12. Gospodarowanie finansami projektów ..... 121
3.13. Upowszechnianie i wykorzystanie wyników badań ..... 125
3.14. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów w terminie ..... 127
3.15. Współpraca z ABM ..... 131
4. PODSUMOWANIE ..... 133
4.1. Stwierdzone problemy ..... 134
4.2. Środki zaradcze ..... 141
4.3. Wprowadzone rozwiązania ..... 144
5. SPIS WYKRESÓW ..... 146
6. ZAŁĄCZNIKI ..... 150
6.1. Załącznik 1. Lista zagadnień do wywiadów jakościowych ..... 150
6.2. Załącznik 2. Ankieta ilościowa ..... 151

# 1. Główne wnioski i rekomendacje

Ewaluacji poddano 35 projektów będących w trakcie realizacji (24 niekomercyjne badania kliniczne – NBK oraz 11 eksperymentów badawczych – EB), które otrzymały dofinansowanie w ramach konkursów ogłoszonych przez Agencję Badań Medycznych:

- na niekomercyjne badania kliniczne – 2022/ABM/01,
- na niekomercyjne badania kliniczne lub eksperymenty badawcze typu head-to-head – 2022/ABM/03.

Proces ewaluacji obejmował: analizę danych z Wniosków o Dofinansowanie i raportów okresowych, wywiady jakościowe z głównymi badaczami oraz ankietę ilościową CAWI skierowaną do wszystkich beneficjentów. Finansowane projekty obejmują zarówno badania oceniające skuteczność i bezpieczeństwo terapii lekowych, jak i projekty dotyczące nowych procedur diagnostycznych, żywieniowych, organizacyjnych i interwencyjnych. Zdecydowana większość projektów ma wysoki potencjał naukowy i wdrożeniowy – 91% badaczy wskazuje na poszerzenie wiedzy medycznej, 68,5% na możliwość aktualizacji standardów postępowania, a 66% na wdrożenie nowej opcji terapeutycznej.

Na podstawie przeprowadzonych analiz zidentyfikowano kluczowe problemy w realizacji projektów:

- niewystarczający poziom zakontraktowania i aktywności ośrodków rekrutujących,
- długotrwałe podpisywanie umów z ośrodkami oraz przewlekłe i często zawyżone wyceny procedur medycznych, w tym trudności wynikające z PZP,
- trudności kadrowe związane z niekonkurencyjnymi stawkami wynagrodzeń względem rynku komercyjnego oraz ograniczoną dostępnością wykwalifikowanej kadry,
- problemy organizacyjne i prawne w eksperymentach badawczych (złożoność umów trójstronnych, niejednoznaczność przepisów dotyczących eksperymentów medycznych),
- ryzyko opóźnień w realizacji części projektów wynikające z kumulacji barier organizacyjnych, finansowych i kadrowych.

Zidentyfikowane bariery wymagają dalszego usprawnienia otoczenia realizacyjnego, w tym również być może zmiany schematu monitorowania projektów na odrębny dla niekomercyjnych badań klinicznych i eksperymentów badawczych. ABM, monitorując realizację projektów, wdrożyła szereg działań naprawczych, m.in.: aktualizację wzorów umów i dokumentacji, uruchomienie systemu eCRF ABM, zwiększenie limitów kosztów i elastyczności finansowej, wprowadzenie premii za terminową rekrutację, rozwój szkoleń (ICH GCP), opracowanie narzędzia Poland Feasibility oraz podręczników dobrych praktyk.

W świetle wyników ewaluacji rekomenduje się:

- standaryzację procesów kontraktowania z ośrodkami oraz wypracowanie rekomendowanych zasad wyceny procedur,
- doprecyzowanie regulacji i wytycznych dotyczących eksperymentów badawczych,
- utrzymanie systematycznych ewaluacji on-going oraz konsekwentne podejmowanie decyzji wobec projektów o niskim stopniu realizacji lub wysokim ryzyku niepowodzenia.

Ewaluacja potwierdza zasadność kontynuowania wsparcia dla niekomercyjnych badań klinicznych i eksperymentów badawczych finansowanych przez ABM, przy jednoczesnym dalszym wzmacnianiu mechanizmów organizacyjnych i finansowych zwiększających efektywność ich realizacji.

# 2. Metodyka ewaluacji

Do ewaluacji wytypowano projekty, które otrzymały dofinansowanie w ramach dwóch konkursów ogłoszonych przez Agencję Badań Medycznych: *Konkurs na niekomercyjne badania kliniczne* (2022/ABM/01) oraz *Konkurs na niekomercyjne badania kliniczne lub eksperymenty badawcze – badania typu head to head* (2022/ABM/03). Określenia: niekomercyjne badania kliniczne (NBK), badania typu head-to-head oraz eksperymenty badawcze (EB) odnoszą się do różnych elementów opisu projektu badawczego. Niekomercyjne badanie kliniczne jest formalnie badaniem klinicznym prowadzonym w reżimie właściwych przepisów i standardów, przy czym jego wyróżnikiem jest brak nastawienia Sponsora na osiągnięcie zysku z wyników badania (np. projekt inicjowany przez ośrodek akademicki lub szpital, realizowany w interesie zdrowia publicznego i rozwoju wiedzy). Z kolei badanie head-to-head nie stanowi odrębnej kategorii prawnej, lecz opisuje sposób zaprojektowania porównania. Głównym celem badań head-to-head jest bezpośrednie porównanie efektywności leczenia pomiędzy grupami pacjentów stosującymi badaną interwencję, a pacjentami stosującymi różne opcje terapeutyczne, stanowiące zwykle standard terapii w danym wskazaniu. Natomiast eksperyment badawczy jest pojęciem szerszym. Jego celem nie jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa produktów leczniczych/wyrobów medycznych lecz rozszerzenie wiedzy medycznej przy zapewnieniu szczególnej troski o bezpieczeństwo i najwyższych korzyści klinicznych dla biorących w nim udział uczestników. Eksperyment badawczy może dotyczyć nie tylko leków, ale też metod diagnostycznych, procedur, organizacji opieki czy innych interwencji. Rozróżnienie tych pojęć jest istotne na etapie planowania projektu, doboru ścieżki formalnej (w tym oceny etycznej), a także przy opisie metodologii i uzasadnianiu przyjętych rozwiązań w dokumentacji badania.

## 2.1. Konkurs 2022/ABM/01

Pierwszym konkursem ogłoszonym przez Agencję Badań Medycznych w 2022 roku był *Konkurs na niekomercyjne badania kliniczne* (2022/ABM/01). Nabór wniosków prowadzony był w dwóch rundach:

- runda I: ocenie podlegały wnioski złożone w terminie: 2022-01-17 – 2022-03-17,
- runda II: ocenie podlegały wnioski złożone w terminie: 2022-03-17 – 2022-05-17.

Głównym celem konkursu było opracowanie nowych procedur diagnostycznych i terapeutycznych w różnych obszarach medycyny z premiowaniem chorób onkologicznych, chorób wieku dziecięcego (z włączeniem okresu niemowlęcego, noworodkowego oraz prenatalnego), chorób wieku podeszłego, chorób zakaźnych i ich powikłań, np. w postaci zespołu postcovidowego, oraz chorób o podłożu immunologicznym. Projekty składane w ramach konkursu musiały posiadać status niekomercyjnych badań klinicznych, dotyczących oceny skutków działania produktu leczniczego. Regulamin dopuszczał również możliwość finansowania niekomercyjnych badań klinicznych, których przedmiotem było wypracowanie nowych schematów diagnostycznych, jeżeli schematy te będą wypracowane w ramach badania klinicznego produktu leczniczego.

Maksymalny, dopuszczalny poziom dofinansowania projektu wynosił 100% kosztów badania. Projekty mogły się rozpoczynać nie wcześniej niż 1 czerwca 2022 roku, ale nie później niż 1 sierpnia 2022 roku, a maksymalny czas trwania projektu mógł wynosić 6 lat (72 miesiące). ABM rekomendowała, aby rejestracja badania klinicznego będącego przedmiotem dofinansowania nastąpiła najpóźniej 6 miesięcy od rozpoczęcia projektu. Pula środków przeznaczona na finansowanie badań wynosiła 200 mln zł.

W ramach konkursu podpisano 14 umów na realizację projektów badawczych, w tym 8 w I rundzie i 6 w II rundzie.

## 2.2. Konkurs 2022/ABM/03

W 2022 roku Agencja ogłosiła również *Konkurs na niekomercyjne badania kliniczne lub eksperymenty badawcze – badania typu head to head* (2022/ABM/03), w którym dofinansowaniem objęto 27 projektów w tym 11 eksperymentów badawczych. Głównym celem konkursu było dostarczenie danych naukowych na temat najskuteczniejszych leków i procedur medycznych dostępnych dla pacjentów, a także opracowanie nowych standardów leczenia, diagnostyki, rehabilitacji lub profilaktyki w ramach prowadzonych niekomercyjnych badań klinicznych lub eksperymentów badawczych. Projekty składane w ramach konkursu musiały posiadać status niekomercyjnych badań klinicznych produktu leczniczego lub eksperymentów badawczych.

Maksymalny, dopuszczalny poziom dofinansowania projektu wynosił 100% kosztów badania. Projekty mogły się rozpoczynać nie wcześniej niż 1 lutego 2023 roku, ale nie później niż 1 lipca 2023 roku, a maksymalny czas trwania projektu mógł wynosić 6 lat (72 miesiące). ABM rekomendowała, aby złożenie wniosku o wydanie pozwolenia na prowadzenie badania klinicznego będącego przedmiotem dofinansowania nastąpiło najpóźniej 6 miesięcy od rozpoczęcia projektu. Pula środków przeznaczona na finansowanie badań wynosiła 100 mln zł. Wartość dofinansowania pojedynczego wniosku dotyczącego eksperymentu badawczego nie mogła przekroczyć 5 mln zł. Projekty badań klinicznych nie zostały objęte limitami dofinansowania.

## 2.3. Ewaluowane projekty

Do czasu przeprowadzenia ewaluacji 4 projekty zostały zakończone na wniosek Sponsora:

- 2022/ABM/01/00017 – przyczyna zamknięcia projektu: niska rekrutacja i wystąpienie ryzyka naukowego,
- 2022/ABM/01/00032 – przyczyna zamknięcia projektu: ryzyko naukowe,
- 2022/ABM/03/00018 – przyczyna zamknięcia projektu: ryzyko naukowe,
- 2022/ABM/03/00023 – przyczyna zamknięcia projektu: ryzyko naukowe.

Dwa projekty zostały zamknięte na wniosek Agencji:

- 2022/ABM/01/00010 – ze względu na ryzyko naukowe
- 2022/ABM/03/00009 – ze względu na odmowę wydania przez URPL zgody na realizację badania.

Ostatecznie analizie zostało poddanych 35 projektów będących w trakcie realizacji w czasie przeprowadzania ewaluacji, w tym 11 eksperymentów badawczych. Poniżej przedstawione zostały podstawowe informacje o ewaluowanych projektach.

### 2.3.1. Projekt nr 2022/ABM/01/00003

Obszar badawczy: reumatologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Narodowy Instytut Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji im. prof. dr hab. med. Eleonory Reicher. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 12 192 647,68 zł (100% wartości projektu).

*Wieloośrodkowe, randomizowane, podwójnie zaślepione badanie kliniczne oceniające skuteczność i bezpieczeństwo etanerceptu w porównaniu z placebo w leczeniu pacjentów z zespołem SAPHO.*

Założona liczba pacjentów: 60

Zespół SAPHO (ang. *Synovitis*, *Acne*, *Pustulosis*, *Hyperostosis*, *Osteitis*) to rzadka zapalna choroba autoimmunologiczna charakteryzująca się współwystępowaniem zapalenia stawów i niebakteryjnego zapalenia kości ze zmianami skórnymi takimi jak łuszczyca krostkowa i trądzik. Choć etiologia pozostaje nieznana, postuluje się współudział czynników infekcyjnych oraz genetycznych. Obecnie nie istnieje żaden lek zarejestrowany w leczeniu zespołu SAPHO, co jednak ważniejsze, brakuje również standardów opieki nad pacjentami. Z uwagi na rzadkie występowanie choroby nie istnieją wytyczne ani rekomendacje dotyczące leczenia. Próbuje się stosować leki stosowane u pacjentów z innymi seronegatywnymi spondyloartropatiami – niesteroidowe leki przeciwzapalne (*NLPZ*), leki modyfikujące przebieg choroby (m.in. sulfasalazynę, metotreksat) czy sterydoterapię (miejscową lub ogólnoustrojową). Niestety w większości przypadków takie leczenie nie odnosi skutku – całkowitą remisję osiąga jedynie około 1/3 pacjentów. Istnieją jednak doniesienia literaturowe na temat skuteczności leków biologicznych w leczeniu zespołu SAPHO zwłaszcza inhibitorów TNF. Celem badania jest ocena skuteczność i bezpieczeństwa inhibitorów TNF (etanerceptu) w porównaniu z placebo u pacjentów z zespołem SAPHO. Do badania rekrutowani są dorośli pacjenci z nieskutecznością standardowego leczenia – stosujący leczenie NLZP i/lub lekami modyfikującymi przebieg choroby w stabilnych dawkach. Proponowana interwencja to farmakoterapia (etanercept do wstrzykiwań raz na tydzień), dołączona do dotychczasowego leczenia NZLP od co najmniej 4 tygodnia i/lub klasycznymi lekami modyfikującymi przebieg choroby od co najmniej 12 tygodnia.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 4

**Planowane efekty:** Do tej pory nie zostało przeprowadzone na świecie żadne badanie kliniczne oceniające skuteczność i bezpieczeństwo inhibitorów TNF (ani innych leków biologicznych) w leczeniu pacjentów z zespołem SAPHO. Przeprowadzane badanie być może pozwoli ustanowić złoty standard postępowania terapeutycznego, którego obecnie brak, nie tylko w Polsce, ale i na świecie.

## 2.3.2. Projekt nr 2022/ABM/01/00004

Obszar badawczy: reumatologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Narodowy Instytut Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji im. prof. dr hab. med. Eleonory Reicher. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 18 637 156,76 zł (100% wartości projektu).

*Wieloośrodkowe badanie kliniczne oceniające bezpieczeństwo i skuteczność leczenia skojarzonego nintedanibu z tocilizumabem w porównaniu ze standardowym leczeniem u chorych z twardziną układową i śródmiąższową chorobą płuc. Analiza z podejściem teranostycznym i oceną aktywności cytokin, markerów zapalenia i włóknienia płuc z wykorzystaniem tomografii komputerowej, pozytonowej tomografii emisyjnej, oraz badania metabolomu i transkryptomu u wybranych chorych. Badanie NINTOC- TU*

Założona liczba pacjentów: 86

Twardzina układowa (ang. *Systemic Sclerosis*, *SSc*), jest rzadką, autoimmunologiczną chorobą tkanki łącznej z najwyższym ryzykiem śmiertelności spośród wszystkich chorób reumatycznych. Szacuje się, że zachorowalność na SSc na świecie wynosi 4-12 osób na milion rocznie. Cechą charakterystyczną tej choroby jest aktywacja procesów zapalnych i włóknienia, co powoduje postępujące stwardnienie skóry oraz aktywny proces zapalny w tkance śródmiąższowej płuc z rozwijającym się włóknieniem. Wczesne postawienie rozpoznania i identyfikacja pacjentów zagrożonych ciężkim przebiegiem choroby, którzy odnieśliby korzyść z interwencji terapeutycznej to wyzwanie w leczeniu twardziny układowej. Jednak pomimo postępów nadal nie ma powszechnie akceptowanego, w pełni skutecznego leczenia modyfikującego przebieg choroby. Celem badania jest ocena bezpieczeństwa i skuteczności terapii skojarzonej lekiem biologicznym inhibitorem cytokiny prozapalnej IL-6 – tocilizumabem (*TOC*) z nintedanibem (*NIN*) inhibitorem kinazy tyrozynowej działającym na szlakach sygnalizacyjnych prowadzących do włóknienia płuc. Skuteczność i bezpieczeństwo takiego podejścia terapeutycznego będzie porównywane z leczeniem standardowym (metotreksat lub mykofenolan mofetylu). Interwencja terapeutyczna została skojarzona z szeroką diagnostyką laboratoryjną, obrazową i metodami omicznymi. Do badania randomizowani są dorośli pacjenci z rozpoznaną SSc, o czasie trwania choroby ≤ 72 miesiące oraz z chorobą śródmiąższową płuc, która będzie potwierdzona badaniami tomografii komputerowej. Dodatkowo rekrutowani pacjenci będą charakteryzowali się minimum 10% zajęciem płuc. Pacjenci będą randomizowani (1:1) do dwóch ramion:

- ramię I (grupa badana) nintedanib z tocilizumabem,
- ramię II (grupa odniesienia) leczenie standardowe (metotreksat lub mykofenolan mofetylu).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 2

**Planowane efekty:** Wyłonienie grupy wysokiego ryzyka szybkiego rozwoju SSc i powikłań narządowych da możliwość rozpoczęcia nakierowanej, czy bardziej agresywnej terapii. Pozwoli to na wydłużenie życia chorych, poprawę jakości życia i w efekcie zmniejszy realne nakłady finansowe przeznaczane na tę grupę chorych.

### 2.3.3. Projekt nr 2022/ABM/01/00006

Obszar badawczy: onkologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Instytut Matki i Dziecka. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 14 447 952,90 zł (100% wartości projektu).

*Ocena skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania naksytamabu u pacjentów z opornym na leczenie mięsakiem Ewinga (BUTTERFLY)*

Założona liczba pacjentów: 24

Mięsak Ewinga (ang. *Ewing's Sarcoma*, *ES*) to wysoce agresywny nowotwór, którego częstość występowania wzrasta wraz z wiekiem (mediana wieku 15-19 lat). Niestety niepowodzenie leczenia dotyczy około 20-30% pacjentów. Pomimo intensyfikacji chemioterapii i radioterapii, agresywnych zabiegów chirurgicznych u pacjentów z rozsiewem i negatywnymi czynnikami rokowniczymi, od ponad 30 lat nie uzyskano poprawy wyników leczenia. Celem strategicznym badania BUTTERFLY jest sprawdzenie bezpieczeństwa i wstępnej skuteczności zaawansowanej terapii (chemioimmunoterapii personalizowanej) z udostępnieniem nowego przeciwciała dla wszystkich polskich dzieci i młodych dorosłych z opornym na leczenie mięsakiem Ewinga, na którego komórkach zostanie stwierdzona ekspresja gangliozydu GD2. Innowacyjny charakter badania BUTTERFLY (pierwsza immunoterapia w guzach kości i pierwsza terapia anty-GD2 w mięsaku Ewinga w Polsce) ma również na celu harmonizację i standaryzację na poziomie diagnostyczno-terapeutycznym u pacjentów z chorobą oporną i nawrotową (badanie, leczenie personalizowane) oraz pozwoli na stworzenie biobanku materiału biologicznego w tym rzadkim rozpoznaniu. Do badania włączani są pacjenci w wieku od 2 do 21 roku życia, z opornym na leczenie mięsakiem Ewinga, czyli z progresją na leczeniu pierwszej linii lub wznową. Pacjenci z ekspresją GD2 w tkance guza zostają przydzieleni losowo w proporcjach (2:1) do grupy eksperymentalnej (D) i kontrolnej (S). W kohorcie S prowadzone jest standardowe leczenie onkologiczne w postaci chemioterapii IT (ang. *Intrathecal*, *IT*). Pacjenci z kohorty D otrzymują schemat eksperymentalny w 3-tygodniowych cyklach – poza standardową chemioterapią IT otrzymują również substancję badaną (naksytamab) w dawkach dostosowanych do powierzchni ciała. Leczenie naksytamabem będzie kontynuowane nie dłużej niż 6 cykli.

**Planowane efekty:** Immunoterapia nowotworów to trend, który odgrywa coraz istotniejszą rolę we współczesnej onkologii. Planowany projekt pozwoli na wprowadzenie pierwszy raz w Polsce immunoterapii do leczenia mięsaka Ewinga, a tym samym umożliwi dostęp do innowacyjnych metod terapeutycznych.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 2

## 2.3.4. Projekt nr 2022/ABM/01/00007

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Gdański Uniwersytet Medyczny wraz z partnerami. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 11 272 763,50 zł (100% wartości projektu).

*A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Multicenter Study of Levosimendan Therapy in low ejection fraction Takotsubo Syndrome (LevoTako Trial)*

Założona liczba pacjentów: 190

Zespół Takotsubo (ang. *Takotsubo Syndrome*, *TTS*), znany również jako zespół balonowania wierzchołka, kardiomiopatia Takotsubo, zespół złamanego serca oraz kardiomiopatia wywołana stresem, jest ultrarzadkim schorzeniem i występuje w około 1-3% wszystkich przypadków oraz w 5–6% u kobiet zgłaszających się z podejrzeniem ostrego zawału mięśnia sercowego. TTS charakteryzuje się przemijającą regionalną dysfunkcją skurczową lewej komory serca i ma cechy wspólne z ostrym zespołem wieńcowym oraz ostrą niewydolnością serca. Wstępne dane z kilku badań obserwacyjnych wykazały, że włączenie terapii levozymendanem u chorych z TTS wiązało się ze skróceniem czasu pobytu w szpitalu i szybszym powrotem do zdrowia u pacjentów, którzy, ze względu na niewydolność hemodynamiczną, wymagali zastosowania leków inotropowo dodatnich. Celem projektu jest wykazanie skuteczności levosimendanu w leczeniu chorych z zespołem Takotsubo poprzez szybszą poprawę funkcji skurczowej lewej komory serca co w konsekwencji powinno spowodować zmniejszenie częstości występowania zdarzeń niepożądanych takich jak zgon lub hospitalizacja z powodu niewydolności serca lub udar OUN w obserwacji odległej. Do badania włączani są pacjenci płci męskiej i żeńskiej w wieku ≥ 60 lat z rozpoznaniem TTS i obniżoną frakcją wyrzutową lewej komory serca ≤ 40% stwierdzoną w momencie przyjęcia do szpitala, ocenianą w przezklatkowym badaniu echokardiograficznym. Rozpoznanie TTS stawiane jest na podstawie międzynarodowych kryteriów diagnostycznych (*InterTAK Diagnostic Criteria*). Zakwalifikowani pacjenci są losowo przydzielani 1:1 do grupy z lewozymendanem lub placebo. Obie grupy badane są również objęte standardową terapią niewydolności serca, zgodną z wytycznymi Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego.

**Planowane efekty:** Ustanowienie nowej strategii leczenia w TTS poprawi jakość życia, produktywność i ogólny stan zdrowia pacjentów po przebytym TTS. W przypadku pozytywnego wyniku badania, lewozymendan może zrewolucjonizować leczenie tej klinicznie trudnej populacji.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 15

## 2.3.5. Projekt nr 2022/ABM/01/00011



Obszar badawczy: chirurgia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Jagielloński. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 8 815 189,29 zł (100% wartości projektu).

*Wieloośrodkowe, kontrolowane, randomizowane badanie kliniczne porównujące skuteczność auto- i allogenicznych mezenchymalnych komórek stromalnych w gojeniu przetok odbytu powstałych w przebiegu choroby Leśniowskiego i Crohna*

Założona liczba pacjentów: 48

Choroba Leśniowskiego Crohna (ang. *Crohn's disease, CD*) jest nieswoistą chorobą zapalną obejmującą cały przewód pokarmowy. Dominującą lokalizacją procesu zapalnego jest odcinek krętniczo-kątniczy jelita, jednakże w ostatnich latach obserwowany jest wzrost częstości występowania lokalizacji w jelicie grubym lub odbytnicy. Przetoki odbytnicze są nieprawidłowym połączeniem pomiędzy odbytnicą lub odbytem, a sąsiednimi strukturami w obrębie krocza. Do 80% przetok powstaje w wyniku zapalenia gruczołów odkryptowych, zaś pozostałe 20% powstaje w przebiegu choroby CD, urazów mechanicznych i jatrogennie. Powstanie ropnia i przetoki jest konsekwencją procesu zapalnego, który w przypadku CD wynika wprost z podłoża immunologicznego tej choroby. Szczególnie trudnymi w leczeniu są perinealne formy CD (ang. *Fistulizing Crohn Disease*). Pomimo coraz lepszych wyników leczenia biologiczno-chirurgicznego nawroty występują u 30-50% chorych. Celem projektu jest porównanie skuteczności leczenia przetok powstałych w przebiegu CD z wykorzystaniem produktów auto- i allogenicznych, a przez to uzyskanie odpowiedzi, który mechanizm działania komórek macierzystych mezenchymalnych (ang. *Mesenchymal Stem Cells, MSC*), bezpośredni (produkt autologiczny) czy pośredni (produkt allogeniczny), jest kluczowy w gojeniu przetok. Zaplanowane badanie kliniczne bezpośrednio porównujee skuteczność autologicznych z allogenicznymi MSC względem grupy kontrolnej (placebo) w gojeniu przetok w przebiegu CD. Badanie III fazy jest badaniem 3 ramiennym, każde po 80 pacjentów, z czego 1/3 stanowi grupę kontrolną (placebo), 1/3 grupę otrzymującą autoMSC, zaś 1/3 grupę otrzymującą alloMSC.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 2

**Planowane efekty:** Realizacja projektu pozwoli odpowiedzieć na fundamentalne pytanie dotyczące zasadności stosowania terapii komórkowej we wspomaganiu leczenia przetok u pacjentów z chorobą Leśniowskiego Crohna. Ponadto, dzięki analizie mikrobiomu jelitowego i przetokowego poznana zostanie zależność pomiędzy różnorodnością wymienionych mikrobiomów, a zagojeniem przetoki. Daje to szanse na określenie nowych czynników wpływających na gojenie przetok odbytu oraz (dzięki ocenie klinicznej uczestników badania) przebieg choroby.

## 2.3.6. Projekt nr 2022/ABM/01/00013

Obszar badawczy: onkologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie - Państwowy Instytut Badawczy. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 7 214 791,28 zł (100% wartości projektu).

*Jednoramienne badanie II fazy oceniające skuteczność i bezpieczeństwo pembrolizumabu w połączeniu z agonistą LAG-3 eftilagimodem i radioterapią w leczeniu przedoperacyjnym chorych na mięsaki tkanek miękkich (EFTISARC-NEO)*

Założona liczba pacjentów: 40

Mięsaki tkanek miękkich (ang. *Soft Tissue Sarcomas, STS*) stanowią około 1% wszystkich nowotworów złośliwych u osób dorosłych (4–5 zachorowań na 100 000; około 1 000 przypadków rocznie w Polsce). Podstawową metodą leczenia STS jest leczenie chirurgiczne. Trwałe wyleczenie można osiągnąć tylko poprzez radykalne leczenie chirurgiczne ogniska pierwotnego, a w przypadku przerzutów — jedynie metodą ich radykalnego chirurgicznego usunięcia. Poszukiwane są jednak alternatywne schematy i opcje terapeutyczne, w tym zastosowanie immunoterapii, w celu poprawy wyników leczenia. Celem projektu jest ocena nowej kombinacji leczenia neoadjuwantowego: agonisty LAG-3 eftilagimodu alfa i przeciwciała anty-PD-1 pembrolizumabu w połączeniu z konwencjonalną radioterapią u chorych na wybrane podtypy mięsaków tkanek miękkich. Badanie prowadzone jest u dorosłych chorych, u których stwierdzono jeden z wybranych podtypów mięsaków tkanek miękkich zlokalizowanych w obrębie kończyn lub tułowia. Interwencji poddani zostaną pacjenci z guzami pierwotnymi lub wznową miejscową po wcześniejszym leczeniu chirurgicznym.

Proponowana interwencja składa się z 3 elementów: przedoperacyjnej (neoadiuwantowej) immunoterapii pembrolizumabem i agonistą LAG-3 eftilagimodem alfa, przedoperacyjnej radioterapii oraz resekcji guza. Eftilagimod alfa podawany będzie podskórnie co 14 dni – łącznie 5 podań. Pembrolizumab podawany będzie w formie wlewu dożylnego co 21 dni – łącznie 3 podania. Radioterapia na obszar guza nowotworowego podana będzie w 25 frakcjach – 5 frakcji w tygodniu. Resekcja guza z zachowaniem odpowiednich marginesów chirurgicznych przeprowadzona będzie po zakończeniu leczenia pembrolizumabem i eftilagimodem alfa, po 35-42 dniach od zakończenia radioterapii.

**Planowane efekty:** Poprawa funkcjonowania pacjentów i ich jakości życia może zmniejszyć potrzeby korzystania z systemu ochrony zdrowia oraz zmniejszyć koszty leczenia wspomagającego (leczenie przeciwbólowe, leczenie powikłań terapii systemowej, koszty zaopatrzenia ortopedycznego).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 1

## 2.3.7. Projekt nr 2022/ABM/01/00015

Obszar badawczy: urologia i nefrologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 12 152 836,00 zł (100% wartości projektu).

*Ocena skuteczności i bezpieczeństwa stosowania Budesonidu o przedłużonym okresie uwalniania u dzieci z pierwotną nefropatią IgA -wieloośrodkowe, interwencyjne badanie III fazy, randomizowane, kontrolowane placebo, z podwójnie ślepą próbą.*

Założona liczba pacjentów: 120

Nefropatia IgA (ang. *IgA Nephropathy*, *IgAN*) to najczęściej występujące pierwotne kłębuszkowe zapalenie nerek na świecie, spełniające jednak kryteria choroby rzadkiej. W Europie jest rozpoznawana w 20% biopsji nerki wykonywanych w dzieciństwie. Patogeneza nefropatii opiera się na tzw. teorii wielu uderzeń (ang. *Multi Hit*). Kluczową rolę w patogenezie odgrywa niedobór galaktozy w regionie zawiasowym cząsteczki IgA1 (Hit 1), produkowanej w odpowiedzi na infekcje najczęściej górnych dróg oddechowych.

Celem badania jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa stosowania doustnego budesonidu o przedłużonym okresie uwalniania u dzieci z pierwotną nefropatią IgAN. Cele pierwszorzędowe to: udowodnienie, że Budesonid DR (ang. *Delayed Release*, *DR*) w połączeniu z inhibitorami konwertazy angiotensyny (ang. *Angiotensin-Converting Enzyme Inhibitors*, *ACEI*) jest skuteczniejszy niż terapia standardowa ACEI w obniżeniu białkomoczu, ocena, czy leczenie Budesonidem DR jest nie gorsze niż leczenie Prednizonem w obniżaniu białkomoczu w badanej populacji.

Populację docelową stanowią dzieci w wieku 8-17 lat, z rozpoznaną na podstawie biopsji nerki nefropatią IgAN, w leczeniu których do momentu włączenia do badania nie stosowano leczenia bądź stosowano jedynie leki z grupy inhibitorów konwertazy angiotensyny lub blokery receptora angiotensynowego typu I. Interwencja polega na podaniu badanego leku lub prednizonu lub placebo. Wszyscy pacjenci w czasie trwania całego badania będą otrzymywać inhibitor konwertazy angiotensyny.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 12

**Planowane efekty:** Badanie to obejmuje nowoczesny lek w zupełnie nowym wskazaniu, zarejestrowany w grudniu 2021 na terenie Stanów Zjednoczonych dla pacjentów dorosłych z nefropatią IgAN. Pozytywne wyniki badania mogą przyczynić się do zmodyfikowania dotychczasowych europejskich i polskich zaleceń dotyczących leczenia dzieci z nefropatią IgAN i wprowadzenie do nich wskazania do stosowania Budesonidu o przedłużonym uwalnianiu, zamiast steroidów systemowych.

## 2.3.8. Projekt nr 2022/ABM/01/00021

Obszar badawczy: onkologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Medyczny w Łodzi wraz z partnerami. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 32 205 666,50 zł (100% wartości projektu).

*MAGIC-AML - Multiarm, Multicenter, RAndomized, Molecularly-GuIded Controlled Trial of Personalized Treatment Strategy - of Acute Myeloid Leukemia*

Założona liczba pacjentów: 520

Ostra białaczka szpikowa (ang. *Acute Myeloid Leukemia*, *AML*) jest jednym z najbardziej agresywnych nowotworów układu krwiotwórczego i stanowi około 80% wszystkich ostrych białaczek u dorosłych. Wyniki dotychczasowego leczenia nie są satysfakcjonujące, a 5-letnie przeżycie całkowite wynosi w warunkach polskich około 23,4%. Oznacza to, że dla ponad ¾ chorych nie istnieje skuteczna terapia pozwalająca na uzyskanie pełnego wyzdrowienia. Celem projektu jest połączenie potencjalnie skuteczniejszego leczenia indukującego DAC[1] z terapiami celowanymi w genetycznie zdefiniowanych podgrupach chorych (z mutacją CBF-AML (DAC+GO)[2], z mutacją FLT3 (DAC+M)[3] oraz z pozostałymi mutacjami (DAC+Ven[4] vs placebo)), w celu zwiększenia odsetka remisji po leczeniu indukującym, a także zwiększenie całkowitego przeżycia. Dodatkowo projekt zakłada możliwość doboru leczenia poremisyjnego w zależności od cech cytogenetyczno-molekularnych choroby oraz MRD (ang. *Minimal Residua Disease*, *MRD*) z wykorzystaniem Sekwencjonowania Nowej Generacji (ang. *Next Generation Sequencing*, *NGS*). Populacją badaną są chorzy w wieku 18 – 65 lat z nowo rozpoznaną AML, którzy kwalifikują się do intensywnej chemioterapii.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 13

**Planowane efekty:** Proponowany projekt jest propozycją kompleksowego, nowoczesnego i spersonalizowanego leczenia AML w Polsce. Przeprowadzone badanie i uzyskane wyniki będą podstawą do stworzenia nowoczesnego algorytmu leczenia AML. Dane uzyskane w wyniku projektu mogą dać podstawę naukową do rutynowego stosowania screeningu molekularnego, monitorowania MRD techniką NGS oraz indywidualizacji leczenia poremisyjnego w zależności od kinetyki zmian MRD, co w konsekwencji przyniesie wymierny efekt zdrowotny w populacji chorych na AML. Dostarczą także bezpośrednich danych, na podstawie których możliwa będzie ocena koszto-efektywności i wyboru optymalnej farmakoterapii chorych na AML.

[1] DAC = schemat chemioterapii Daunorubicyna + Ara-C (cytarabina) + Kladrybina (2-chlorodeoksyadenozyna).
[2] DAC+GO = standardowy protokół DAC z gemtuzumabem ozogamycyną (GO) – przeciwciałem monoklonalnym anty-CD33 skojarzonym z kalicheamycyną.
[3] DAC+M = protokół DAC z inhibitorem kinazy FLT3 midostauryną (M).
[4] DAC+Ven = protokół DAC z inhibitorem BCL-2 wenetoklaksem (Ven).

## 2.3.9. Projekt nr 2022/ABM/01/00027

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny badacz: [redacted] Beneficjent: Uniwersytet Medyczny im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 16 720 325,99 zł (100% wartości projektu).

*Randomizowane, podwójnie zaślepione, kontrolowane placebo badanie oceniające wpływ allopurynolu na ryzyko zdarzeń sercowo-naczyniowych u pacjentów z wysokim i bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym, z uwzględnieniem obecności zespołu Long-COVID*

Założona liczba pacjentów: 1 116

Choroby układu sercowo-naczyniowego (ang. *Cardiovascular Diseases*, *CVD*) są istotnym problemem wśród licznej grupy pacjentów. W patogenezie CVD główną rolę odgrywa miażdżyca naczyń krwionośnych. Jej rozwój wynika z uszkodzenia ściany naczyń, a dokładniej ich głównych składowych: komórek śródbłonka (endothelium) oraz komórek mięśni gładkich, które są głównym budulcem naczyń. Wśród czynników ryzyka dysfunkcji śródbłonka i wtórnie rozwoju miażdżycy wymienia się tzw. czynniki niemodyfikowalne (m.in. genetyczne, wiek, płeć męska) oraz modyfikowalne (m.in. hiperlipidemia, nadciśnienie tętnicze, palenie tytoniu, cukrzyca). W Polsce prawie co druga osoba umiera z powodu chorób układu krążenia, gdzie w 2017 roku stanowiły one 41,5% wszystkich zgonów zgodnie z danymi GUS. Obserwuje się tendencję wzrostową częstości występowania czynników ryzyka sercowo-naczyniowego. W 2018 roku *Europejskie Towarzystwo Nadciśnienia Tętniczego* uznało kwas moczowy za istotny modyfikowalny czynnik ryzyka chorób sercowo-naczyniowych. Celem projektu jest potwierdzenie hipotezy, że u chorych bardzo wysokiego i wysokiego ryzyka sercowo naczyniowego stosowanie allopurynolu obniży ryzyko sercowo-naczyniowe, w całej badanej populacji i w grupie powyżej 60 roku życia. Badanie pozwoli również na ocenę występowania zespołu long-COVID w tej populacji. W badaniu planuje się interwencję polegającą na zastosowaniu terapii obniżającej stężenie kwasu moczowego z wykorzystaniem inhibitora oksydazy ksantynowej – allopurynolu względem stosowania placebo w grupie pacjentów ze stężeniem kwasu moczowego w surowicy powyżej 5 mg/dl oraz z wysokim i bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym. Badanie zakłada rekrutację pacjentów powyżej 40 roku życia, którzy losowo zostaną przydzieleni do dwóch grup: przyjmującej allopurynol lub do przyjmującej placebo.

**Planowane efekty:** Wyniki prezentowanego badania mogą wpłynąć na rozszerzenie wskazań rejestracyjnych dla allopurynolu oraz pomóc w doprecyzowaniu zalecenia dotyczącego stosowania allopurynolu w grupie pacjentów bardzo wysokiego i wysokiego ryzyka sercowo-naczyniowego.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 11

## 2.3.10. Projekt nr 2022/ABM/01/00036

Obszar badawczy: otorynolaryngologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Instytut Immunologii i Terapii Doświadczalnej PAN im. Ludwika Hirszfelda wraz z partnerem. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 15 405 394,71 zł (100% wartości projektu).

*Niekomercyjne badanie kliniczne dla potwierdzenia bezpieczeństwa i skuteczności terapii fagowej w leczeniu przewlekłego zapalenia zatok przynosowych - RHINOPHAGE*

Założona liczba pacjentów: 110

Przewlekłe zapalenie zatok przynosowych (ang. *Chronic Rhinosinusitis, CRS*) stanowi poważny problem zdrowotny i społeczny – ocenia się, że dotyczy ponad 10% populacji w Europie i USA. Koszty terapii CRS w USA wycenia się na co najmniej 8 mld USD. Sugeruje się, że bakterie w szczególności gronkowiec złocisty (*Staphylococus aureus*) mogą odgrywać istotną rolę w procesie zapalnym toczącym się w przebiegu CRS. Uważa się, że leczenie antybiotykami może przynieść poprawę poprzez korektę dysbiozy bakteryjnej i przywrócenia normalnego mikrobiomu zatokowego. Około 30% chorych wymaga zabiegu chirurgicznego, który przynosi poprawę w większości przypadków, jednak u ok 15% przypadków choroba pozostaje oporna na wszelkie stosowane metody leczenia. Jakość życia chorych jest bardzo niska, co ma destrukcyjny wpływ na ich funkcjonowanie, samopoczucie i psychikę. Dlatego coraz częściej jako nową metodę leczenia rozważa się zastosowanie terapii fagowej (TF), mogącej zwalczyć antybiotykooporną infekcję i zredukować proces zapalny. Celem projektu jest przeprowadzenie randomizowanego badania klinicznego zastosowania terapii fagowej (TF) w leczeniu przewlekłego zapalenia zatok przynosowych powikłanego infekcją gronkowcową. Do badania rekrutowani będą dorośli pacjenci (w wieku ≥18 i <70 lat) chorujący na przewlekłe zapalenie zatok przynosowych rozpoznane zgodnie z kryteriami EPOS (*European Position Paper on Rhinosinusitis and Nasal Polyps*), z aktywną monoinfekcją *Staphylococus aureus* w jamie nosowej. Proponowana interwencja koncentruje się na podawaniu jednorazową strzykawką z atomizerem do każdego z dwóch nozdrzy dwa razy dziennie po 1,0 ml badanego produktu leczniczego o nazwie RhinoPHAGE-2A, przez 14 dni.

**Planowane efekty:** Pozytywne wyniki badania mogą otworzyć drogę do szerokiego zastosowania TF w leczeniu zakażeń ponieważ, jak dotychczas nie ma wystarczających dowodów medycznych potwierdzających skuteczność stosowania tej terapii u ludzi.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 3

## 2.3.11. Projekt nr 2022/ABM/01/00039



Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: 4. Wojskowy Szpital Kliniczny z Polikliniką SPZOZ we Wrocławiu wraz z partnerami. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 9 681 497,20 zł (100% wartości projektu).

*Wieloośrodkowe, randomizowane, kontrolowane placebo badanie fazy III, prowadzone metodą podwójnie ślepej próby oceniające wpływ dapagliflozyny na prewencję kardiotoksyczności u chorych na raka piersi w trakcie chemioterapii z udziałem antracyklin – PROTECTAA (protect against antracycline) TRIAL*

Założona liczba pacjentów: 188

Choroby sercowo-naczyniowe oraz nowotworowe stanowią dwie główne przyczyny zgonów w krajach rozwiniętych. Wśród polskich kobiet rak piersi jest zarówno najczęściej rozpoznawanym nowotworem, jak i główną przyczyną zgonów z powodu choroby nowotworowej. W Polsce w 2019 roku odnotowano niemal 20 000 zachorowań na ten nowotwór, a z jego powodu zmarło niemal 7 000 pacjentek. W leczeniu raka piersi współczesna onkologia wykorzystuje metody operacyjne, radioterapię, ale także leczenie systemowe. To ostatnie często obejmuje podawanie antracyklin – otrzymuje je nawet co trzecia pacjentka z rozpoznaniem raka piersi. Wśród działań niepożądanych tej grupy chemioterapeutyków wymienia się działanie kardiotoksyczne, które zależne jest od dawki podanego leku.

Głównym celem badania jest ocena wpływu dapagliflozyny na wystąpienie uszkodzenia mięśnia serca zdefiniowanego jako wystąpienie klinicznych objawów niewydolności serca lub bezobjawowego spadku frakcji wyrzutowej lub bezobjawowego zmniejszenia globalnego odkształcenia podłużnego lub bezobjawowego wzrostu poziomu biomarkerów sercowych po 12 miesiącach od rozpoczęcia terapii antracyklinami w porównaniu z placebo. Założeniem badania jest zastosowanie leczenia kardioprotekcyjnego na etapie leczenia kardiotoksycznego w celu uniknięcia dyskretnego uszkodzenia mięśnia sercowego we wczesnym etapie. Ma to ograniczyć rozwój niewydolności serca w przyszłości. Do badania włączane są pacjentki z rozpoznaniem histologicznym raka piersi, u których zostało zaplanowane, ale jeszcze nie rozpoczęte leczenie antracyklinami.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 3

**Planowane efekty:** Pozytywne wyniki projektu, mogą umożliwić w przyszłości wdrożenie profilaktycznego leczenia dapagliflozyną w ramach kardioprotekcji w trakcie terapii przeciwnowotworowych z zastosowaniem antracyklin. Pozwoliłoby to na ograniczenie nieodwracalnych uszkodzeń mięśnia sercowego, szybszy powrót do aktywności zawodowej, poprawę jakości życia. Dodatkowo, byłoby to leczenie korzystne z punktu widzenia finansów publicznych, gdyż zmniejszyłoby zachorowalność na niewydolność serca.

## 2.3.12. Projekt nr 2022/ABM/03/00001

Obszar badawczy: reumatologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Wojskowy Instytut Medyczny - Państwowy Instytut Badawczy wraz z partnerami. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 27 048 408,78 zł (100% wartości projektu).

*Badanie randomizowane porównujące skuteczność i bezpieczeństwo etanerceptu i metotreksatu w olbrzymiokomórkowym zapaleniu tętnic (EFFECTA)*

Założona liczba pacjentów: 212

Olbrzymiokomórkowe zapalenie tętnic (ang. *Giant Cell Arteritis*, *GCA*) jest przewlekłą chorobą zapalną o podłożu immunologicznym występującą u osób po 50 roku życia. W przebiegu GCA może dochodzić do zajęcia różnych naczyń i rozwoju powikłań niedokrwiennych. Najczęstsze są powikłania oczne, od przejściowego zaniewidzenia, aż po nieodwracalną utratę wzroku. Pomimo dostępności skutecznego leczenia nadal często obserwuje się przypadki częściowej/całkowitej utraty wzroku u niemal 10% chorych. W wyniku zajęcia aorty może dochodzić do rozwoju tętniaków lub tętniaków rozwarstwiających. Zajęcie tętnic podobojczykowych może manifestować się chromaniem kończyn górnych. Celem badania jest porównanie bezpieczeństwa i skuteczności terapii etanerceptem (ETN) i metotreksatem (MTX) w indukcji remisji i zapobieganiu nawrotom GCA. Do badania rekrutowani są dorośli powyżej 50 roku życia, z aktywną chorobą GCA, bez objawów klinicznych niedokrwienia ważnych życiowo narządów. Pacjenci są losowo przydzielani do jednego z czterech schematów leczenia: dwie grupy będą przyjmować metotreksat, a dwie – etanercept w różnych schematach. Protokół badania zakłada 3 podstawowe etapy leczenia:

- etap leczenia skojarzonego: MTX/ETN + glikokortykosteroidy
- etap monoterapii I: MTX/ETN są stosowane w pełnych dawkach u wszystkich uczestników
- etap monoterapii II: MTX/ETN są stosowane w pełnych dawkach w ramionach A i C, a w dawkach zredukowanych w ramionach B i D

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 10

**Planowane efekty:** Potwierdzenie skuteczności ETN może pozwolić na wprowadzenie do terapii GCA nowego leku biologicznego, który będzie alternatywą obecnie stosowanego tocilizumabu (TCZ) co również stanowi innowację skokową. Może mieć to przełożenie na praktykę kliniczną w skali kraju – ETN, jako terapia z jednej strony tańsza, a z drugiej strony równie skuteczna co TCZ, miałaby większe szanse na szerokie zastosowanie w całej populacji GCA (np. w ramach programu terapeutycznego).

## 2.3.13. Projekt nr 2022/ABM/03/00004

Obszar badawczy: gastroenterologia i hepatologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Wojskowy Instytut Medyczny. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 35 185 233,88 zł (100% wartości projektu).

*Ocena skuteczności i bezpieczeństwa podwójnej terapii biologicznej u chorych z oporną na indukcję chorobą Leśniowskiego-Crohna [FLAMING]*

Założona liczba pacjentów: 192

Choroba Leśniowskiego-Crohna (ang. *Crohn's Disease*, *CD*) należy do nieswoistych chorób zapalnych jelit i może dotyczyć przewodu pokarmowego w każdym jego odcinku. Etiologia choroby nie została w pełni poznana, dominuje pogląd, że powstaje ona u osób predysponowanych genetycznie, a czynniki środowiskowe prowadzą do nieprawidłowej odpowiedzi immunologicznej, w wyniku czego dochodzi do przewlekłego zapalenia z charakterystycznym fazowym przebiegiem oraz powstawaniem zwężeń i/lub przetok, i/lub ropni. CD to przewlekła, postępująca choroba, która u części pacjentów nie odpowiada na standardowe leczenie biologiczne. W tej grupie chorych istnieje potrzeba opracowania nowych, skuteczniejszych strategii terapeutycznych, które pozwolą uniknąć powikłań, hospitalizacji i zabiegów chirurgicznych. W 2010 roku popularność zyskała terapia skojarzona w leczeniu nieswoistych chorób zapalnych jelit, kiedy to wykazano skuteczność infliksymabu (INF) u chorych na CD. Celem projektu FLAMING jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa podwójnej terapii biologicznej u dorosłych pacjentów z CD oporną na indukcyjne leczenie wedolizumabem. Badanie ma na celu określenie, czy takie podejście zwiększa odsetek remisji klinicznej wolnej od glikokortykosteroidów po 52 tygodniach leczenia. Do badania rekrutowani są pacjenci ≤75 roku życia z rozpoznaniem CD postawionym przynajmniej 3 miesiące przed randomizacją na podstawie badania radiograficznego, endoskopowego lub histologicznego, u których nie uzyskano remisji po 12-tygodniowej terapii wedolizumabem. Pacjenci włączeni do badania zostaną zrandomizowani do jednego z 4 ramion (1:1:1:1) i będą otrzymywać lek zgodnie z protokołem badania:

- ramię A - infliksymab,
- ramię B - wedolizumab + infliksymab,
- ramię C - wedolizumab + ustekinumab,
- ramię D - ustekinumab.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 10

**Planowane efekty:** Zalecenie dołożenia drugiego leku biologicznego lub małej cząsteczki może wpłynąć na redukcję kosztochłonnych powikłań, takich jak zabiegi chirurgiczne, zaopatrzenie stomii, absenteizm, prezenteizm oraz leczenie glikokortykosteroidami, immunomodulatorami czy antybiotykami. To pozwoli ograniczyć długoterminowe koszty społeczne i medyczne jak również realnie wpłynąć na poprawę zdrowia i jakości życia pacjentów.

## 2.3.14. Projekt nr 2022/ABM/03/00005

Obszar badawczy: gastroenterologia i hepatologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Wojskowy Instytut Medyczny - Państwowy Instytut Badawczy. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 30 407 694,72 zł (100% wartości projektu).

*Ocena skuteczności i bezpieczeństwa podwójnej terapii biologicznej i/lub małymi cząsteczkami u chorych z opornym na indukcję wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego [RESPECT]*

Założona liczba pacjentów: 180

Wrzodziejące zapalenie jelita grubego (ang. *Ulcerative Colitis, UC*) to przewlekła, idiopatyczna choroba zapalna, która dotyka głównie osoby młode i w średnim wieku, znacząco obniżając jakość życia pacjentów. Choroba charakteryzuje się naprzemiennymi okresami zaostrzeń i remisji, a jej objawy takie jak biegunki, bóle brzucha, krwawienia z przewodu pokarmowego czy utrata masy ciała prowadzą do częstych hospitalizacji, absencji zawodowej oraz ryzyka powikłań, w tym konieczności leczenia chirurgicznego. W ostatnich latach wprowadzono do leczenia UC nowoczesne terapie biologiczne oraz tzw. małe cząsteczki, które umożliwiły uzyskanie remisji u wielu pacjentów. Jednak u części chorych, mimo zastosowania tych zaawansowanych metod, nie udaje się osiągnąć trwałej poprawy. W tej grupie pacjentów istnieje pilna potrzeba opracowania nowych strategii terapeutycznych, które pozwolą zwiększyć skuteczność leczenia, ograniczyć stosowanie glikokortykosteroidów i poprawić długoterminowe rokowanie. Celem projektu RESPECT jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa podwójnej terapii biologicznej oraz terapii łączącej lek biologiczny z małą cząsteczką u dorosłych pacjentów z UC opornym na indukcyjne leczenie wedolizumabem. Badanie ma na celu określenie, czy takie podejście zwiększa odsetek remisji klinicznej wolnej od glikokortykosteroidów po 52 tygodniach leczenia. Do badania zostanie włączonych 180 dorosłych pacjentów (18–75 lat) z aktywnym UC, u których nie uzyskano remisji po 8-tygodniowej terapii wedolizumabem. Uczestnicy zostaną zrandomizowani do czterech ramion badania.

- ramię A: infliksymab (monoterapia),
- ramię B: wedolizumab + infliksymab (terapia skojarzona),
- ramię C: wedolizumab + tofacytynib (terapia skojarzona z małą cząsteczką),
- ramię D: tofacytynib (monoterapia).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 10

**Planowane efekty:** Oczekuje się, że terapie skojarzone zwiększą odsetek remisji klinicznej wolnej od sterydów oraz poprawią wygojenie śluzówki, jakość życia i bezpieczeństwo leczenia w porównaniu do monoterapii. Wyniki projektu mogą przyczynić się do opracowania nowych standardów postępowania w leczeniu opornego UC i poprawy efektywności systemu ochrony zdrowia.

## 2.3.15. Projekt nr 2022/ABM/03/00007

Obszar badawczy: ginekologia i położnictwo. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Instytut Matki i Dziecka. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 14 446 599,25 zł (100% wartości projektu).

*Porównanie skuteczności i bezpieczeństwa walacyklowiru w profilaktyce transmisji i leczeniu zakażenia wewnątrzmacicznego u ciężarnych z pierwotną infekcją wirusem cytomegalii w zależności od zastosowanej dawki leku - pierwsze polskie niekomercyjne badanie kliniczne typu nie mniejszej skuteczności (noninferiority trial) POL PRENATAL CMV*

Założona liczba pacjentów: 200

Cytomegalia wrodzona stanowi poważny i niedoszacowany problem kliniczny. W Europie około 0,5-2% noworodków rodzi się zakażonych wirusem cytomegalii (*CMV*), a około 10% z nich prezentuje objawy kliniczne zakażenia. Cytomegalia jest główną przyczyną wrodzonego niedosłuchu neurosensorycznego, ponadto może powodować uszkodzenia narządu wzroku, ośrodkowego układu nerwowego, małopłytkowość, żółtaczkę, zmiany skórne. Może być przyczyną opóźnienia rozwoju psychoruchowego. Leczenie zakażenia wirusem cytomegalii u ciężarnej ma na celu prewencję transmisji infekcji drogą wertykalną, od matki do płodu, a także ograniczenie zakażenia i minimalizację skutków zdrowotnych w przypadku, gdy wirus dostał się już do organizmu płodu.

Bezpiecznymi lekami stosowanymi w czasie ciąży w innych zakażeniach wirusowych z grupy *Herpesviridae* są acyklowir oraz walacyklowir. Celem badania jest porównanie skuteczności i bezpieczeństwa walacyklowiru w profilaktyce transmisji i leczeniu zakażenia wewnątrzmacicznego u ciężarnych z pierwotną infekcją wirusem cytomegalii w zależności od zastosowanej dawki leku – badanie deeskalacyjne. Do badania rekrutowane są ciężarne pacjentki z pierwotnym zakażeniem CMV oraz płody/noworodki tych pacjentek. W grupie badanej walacyklowir będzie podawany w dawce 4 g/dobę w 4 dawkach. W grupie kontrolnej walacyklowir będzie podawany w dawce 8 g/dobę w 4 dawkach. Terapia będzie trwała u wszystkich pacjentek od momentu włączenia do badania do amniopunkcji diagnostycznej wykonywanej w 21-22 tygodniu ciąży.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 2

**Planowane efekty:** Projekt może przyczynić się do zmniejszenia umieralności noworodków oraz do zmniejszenia chorobowości nie tylko dzieci, ale i populacji ogólnej. Nieodwracalne wady rozwojowe spowodowane wewnątrzmacicznym zakażeniem, powodują konsekwencje odczuwalne przez całe życie. Wprowadzenie skutecznego, bezpiecznego i akceptowanego przez ciężarną leczenia zmniejszoną dawką leku może mieć długofalowe skutki w postaci poprawy jakości życia.

## 2.3.16. Projekt nr 2022/ABM/03/00010

Obszar badawczy: endokrynologia i metabolizm (w tym cukrzyca, hormony). Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Gdański Uniwersytet Medyczny. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 823 919,91 zł (100% wartości projektu).

*Czy multimodalna ocena ultrasonograficzna podnosi skuteczność przedoperacyjnej predykcji obecności nowotworu złośliwego u pacjentów z podejrzeniem nowotworu pęcherzykowego tarczycy. Badanie head-to-head porównujące do standardowej praktyki klinicznej*

Założona liczba pacjentów: 130

Zmiany ogniskowe tarczycy ocenione cytologicznie jako IV kategoria Bethesda (dalej *ZOT-IV*) mogą mieć charakter łagodny albo być nowotworem złośliwym (*NZ*). Stosowane standardowo w praktyce klinicznej metody nie są w stanie wiarygodnie zróżnicować ich charakteru, dlatego wielu pacjentów z ZOT-IV kierowanych jest na operację, której celem jest pobranie materiału do postawienia rozpoznania poprzez badanie histopatologiczne. Poszukiwane są małoinwazyjne metody pozwalające na przedoperacyjne różnicowanie pomiędzy zmianą łagodną, a nowotworem złośliwym w grupie pacjentów z ZOT-IV. Celem projektu jest porównanie skuteczności, bezpieczeństwa oraz efektywności kosztowej wieloparametrycznej ultrasonografii (*wpUSG*) ze standardową oceną USG w przedoperacyjnej identyfikacji nowotworów złośliwych u pacjentów ze zmianami ogniskowymi. Do badania rekrutowane są osoby powyżej 18 roku życia ze zmianą ocenioną cytologicznie jako IV kategoria diagnostyczna według Bethesda (podejrzenie nowotworu pęcherzykowego tarczycy). Na etapie diagnostycznym pacjenci są przydzielani losowo do dwóch grup – grupy badanej oraz grupy kontrolnej. W obu grupach w okresie przedoperacyjnym zostanie przeprowadzona ocena USG tarczycy:

- w grupie badanej wg rozszerzonego protokołu (wieloparametryczna ocena USG),
- w grupie kontrolnej wg standardowej praktyki klinicznej.

Zmiany zostaną zaklasyfikowane na podstawie cech ultrasonograficznych jako sonograficznie łagodne lub złośliwe. W okresie obserwacji uzyskane zostanie rozpoznanie histopatologiczne z materiału pobranego podczas zabiegu diagnostyczno-leczniczego, służące jako metoda referencyjna do oceny skuteczności USG w przedoperacyjnej identyfikacji nowotworów złośliwych.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 1

**Planowane efekty:** Dostępne przesłanki pozwalają przypuszczać, że skuteczność diagnostyczna wpUSG w przedoperacyjnym odróżnianiu zmian łagodnych od nowotworów złośliwych będzie wyższa niż w standardowym badaniu USG. Potwierdzenie tej hipotezy byłoby uzasadnieniem dla podjęcia dalszych działań zmierzających do dołączenia wpUSG do rutynowej praktyki klinicznej, co w efekcie pozwoliłoby zmniejszyć liczbę diagnostycznych zabiegów operacyjnych w grupie osób z ZOT-IV na rzecz diagnostyki małoinwazyjnej.

## 2.3.17. Projekt nr 2022/ABM/03/00013

Obszar badawczy: gastroenterologia i hepatologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Medyczny w Łodzi wraz z partnerami. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 19 868 246,28 zł (100% wartości projektu).

*Comparison of ustekinumab, infliximab and COMBinatiOn therapy in moderately-to-severely active Ulcerative Colitis – the head to head COMBO-UC trial*

Założona liczba pacjentów: 172

Wrzodziejące zapalenie jelita grubego (*WZJG*) wraz z chorobą Leśniowskiego-Crohna, należy do grupy przewlekłych chorób zapalnych o złożonej etiologii zwanych nieswoistymi zapaleniami jelit. Najwięcej nowych zachorowań na WZJG dotyczy osób między 20 a 40 rokiem życia. WZJG charakteryzuje się przewlekłym przebiegiem, z naprzemiennie występującymi okresami zaostrzeń i remisji. Do najczęstszych objawów tej jednostki chorobowej należą: biegunka z domieszką krwi i śluzu, bóle brzucha, uczucie nagłego parcia na stolec, nietrzymanie stolca i stany podgorączkowe lub gorączka. Monoterapia lekami biologicznymi jest obecnie standardem leczenia biologicznego WZJG przy nieskuteczności terapii konwencjonalnych, ale odsetek uzyskanych remisji klinicznych nadal nie jest zadowalający. Najnowsze dane kliniczne wskazują, że łączenie różnych leków biologicznych może wykazywać korzystny efekt u pacjentów z WZJG i prowadzić do uzyskania większego odsetka remisji klinicznych i endoskopowych.

Celem badania jest porównanie skuteczności i bezpieczeństwa podwójnej terapii biologicznej z wykorzystaniem infliksymabu (IFX) i ustekinumabu (UST) w indukcji remisji ciężkiej lub umiarkowanej postaci WZJG w odniesieniu do standardowo stosowanej monoterapii. Do badania rekrutowani są dorośli pacjenci z umiarkowaną lub ciężką postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego w wieku między 18 a 65 rokiem życia, z nieskutecznością lub nietolerancją dotychczasowego leczenia. Pacjenci zakwalifikowani do badania będą randomizowani do jednego z trzech ramion leczniczych w proporcji 2:1:1.:

- ramię A – indukcja i podtrzymanie remisji z wykorzystaniem w monoterapii infliksymabu (IFX),
- ramię B – indukcja i podtrzymanie remisji z wykorzystaniem w monoterapii ustekinumabu (UST),
- ramię C – indukcja remisji z wykorzystaniem terapii łączonej IFX + UST, a następnie podtrzymanie remisji z wykorzystaniem UST.

**Planowane efekty:** Oczekiwanymi efektami stosowania terapii łączonej IFX i UST w fazie indukcji remisji WZJG jest uzyskanie istotnej poprawy stanu zdrowia i poprawy jakości życia chorych.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 8

## 2.3.18. Projekt nr 2022/ABM/03/00014

Obszar badawczy: okulistyka. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Pomorski Uniwersytet Medyczny w Szczecinie. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 1 561 826,60 zł (100% wartości projektu).

*Pionierska weryfikacja zastosowania immunomodulującego działania podprogowej laseroterapii mikropulsowej w zwyrodnieniu barwnikowym siatkówki z próbą optymalizacji protokołów laserowania 577 nm i 810 nm*

Założona liczba pacjentów: 60

Zwyrodnienie barwnikowe siatkówki (ang. *Retinitis Pigmentosa*, *RP*) jest najczęstszą postacią choroby degeneracyjnej siatkówki uwarunkowanej genetycznie. Choroba ma charakter postępujący, a w ciągu kilku lat od rozpoznania prowadzi do ślepoty i trwałego inwalidztwa. Kluczowymi problemami prowadzącymi do znacznego upośledzenia wzroku w RP są zarówno postępująca utrata obwodowego pola widzenia aż do zawężenia lunetowatego, jak i upośledzenie widzenia nocnego spowodowane pogorszeniem się funkcji pręcików i czopków obwodowych. W miarę progresji choroby proces degeneracyjny obejmuje również plamkę, powodując w konsekwencji obniżenie ostrości wzroku do dali i bliży, światłowstręt, utratę widzenia barwnego, a w zaawansowanym stadium całkowitą ślepotę. W piśmiennictwie światowym opisano dotychczas wiele potencjalnych metod leczenia RP, skupiających się w przeważającej mierze na ograniczaniu procesów patofizjologicznych związanych ze stresem oksydacyjnym oraz lokalnym stanem zapalnym. W nielicznych analizach wykazano działanie neurostymulujące siatkówkę poprzez użycie podprogowego bodźca mikropulsowego (ang. *Subtreshold Micropulse Laser*, *SML*) lasera czerwonego o długości fali 810 nm. Głównym celem eksperymentu jest weryfikacja skuteczności SML i ustalenie optymalnego protokołu leczniczego dla SML na podstawie szczegółowej analizy zmian molekularnych wybranych czynników prozapalnych, neurotroficznych i angiogennych w filmie łzowym i krwi obwodowej chorych z RP. Grupę badaną stanowią dorośli pacjenci ze zwyrodnieniem barwnikowym siatkówki rozpoznanym na podstawie charakterystycznego obrazu klinicznego potwierdzonego analizą genomu metodą sekwencjonowania całego egzomu i całopolowej elektroretinografii. W losowej selekcji jedno oko każdego pacjenta zostanie zakwalifikowane do stymulacji czerwonym (30 oczu) lub żółtym (30 oczu) SML, a drugie do procedury typu sham. Pozwoli to na zapewnienie kompleksowej oceny porównawczej skuteczności obu typów SML względem siebie oraz względem placebo.

**Planowane efekty:** Wyniki mogą w przyszłości ukierunkować dalsze badania nad poszukiwaniem skutecznej terapii dla chorych z RP lub być podstawą do wprowadzenia pierwszego na świecie standardu leczenia adjuwantowego w tej jednostce chorobowej.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 1

## 2.3.19. Projekt nr 2022/ABM/03/00017

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 7 ŚUM w Katowicach Górnośląskie Centrum Medyczne im. prof. Leszka Gieca w Katowicach. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 4 697 549,50 zł (100% wartości projektu).

*Jednoośrodkowy, randomizowany, otwarty eksperyment badawczy mający na celu ocenę bezpieczeństwa i skuteczności terapii z zastosowaniem denerwacji tętnic nerkowych wraz z ablacją migotania przedsionków u pacjentów z migotaniem przedsionków i niewydolnością serca*

Założona liczba pacjentów: 98

Niewydolność serca - choroba określana „epidemią rozwiniętego świata", pomimo postępu medycyny, coraz doskonalszych metod diagnostycznych i terapeutycznych wpływa na obniżenie jakości życia, zwiększa częstość hospitalizacji i koszty leczenia. Osobom w wieku produkcyjnym często uniemożliwia kontynuację pracy oraz staje się jedną z głównych przyczyn zgonów. Migotanie przedsionków jest najczęściej występującą arytmią prowadzącą do objawów niewydolności serca. Ablacja migotania przedsionków jest od wielu lat uznaną, inwazyjną metodą leczenia, poprawiającą rokowanie, wydolność fizyczną, również u pacjentów z niewydolnością serca. Celem badania jest ocena bezpieczeństwa i skuteczności terapii z zastosowaniem denerwacji tętnic nerkowych wraz z ablacją migotania przedsionków u pacjentów kardiologicznych. Do badania rekrutowani są dorośli pacjenci z niewydolnością serca i migotaniem przedsionków, kwalifikujących się do zabiegu ablacji. Pacjenci będą randomizowani do jednej z grup:

- grupa badana – pacjenci poddani denerwacji tętnic nerkowych wraz ablacją migotania przedsionków,
- grupa kontrolna – pacjenci poddani ablacji migotania przedsionków.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 1

**Planowane efekty:** Oczekiwanym efektem jest poprawa skuteczności zabiegu ablacji, zmniejszenie częstości napadów migotania przedsionków lub trwałe usunięcie arytmii. Ma to szczególne znaczenie w profilaktyce jednych z najczęstszych powikłań migotania przedsionków, jakim są udary niedokrwienne mózgu. Uzyskanie pozytywnych wyników może stanowić w przyszłości punkt odniesienia przy ustalaniu nowych wytycznych dotyczących leczenia pacjentów z niewydolnością serca, umiarkowana i ciężką dysfunkcją skurczową lewej komory serca z frakcją wyrzutową lewej komory i napadowym lub przetrwałym migotaniem przedsionków.

## 2.3.20. Projekt nr 2022/ABM/03/00021



Obszar badawczy: onkologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Jagielloński. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 12 401 918,20 zł (100% wartości projektu).

*Ocena skuteczności i bezpieczeństwa stosowania jodowych środków kontrastowych w mammografii spektralnej w korelacji z badaniem rezonansu magnetycznego piersi u chorych z podejrzeniem raka piersi*

Założona liczba pacjentów: 900

Rak piersi stanowi ogromny problem na świecie i w Polsce. Liczba zachorowań na raka piersi wciąż rośnie, w roku 2020 był to najczęściej rozpoznawany nowotwór złośliwy bez względu na płeć. Celem diagnostyki obrazowej w raku piersi jest wczesne wykrycie guza, ale również ocena stopnia zaawansowania. Podstawową metodą w diagnostyce jest mammografia, jednak, wykrycie raka zależy od typu budowy piersi. Ilość wykrytych nieprawidłowości znacząco spada w piersiach o gęstej gruczołowej budowie, a taką budowę posiada nawet 30% kobiet. W związku z ograniczeniami mammografii poszukiwane są nowe metody diagnostyczne. Jedną z nich jest mammografia ze wzmocnieniem kontrastowym (ang. *Contrast Enhanced Mammography*, *CEM*), która wykorzystuje promieniowanie rentgenowskie oraz ucisk tak jak klasyczna mammografia. CEM wykonywana jest przy użyciu wysokiej i niskiej energii promieniowania po dożylnym podaniu jodowych środków kontrastowych. Celem badania jest ocena skuteczności diagnostycznej środka kontrastowego Ultravist w porównaniu ze środkiem kontrastowym Omnipaque oraz rezonansem magnetycznym piersi w badaniach skriningowych raka piersi. Do badania rekrutowane są kobiety w wieku od 30 roku życia, z gęstą budową piersi, mające podejrzane zmiany w badaniu ultrasonograficznym, lub mammografii skriningowej. Pacjentki będą randomizowane do trzech grup:

- grupa A - CEM z podaniem kontrastu Ultravist w dawce 370,
- grupa B - CEM z podaniem kontrastu Ultravist w dawce 300,
- grupa CEM z podaniem kontrastu Omnipaque.

**Planowane efekty:** Wdrożenie mammografii ze wzmocnieniem kontrastowym w schemat diagnostyczny pacjentek, a w szczególności pacjentek z gęstą gruczołową budową piersi, pozytywnie wpłynie na wykrycie nowotworów piersi we wcześniejszym stadium.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 1

## 2.3.21. Projekt nr 2022/ABM/03/00024

Obszar badawczy: pediatria. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 3 089 622,00 zł (100% wartości projektu).

*Wpływ wdrożenia wytycznych diagnostyki zmian jajnika u dzieci na zwiększenie odsetka oszczędzenia tkanki jajnika*

Założona liczba pacjentów: 300

Zdrowie reprodukcyjne jest ważnym miernikiem ogólnej jakości zdrowia oraz dobrostanu społecznego. Występowanie niepłodności żeńskiej na świecie wg danych *Global Burden of Disease* wzrosło o 31,5% w latach 2010-2019. Istnieje szereg czynników, które już w wieku dziecięcym stwarzają zagrożenie dla przyszłej płodności kobiety. Wśród nich istnieją takie, które można całkowicie lub częściowo eliminować. Są to patologie jajnika, a przede wszystkim guzy jajnika oraz skręt jajnika. Do niedawna brak było wytycznych leczenia zmian jajnika u dzieci, co powodowało olbrzymią trudność w podejmowaniu prawidłowych decyzji terapeutycznych. W ostatnim czasie powstały jednak *Polskie Rekomendacje Diagnostyki i Leczenia Zmian Jajnika u Dziewczynek*, które zawierają propozycje algorytmów leczenia opartych głównie na wynikach badania obrazowego. Celem badania jest ocena wpływu wdrożenia wytycznych diagnostyki zmian jajnika u dzieci na zwiększenie odsetka oszczędzenia tkanki jajnika. Do badania rekrutowane są dziewczynki do 18 roku życia ze zmianą jajnika wymagającą zabiegu chirurgicznego, które zostaną przydzielone do jednej z dwóch grup:

- grupa badana – dziewczynki ze zmianą jajnika zakwalifikowane do zabiegu operacyjnego według algorytmu leczenia z wykorzystaniem usystematyzowanego opisu badania obrazowego jajników (podejście innowacyjne), u których zostanie wykonane badanie USG według ściśle określonego wzoru, z uwzględnieniem ściśle określonych parametrów,
- grupa kontrolna – dziewczynki ze zmianą jajnika zakwalifikowane do zabiegu operacyjnego według algorytmu leczenia opartego na nieusystematyzowanym opisie badania obrazowego jajników (podejście standardowe).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 1

**Planowane efekty:** Realizacja eksperymentu pozwoli na uzyskanie rzetelnych dowodów na skuteczność stosowania wytycznych diagnostyki zmian jajników u dzieci. Pozwoli to na rozpowszechnienie ich stosowania, a tym samym zwiększenie odsetka oszczędzenia tkanki jajnika bezpośrednio chroniąc w ten sposób płodność dziewczynek w Polsce.

## 2.3.22. Projekt nr 2022/ABM/03/00027

Obszar badawczy: radiologia, medycyna jądrowa i medycyna obrazowa. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Wojewódzkie Wielospecjalistyczne Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 4 880 807,50 zł (100% wartości projektu).

*Porównanie wartości klasyfikacji: LN-RADS, RECIST 1.1 i Node-RADS wo[redacted] węzłów chłonnych w rezonansie magnetycznym (MR) i tomografii komputerowej (CT) w odniesieniu do wyników histopatologicznych - Badanie prospektywne, randomizowane*

Założona liczba pacjentów: 3 000

Węzły chłonne są kluczowym elementem diagnostyczno-terapeutycznym w onkologii. Pomimo postępu technologicznego wykrywanie zmian nowotworowych w węzłach chłonnych ma niską skuteczność, co wynika z niedoskonałości stosowanych kryteriów. Obecnie najszerzej stosowanym kryterium oceny jest RECIST 1.1, gdzie decydujący jest wymiar węzła chłonnego w osi krótkiej z punktem odcięcia 10 mm. Kryterium to obarczone jest wysokim odsetkiem błędów, w tym fałszywie ujemnych (pomijających przerzuty <10 mm) oraz fałszywie dodatnich (z powodu zapalnego powiększenia węzłów). Metoda LN-RADS umożliwia uwzględnienie małych przerzutów w węzłach chłonnych, o wielkości od około 3 mm, dzięki czemu możliwe jest wykrycie około 20% więcej zmian przerzutowych niż w metodzie RECIST 1.1. System Node-RADS jest systemem dość nowym, idącym w kierunku strukturalnej oceny węzłów chłonnych, jednak zaproponowanym arbitralnie, bez twardych dowodów na jego skuteczność. Mimo opublikowania systemu Node-RADS w czasopiśmie medycznym nie jest on odpowiednio zwalidowany. Celem badania jest ocena wartości diagnostycznej nowej skali LN-RADS służącej do klasyfikacji węzłów chłonnych w CT i MR i porównanie tej metody z dwoma innymi sposobami oceny węzłów RECIST 1.1 i Node-RADS. Do badania rekrutowani są pacjenci z nieprawidłowościami w zakresie węzłów chłonnych, a w szczególności pacjentci onko-hematologiczni, u których istnieje podejrzenie zajęcia węzłów chłonnych przez proces nowotworowy. Badanie wykorzystuje do analizy obrazy CT lub MR uzyskane w trybie rutynowych działań diagnostyczno-leczniczych. Zgodnie z założeniami badania pacjent będzie poddany rutynowej biopsji lub zabiegowi operacyjnemu, w efekcie którego uzyskane będą dodatkowo próbki węzłów chłonnych. Po uzyskaniu pełnych danych, tj. po wykonaniu badania CT lub MR i uzyskaniu wyniku histopatologicznego lub cytologicznego, zostanie wykonana analiza porównawcza.

**Planowane efekty:** Nowe rozwiązanie jakim jest LN-RADS, może dokonać przełomowej tzw. skokowej innowacji w diagnostyce onkologicznej, jako nowy system oceny węzłów co być może otworzy możliwości precyzyjniejszej diagnostyki i pozwoli na uwolnienie pełnego potencjału wielu terapii.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 3

## 2.3.23. Projekt nr 2022/ABM/03/00028



Obszar badawczy: gastroenterologia i hepatologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Instytut Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 11 191 903,77 zł (100% wartości projektu).

*Ocena bezpieczeństwa i skuteczności terapii indukcyjnej vedolizumabem w porównaniu do standardowej terapii infliximabem u pacjentów pediatrycznych z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego "VEDI-UC"*

Założona liczba pacjentów: 66

Wrzodziejące zapalenie jelita grubego (ang. *Colitis Ulcerosa*, *UC*) należące do grupy nieswoistych chorób zapalnych jelit (ang. *Inflammatory Bowel Disease*, *IBD*) jest przewlekłą chorobą przewodu pokarmowego o wieloczynnikowej etiologii, charakteryzującą się znaczną zachorowalnością, postępującym uszkodzeniem jelit, a także ryzykiem długotrwałych powikłań, w tym hospitalizacji, kolektomii i raka jelita grubego. Przebieg choroby u dzieci jest cięższy w porównaniu z pacjentami dorosłymi, dlatego wymagają one bardziej agresywnego leczenia na wcześniejszych etapach choroby. Leki biologiczne należą obecnie do najskuteczniejszych sposobów leczenia IBD. Infliximab (przeciwciało monoklonalne anty TNF-alfa) jest pierwszym zarejestrowanym w pediatrii lekiem biologicznym o udowodnionym bezpieczeństwie i skuteczności w indukcji oraz podtrzymaniu remisji u dzieci zarówno z chorobą Crohna jak i UC. Vedolzimab wykazuje porównywalną skuteczność do infliximabu przy potencjalnie lepszym profilu bezpieczeństwa z uwagi na swój mechanizm działania. Lek ten nie jest jednak zarejestrowany w pediatrii, ale stosowany jest coraz powszechniej jako terapia ratunkowa *off-label* z bardzo dobrym efektem.

Celem badania jest porównanie bezpieczeństwa, skuteczności oraz immunogenności (przeciwciała przeciw infliximabowi i vedolizumabowi) dwóch leków biologicznych podawanych dożylnie – stosowanego pozarejestracyjnie jako terapia ratunkowa vedolizumabu i terapii standardowej infliximabem, Do badania rekrutowani są pacjenci pediatryczni w wieku 6-17 lat z rozpoznanym UC, z umiarkowanym do ciężkiego przebiegiem choroby zdefiniowanym klinicznie i endoskopowo.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 10

**Planowane efekty:** Z uwagi na obserwowany lepszy profil bezpieczeństwa związany z miejscowym mechanizmem działania leku antyintegrynowego (vedolizumabu) wydaje się być obiecującym preparatem biologicznym dla dzieci z IBD. W przyszłości wyniki proponowanego badania, będą mogły zostać wykorzystanie w procesie rejestracyjnym vedolizumabu dla pacjentów pediatrycznych.

## 2.3.24. Projekt nr 2022/ABM/03/00029

Obszar badawczy: żywienie, dietetyka. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Instytut "Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka". Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 4 607 477,10 zł (100% wartości projektu).

*Ocena skuteczności diety CDED (Crohns Disease Exclusion Diet) w indukcji oraz podtrzymaniu remisji u dzieci i dorosłych z zaostrzeniem choroby Crohna – wieloośrodkowe badanie z randomizacją. Ex-EAT*

Założona liczba pacjentów: 200

Częstotliwość występowania choroby Leśniowskiego-Crohna (ang. *Crohn Disease*, *CD*), przewlekłej choroby zapalnej jelit o nieznanej etiologii, dramatycznie wzrosła w ciągu ostatnich dwóch dekad. Ze względu na brak leczenia przyczynowego CD pozostaje chorobą nieuleczalną. Według najnowszych badań stan zapalny w CD może być związany z określonymi czynnikami żywieniowymi mającymi negatywny wpływ na skład mikrobiomu oraz funkcjonowanie bariery jelitowej i układu immunologicznego. Zgodnie z najnowszymi wytycznymi, leczeniem indukcyjnym pierwszego wyboru u dorosłych jest steroidoterapia obarczona wieloma działaniami niepożądanymi. Ponieważ w populacji pediatrycznej wykazano wyższą niż steroidoterapii skuteczność wyłącznego żywienia enteralnego (ang. *Exclusive Enteral Nutrition*, *EEN*) w indukcji remisji, jej korzystny wpływ na stan odżywienia i gęstość mineralną kości oraz brak efektów ubocznych, EEN jest obecnie rekomendowane jako metoda pierwszego wyboru w leczeniu aktywnej postaci CD u dzieci. Celem badania Ex-EAT jest ocena skuteczności i tolerancji leczenia żywieniowego specjalistyczną dietą eliminacyjną (ang. *Crohn Disease Exclusion Diet*, *CDED*) w indukcji i podtrzymaniu remisji u pacjentów z łagodnym i umiarkowanym zaostrzeniem CD. Dieta CDED to leczenie żywieniowe nowej generacji, które w fazie indukcji zakłada połączenie częściowego żywienia enteralnego dietą przemysłową (ang. *Partial Enteral Nutrition*, *PEN*) z wybranymi produktami diety naturalnej. Do badania włączani są pacjenci w wieku 6-17 lat (do kohorty pacjentów pediatrycznych) oraz w wieku >18 roku życia (do kohorty pacjentów dorosłych) z aktywną postacią CD. Pacjenci zostaną zrandomizowani do poszczególnych grup w stosunku 1:1;

- dzieci – CDED vs EEN (terapia aktualnie rekomendowana),
- dorośli – CDED vs steroidoterapia (terapia aktualnie rekomendowana).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 20

**Planowane efekty:** Wyniki badania Ex-EAT mogą być przełomowe dla podejścia terapeutycznego, oraz mieć istotny wpływ na modyfikację wytycznych, wdrożenie do praktyki klinicznej nowych biomarkerów aktywności choroby, jak również na lepsze poznanie mechanizmów wpływu diety na rozwój CD i możliwości leczenia tej choroby na drodze konkretnej modyfikacji sposobu żywienia.

## 2.3.25. Projekt nr 2022/ABM/03/00030

Obszar badawczy: urologia i nefrologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie - Państwowy Instytut Badawczy wraz z partnerem. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 4 613 389,60 zł (100% wartości projektu).

*Jednoośrodkowe, randomizowane badanie kliniczne porównujące skuteczność stosowania cytyzyny w schemacie przedłużonego dawkowania z nikotynową terapią zastępczą u pacjentów z Zespołem Uzależnienia od Nikotyny i Przewlekłą Chorobą Nerek*

Założona liczba pacjentów: 292

Przewlekła Choroba Nerek (ang. *Chronic Kidney Disease, CKD*) jest schorzeniem ogólnoustrojowym o złożonej patogenezie. W progresji choroby bierze udział wiele czynników potencjalnie modyfikowalnych, do których należy palenie papierosów. Wiadomo, że wywiad palenia w przeszłości i czynne palenie papierosów wiążą się ze zwiększoną zapadalnością na CKD, a także przyspieszają progresję choroby nerek do ich niewydolności. Wykazano też, że zaprzestanie palenia redukuje ryzyko progresji choroby i ryzyko powikłań sercowo-naczynionych. Cholinergiczne receptory nikotynowe α4β2 są strukturą docelową dla leków, które stosuje się w leczeniu zespołu uzależnienia od nikotyny, warenikliny i właśnie cytyzyny. Chociaż cytyzyna była od lat 60-tych stosowana w krajach bloku wschodniego do leczenia uzależnienia od nikotyny, badania nad jej bezpieczeństwem, skutecznością i optymalnym dawkowaniem były skąpo udokumentowane. Obecnie na świecie publikowanych jest coraz więcej badań potwierdzających jej skuteczność u pacjentów zaprzestających palenia. Jednocześnie jest to najtańszy na rynku lek stosowany w tym wskazaniu, co zwiększa znacząco jego dostępność dla pacjentów z CKD, którzy najczęściej są osobami o niskim statusie socjo-ekonomicznym. Celem badania jest wykazanie, że cytyzyna w przedłużonym dawkowaniu nie jest gorsza niż nikotynowa terapia zastępcza (*NTZ*), która jest standardową, najlepiej przebadaną metodą farmakologicznego leczenia uzależnienia od nikotyny. Do badania rekrutowani są dorośli pacjenci z CKD będący aktywnymi palaczami. Pacjenci będą otrzymywać zarówno cytyzynę jak i NTZ przez okres 12 tygodni. Obie terapie będą podawane w schemacie: początkowo maksymalna dawka do 7 tygodni, następnie pomiędzy 8 a 12 tygodniem stopniowa redukcja dawki cytyzyny oraz nikotyny terapeutycznej.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 1

**Planowane efekty:** Uzyskanie abstynencji najpewniej będzie prowadzić do poprawy jakości życia chorych, spowolnienia postępu choroby, a więc odroczenia lub uniknięcia konieczności leczenia dializami. Co więcej, uzyskana dzięki leczeniu abstynencja da szanse na odroczenie lub uniknięcie powikłań sercowo -naczynionych takich jak zawał, niewydolność serca i udar mózgu.

## 2.3.26. Projekt nr 2022/ABM/03/00031

Obszar badawczy: hematologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Specjalistyczny Szpital im. dra A. Sokołowskiego w Wałbrzychu. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 29 105 650,20 zł (100% wartości projektu).

*Badanie AVO-CLL: Wieloośrodkowe, randomizowane, otwarte badanie fazy 3, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo akalabrutinibu w skojarzeniu z obinutuzumabem w porównaniu do wenetoklaksu w skojarzeniu z obinutuzumabem w leczeniu I linii nowo rozpoznanej przewlekłej białaczki limfocytowej*

Założona liczba pacjentów: 72

Przewlekła białaczka limfocytowa (ang. *Chronic Lymphocytic Leukemia, CLL*) to najczęstszy typ białaczki w Europie i Ameryce Północnej, dotykający głównie osób dorosłych, zwłaszcza po 60 roku życia. Choroba zaczyna się w szpiku kostnym, gdzie błąd w materiale genetycznym prowadzi do produkcji "nieśmiertelnych" komórek nowotworowych. Te komórki unikają kontroli układu odpornościowego i mnożą się niekontrolowanie, wypierając zdrowe krwinki. CLL często przebiega bezobjawowo, ale może prowadzić do osłabienia, infekcji i zaburzeń krwiotwórczych. Objawy CLL mogą obejmować osłabienie, niezamierzoną utratę masy ciała, bóle brzucha, powiększenie śledziony i wątroby, wzmożone pocenie się, gorączkę oraz częste infekcje związane z upośledzeniem odporności. Obecnie nadal uznaje się CLL w zdecydowanej większości przypadków za chorobę nieuleczalną, dlatego też ogólnym celem leczenia jest kontrola progresji choroby, wydłużenie przeżycia (całkowitego lub bez progresji) oraz poprawa jego jakości. Leki przełomowe w leczeniu przewlekłej białaczki limfocytowej można podzielić na trzy grupy o odmiennym mechanizmie działania:

- przeciwciała monoklonalne anty-CD20 (obinutuzumab i ofatumumab),
- inhibitory receptora limfocytu B (BCR) (ibrutynib i idelalizyb) oraz
- inhibitory białka Bcl-2 (wenetoklaks).

Celem badania jest ocena bezpieczeństwa i skuteczności acalabrutynibu w połączeniu z obinutuzumabem (Obi) w porównaniu do venetoclaxu (Ven) z obinutuzumabem. Do badania rekrutowani są dorośli pacjenci, wcześniej nieleczeni, z rozpoznaniem CCL z obecnością wskazań do rozpoczęcia leczenia wg *International Workshop on Chronic Lymphocytic Leukemia*. Badanie zakłada porównanie dwóch schematów leczenia, z których jeden stanowi obecnie standard postępowania w nowo rozpoznanej przewlekłej białaczce limfocytowej (Ven-Obi). Ramię badane to połączenie nowego inhibitora BTK - akalabrutynibu z obinutuzumabem.

**Planowane efekty:** Wyniki projektu mogą przełożyć się bezpośrednio na ratowanie zdrowia i życia chorych na CLL wymagających rozpoczęcia terapii z powodu objawowej choroby nowotworowej oraz mogą stanowić ścieżkę do całkowitego wyleczenia poprzez negatywizację choroby resztkowej.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 2

## 2.3.27. Projekt nr 2022/ABM/03/00033

Obszar badawczy: radiologia, medycyna jądrowa i medycyna obrazowa. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 4 556 510,76 zł (100% wartości projektu).

*Porównanie skuteczności trzech różnych metod uzyskiwania przerostu miąższu wątroby u chorych kwalifikowanych do częściowej resekcji narządu*

Założona liczba pacjentów: 154

Resekcja wątroby jest metodą z wyboru w leczeniu chorych z nowotworami tego narządu. Niestety, nie zawsze możliwe jest przeprowadzenie operacji, ponieważ pozostawiony po resekcji wątroby miąższ mógłby być niewystarczający dla pacjenta. Stosowane są różne metody pozwalające na przygotowanie pacjenta do operacji poprzez wymuszenie przerostu wybranego fragmentu wątroby, który ma pozostać po resekcji, m. in. embolizacja gałęzi żyły wrotnej (ang. *Portal Vein Embolization, PVE*), embolizacja gałęzi żyły wrotnej wraz z żyłą wątrobową (ang. *Liver Vein Deprivation, LVD*) czy procedura częściowego ALPPS (ang. *Associating Liver Partition And Portal Vein Ligation For Staged Hepatectomy*), czyli podwiązanie gałęzi żyły wrotnej wraz z częściowym przecięciem miąższu. Dotychczas nie zostało udowodnione, która z metod pozwala na największy przyrost wątroby, a publikowane prace opierały się na badaniach retrospektywnych lub metaanalizach. Celem badania jest porównanie skuteczności i bezpieczeństwa trzech metod uzyskiwania przerostu fragmentu miąższu wątroby (PVE, LVD i ALPPS) u chorych poddawanych częściowej resekcji tego narządu. Do badania włączani są chorzy, u których rozważane jest wykonanie rozległej resekcji wątroby po wcześniejszym uzyskaniu przerostu fragmentu wątroby planowanego do pozostawiania. Chorzy zostaną przydzieleni losowo w stosunku 12:71:71 odpowiednio do grup PVE, LVD i częściowy ALPPS. W pierwszym etapie leczenia pacjenci z poszczególnych grup zostaną poddani:

- ramię A: zabiegowi PVE,
- ramię B: zabiegowi LVD,
- ramię C: zabiegowi częściowego ALPPS, preferencyjnie techniką laparoskopową.

Drugi etap leczenia tzn. resekcja wątroby zostanie przeprowadzona w momencie osiągnięcia wystarczającego klirensu mebrofeniny.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 1

**Planowane efekty:** Obecnie stosowane są wszystkie 3 porównywane technologie (PVE, LVD i ALPPS), z powodu braku badań randomizowanych, które wykazałyby wyższość którejkolwiek z nich. Wykazanie, która z badanych procedur charakteryzuje się największą skutecznością w indukowaniu przerostu miąższu zwiększy liczbę chorych, którzy będą mogli zostać wyleczeni z nowotworu.

## 2.3.28. Projekt nr 2022/ABM/03/00035

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: American Heart of Poland S.A.. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 4 999 180,00 zł (100% wartości projektu).

*Porównanie standardowej strategii wczesnej implantacji stymulatora do strategii odroczonej implantacji stymulatora po wykonaniu oceny autonomicznej, elektrofizjologicznej i wskazań do kardioneuroablacji w leczeniu funkcjonalnego bloku przedsionkowo-komorowego - randomizowany eksperyment badawczy z grupą kontrolną - TELE -SPACER*

Założona liczba pacjentów: 300

Przetrwałe i napadowe zaburzenia przewodzenia przedsionkowo-komorowego stanowią istotny problem kliniczny oraz ryzyko nagłego zgonu sercowego. Symptomatologia i etiologia jest złożona, gdyż dotyczy przyczyn usuwalnych, przemijających lub występujących napadowo. Istotną lub dominującą rolę w zaburzeniach przewodzenia ma układu autonomiczny, prowadząc w okresie przetrwałej lub napadowej hiperwagotonii do wystąpienia czynnościowego, napadowego lub przetrwałego bloku przedsionkowo-komorowego (ang. *Atrioventricular Block*, *AVB*). Dokumentacja elektrokardiograficzna objawów w czasie AVB stanowi istotny element kwalifikacji i oceny skuteczności leczenia, co skutkuje rozwojem zastosowania diagnostyki telemedycznej i zdalnej oceny urządzeń. W leczeniu większości chorych z AVB zaleca się wszczepienie na stałe rozrusznika serca z elektrodami endokawitarnymi (ang. *Pacemaker*, *PM*). Głównym celem badania jest ocena korzyści i potencjalnego ryzyka zastosowania strategii odroczonego wszczepienia rozrusznika przy potwierdzeniu u chorego w badaniu elektrofizjologicznym i stymulacji nerwu błędnego możliwości wykonania i skuteczności kardioneuroablacji (ang. *Cardioneuroablation*, *CNA*). Badanie obejmie 100 pacjentów w wieku 18-75 lat ze wskazaniami do planowej implantacji stymulatora zgodnie z wytycznymi *Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego* (*ESC*) z 2021 roku (grupa badana) oraz około 200 pacjentów w ramieniu obserwacyjnym. Pacjenci włączeni do badania zostaną przydzieleni losowo w stosunku 1:1 do zoptymalizowanej terapii stymulatorem, zalecanej w wytycznych ESC (grupa A) lub kompleksowej oceny z możliwością CNA (grupa B) i odroczenia wszczepienia PM. Dodatkowo w badaniu zaplanowano ramię C, w którym pacjenci będą prowadzeni w indywidualnie dopasowanej interwencji, poprzez wspólne podejmowanie decyzji z możliwością implantacji PM (podgrupa CA), CNA (podgrupa CB) lub wyłącznie obserwacji (podgrupa CO). Wszyscy pacjenci otrzymają telemonitoring EKG, a w grupie B poddanej randomizacji dodatkowo telemonitoring wszczepialnego rejestratora zdarzeń ILR/ICM.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 5

**Planowane efekty:** Wyniki badania mogą mieć przełomowe znaczenie dla zmiany strategii postępowania i światowych wytycznych w wielu podgrupach chorych z AVB oraz stosowania kompleksowej, pełnoprofilowej i opartej na modyfikacji nadmiernego wpływu aktywności nerwu błędnego (napadowej lub przewlekłej hiperwagotonii) na funkcję układu przewodzącego serca diagnostyki u chorych z AVB.

## 2.3.29. Projekt nr 2022/ABM/03/00039

Obszar badawczy: psychiatria. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Centrum Medyczne Kształcenia Podyplomowego. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 10 143 284,17 zł (100% wartości projektu).

*Leczenie farmakologiczne zaburzenia kompulsywnych zachowań seksualnych*

Założona liczba pacjentów: 410

Zaburzenie typu kompulsywnych zachowań seksualnych (ang. *Compulsive Sexual Behaviour Disorder*, *CSBD*) jest nową jednostką diagnostyczną wprowadzoną w 2022 roku do 11 edycji *Międzynarodowej Klasyfikacji Chorób i Problemów Zdrowotnych ICD-11* (*WHO*). Wskazówki diagnostyczne CSBD określają, że u pacjenta przez dłuższy czas (np. 6 miesięcy lub dłużej) stwierdza się wzorzec utraty kontroli nad intensywnymi, powtarzającymi się impulsami lub pobudkami seksualnymi, prowadzący do powtarzających się zachowań seksualnych, których nie można lepiej uzasadnić innym zaburzeniem psychicznym (np. epizodem manii) lub innym stanem medycznym i nie jest on spowodowany stosowaniem substancji chemicznej lub leków. Dodatkowo powoduje istotne klinicznie cierpienie lub upośledzenie funkcjonowania psychicznego, fizycznego, społecznego, szkolnego, zawodowego lub innych istotnych obszarów funkcjonowania. Celem badania jest porównanie skuteczności wybranych metod leczenia farmakologicznego i różnych schematów dawkowania w leczeniu CSBD. Uczestnikami badania będą mężczyźni w wieku 18-60 lat poszukujący pomocy terapeutycznej w związku z poczuciem utraty kontroli nad zachowaniem seksualnym, z rozpoznaniem CSBD. Pacjenci będą losowo przydzieleni do jednego z pięciu ramion leczenia stosujących przez okres sześciu miesięcy: (1) escitalopram, (2) paroksetynę, (3) chlorowodorek naltreksonu, (4) escitalopram + chlorowodorek naltreksonu lub (5) placebo. Efekty leczenia będą monitorowane przy pomocy wystandaryzowanych narzędzi kwestionariuszowych, a także dzienniczków uwzględniających m.in. informacje o: zachowaniach seksualnych, zmianach nastroju, poziomie lęku, ważnych wydarzeniach życiowych. Mierzone będą również neuronalne biomarkery skuteczności terapii z wykorzystaniem elekroencefalografii (EEG).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 1

**Planowane efekty:** Badanie pozwoli na ustalenie standardów farmakoterapii wraz z informacją o zalecanych dawkach dla pacjentów z CSBD. Duże grupy pozwolą również na określenie czynników odpowiedzi na dany lek oraz interakcji leczenia daną substancją z podtypem zaburzenia. Stworzenie skutecznych, zweryfikowanych naukowo metod leczenia CSBD pozwoli na znaczną poprawę stanu zdrowia osób zmagających się z CSBD i z pewnością podniesie jakość życie również ich bliskich.

## 2.3.30. Projekt nr 2022/ABM/03/00040

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Uniwersytet Jagielloński. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 7 807 521,20 zł (100% wartości projektu).

*The effect of noradrenaline infusion versus standard blood pressure management on perioperative HYPotension in NOncaRdiac surgery (HYP-NOR trial)*

Założona liczba pacjentów: 750

Znieczulenie często powoduje zmniejszenie napięcia współczulnego, zwiększenie podatności układu żylnego i rozszerzenie naczyń krwionośnych. Ciśnienie tętnicze krwi jest kluczowym czynnikiem determinującym przepływ krwi w narządach końcowych, a okołooperacyjne niedociśnienie tętnicze może prowadzić do niewystarczającego ukrwienia tkanek i niedopasowania podaży tlenu do zapotrzebowania. Może również powodować uszkodzenia niedokrwienno-reperfuzyjne oraz pooperacyjną dysfunkcję narządów (np. uszkodzenia mięśnia sercowego i zawału, ostrego uszkodzenia nerek, udaru mózgu, majaczenia, zgonu z powodu niewydolności narządowej związanej z perfuzją). Hipotensja okołooperacyjna jest modyfikowalnym czynnikiem ryzyka powikłań pooperacyjnych. Pojawiające się dowody sugerują, że okołooperacyjny wlew noradrenaliny może zmniejszyć ekspozycję na niedociśnienie i poprawić rokowanie pooperacyjne w porównaniu z reaktywnym leczeniem hipotensji za pomocą podawania leków wazopresyjnych w bolusach. Głównym celem badania jest porównanie wpływu zastosowania wlewu noradrenaliny do standardowego postępowania w zakresie kontroli ciśnienia tętniczego krwi na występowanie hipotensji okołooperacyjnej podczas chirurgicznych zabiegów pozasercowych. Do badania rekrutowani będą pacjenci w wieku ≥45 lat poddawani zabiegom chirurgicznym niezwiązanym z sercem, w znieczuleniu ogólnym, nerwowo-osowym lub łączonym ogólnym i nerwowo-osowym, których przewidywany czas trwania wynosi ≥1 godzinę.

Pacjenci są randomizowani do okołooperacyjnego wlewu noradrenaliny (interwencja) albo standardowego postępowania w zakresie kontroli ciśnienia tętniczego krwi (grupa kontrolna) w okresie operacji i do 4 godzin po zabiegu.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 5

**Planowane efekty:** Badanie poprzez dostarczenie wysokiej jakości dowodów dotyczących kluczowego aspektu opieki okołooperacyjnej ma szansę poprawić wyniki leczenia pacjentów. Możliwe, że wyniki badania będą miały wpływ na praktykę kliniczną na całym świecie i wytyczą kierunki przyszłych badań w tej dziedzinie.

## 2.3.31. Projekt nr 2022/ABM/03/00044

Obszar badawczy: choroby zakaźne. Główny badacz: [redacted] Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny wraz z partnerem. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 4 946 978,00 zł (100% wartości projektu).

*Multicenter, randomized, open-label, three-arm study on the efficacy of fecal microbiota transplantation vs probiotic therapy vs eubiotic-gut-microbiota-boosting diet in order to antibiotic-resistant bacteria (ARB) decolonization from the gastrointestinal tract of patients colonized with clinically most significant ARBs. Looking for a strategy to overcome the WHO alarm on the antibiotic resistance "new pandemic" threat. STOP-ARB study*

Założona liczba pacjentów: 360

Oporność na antybiotyki rośnie do niebezpiecznie wysokiego poziomu we wszystkich częściach świata. Nowe mechanizmy oporności pojawiają się i rozprzestrzeniają na całym świecie, zagrażając naszej zdolności do leczenia powszechnych chorób zakaźnych. Coraz dłuższa lista infekcji staje się trudniejsza, a czasem wręcz niemożliwa do leczenia, ponieważ antybiotyki stają się mniej skuteczne. WHO wydała apel dotyczący potrzeby zaadaptowania nowych strategii walki z antybiotykoopornością w celu zapobiegania powstaniu nowej pandemii, która może wymazać dotychczasowe osiągnięcia cywilizacyjne. Eksperci szacują, że do 2050 roku na całym świecie nawet 10 milionów ludzi będzie umierać rocznie z powodu oporności na antybiotyki. Kolonizacja przez bakterie antybiotykooporne (ang. *Antibiotic-Resistant Bacteria, ARB*) to stan „tykającej bomby" – nie jest to choroba sama w sobie (jeszcze), ale w przypadku obniżonej, upośledzonej odporności lub uszkodzenia bariery jelitowej może powodować poważne zachorowalności i zgony. Wykazano, że kolonizacja jelit przez kolejne bakterie ARB może skutkować śmiertelnością od 36% do nawet 95% pacjentów, gdy u tych pacjentów wystąpi miejscowa infekcja lub sepsa. Celem niniejszego badania jest ocena skuteczności transplantacji mikrobioty jelitowej (ang. *Fecal Microbiota Transplantation, FMT*), terapii probiotykowej poprzedzonej przedleczeniem oraz obecnego standardu postępowania w postaci diety stymulującej eubiozę w dekolonizacji najbardziej istotnych klinicznie ARB z przewodu pokarmowego pacjentów. Populację docelową będą stanowić dorośli pacjenci z udokumentowanymi minimum dwoma posiewami kału, w których stwierdzono nosicielstwo klinicznie istotnych ARB. W badaniu zaplanowano randomizację na poziomie 2:1:1 do następujących 3 ramion:

- ramię A: transplantacja mikrobioty jelitowej,
- ramię B: dieta wzmacniająca eubiozę,
- ramię C: wieloszczepowa terapia probiotyczna.

**Planowane efekty:** Pozytywne wyniki badania mogą dostarczyć dowodów, na podstawie których transplantacja mikrobioty jelitowej i/lub inne czynniki modulujące mikrobiotę staną się nową metodą dekolonizacji i redukcji ryzyka infekcji antybiotykoopornych.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 10

## 2.3.32. Projekt nr 2022/ABM/03/00046

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny badacz: [redacted] Beneficjent: Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Opolu wraz z partnerami. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 9 279 635,25 zł (100% wartości projektu).

*Zastosowanie doustnej kolchicyny w celu zapobiegania restenozie w tętnicy udowej powierzchownej - COLSTENT Study*

Założona liczba pacjentów: 284

Miażdżyca tętnic kończyn dolnych (ang. *Lower Extremity Artery Disease*, *LEAD*) jest najczęstszą postacią choroby tętnic obwodowych (ang. *Peripheral Artery Disease*, *PAD*), która obejmuje choroby różnych tętnic, jak: szyjne, kręgowe, podobojczykowe, nerkowe, trzewne, biodrowe, kończyn górnych i dolnych. Cierpi na nią w Europie ok 40 milionów osób. LEAD najczęściej występuje po 65 roku życia. Wskazaniem do leczenia interwencyjnego są objawy niedokrwienia kończyn dolnych w postaci chromania przestankowego ograniczającego codzienne funkcjonowanie, a także bóle spoczynkowe i owrzodzenia na kończynie. Leczenie wewnątrznaczyniowe stało się standardem w LEAD, jednak ograniczeniem dla niego jest proces restenozy (ponowne zwężenie naczynia krwionośnego). Alternatywą jest farmakoterapia przeciwzakrzepowa jednak aktualnie brak jest randomizowanych badań klinicznych, oceniających jej skuteczność. Terapia ta nie wpływa jednak na podziały komórkowe, dlatego w zakresie ograniczania wzrostu neointimy jako alternatywę proponuje się stosowanie doustnej kolchicyny. Kolchicyna, jest powszechnie dostępnym, niedrogim i ogólnie dobrze tolerowanym lekiem, wykazującym działanie przeciwzapalne i hamujące podział komórki jako opcja leczenia miażdżycy i restenozy. Celem badania jest ocena skuteczności i tolerancji stosowania doustnej kolchicyny w celu zapobiegania restenozie w tętnicy udowej powierzchownej i wtórnej prewencji poważnych zdarzeń sercowo-naczyniowych u chorych z LEAD leczonych z użyciem stentu naczyniowego w odniesieniu do miejscowego uwalniania paklitakselu przez stenty uwalniające leki. Do badania rekrutowani są pacjenci z rozpoznaniem LEAD, ze zwężeniem w odcinku udowo-podkolanowym z przewlekłym niedokrwieniem kończyn dolnych, skierowanych do leczenia wewnątrznaczyniowego z użyciem stentów. Pacjenci będą randomizowani w stosunku 1:1 do dwóch ramion badania:

- ramię A: BMS (stent bez powłoki uwalniającej lek) +kolchicyna,
- ramię B: PX-DES (stent uwalniający paklitaksel).

**Planowane efekty:** Oczekuje się zidentyfikowania zmian w sekwencji, które będą bezpośrednio powiązane z reakcją na lek i jego tolerancją, w kontekście występowania określonych fenotypów naczyniowych co będzie stanowić podstawę personalizacji terapii.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 3

## 2.3.33. Projekt nr 2022/ABM/03/00047

Obszar badawczy: choroby zakaźne. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny wraz z partnerem. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 4 997 792,50 zł (100% wartości projektu).

*Multicenter, randomized, open-label, four-arm study on the efficacy of fecal microbiota transplantation vs bezlotoxumab vs fidaxomicin vs vancomycin in the treatment and relapse prophylaxis of Clostridioides difficile infection. STOP-CDI study*

Założona liczba pacjentów: 424

Zakażenie *Clostridioides Difficile* (*CDI*) jest obecnie jednym z najpoważniejszych problemów epidemiologicznych w szpitalach, prowadzącym do biegunek, powikłań, wysokiej śmiertelności i częstych nawrotów. W Polsce liczba przypadków CDI gwałtownie wzrosła w ostatnich latach, a leczenie standardowe (antybiotyki) często okazuje się niewystarczające, zwłaszcza u osób starszych i z chorobami współistniejącymi. Kluczowym wyzwaniem jest zapobieganie nawrotom choroby, które generują wysokie koszty leczenia i obniżają jakość życia pacjentów.

Celem projektu STOP-CDI jest porównanie skuteczności i bezpieczeństwa trzech strategii terapeutycznych w leczeniu oraz profilaktyce nawrotów CDI: przeszczepienia mikrobioty jelitowej (*FMT*), fidaksomycyny oraz wankomycyny. Badanie odpowiada na zalecenia międzynarodowych towarzystw naukowych, które wskazują na potrzebę dobrze zaprojektowanych badań porównawczych, pozwalających określić najskuteczniejsze i najbardziej opłacalne leczenie. Do badania włączani są dorośli pacjenci z wysokim ryzykiem ciężkiego i/lub nawrotowego CDI - osoby ≥65 lat lub 18–64 lat z co najmniej dwoma chorobami przewlekłymi, wcześniejszymi epizodami CDI, hospitalizacją w ostatnich 3 miesiącach, stosowaniem antybiotyków lub inhibitorów pompy protonowej po rozpoznaniu CDI). Pacjenci zostaną zrandomizowani do jednego z 3 ramion:

- ramię 1: FMT (przeszczep mikrobioty jelitowej) po krótkiej terapii wankomycyną i oczyszczeniu jelit (preferencyjnie kapsułki, alternatywnie kolonoskopia/gastroskopia/enema),
- ramię 2: fidaksomycyna (antybiotyk pierwszego rzutu przez 10 dni),
- ramię 3: wankomycyna (standard leczenia przez 10 dni).

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 10

**Planowane efekty:** Oczekuje się, że FMT znacząco zmniejszy liczbę nawrotów (do 10%), fidaksomycyna do 25%, a wankomycyna do 35%. Dodatkowo badanie oceni bezpieczeństwo terapii, wpływ na mikrobiotę jelitową, jakość życia pacjentów oraz efektywność kosztową. Wyniki mogą przyczynić się do zmiany standardów leczenia CDI w Polsce i na świecie, poprawy rokowania oraz ograniczenia kosztów systemu ochrony zdrowia.

## 2.3.34. Projekt nr 2022/ABM/03/00049

Obszar badawczy: serce i układ sercowo-naczyniowy. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Śląski Uniwersytet Medyczny. Rodzaj projektu: eksperyment badawczy. Kwota dofinansowania: 4 743 263,80 zł (100% wartości projektu).

*Stymulacja pęczka Hisa lub lewej odnogi pęczka Hisa jako elektroterapia zapobiegająca dysfunkcji lewej komory serca u pacjentów wymagających stymulacji serca po przezskórnej wymianie zastawki aortalnej*

Założona liczba pacjentów: 500

Stała stymulacja serca po przezcewnikowej implantacji zastawki aortalnej (ang. *Transcatheter Aortic Valve Implantation*, *TAVI*) jest standardem leczenia zaburzeń rytmu serca, jednak klasyczna stymulacja prawej komory (ang. *Right Ventricular Pacing*, *RVP*) może prowadzić do dyssynchronii mechanicznej i rozwoju kardiomiopatii postymulacyjnej (ang. *Pacing-Induced Cardiomyopathy*, *PICM*), zwiększając ryzyko niewydolności serca oraz zgonu. Nowoczesne metody, takie jak stymulacja układu bodźcoprzewodzącego serca (ang. *Conduction System Pacing*, *CSP*), mogą ograniczać te powikłania. Wciąż jednak brakuje jednoznacznych, randomizowanych badań porównujących długoterminowe efekty CSP i klasycznych technik stymulacji. Celem projektu jest porównanie skuteczności CSP z klasyczną stymulacją RVP oraz stymulacją biwentrykularną (BVP) w zapobieganiu rozwojowi niewydolności serca i poprawie przeżycia u pacjentów wymagających stymulacji po TAVI. Do badania zostaną włączeni pacjenci hospitalizowani po TAVI, u których wystąpił blok przedsionkowo-komorowy wysokiego stopnia lub złożone zaburzenia przewodzenia, kwalifikowani do implantacji stymulatora serca w ciągu 30 dni od zabiegu.

Pacjenci zostaną losowo przydzieleni do grupy badanej (CSP) lub kontrolnej (RVP/BVP). W grupie CSP elektroda zostanie implantowana do pęczka Hisa lub lewej odnogi pęczka Hisa, natomiast w grupie kontrolnej stosowana będzie klasyczna stymulacja prawej komory lub stymulacja biwentrykularna.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 10

**Planowane efekty:** Oczekuje się, że CSP zmniejszy ryzyko hospitalizacji z powodu niewydolności serca, poprawi funkcję lewej komory, jakość życia oraz przeżycie w porównaniu do standardowych metod. Wyniki badania mogą przyczynić się do zmiany wytycznych i praktyki klinicznej, a także poprawy efektywności leczenia oraz jakości życia pacjentów po TAVI w Polsce i na świecie.

## 2.3.35. Projekt nr 2022/ABM/03/00050

Obszar badawczy: urologia i nefrologia. Główny badacz: [redacted]. Beneficjent: Śląski Uniwersytet Medyczny. Rodzaj projektu: niekomercyjne badanie kliniczne. Kwota dofinansowania: 8 523 665,70 zł (100% wartości projektu).

*Profilaktyka udaru mózgu za pomocą apiksabanu u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek w stadium 5 i migotaniem przedsionków (SACK)*

Założona liczba pacjentów: 200

Częstość występowania przewlekłej choroby nerek (ang. *Chronic Kidney Disease*, *CKD*) na świecie stale się zwiększa i wynosi około 10% w populacji osób dorosłych. Jest to spowodowane wyraźnym wzrostem liczby pacjentów z otyłością, nadciśnieniem tętniczym i cukrzycą. Wśród najstarszych grup wiekowych (powyżej 80 roku życia), odsetek chorych z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek wynosi około 50%. Migotanie przedsionków (ang. *Atrial Fibrillation*, *AF*) jest powszechne (15–30%) u pacjentów z CKD, a częstość występowania AF wzrasta wraz ze stopniem zaawansowania przewlekłej choroby nerek. W późnych stadiach CKD nie przeprowadzono dotąd randomizowanych badań kontrolowanych dotyczących zarówno skuteczności, jak i bezpieczeństwa terapii przeciwzakrzepowej (zarówno z zastosowaniem warfaryny, jak i bezpośrednich doustnych leków przeciwzakrzepowych w profilaktyce udaru mózgu w przebiegu AF.

Głównym celem badania jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa stosowania apiksabanu w profilaktyce udaru mózgu u dializowanych i niedializowanych pacjentów z przewlekłą chorobą nerek w stadium 5 i współistniejącym AF. Do badania rekrutowani są dorośli z CKD w stadium 5 (trwające leczenie z zastosowaniem przewlekłej dializoterapii lub szacowany współczynnik filtracji kłębuszkowej (eGFR) <20 ml/min/1,73 $m^2$ i diagnoza przewlekłego (tj. powtarzającego się) napadowego, uporczywego lub trwałego migotania przedsionków lub trzepotania przedsionków). Pacjenci zostaną zrandomizowani (w stosunku 1:1) do jednej z dwóch grup:

- ramię aktywne – stosowanie apiksabanu oraz standardowa terapia,
- ramię kontrolne – stosowanie standardowej terapii bez antykoagulacji.

Liczba ośrodków zaplanowanych w WoD: 5

**Planowane efekty:** Udowodnienie klinicznej zasadności stosowania doustnych antykoagulantów niebędących antagonistami witaminy K (w tym apiksabanu) u pacjentów ze schyłkową niewydolnością nerek i AF, pozwoliłoby na dostarczenie wskazań refundacyjnych w ramach profilaktyki zdarzeń naczyniowo-mózgowych i zagwarantowałoby szeroką dostępność do leku w ww. populacji.

## 2.4. Metoda ewaluacji

Ewaluacja projektów wyłonionych w ramach konkursów 2022/ABM/01 oraz 2022/ABM/03 miała miejsce między majem a listopadem 2025 roku. Wszystkie projekty poddane ewaluacji były w trakcie realizacji (między 27 a 40 miesiącem od podpisania umowy z ABM w momencie realizacji badania ankietowego). W tej sytuacji jako najwłaściwszą formę przeprowadzenia ewaluacji wybrano ewaluację formatywną, której głównym celem jest analiza danych zebranych w czasie trwania projektów i wykorzystanie otrzymanych informacji do usprawnienia działań w ewaluowanych projektach oraz poprawy realizacji kolejnych.

Proces ewaluacji został podzielony na trzy główne etapy:

- wstępna analiza danych posiadanych na temat wszystkich 35 projektów,
- część badawcza ewaluacji – wywiady jakościowe oraz ankiety internetowe z osobami zaangażowanymi w realizację projektów,
- końcowa analiza danych i podsumowanie wyników.

### 2.4.1. Wstępna analiza danych

Wstępna analiza danych ewaluowanych projektów została przeprowadzona na podstawie Wniosków o Dofinansowanie, raportów cząstkowych składanych w trakcie realizacji projektów oraz wyników przeprowadzonych w latach 2022 - 2024 ewaluacji formatywnych projektów NBK2019, NBK2020 i NBK2021. Analiza projektów dotyczyła ogólnej charakterystyki obszarów badawczych, deklarowanej liczby pacjentów objętych badaniem klinicznym, poziomu rekrutacji, podstawowych informacji z zakresu finansowania projektów. Analiza wyników ewaluacji formatywnej projektów skupiła się na: terminowości realizacji poszczególnych etapów projektów, współpracy ośrodków badawczych z pozostałymi interesariuszami (w tym z ABM), analizie zmian w projektach, stwierdzonych problemach oraz proponowanych środkach zaradczych. Wyniki obu tych analiz zostały wykorzystane przy przygotowaniu części badawczej obecnej ewaluacji.

### 2.4.2. Część badawcza ewaluacji

Część badawcza ewaluacji została podzielona na dwa główne etapy:

- wywiady jakościowe z głównymi badaczami/osobami odpowiedzialnymi za bezpośrednią realizację wybranych projektów
- ankiety ilościowe – wspomagane za pomocą oprogramowania komputerowego wywiady realizowane poprzez platformę internetową (*Computer-Assisted Web Interview*, CAWI) z głównymi badaczami/osobami odpowiedzialnymi za bezpośrednią realizację projektów.

#### *2.4.2.1. Wywiady jakościowe z głównymi badaczami/osobami odpowiedzialnymi za realizację projektów*

Celem tego etapu było zebranie niezbędnych informacji do opracowania ankiety wywiadu ilościowego z głównymi badaczami/osobami odpowiedzialnymi za bezpośrednią realizację projektów. Cel ten został osiągnięty za pomocą 6 wywiadów zrealizowanych za pomocą platformy Microsoft Teams. Wywiady te zostały przeprowadzone w dniach od 25 września do 8 października 2025 roku z osobami realizującymi projekty w ramach następujących obszarów badawczych:

- eksperymenty badawcze: 2 wywiady

- niekomercyjne badania kliniczne: 4 wywiady

Każdy z wywiadów trwał około 60 minut i miał formę rozmowy on-line. W rozmowie tej poruszane były wątki:

- przebiegu projektu,
- stopnia zaawansowania projektu (rekrutacji ośrodków i uczestników),
- ewentualnych opóźnień w realizacji projektu,
- napotykanych problemów i ich przyczyn,
- zmian w projekcie,
- współpracy z ośrodkami i partnerami,
- współpracy z CRO i CWBK,
- współpracy z Agencją Badań Medycznych.

Na podstawie wywiadów opracowana została również lista postulatów zgłaszanych przez Beneficjentów obejmująca potencjalne obszary wsparcia projektów przez ABM. Lista ta została wykorzystana przy tworzeniu ankiety ilościowej w kolejnym etapie badań. Lista zagadnień do dyskusji w wywiadach jakościowych stanowi Załącznik 1 do niniejszego raportu.

#### *2.4.2.2. Ankiety ilościowe dla głównych badaczy/osób odpowiedzialnych za realizację projektów*

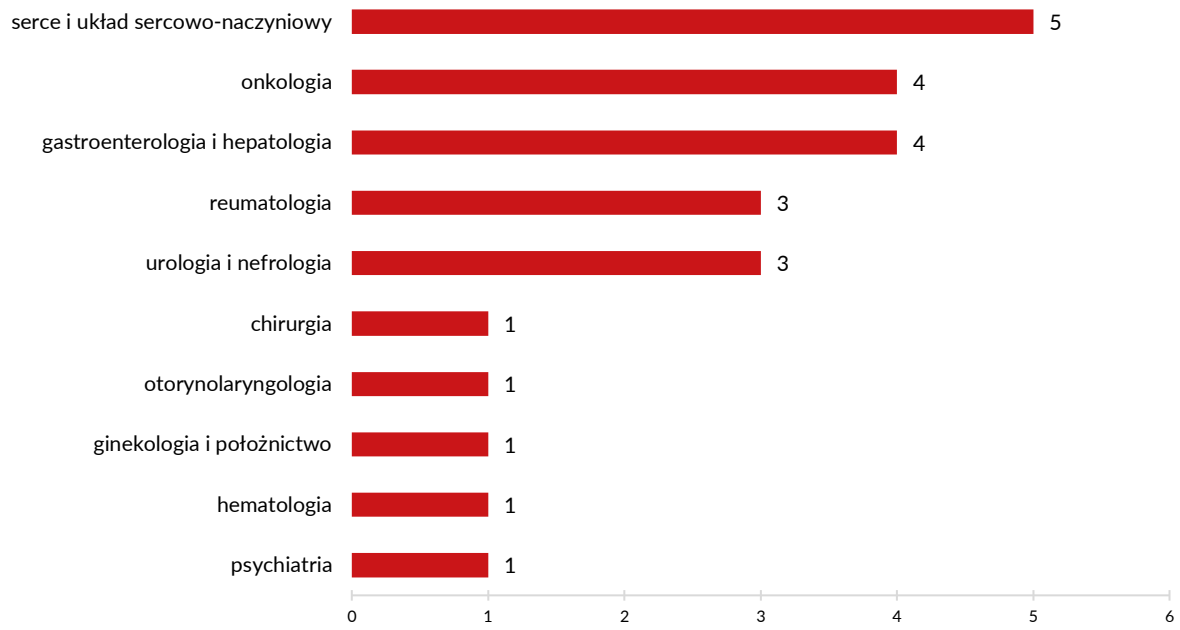
Na podstawie wstępnej analizy danych pochodzących z Wniosków o Dofinansowanie oraz raportów cząstkowych składanych co 6 miesięcy przez Beneficjentów konkursów 2022/ABM/01 i 2022/ABM/03, wyników wywiadów jakościowych oraz wyników wcześniejszych ewaluacji formatywnych projektów opracowana została ankieta ilościowa skierowana do głównych badaczy/osób odpowiedzialnych za realizację projektu. Ankieta została utworzona przy wsparciu oprogramowania *LimeSurvey Community Edition* jako badanie CAWI. Do 35 głównych badaczy odpowiedzialnych za realizację projektów rozesłane zostały zaproszenia e-mailowe wraz z linkiem do ankiety. Etap zbierania danych od Beneficjentów był realizowany między październikiem a listopadem 2025 roku. Ankiety zawierały zarówno pytania zamknięte (wybór odpowiedzi z listy), jak i pytania otwarte pozwalające na swobodną wypowiedź, czy podanie własnego uzasadnienia przez respondentów. Ankieta ilościowa CAWI stanowi Załącznik 2 do niniejszego raportu.

## 2.5. Ogólny opis projektów

### 2.5.1. Obszary tematyczne projektów

Projekty realizowane i poddane analizie często łączą kilka różnych obszarów terapeutycznych. Na potrzeby ewaluacji projekty zostały pogrupowane i przypisane do obszarów. Szczegółowe informacje o liczbie projektów z poszczególnych obszarów tematycznych zostały zaprezentowane na wykresie 1 oraz wykresie 2.

Wykres 1. Podstawowe informacje o projektach NBK. Liczba projektów z poszczególnych obszarów tematycznych [N=24]




Wykres 2. Podstawowe informacje o projektach EB. Liczba projektów z poszczególnych obszarów tematycznych [N=11]




### 2.5.2. Liczba uczestników badań

Zadeklarowana na etapie składania Wniosków o Dofinansowanie liczba uczestników objętych badaniami w ramach projektów wyłonionych w obu konkursach to 12 199, a po wprowadzonych zmianach 11 958 uczestników.

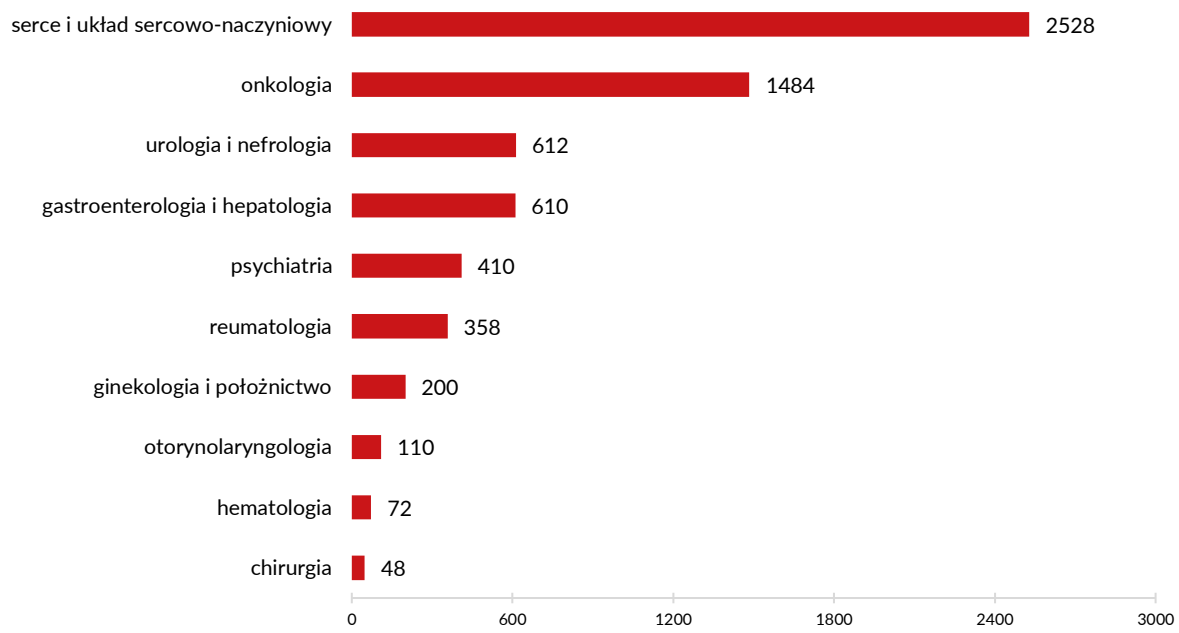
### *2.5.2.1. Niekomercyjne badania kliniczne*

Zadeklarowana na etapie składania Wniosków o Dofinansowanie liczba pacjentów objętych badaniami klinicznymi w ramach projektów wyłonionych w obu konkursach to 6 622. Na prośbę głównych badaczy wprowadzono zmiany i zaktualizowana liczba pacjentów deklarowana w okresie przeprowadzania ewaluacji wyniosła 6 432. W konkursie 2022/ABM/01 liczba pacjentów to 2 502 (minimum 24 pacjentów, a maksimum 1 116 pacjentów), a w konkursie 2022/ABM/03 liczba pacjentów będących uczestnikami NBK to 3 930 (minimum 66 pacjentów, a maksimum 900 pacjentów).

W 20 z 24 projektów NBK populację badaną stanowią jedynie osoby powyżej 18 roku życia (łącznie 5 746 pacjentów). W dwóch projektach badacze zadeklarowali wyłącznie rekrutację osób poniżej 18 roku życia (322 pacjentów) i w dwóch projektach populację mieszaną tj. dopuszczającą do badania zarówno dzieci, jak i osoby pełnoletnie (364 pacjentów).

W poszczególnych projektach liczba pacjentów jest zróżnicowana i zależna od obszaru badawczego i klasyfikacji choroby. Najmniejsza zadeklarowana grupa to 24 pacjentów – projekt 2022/ABM/01/00006 (badanie z obszaru onkologii), największa to 1 116 pacjentów – projekt 2022/ABM/01/00027 (badanie z obszaru serce i układ sercowo-naczyniowy). Szczegółowe informacje o liczbie pacjentów z poszczególnych obszarów zostały zaprezentowane na wykresie 3.

Wykres 3. Podstawowe informacje o projektach NBK. Liczba pacjentów z poszczególnych obszarów tematycznych [N=24]




### *2.5.2.2. Eksperymenty badawcze*

Zadeklarowana na etapie składania Wniosków o Dofinansowanie liczba uczestników objętych eksperymentami badawczymi to 5 577. Na prośbę głównych badaczy wprowadzono zmiany, a zaktualizowana liczba uczestników deklarowana w okresie przeprowadzania ewaluacji wyniosła 5 526 (minimum 60 uczestników, a maksimum 3 000 uczestników).

W 9 z 11 eksperymentów badawczych populację badaną stanowią jedynie osoby powyżej 18 roku życia (łącznie 5 274 uczestników). W dwóch projektach badacze zadeklarowali wyłącznie rekrutację osób poniżej 18 roku życia (252 uczestników).

W poszczególnych projektach liczba uczestników jest zróżnicowana i zależna od obszaru badawczego i klasyfikacji choroby. Najmniejsza zadeklarowana grupa to 60 uczestników – projekt 2022/ABM/03/00014 (eksperyment z obszaru okulistyki), największa to 3 000 uczestników – projekt 2022/ABM/03/00027 (eksperyment z obszaru radiologii, medycyny jądrowej i medycyny obrazowej). Szczegółowe informacje o liczbie uczestników z poszczególnych obszarów zostały zaprezentowane na wykresie 4.

Wykres 4. Podstawowe informacje o projektach EB. Liczba uczestników z poszczególnych obszarów tematycznych [N=11]




## 2.5.3. Terapie

### *2.5.3.1. Niekomercyjne badania kliniczne*

Produkty lecznicze, których bezpieczeństwo i skuteczność sprawdzana jest w największej grupie badań klinicznych (23 projekty) są bardzo zróżnicowane i obejmują zarówno terapie biologiczne, leki małocząsteczkowe, jak i produkty stosowane w diagnostyce lub leczeniu wspomagającym. Najwięcej projektów dotyczy terapii biologicznych i immunoterapii (7 projektów), 5 ma charakter mieszany (biologiczne + małocząsteczkowe), a 3 projekty koncentrują się na inhibitorach małocząsteczkowych. Pozostałe 8 projektów obejmuje badania m.in. leków przeciwwirusowych, glikokortykosteroidów działających miejscowo, leków działających na OUN, amin presyjnych, kolchicyny, środków do rzucania palenia oraz środka kontrastowego.

W jednym projekcie zaplanowane zostało wykorzystanie produktu leczniczego terapii zaawansowanej (ATMP), w którym stosowane będą autologiczne i allogeniczne komórki z tkanki tłuszczowej - auto-ASC i allo-ASC.

#### *2.5.3.2. Eksperymenty badawcze*

Wśród dofinansowanych eksperymentów badawczych najwięcej projektów dotyczy procedur obrazowych i standaryzacji ich oceny (3 projekty). Dwa projekty obejmują transplantację mikrobioty jelitowej (FMT), przy czym w jednym projekcie FMT występuje razem z antybiotykoterapią (wankomycyna/fidaksomycyna). Pozostałe projekty obejmują interwencje dotyczące: laseru mikropulsowego, ablacji przedsionkowej z denerwacją nerkową, technik indukcji przerostu wątroby (PVE/LVD/ALPPS), diety CDED, elektroterapii oraz zabiegów elektrofizjologicznych i terapii urządzeniowej.

### 2.5.4. Produkty lecznicze

W ramach ewaluowanych konkursów Beneficjenci mogli składać wnioski, które dotyczyły oceny skutków działania zarejestrowanego produktu leczniczego w nowym wskazaniu lub dawce, wypracowania nowych schematów diagnostycznych, a także opracowania nowych standardów leczenia, diagnostyki, rehabilitacji lub profilaktyki. Z 35 ewaluowanych projektów 26 koncentruje się na produktach leczniczych, jeden na ATMP. Pozostałe 8 projektów skupia się m.in. na nowych metodach obrazowych i schematach terapeutycznych.

#### *2.5.4.1. Niekomercyjne badania kliniczne*

W 23 projektach niekomercyjnych badań klinicznych istniała potrzeba zakupu produktu leczniczego. W 12 projektach lek został zakupiony za pośrednictwem hurtowni farmaceutycznych. 7 głównych badaczy zdecydowało się na zakup leku bezpośrednio od producenta. Na potrzeby 4 projektów produkt leczniczy został wytworzony na zamówienie. Najczęściej występującym podmiotem jako dostawca leku była CEFEA Sp. z o.o. (5 projektów) oraz Urtica Sp. z o.o. (4 projekty). 8 badań klinicznych prowadzonych jest w systemie superiority (placebo jako komparator). W 6 projektach placebo było wytwarzane na zamówienie, a w dwóch zostało zakupione w hurtowni farmaceutycznej.

12 głównych badaczy zgłosiło problemy z zakupem leku, a 4 badaczy dodatkowo zgłosiło problemy z zakupem placebo. Najczęściej zgłaszane problemy z zakupem leku to opóźnienia/problemy proceduralne w tym dotyczące umów po stronie dostawców m.in. długie procedowanie i konieczność korzystania z trybu zakupu „z wolnej ręki" po unieważnionych postępowaniach, problemy z podpisaniem umowy i brak elastyczności dostawcy oraz brak skutecznej komunikacji z dostawcą (np. rozbieżności co do sposobu dostawy/opakowań). W przypadku pozyskania placebo do badań napotkane trudności to głównie problemy z uzyskaniem wycen - potencjalni dostawcy nie chcieli podjąć się wyceny z uwagi na brak możliwości realizacji zamówienia oraz trudności z podpisaniem umowy.

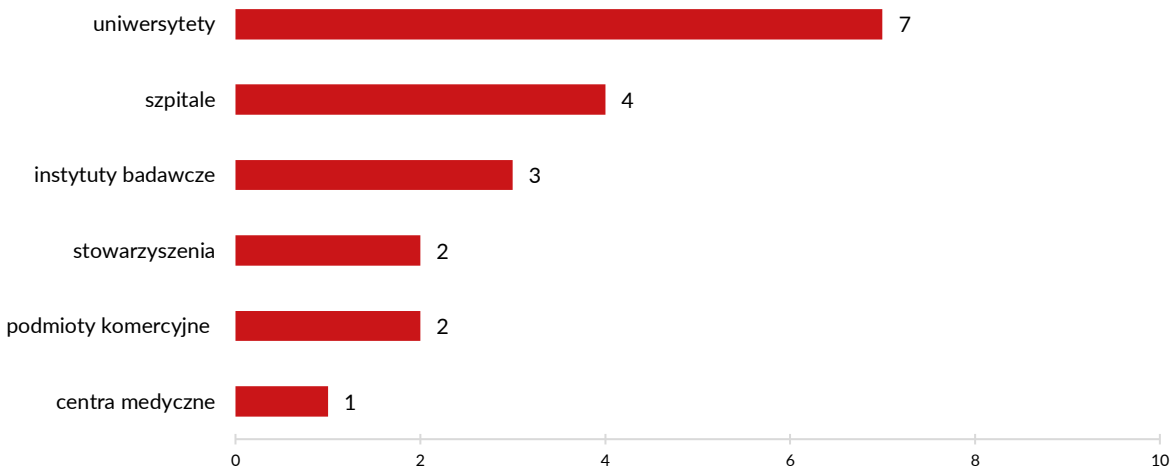
#### *2.5.4.2. Eksperymenty badawcze*

W realizowanych eksperymentach badawczych tylko w 2 na 11 projektów istniała potrzeba zakupu produktu leczniczego. W obu przypadkach lek został dostarczony przez firmę farmaceutyczną (Salus International sp. z o.o. i Komtur Polska Sp. z o.o.). Jeden badacz zgłosił trudności z pozyskaniem leku polegające na braku dostępności wszystkich leków w tym samym czasie. W żadnym eksperymencie nie zaplanowano wykorzystania placebo w badaniu.

### 2.5.5. Partnerzy w projektach

10 projektów (w tym 2 eksperymenty badawcze) realizowane jest we współpracy z partnerami (w ramach konsorcjum). Łącznie w analizowanych projektach bierze udział 19 partnerów krajowych. Podsumowanie udziału poszczególnych typów partnerów krajowych w projektach poddanych ewaluacji zamieszczone zostało na wykresie 5.

Wykres 5. Liczba projektów z partnerami krajowymi poszczególnych typów [N=35]



# 3. Ewaluacja

W ramach ewaluacji przeanalizowano poszczególne etapy realizacji projektów, począwszy od procesu pozyskiwania zgód regulatorowych niezbędnych do prowadzenia badań. Czas wymagany do uzyskania zgody Komisji Bioetycznej (KB) oraz Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL) stanowił jedną ze zmiennych wpływających na tempo realizacji niekomercyjnych badań klinicznych. W przypadku eksperymentów badawczych uzyskanie zgody KB było wymagane już na etapie składania Wniosku o Dofinansowanie.[5]

Jednocześnie zidentyfikowano dwa główne obszary, które w największym stopniu warunkowały postęp prac po uzyskaniu zgód regulatorowych:

- współpraca z ośrodkami badawczymi rekrutującymi pacjentów do badań,
- wsparcie ze strony administracji sponsora i jednostki zarządzającej badaniem.

Wśród pozostałych kategorii czynników wpływających na prawidłowy przebieg projektów uwzględniono również postęp rekrutacji pacjentów, jakość i efektywność komunikacji, a także procesy upowszechniania informacji o badaniu. Dodatkowo ewaluacja obejmowała zagadnienia związane z realizacją projektów w ujęciu merytorycznym, organizacyjnym i finansowym, w tym analizę wprowadzanych zmian oraz identyfikację napotykanych problemów. W ewaluacji uwzględniono także postulaty beneficjentów dotyczące rozwiązań, które mogą usprawnić dalszą realizację projektów oraz zwiększyć efektywność ich wdrażania.

## 3.1. Planowany czas trwania oraz terminy realizacji projektów

Czas zaplanowany na realizację projektów wynosi od 40 do 72 miesięcy (maksymalny czas realizacji projektów według regulaminów konkursów). 17 z 35 głównych badaczy zdecydowało się na maksymalny okres realizacji projektu.

### 3.1.1. Niekomercyjne badania kliniczne

W ramach przeprowadzonych konkursów maksymalny czas trwania projektu został ograniczony do 72 miesięcy. Wnioskodawcy mogli jednak sami określać czas realizacji projektu obejmujący proces rejestracji badania klinicznego, jego realizację oraz przeanalizowanie danych i zakończenie. Czas zaplanowany na realizację projektów wynosi od 48 do 72 miesięcy (z medianą wynoszącą 72 miesiące). 14 z 24 badaczy zdecydowało się na maksymalny okres realizacji, 8 wyznaczyło czas realizacji między 60 a 70 miesięcy, a 2 badaczy podało czas realizacji projektu między 48 a 54 miesięcy.

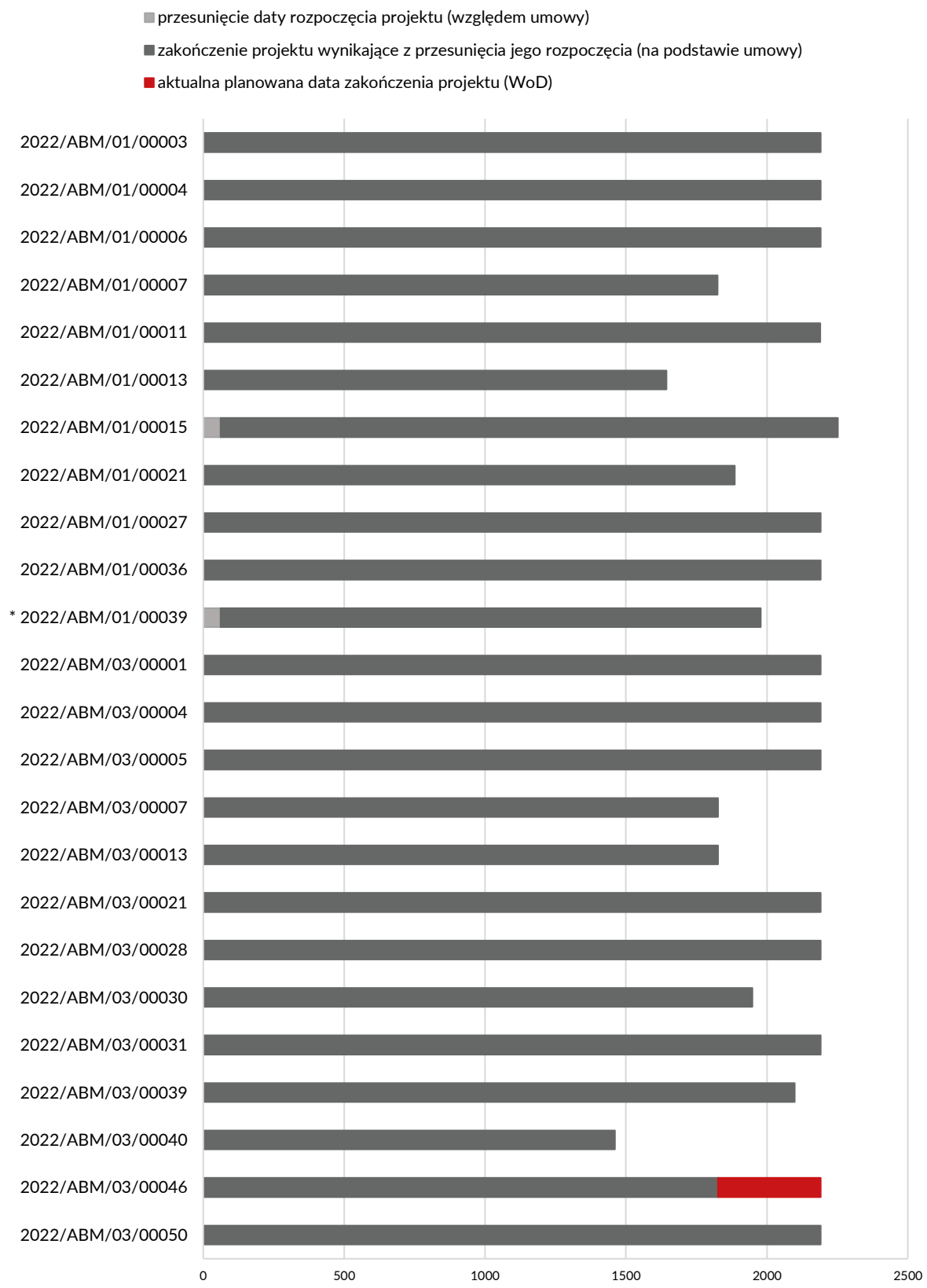
Ewaluowane projekty rekrutowały się w dwóch konkursach, z czego dodatkowo w konkursie 2022/ABM/01 nabór wniosków prowadzony był w dwóch rundach, które następowały po sobie. Umowy o dofinansowanie podpisywane były więc sukcesywnie po każdym rozstrzygniętym konkursie lub jego etapie. Najwcześniejsze umowy zostały podpisane 20 lipca 2022 roku, a ostatnie 20 lipca 2023.

Wnioskodawcy sami mogli określić we Wniosku o Dofinansowanie termin rozpoczęcia projektu.

[5] Eksperyment badawczy wymaga opinii Komisji Bioetycznej, natomiast obowiązki wobec URPL dotyczą tylko projektów kwalifikowanych jako badanie kliniczne (np. produktu leczniczego lub wyrobu medycznego).

W 9 na 24 projekty umowa z ABM została podpisana po zaplanowanym we Wniosku o Dofinansowanie terminie początku realizacji (do 88 dni). W jednym przypadku data podpisania umowy pokrywa się z datą rozpoczęcia projektu. W 15 projektach okres początku realizacji został określony z datą późniejszą niż data podpisania umowy o dofinansowanie (6 do 53 dni). Aby uniknąć rozbieżności na potrzeby ewaluacji dla wszystkich projektów za termin rozpoczęcia realizacji (zgodnie z zapisem umowy o dofinansowanie) przyjęto aktualny termin podany we Wniosku o Dofinansowanie. Oznacza to, że w czasie, w którym przeprowadzana była ewaluacja projekty znajdowały się pomiędzy 28 a 40 miesiącem realizacji. Ze względu na różny czas realizacji projektów stopień zaawansowania prac w projektach szacowany na podstawie długości ich trwania w okresie przeprowadzania ewaluacji wahał się od 39% do 74%. Na wykresie 6 przedstawiono zmiany w terminach realizacji projektów NBK.

Wykres 6. Zmiany w terminach realizacji projektów NBK (w dniach kalendarzowych – oś X) [N=24][6]




[6] * Czas realizacji projektu 2022/ABM/01/00039 został skrócony o 2 miesiące – o 2 miesiące opóźnione zostało rozpoczęcie projektu przy zachowaniu tego samego terminu planowanego zakończenia.

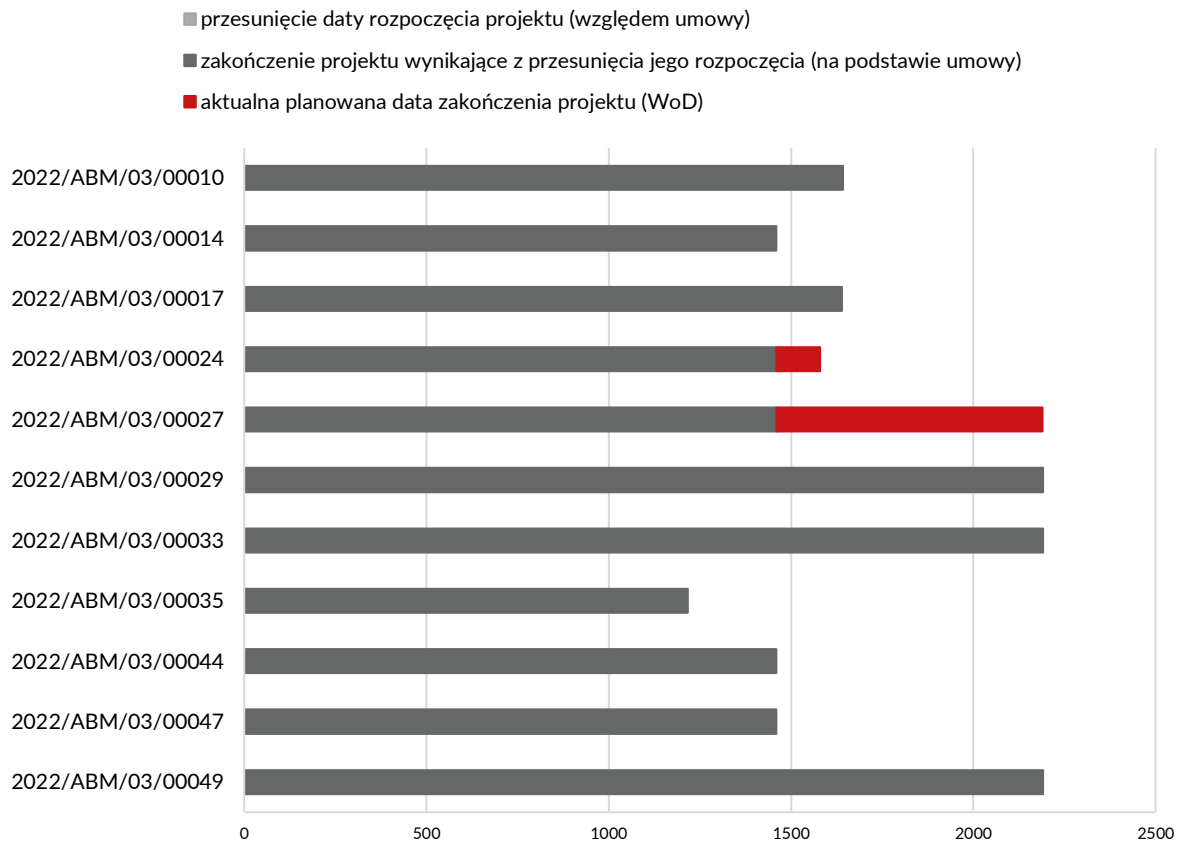
### 3.1.2. Eksperymenty badawcze

W ramach przeprowadzonego konkursu, w którym dopuszczalne były projekty eksperymentów badawczych (2022/ABM/03) maksymalny czas trwania projektu został ograniczony do 72 miesięcy. Czas zaplanowany na realizację projektów przez beneficjentów wynosi od 40 do 72 miesięcy (z medianą wynoszącą 48 miesięcy). 3 z 11 badaczy zdecydowało się na maksymalny okres realizacji projektu, 2 wyznaczyło czas realizacji na 54 miesiące, a 6 badaczy podało czas realizacji projektu między 40 a 48 miesięcy.

Pierwsze umowy o dofinansowanie podpisywane były 27 kwietnia 2023 roku, a ostatnia 7 sierpnia 2023 roku.

Wnioskodawcy sami mogli określić we Wniosku o Dofinansowanie termin rozpoczęcia projektu. W 8 na 11 projektów umowa z ABM została podpisana po zaplanowanym we Wniosku o Dofinansowanie terminie początku realizacji (do 126 dni). W 3 projektach okres początku realizacji został określony z datą późniejszą niż data podpisania umowy o dofinansowanie (14 do 17 dni). Aby uniknąć rozbieżności na potrzeby ewaluacji dla wszystkich projektów za termin rozpoczęcia realizacji (zgodnie z zapisem Umowy o Dofinansowanie) również przyjęto aktualny termin podany we Wniosku o Dofinansowanie. Oznacza to, że w czasie, w którym przeprowadzana była ewaluacja eksperymenty badawcze znajdowały się pomiędzy 29 a 34 miesiącem realizacji. Ze względu na różny czas realizacji projektów stopień zaawansowania prac szacowany na podstawie długości ich trwania w okresie przeprowadzania ewaluacji wahał się od 40% do 80%. Na wykresie 7 przedstawiono zmiany w terminach realizacji projektów.

Wykres 7. Zmiany w terminach realizacji projektów EB (w dniach kalendarzowych – oś X) [N=11]



## 3.2. Całkowity planowany czas leczenia/interwencji

Planowany czas trwania leczenia/przebywania uczestnika w badaniu we wszystkich 35 ewaluowanych badaniach (screening, leczenie, monitoring oraz follow up) jest bardzo zróżnicowany i wynosi od 1 do 60 miesięcy.

### 3.2.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Najkrótszy czas leczenia i obserwacji pacjentów (2 miesiące) dotyczy projektów:

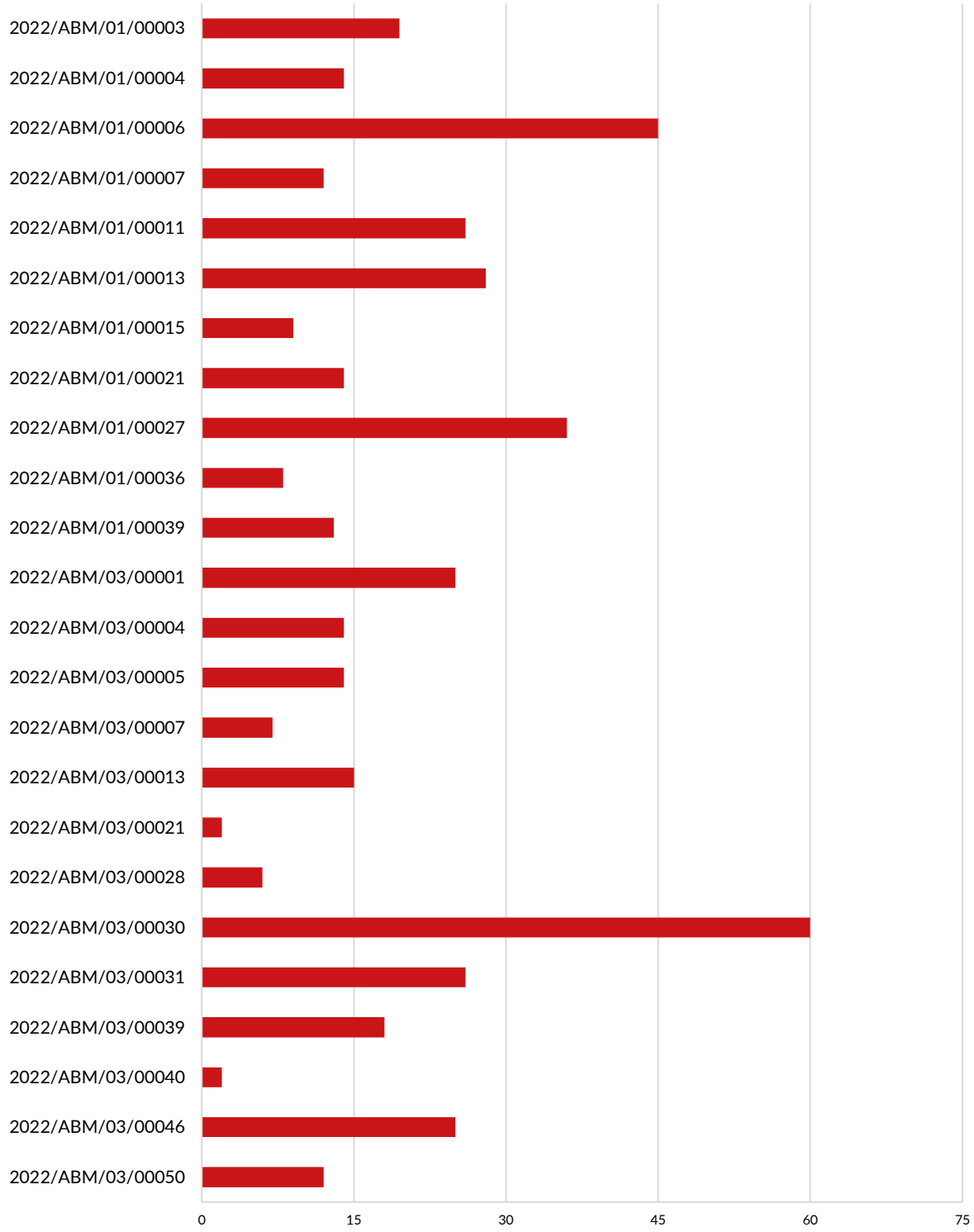
- 2022/ABM/03/00021: *Ocena skuteczności i bezpieczeństwa stosowania jodowych w środków kontrastowych w mammografii spektralnej w korelacji z badaniem rezonansu magnetycznego piersi u chorych z podejrzeniem raka piersi*,
- 2022/ABM/03/40: *The effect of noradrenaline infusion versus standard blood pressure management on perioperative HYPotension in NOncaRdiac surgery (HYP-NOR trial).*

Najdłuższy czas leczenia i obserwacji pacjentów obejmuje 60 miesięcy i dotyczy projektu:

- 2022/ABM/03/00030: *Jednoośrodkowe, randomizowane badanie kliniczne porównujące skuteczność stosowania cytyzyny w schemacie przedłużonego dawkowania z nikotynową terapią zastępczą u pacjentów z Zespołem Uzależnienia od Nikotyny i Przewlekłą Chorobą Nerek*

Mediana czasu trwania leczenia pacjenta w planowanych badaniach (screening, leczenie, monitoring oraz follow up) to 28 miesięcy. Wykres 8 przedstawia całkowity planowany czas leczenia pacjentów.

Wykres 8. Całkowity planowany czas leczenia pacjentów w projektach NBK (w miesiącach – oś X) [N=24]



### 3.2.2. Eksperymenty badawcze

Najkrótszy czas interwencji i obserwacji uczestników (1 miesiąc) dotyczy projektu:

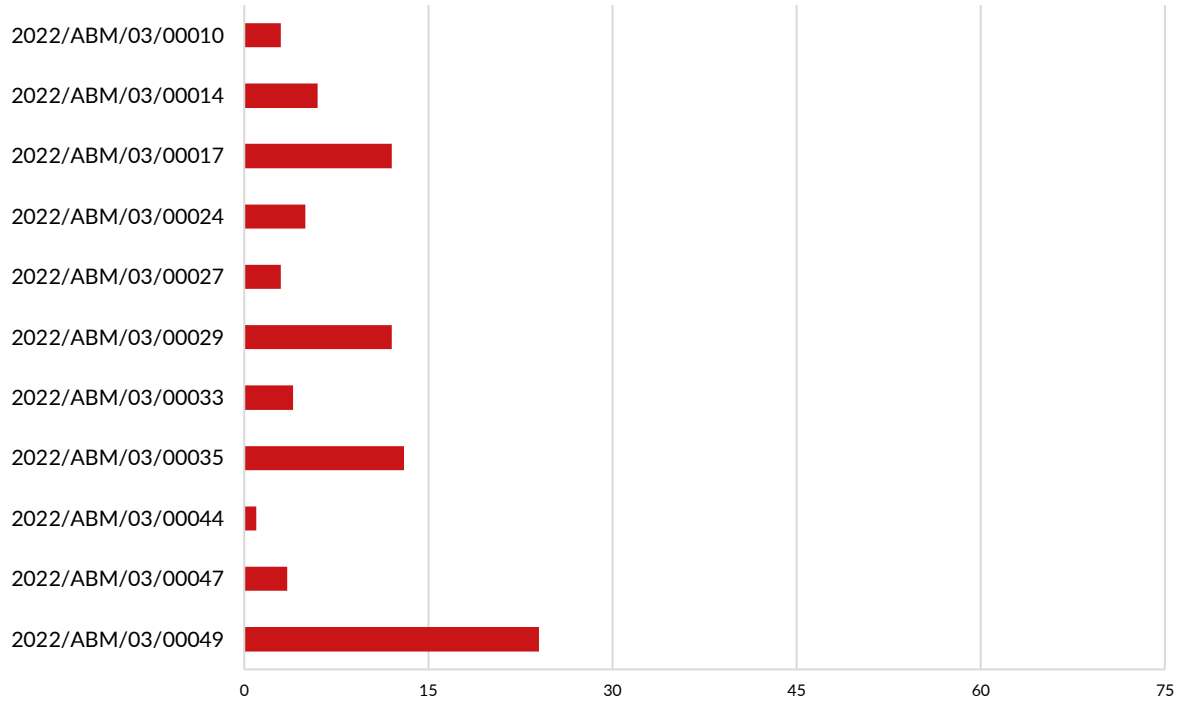
- 2022/ABM/03/44: *Multicenter, randomized, open-label, three-arm study on the efficacy of fecal microbiota transplantation vs probiotic therapy vs eubiotic-gut-microbiota-boosting diet in order to antibiotic-resistant bacteria (ARB) decolonization from the gastrointestinal tract of patients colonized with clinically most significant ARBs. Looking for a strategy to overcome the WHO alarm on the antibiotic resistance "new pandemic" threat. STOP-ARB study*

Najdłuższy czas interwencji i obserwacji uczestników obejmuje 24 miesiące i dotyczy projektu:

- 2022/ABM/03/49: Stymulacja pęczka Hisa lub lewej odnogi pęczka Hisa jako elektroterapia zapobiegająca dysfunkcji lewej komory serca u pacjentów wymagających stymulacji serca po przezskórnej wymianie zastawki aortalnej

Mediana czasu przebywania uczestnika w badaniu (screening, interwencja, monitoring oraz follow up) to 5 miesięcy. Wykres 9 przedstawia całkowity planowany czas interwencji i obserwacji uczestników.

Wykres 9. Całkowity planowany czas interwencji i obserwacji uczestników w projektach EB (w miesiącach – oś X), [N=11]




## 3.3. Planowana rekrutacja

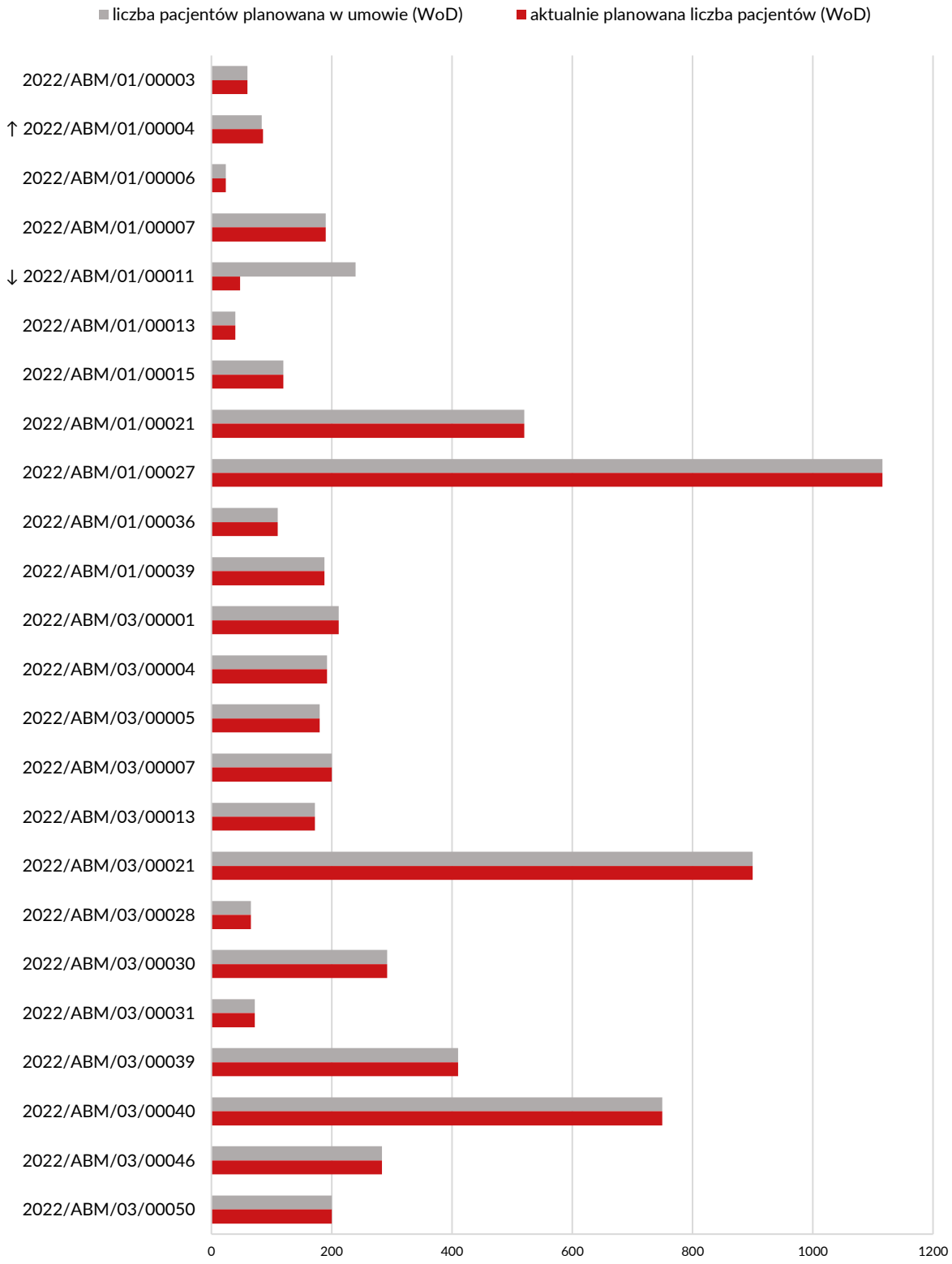
Zadeklarowana na etapie składania Wniosków o Dofinansowanie liczba uczestników we wszystkich 35 projektach to 12 199 uczestników. Na prośbę głównych badaczy w 3 projektach wielkość populacji została zmieniona. Zaktualizowana liczba uczestników objętych badaniami deklarowana w okresie przeprowadzania ewaluacji wynosi 11 958.

### 3.3.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Zadeklarowana na etapie składania Wniosków o Dofinansowanie liczba pacjentów objętych badaniami klinicznymi w obu konkursach to 6 622. Na prośbę głównych badaczy w jednym projekcie wielkość populacji została zmniejszona, a w jednym zwiększona. W projekcie 2022/ABM/01/0004 liczba pacjentów została zwiększona o 2, a w projekcie 2022/ABM/01/00011 została zmniejszona o 192.

Zaktualizowana liczba pacjentów objętych badaniami klinicznymi deklarowana w okresie przeprowadzania ewaluacji wyniosła 6 432. Na wykresie 10 przedstawiono zmiany w planowanej liczbie pacjentów w poszczególnych projektach.

Wykres 10. Zmiany w planowanej liczbie pacjentów– oś X, w poszczególnych projektach NBK [N=24][7]

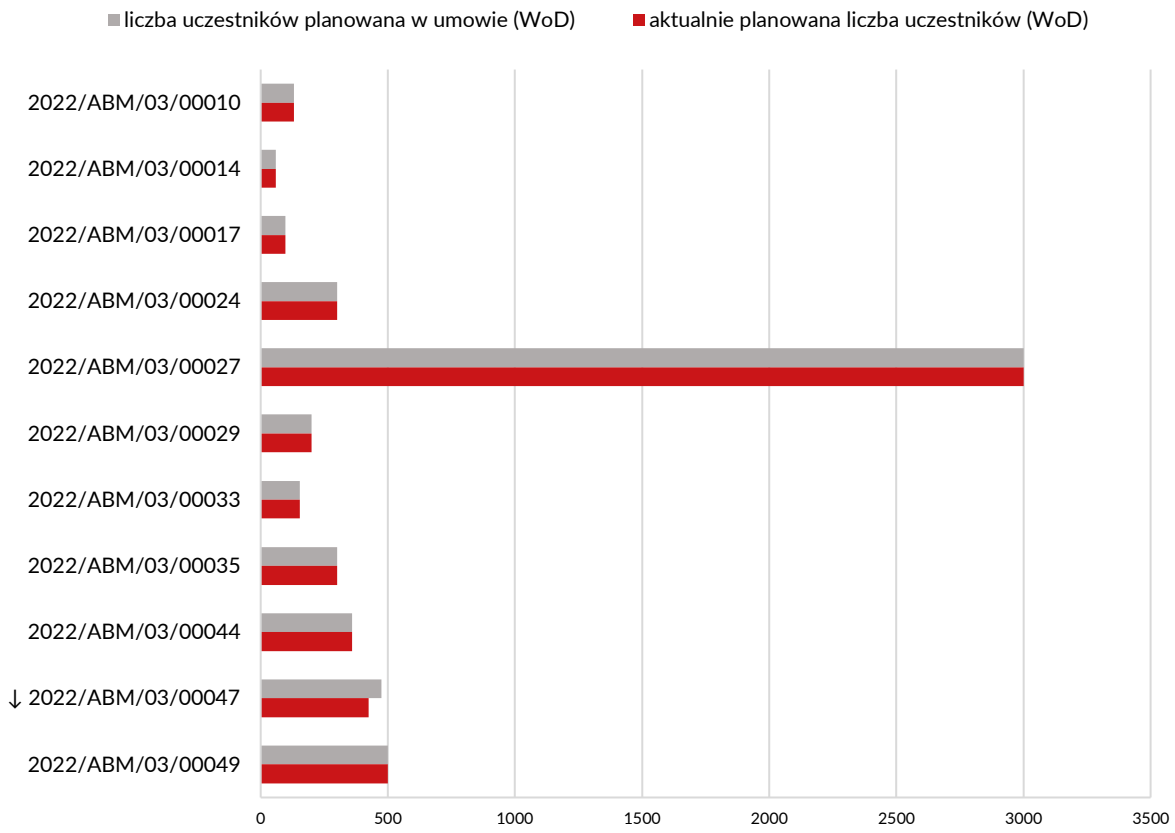



[7] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, dla których zwiększono lub zmniejszono liczbę pacjentów planowanych w projekcie w stosunku do pierwotnej umowy.

### 3.3.2. Eksperymenty badawcze

Zadeklarowana na etapie składania Wniosków o Dofinansowanie liczba uczestników objętych eksperymentami badawczymi to 5 577. Na prośbę głównego badacza w jednym projekcie populacja została zmniejszona (z 475 na 424), a zaktualizowana liczba uczestników deklarowana w okresie przeprowadzania ewaluacji wyniosła 5 526 (minimum 60 uczestników, a maksimum 3 000 uczestników). Na wykresie 11 przedstawiono zmiany w planowanej liczbie uczestników.

Wykres 11. Zmiany w planowanej liczbie uczestników– oś X, w poszczególnych projektach EB [N=11][8]




## 3.4. Zgody regulatorowe

Mediana czasu oczekiwania na zgodę wydawaną przez Komisję Bioetyczną projektów ewaluowanych w ramach konkursu 2022/ABM/01 i 2022/ABM/2023 to 190 dni kalendarzowych (minimalnie badanie oczekiwało na zgodę 240 dni, a maksymalnie 634 dni kalendarzowych). Pozwolenie URPL było wymagane i pozyskiwane wyłącznie w przypadku projektów realizowanych jako niekomercyjne badania kliniczne (dane dotyczące czasu oczekiwania przedstawiono poniżej).

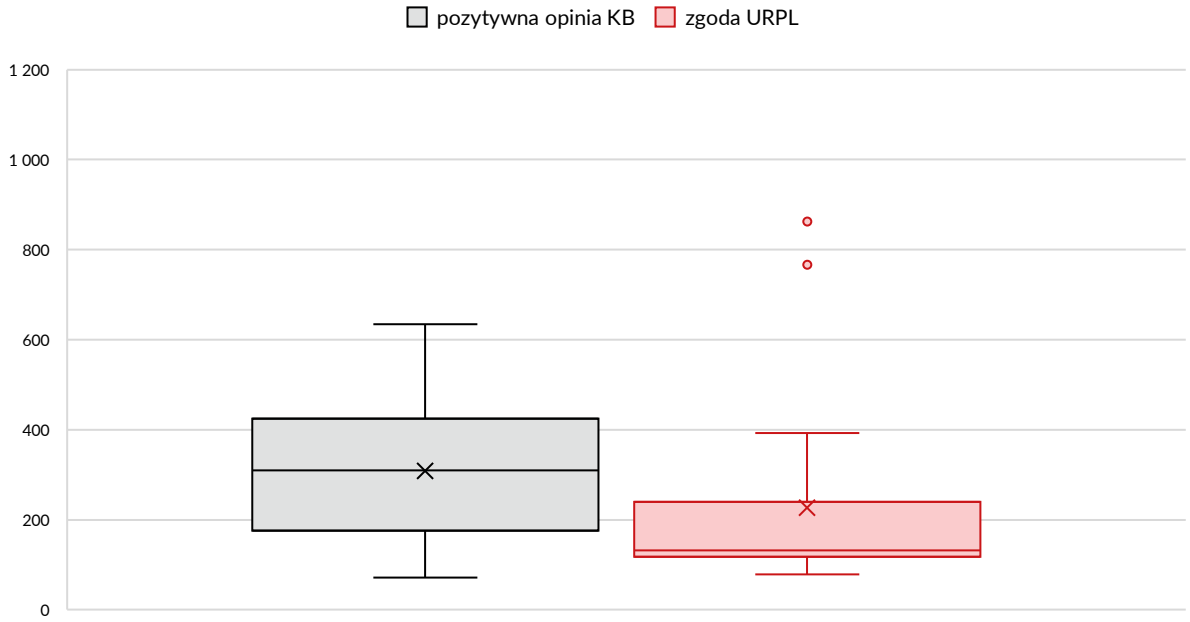
### 3.4.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Na etapie przeprowadzania ewaluacji 23 na 24 projekty uzyskały zgody lokalnych Komisji Bioetycznych (KB) jak również zgodę Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL). Jeden projekt 2022/ABM/01/00036: *Niekomercyjne badanie kliniczne dla*

[8] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, dla których zwiększono lub zmniejszono liczbę uczestników planowanych w projekcie w stosunku do pierwotnej umowy.

*potwierdzenia bezpieczeństwa i skuteczności terapii fagowej w leczeniu przewlekłego zapalenia zatok przynosowych – RHINOPHAGE* nadal oczekuje na decyzję KB oraz URPL. Szczegółowe informacje dotyczące czasu oczekiwania na uzyskanie pozwoleń KB i URPL w ewaluowanych projektach zostały przedstawione na wykresie 12. Czas oczekiwania na uzyskanie zgody KB na realizację badania liczony był w dniach kalendarzowych od daty rozpoczęcia projektu zgodnie z Wnioskiem o Dofinansowanie do czasu uzyskania pozytywnej opinii. Czas oczekiwania na zgodę URPL liczony był w dniach kalendarzowych od daty złożenia pierwszego wniosku do dnia otrzymania zgody na realizację badania klinicznego. Wykres 12 obrazuje podstawowe parametry rozkładu czasu oczekiwania na uzyskanie pozytywnej opinii KB oraz URPL.

Wykres 12. Podstawowe parametry rozkładu czasu oczekiwania (dni kalendarzowe – oś Y) na uzyskanie pozytywnej opinii KB i zgody URPL na realizację badań w projektach NBK [N=24][9]




Mediana czasu oczekiwania na pozytywną opinię dotyczącą realizacji badania klinicznego wydawaną przez Komisję Bioetyczną to 310 dni kalendarzowych (minimalnie badanie oczekiwało na zgodę 72 dni kalendarzowe, a maksymalnie 634 dni kalendarzowe). Mediana czasu oczekiwania na zgodę wydaną na prowadzenie badania klinicznego przez URPL, to 130 dni kalendarzowych. Najkrótszy czas oczekiwania na zgodę URPL wyniósł 78 dni kalendarzowych, a najdłuższy czas oczekiwania na uzyskanie pozytywnej opinii URPL to 863 dni kalendarzowe.

W projektach, w których badanie kliniczne zostało pomyślnie zarejestrowane sponsorzy zgłosili zmiany związane:

- z modyfikacją wniosku o dofinansowanie na etapie tworzenia protokołu badawczego (12 projektów),
- z uwagami/rekomendacjami Komisji Bioetycznej (7 projektów),

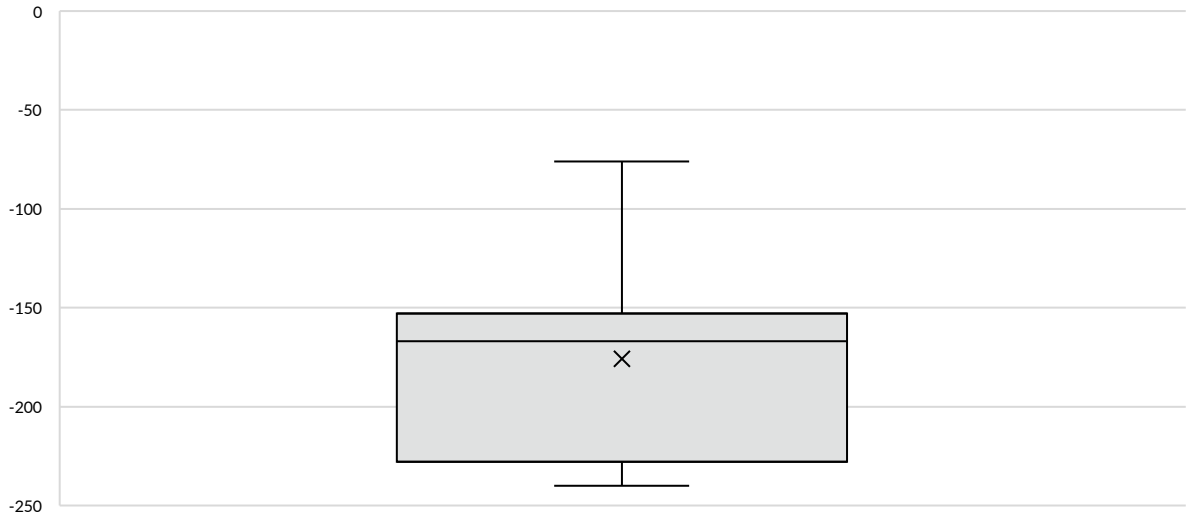
[9] Linie poziome na wykresie typu „skrzynka – wąsy" oznaczają kolejno: wartość minimalną; kwartyl 1(Q1) – 25%; medianę (50%), kwartyl 3 (Q3) - 75% i wartość maksymalną. Punkty wskazują wartości odstające. X – oznacza wartość średnią.

- z uwagami/rekomendacjami URPL (10 projektów).

### 3.4.2. Eksperymenty badawcze

Regulamin konkursu 2022/ABM/03 wymagał przedstawienia pozytywnej opinii KB dla eksperymentów badawczych już na etapie złożenia Wniosku o Dofinansowanie. Mediana czasu oczekiwania na zgodę od momentu rozpoczęcia projektu zgodnie z Wnioskiem o Dofinansowanie to -167 dni kalendarzowych (minimalnie badanie otrzymało zgodę 76 dni kalendarzowych przed rozpoczęciem projektu, a maksymalnie 240 dni kalendarzowych przed rozpoczęciem projektu). Wykres 13 obrazuje podstawowe parametry rozkładu czasu oczekiwania na uzyskanie pozytywnej opinii Komisji Bioetycznej.

Wykres 13. Podstawowe parametry rozkładu czasu oczekiwania (dni kalendarzowe – oś Y) na uzyskanie pozytywnej opinii KB na realizację eksperymentów w projektach EB [N=24][10]




## 3.5. Współpraca z ośrodkami badawczymi

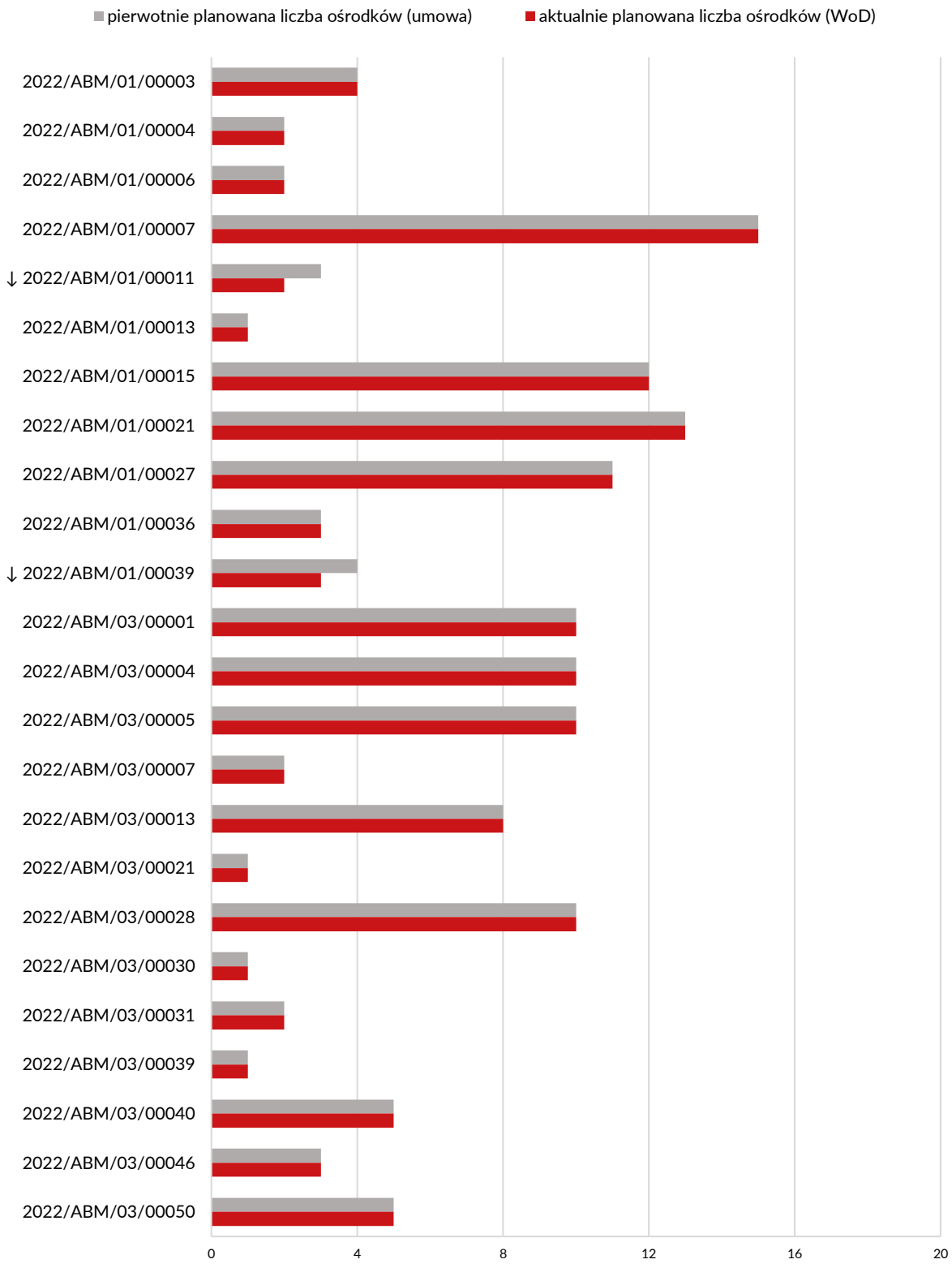
Spośród 35 ewaluowanych projektów w 7 badaniach nie przewidziano udziału ośrodków zewnętrznych zaangażowanych w rekrutację pacjentów. Na etapie składania Wniosków o Dofinansowanie łączna liczba ośrodków rekrutujących wynosiła 201, natomiast po zmianach wprowadzonych przez Beneficjentów wyniosła 199 ośrodków.

### 3.5.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Pierwotna liczba zaplanowanych ośrodków rekrutujących pacjentów do badań klinicznych (łącznie z ośrodkami sponsorów) wynosiła 138. Dwóch beneficjentów zdecydowało się na zmniejszenie liczby ośrodków w trakcie realizacji badań i ostatecznie w projektach zaplanowanych jest 136 ośrodków. Na wykresie 14 zaprezentowano zmiany w planowanej liczbie ośrodków z podziałem na poszczególne projekty.

[10] Linie poziome na wykresie typu „skrzynka – wąsy" oznaczają kolejno: wartość minimalną; kwartyl 1(Q1) – 25%; medianę (50%), kwartyl 3 (Q3) - 75% i wartość maksymalną. Punkty wskazują wartości odstające. X – oznacza wartość średnią.

Wykres 14. Zmiany w planowanej liczbie ośrodków – oś X, w poszczególnych projektach NBK [N=24][11]

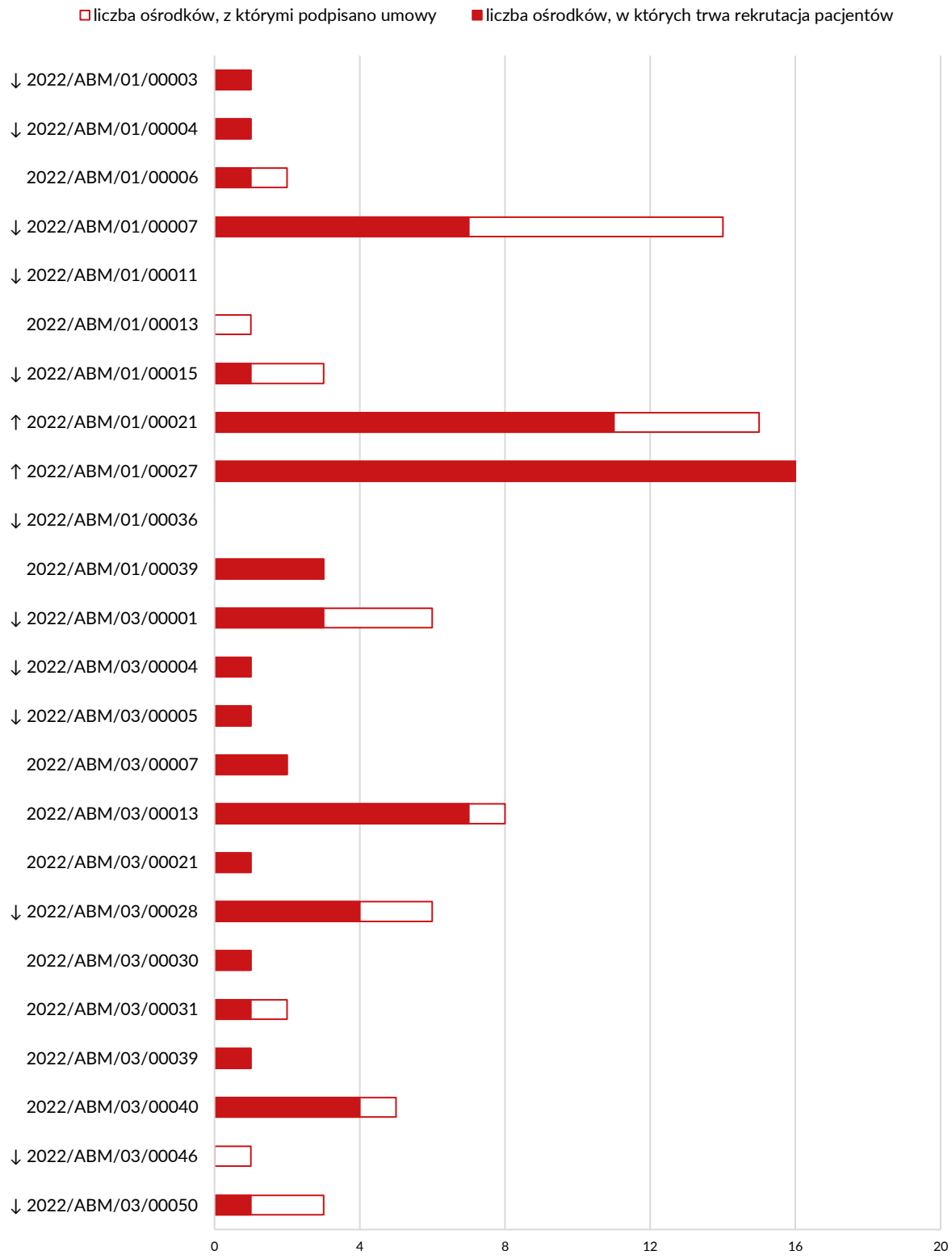



[11] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, dla których zwiększono lub zmniejszono planowaną liczbę ośrodków w stosunku do pierwotnej umowy.

W 4 z 24 projektów nie zaplanowano współpracy z ośrodkami i badanie jest realizowane jedynie w ośrodku macierzystym. W 18 projektach podpisano umowy z ośrodkami (niebędącymi w strukturach sponsora), których rolą jest współuczestniczenie w badaniu klinicznym. Liczba umów, które zostały podpisane pomiędzy sponsorem badania i ośrodkami badawczymi dalece odbiega od założonej. Wśród sponsorów, którzy rozpoczęli badanie kliniczne 10 (wliczając ośrodek macierzysty) podpisało przynajmniej jedną umowę, a tylko 8 podpisało umowy z zaplanowaną liczbą ośrodków włączających pacjentów do badania klinicznego. W dwóch projektach zakontraktowano więcej ośrodków niż zostało to pierwotnie zaplanowane.[12] Największa zadeklarowana liczba ośrodków badawczych rekrutujących pacjentów do badania klinicznego to 15 (2022/ABM/01/00007: *A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Multicenter Study of Levosimendan Therapy in low ejection fraction Takotsubo Syndrome (LevoTako Trial)* – badanie z obszaru serce i układ sercowo-naczyniowy obejmujące 190 pacjentów z chorobą ultrarzadką. Na wykresie 15 przedstawiono dane dotyczące liczby ośrodków, z którymi podpisano umowy i w których trwa rekrutacja pacjentów.

[12] Beneficjent nie ma obowiązku zgłaszać nadwykonań zrealizowanych w projekcie, jeżeli nie wpływają one na budżet projektu. Dane pozyskane z systemu informatycznego Agencji Badań Medycznych *HERA*.

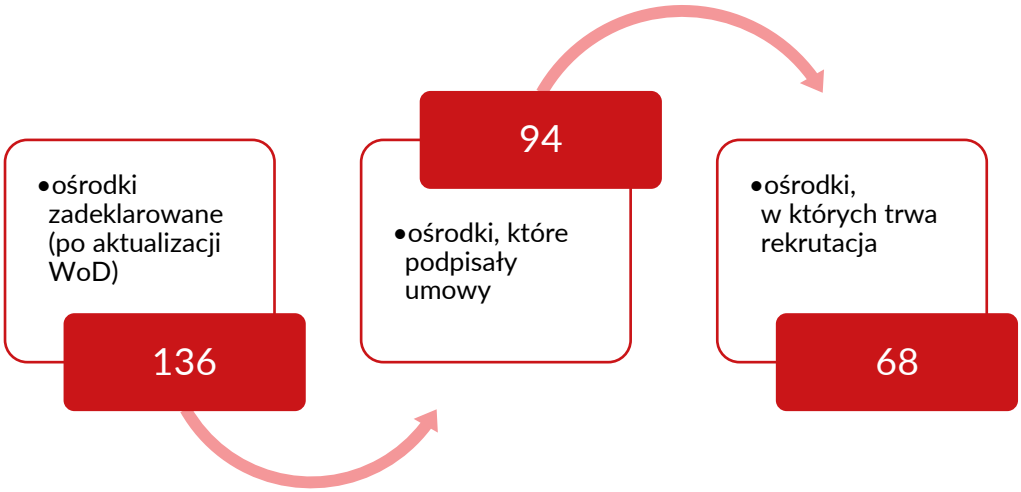
Wykres 15. Liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy i w których trwa rekrutacja pacjentów – oś X, na dzień 2025-11-30 (włączając ośrodki macierzyste) w projektach NBK [N=24][13]




[13] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, w których liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy jest odpowiednio wyższa lub niższa od aktualnie planowanej liczby ośrodków (WoD).

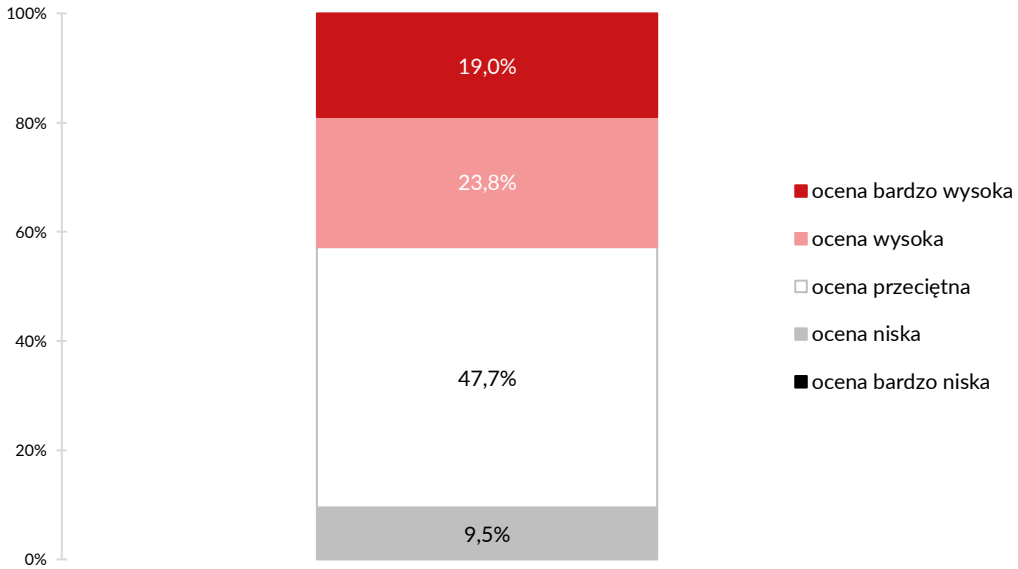
Łącznie zakontraktowano 94 ośrodki na 136 zaplanowanych, a tylko w 68 prowadzona jest rekrutacja pacjentów (50%). Wykres 16 przedstawia podsumowanie stanu współpracy z ośrodkami w analizowanych projektach NBK.

Wykres 16. Podsumowanie stanu współpracy z ośrodkami w analizowanych projektach NBK [N=24]




Średnia ocena współpracy z ośrodkami w skali 1 (bardzo niska) – 5 (bardzo wysoka) wystawiona przez sponsorów to 3,5±0,9. 57% respondentów przyznało oceny niskie lub przeciętne (1, 2 lub 3), ocenę dobrą lub bardzo dobrą przyznało pozostałe 43% sponsorów. Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 17.

Wykres 17. Ocena jakości współpracy beneficjentów z ośrodkami rekrutującymi pacjentów w projektach NBK (poza ośrodkami sponsora) [N=21]



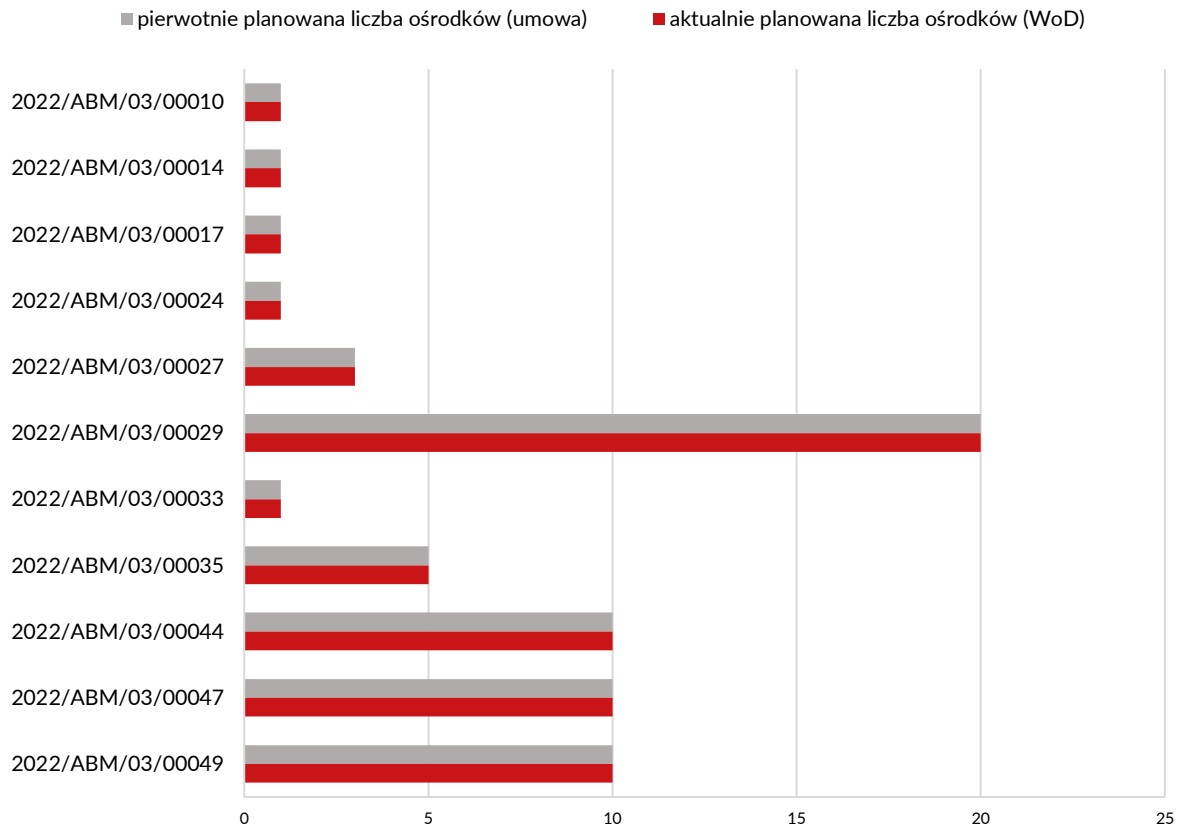

13 sponsorów podało długotrwałe podpisywanie umów z ośrodkami jako przyczynę opóźnień w projektach. W 19 przypadkach sponsorzy zauważyli, że wycena procedur przez ośrodki rekrutujące pacjentów jest długotrwała (13 badaczy) i zawyżona (6 badaczy). Główne obszary sporne to:

- zbyt wolno działająca administracja,
- trudności z wyceną kosztów procedur w ośrodkach,
- długotrwałe procedury przetargowe (ze względu na PZP).

### 3.5.2. Eksperymenty badawcze

Pierwotna i aktualna liczba zaplanowanych ośrodków rekrutujących pacjentów do eksperymentów (łącznie z ośrodkami sponsorów) wynosi 63. Do czasu przeprowadzania ewaluacji, żaden beneficjent nie zgłosił zmian w zakresie liczby ośrodków. Na wykresie 18 zaprezentowano brak zmian w planowanej liczbie ośrodków w podziale na poszczególne eksperymenty.

Wykres 18. Zmiany w planowanej liczbie ośrodków – oś X, w poszczególnych projektach EB [N=11][14]

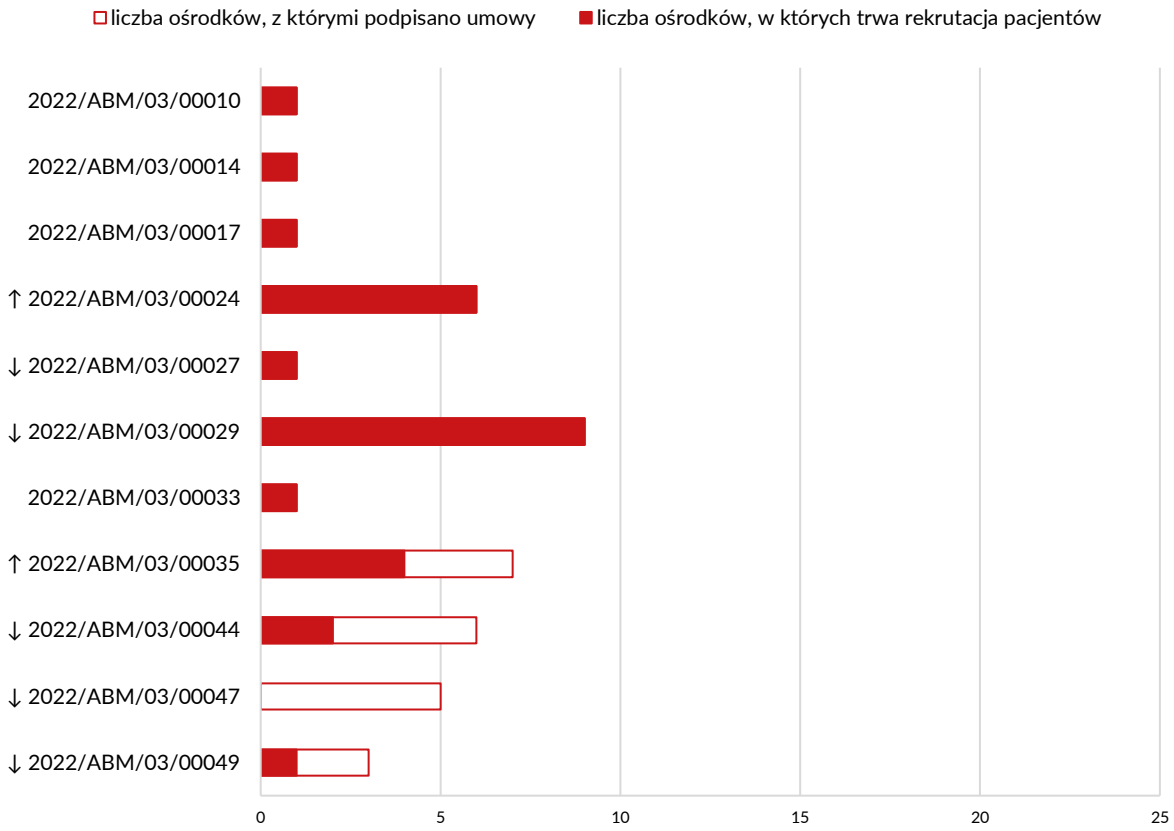



W 3 z 11 projektów nie zaplanowano współpracy z ośrodkami i eksperyment jest realizowany jedynie w ośrodku macierzystym. W 8 projektach podpisano umowy z ośrodkami (niebędącymi w strukturach sponsora), których rolą jest współuczestniczenie w badaniu. Wszyscy beneficjenci (wliczając ośrodek macierzysty) podpisali przynajmniej jedną umowę, w tym 4 podpisało umowy z zaplanowaną liczbą ośrodków rekrutujących pacjentów. W dwóch projektach zakontraktowano więcej ośrodków niż zostało to pierwotnie zaplanowane.[15]

[14] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, dla których zwiększono lub zmniejszono planowaną liczbę ośrodków w stosunku do pierwotnej umowy.
[15] Beneficjent nie ma obowiązku zgłaszać nadwykonań zrealizowanych w projekcie jeżeli nie wpływają one na budżet projektu. Dane pozyskane z systemu informatycznego Agencji Badań Medycznych *HERA*.

Największa zadeklarowana liczba ośrodków badawczych rekrutujących uczestników eksperymentu badawczego to 20 (2022/ABM/03/00029: *Ocena skuteczności diety CDED (Crohns Disease Exclusion Diet) w indukcji oraz podtrzymaniu remisji u dzieci i dorosłych z zaostrzeniem choroby Crohna – wieloośrodkowe badanie z randomizacją. Ex-EAT* – eksperyment z obszaru żywienie i dietetyka obejmujący 200 uczestników). Na wykresie 19 przedstawiono dane dotyczące liczby ośrodków, z którymi podpisano umowy i w których trwa rekrutacja pacjentów.

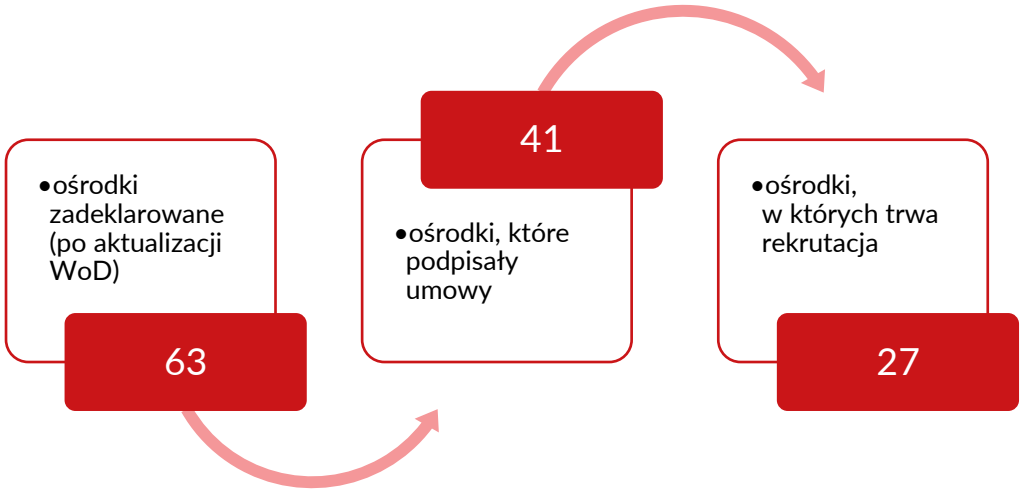
Wykres 19. Liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy i w których trwa rekrutacja pacjentów – oś X, na dzień 2025-11-30 (włączając ośrodki macierzyste) w projektach EB [N=11][16]




Łącznie zakontraktowano 41 ośrodków na 63 zaplanowane, a w 27 prowadzona jest rekrutacja uczestników (43%). Wykres 20 przedstawia podsumowanie stanu współpracy z ośrodkami w analizowanych eksperymentach badawczych.

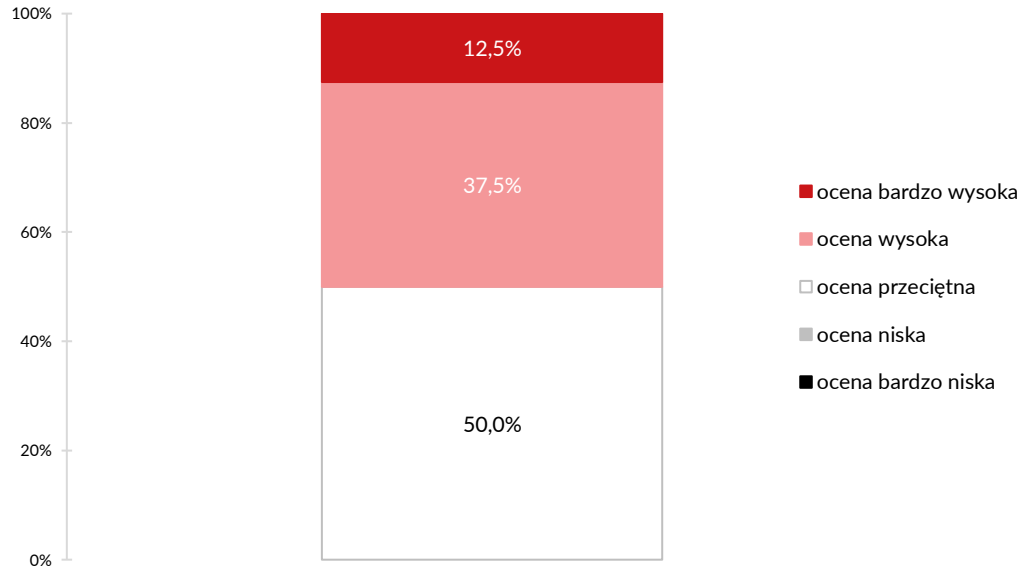
[16] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, w których liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy jest odpowiednio wyższa lub niższa od aktualnie planowanej liczby ośrodków (WoD).

Wykres 20. Podsumowanie stanu współpracy z ośrodkami w analizowanych projektach EB [N=11]




Średnia ocena współpracy z ośrodkami w skali 1 (bardzo niska) – 5 (bardzo wysoka) wystawiona przez beneficjentów to 3,6±0,69. 50% respondentów przyznało ocenę przeciętną, ocenę dobrą lub bardzo dobrą przyznało pozostałe 50% sponsorów. Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 21.

Wykres 21. Ocena jakości współpracy beneficjentów z ośrodkami rekrutującymi uczestników w projektach EB (poza ośrodkami sponsora) [N=8]




8 beneficjentów podało długotrwałe podpisywanie umów z ośrodkami za przyczynę opóźnień w projektach. W 5 przypadkach sponsorzy zauważyli, że wycena procedur przez ośrodki rekrutujące pacjentów jest długotrwała, 3 badaczy wskazało na trudności podczas organizacji i rozstrzygnięcia przetargów.

## 3.6. Współpraca z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora

Na 35 projektów poddanych ewaluacji w 16 liderem projektu jest uniwersytet medyczny, w 12 instytut naukowy, w 4 szpital, a w 2 centrum medyczne. Dodatkowo jeden projekt realizowany jest przez spółkę akcyjną.

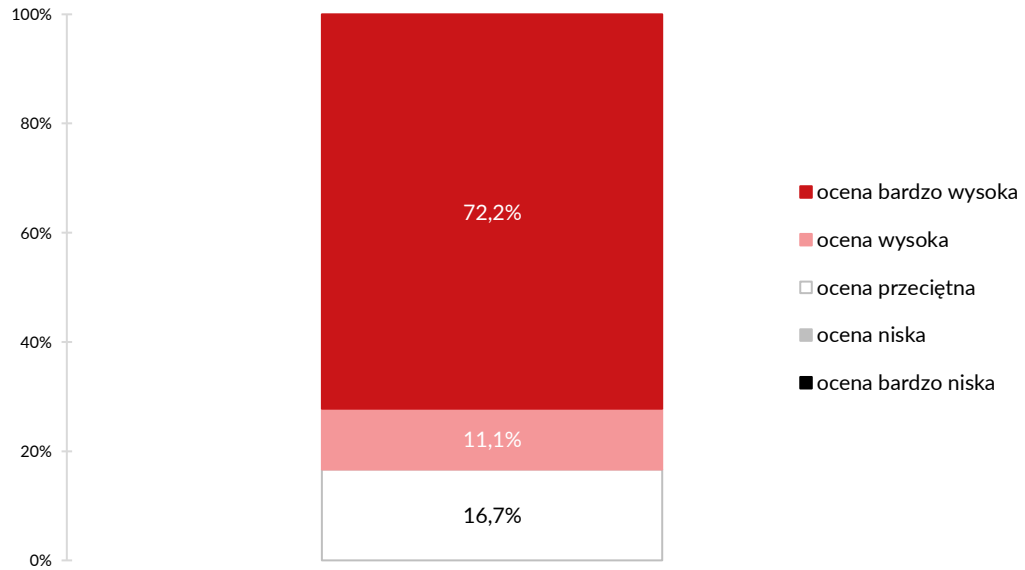
### 3.6.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Spośród 24 analizowanych projektów najwięcej realizuje Uniwersytet Jagielloński (3 projekty) i Wojskowy Instytut Medyczny- Państwowy Instytut Badawczy (3 projekty). Po 2 projekty prowadzą Narodowy Instytut Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji im. prof. dr hab. med. Eleonory Reicher, Uniwersytet Medyczny w Łodzi, Instytut Matki i Dziecka oraz Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie - Państwowy Instytut Badawczy. 10 jednostek otrzymało w ramach omawianych konkursów finansowanie na przeprowadzenie jednego badania klinicznego.

Prowadzenie badań niekomercyjnych wymusza na jednostkach w nie zaangażowanych (sponsorach), pełną odpowiedzialność za cały przebieg badania, w tym również za część administracyjną związaną z zakupem usług, sprzętu i wypłatą wynagrodzeń. Na 24 projekty w 18 ściśle współpracowano z jednostkami administracyjnymi działającymi w ramach jednostki beneficjenta.

Główni badacze zostali zapytani o poziom satysfakcji, w tym jakość wsparcia i współpracy z administracją. Średnia ocena współpracy w skali 1 (bardzo niska) – 5 (bardzo wysoka) wystawiona przez badaczy to 4,5 ± 0,7. 16,7% respondentów przyznało ocenę przeciętną, ocenę dobrą lub bardzo dobrą przyznało 83,3% sponsorów. Ocena jakości współpracy z administracją w strukturach sponsora została przedstawiona na wykresie 22.

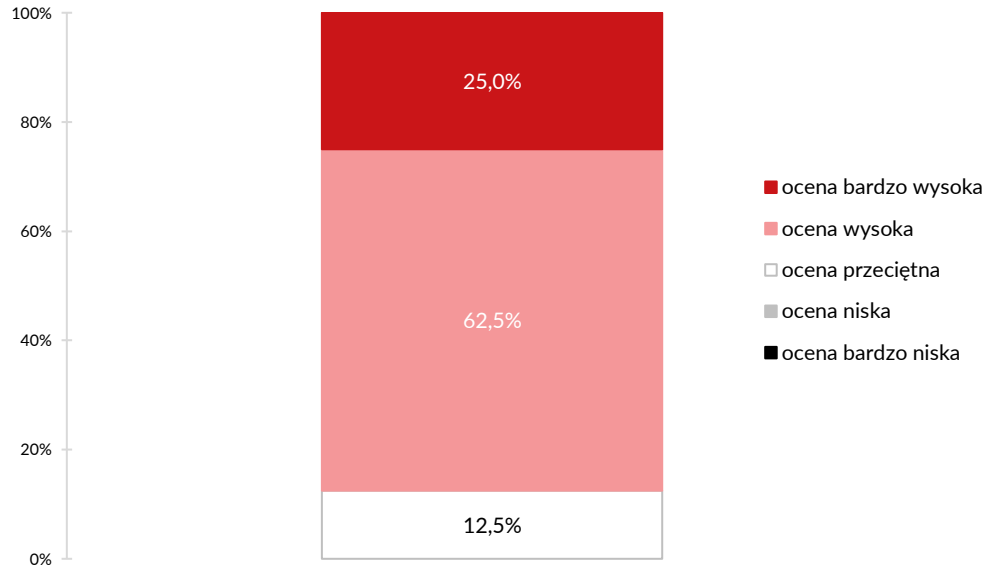
Wykres 22. Ocena jakości współpracy beneficjentów z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora w projektach NBK [N=18]



### 3.6.2. Eksperymenty badawcze

Spośród 11 ewaluowanych eksperymentów badawczych najwięcej realizuje Warszawski Uniwersytet Medyczny (3 projekty). 8 jednostek otrzymało finansowanie na przeprowadzenie jednego eksperymentu badawczego. Współpraca z jednostkami administracyjnymi przy realizacji eksperymentów została nawiązana w 8 na 11 projektów. Średnia ocena współpracy w skali 1 (bardzo niska) – 5 (bardzo wysoka) wystawiona przez badaczy to 4,1 ± 0,59. 12,5% respondentów przyznało ocenę przeciętną, ocenę dobrą lub bardzo dobrą przyznało 87,5% sponsorów. Ocena jakości współpracy z administracją w strukturach sponsora została przedstawiona na wykresie 23.

Wykres 23. Ocena jakości współpracy beneficjentów z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora w projektach EB [N=8]




## 3.7. Współpraca z jednostkami zarządzającymi badaniem

Jednostki zarządzające badaniem klinicznym odpowiadają za realizację wielu zadań, które zapewniają sprawne i prawidłowe zarządzanie projektem. Wśród tych działań mieszczą się m.in.: wsparcie w wyborze i uruchomieniu ośrodków badawczych, pomoc w rekrutacji uczestników, monitorowanie przebiegu badania, zarządzanie danymi, koordynacja logistyki, nadzór nad bezpieczeństwem farmakoterapii, analiza statystyczna oraz przygotowywanie opracowań i analiz medycznych. W Polsce funkcjonują wyspecjalizowane organizacje CRO (*Clinical Research Organisation*) oraz Centra Wsparcia Badań Klinicznych (CWBK), które powstały w ramach konkursów ogłaszanych przez Agencję Badań Medycznych i koncentrują się przede wszystkim na obsłudze badań niekomercyjnych. Oba rodzaje podmiotów działają w oparciu o te same standardy jakości i porównywalne zasady prowadzenia badań.

### 3.7.1. Niekomercyjne badania kliniczne

W 7 (na 24) projektach jednostką wspomagającą realizację badania są jedynie CWBK. W 5 (na 24) projektach zatrudniona została CRO (bez wsparcia CWBK). Natomiast w 9 projektach do realizacji badania zostało zaangażowane zarówno CWBK jak i CRO. W 3 projektach (nr 2022/ABM/01/00015, nr 2022/ABM/03/00030 i nr 2022/ABM/03/00040) badacze zadeklarowali, że wsparciem

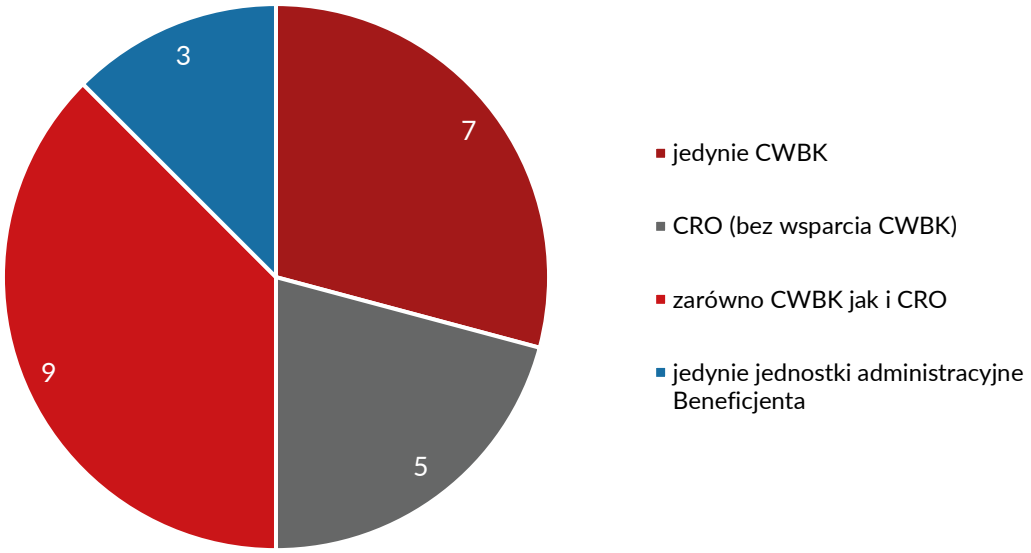
w prowadzeniu projektu były jedynie jednostki administracyjne Beneficjenta. Wśród najczęściej wybieranych firm CRO znalazły się: Receptor-System sp. z o.o. (4 projekty) oraz Scientia CRO sp. z o. o (3 projekty). Firmy MRS sp. z o.o. oraz Verum.de Polska Sp. z o.o. świadczą usługi na rzecz 2 projektów.

Jednostki realizujące badania kliniczne z pomocą CWBK to:

- Instytut Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka,
- Wojskowy Instytut Medyczny - Państwowy Instytut Badawczy,
- Uniwersytet Medyczny w Łodzi,
- Uniwersytet Jagielloński
- Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Opolu
- Śląski Uniwersytet Medyczny

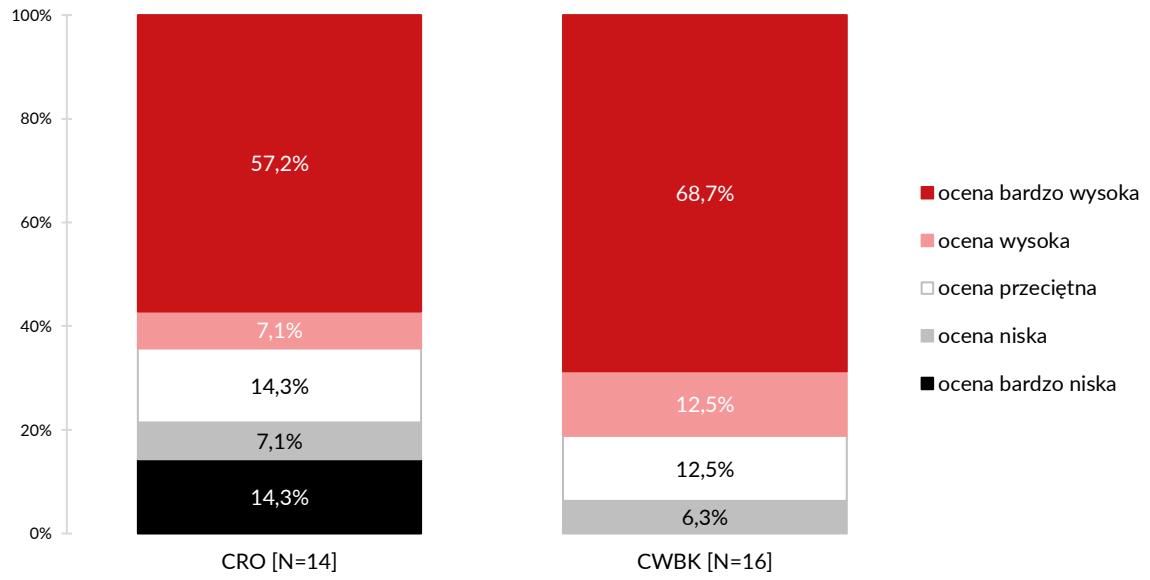
Szczegółowe dane zostały przedstawione na wykresie 24.

Wykres 24. Współpraca z jednostkami zarządzającymi badaniem klinicznym [N=24]



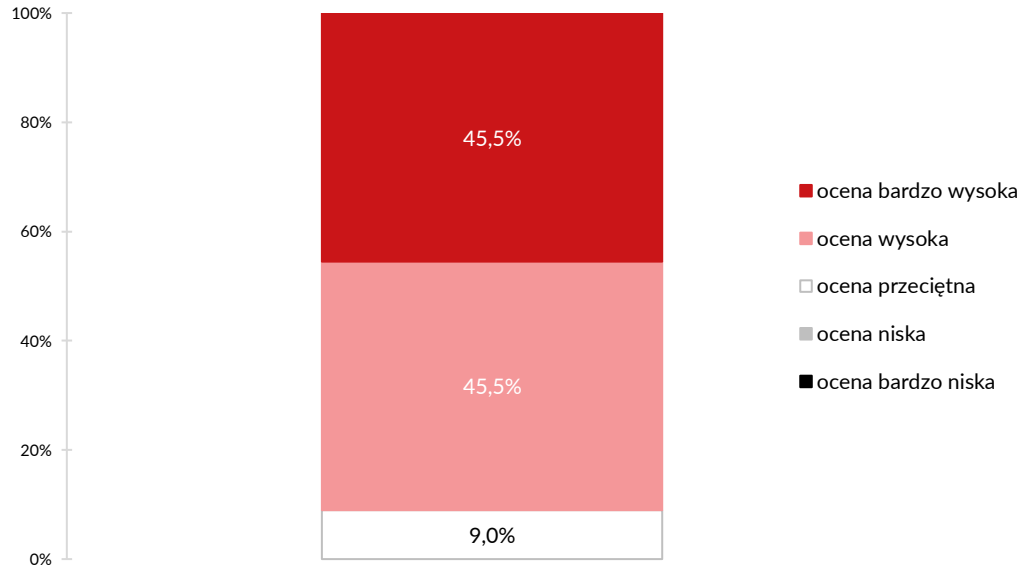

Średnia ocena współpracy z organizacjami CRO w skali 1 (bardzo niska) – 5 (bardzo wysoka) wystawiona przez sponsorów to 3,8 ± 1,5. 35,7% respondentów przyznało oceny niskie, bardzo niskie lub przeciętne (1, 2 lub 3), ocenę dobrą lub bardzo dobrą przyznało 64,3% sponsorów. Zdecydowanie lepiej zostały ocenione zostały Centra Wsparcia Badań Klinicznych. Średnia ocena współpracy z CWBK to 4,3 ± 0,9. W tym przypadku tylko 18,8% respondentów przyznało ocenę niską lub przeciętną (2 lub 3), ocenę dobrą lub bardzo dobrą przyznało 81,2% sponsorów. Należy podkreślić, że w przyznanych ocenach CWBK nie było ani jednej oceny bardzo niskiej. Ocena jakości współpracy beneficjentów z CRO i CWBK została zaprezentowana na wykresie 25.

Wykres 25. Ocena jakości współpracy beneficjentów z CRO i CWBK w projektach NBK




Elektroniczne karty obserwacji klinicznej (eCRF) zostały założone w 22 na 23 zarejestrowane badania. Wśród najczęściej wybieranych firm tworzących te systemy znalazły się: *Transition Technologies Science Sp. z o.o.* (4 projekty). W 8 projektach eCRF zostały opracowane samodzielnie przez sponsora. Warto podkreślić, że w jednym projekcie (2022/ABM/01/00013) dostawcą eCRF jest *Regionalne Centrum Medycyny Cyfrowej*[17] działające w strukturach sponsora. Ogólna ocena funkcjonalności eCRF w skali 1 (bardzo niska) – 5 (bardzo wysoka) wyniosła 4,4 ± 0,64. Szczegółowe dane na temat oceny eCRF zostały przedstawione na wykresie nr 26.

Wykres 26. Ocena eCRF w projektach NBK [N=22]




[17] Regionalne Centra Medycyny Cyfrowej to jednostki powołane w ramach konkursu nr 2023/ABM/03 ogłoszonego przez ABM, których jednym z realizowanych działań statutowych jest wsparcie realizacji badań naukowych i klinicznych.

### 3.7.2. Eksperymenty badawcze

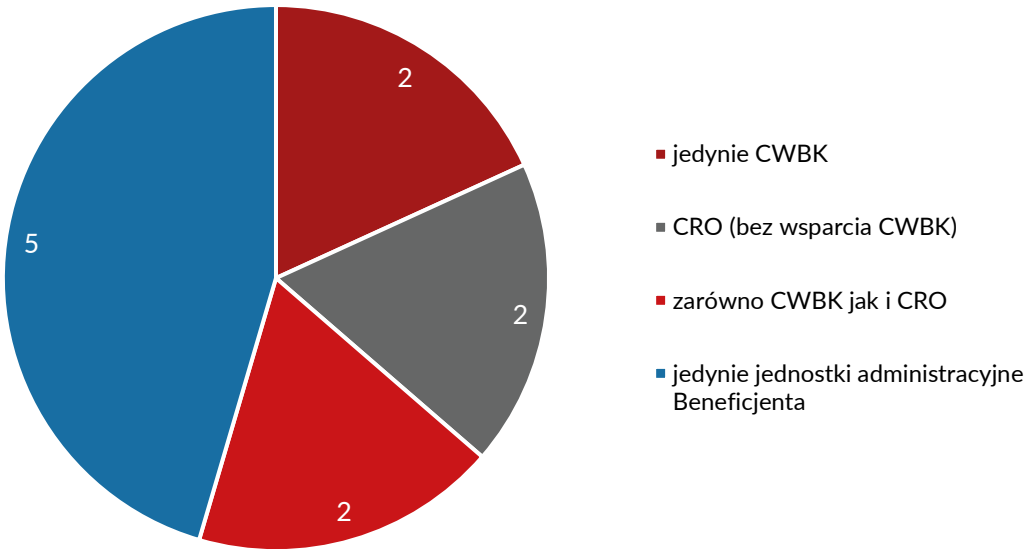
W 2 (na 11) eksperymentach jednostką wspomagającą realizację badania są jedynie CWBK. W 2 projektach zatrudniona została CRO (bez wsparcia CWBK), a w 2 do realizacji eksperymentu zostało zaangażowane zarówno CWBK jak i CRO. W 5 projektach badacze zadeklarowali, że wsparciem w prowadzeniu projektu były jedynie jednostki administracyjne Beneficjenta. Firmy świadczące usługi CRO to: Uniwersyteckie Centrum Kliniczne w Gdańsku, Biostat® Centrum Badawczo-Rozwojowe, Scientia Research Institute Sp. z o.o. oraz Scientia CRO Sp. z o.o.

Jednostki realizujące badania kliniczne z pomocą CWBK to:

- Gdański Uniwersytet Medyczny,
- Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu,
- Wojewódzkie Wielospecjalistyczne Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi,
- Śląski Uniwersytet Medyczny.

Szczegółowe dane zostały przedstawione na wykresie 27.

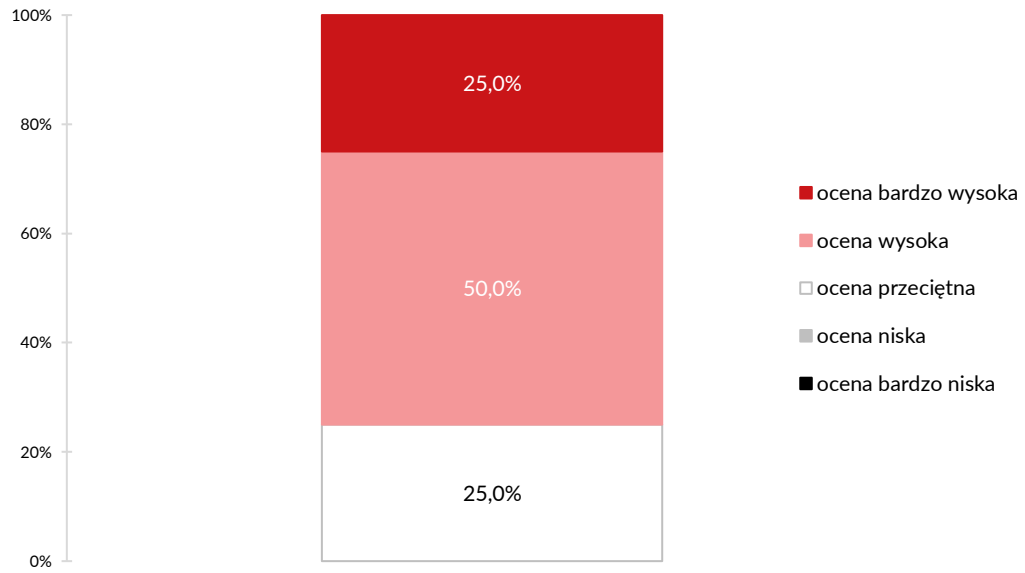
Wykres 27. Współpraca z jednostkami zarządzającymi eksperymentem badawczym [N=11]




Średnia ocena współpracy z organizacjami CRO w skali 1 (bardzo niska) – 5 (bardzo wysoka) wystawiona przez Beneficjentów to 4,5 ± 0,9. 25% respondentów przyznało ocenę przeciętną, ocenę bardzo dobrą przyznało 75% Beneficjentów. Trochę lepiej zostały ocenione zostały Centra Wsparcia Badań Klinicznych. Średnia ocena współpracy z CWBK to 4,7 ± 0,4. W tym przypadku 25% respondentów przyznało ocenę dobrą, a bardzo dobrą przyznało 75% Beneficjentów.

Elektroniczne karty obserwacji klinicznej (eCRF) zostały założone w 8 na 11 eksperymentów. Najczęściej wybieraną firmą była *Transition Technologies Science Sp. z o.o.* (3 projekty). W 3 projektach Beneficjenci korzystają z eCRF udostępnionego przez ABM. Ogólna ocena funkcjonalności eCRF w skali 1 (bardzo niska) – 5 (bardzo wysoka) wyniosła 4,0 ± 0,7. Na wykresie 28 przedstawiono szczegółowe dane dotyczące oceny eCRF w eksperymentach badawczych.

Wykres 28. Ocena eCRF w projektach EB [N=8]



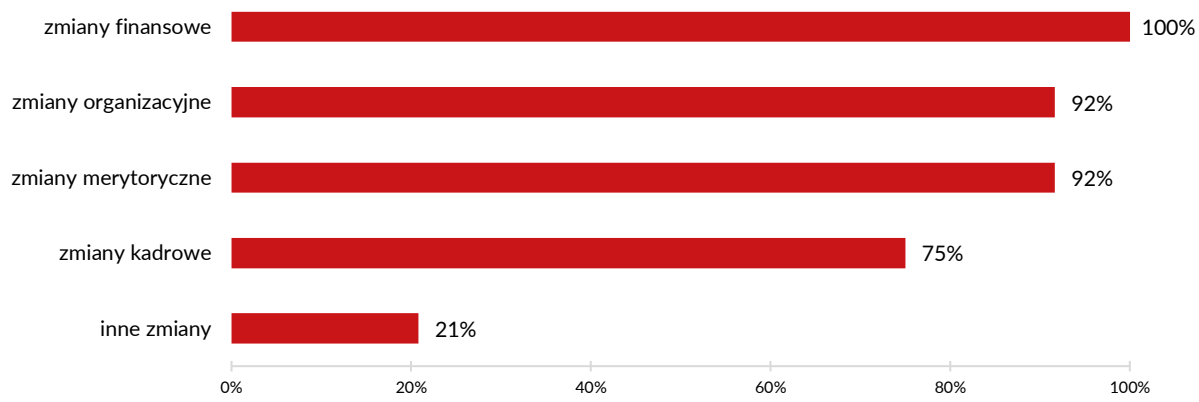

## 3.8. Zmiany w projektach

Zgłaszanie zmian w projekcie każdorazowo wymaga zgody Agencji i może dotyczyć każdego zadania opisanego we Wniosku o Dofinansowanie. Kategorie zmian zostały pogrupowane w czterech głównych obszarach: finansowym, kadrowym, organizacyjnym i merytorycznym. Najwięcej zmian w ewaluowanych projektach zarówno w eksperymentach badawczych jak i niekomercyjnych badaniach klinicznych dokonano w obszarze finansowym. Szczegóły zmian zostały omówione w podrozdziałach 3.8.1 i 3.8.2.

### 3.8.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Najwięcej zmian dotyczyło obszaru finansowego (zostały zgłoszone we wszystkich projektach). Informacje o zmianach w poszczególnych obszarach zaprezentowane zostały na wykresie 29.

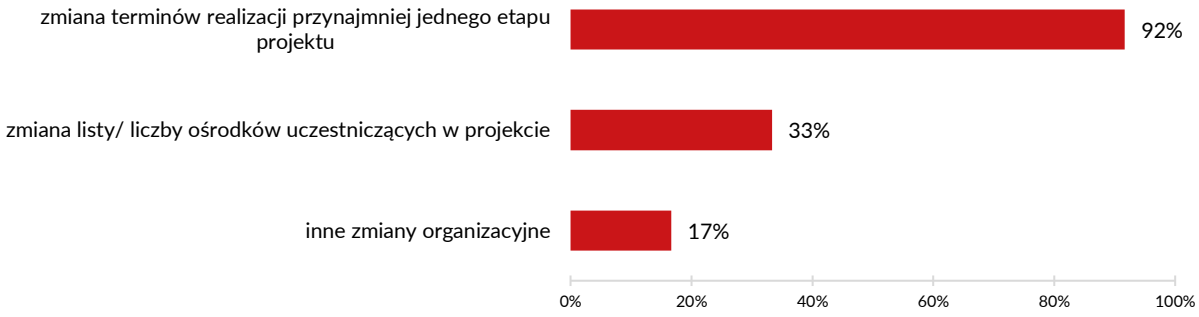
Wykres 29. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były główne obszary zmian [N=24]




Zmiany finansowe w projektach NBK zostały szczegółowo omówione w rozdziale *Finansowanie projektów*.

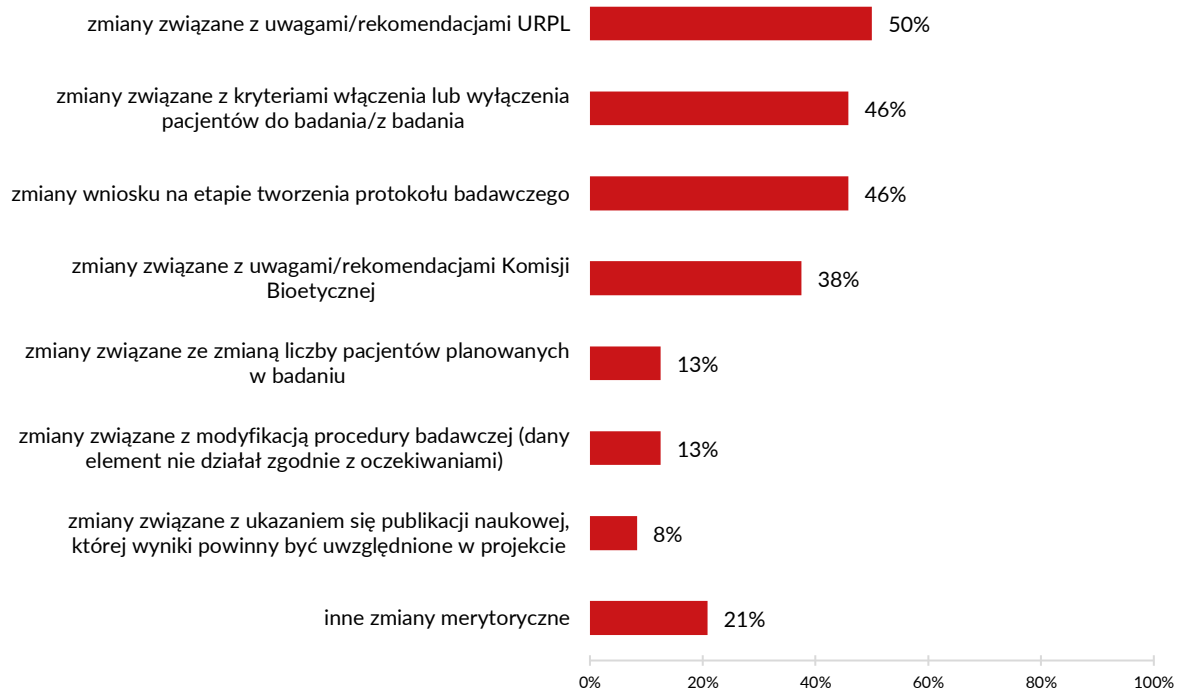
W ramach zmian organizacyjnych 92% (22 projekty) stanowiły zmiany terminów realizacji zadań, a 33% dotyczyło zmiany listy/lub liczby ośrodków. Wykres 30 prezentuje proporcje wprowadzanych zmian w zakresie organizacyjnym.

Wykres 30. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były zmiany organizacyjne [N=24]



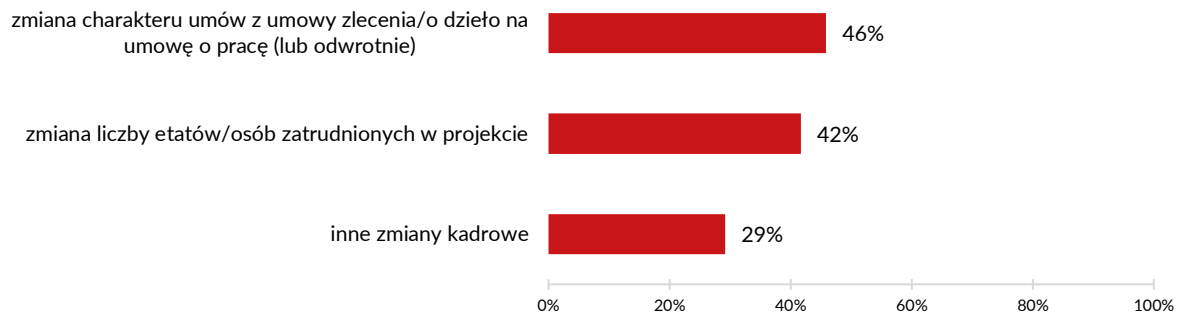

Podczas trwania badania klinicznego również 92% głównych badaczy (22 projekty) zgłosiło wprowadzenie zmian merytorycznych w protokole badania. Analizując wszystkie powody wprowadzania zmian można stwierdzić, że 50% Beneficjentów dokonało zmian związanych z uwagami/ rekomendacjami URPL. W 46% projektów wprowadzono zmiany kryteriów włączenia lub wyłączenia pacjentów oraz zmiany na etapie tworzenia protokołu badawczego. W 38% projektów dokonano zmian związanych z uwagami/rekomendacjami Komisji Bioetycznej, a 13% dokonało zmian związanych z liczbą pacjentów i modyfikacją procedury badawczej. Wykres 31 prezentuje proporcje wprowadzanych zmian w protokole badania klinicznego.

Wykres 31. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były zmiany merytoryczne [N=24]



W badaniach były również wprowadzane zmiany kadrowe (75% projektów). 46% dotyczyło zmian charakteru umów zawieranych z personelem realizującym badanie, a 42% ze zmianą liczby etatów lub osób zatrudnionych. Wykres 32 prezentuje proporcje wprowadzanych zmian w protokole badania klinicznego.

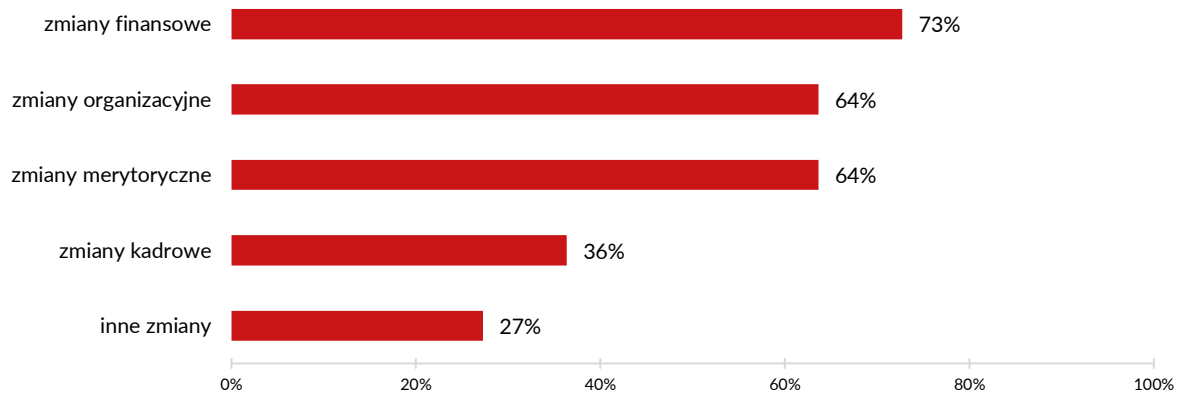
Wykres 32. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były zmiany kadrowe [N=24]




### 3.8.2. Eksperymenty badawcze

W realizowanych eksperymentach badawczych najwięcej zmian również dotyczyło obszaru finansowego (8 projektów). Informacje o zmianach w poszczególnych obszarach zaprezentowane zostały na wykresie 33.

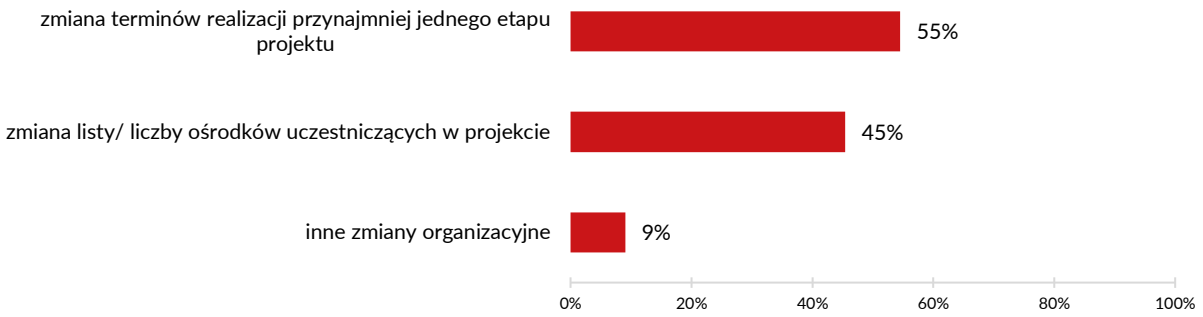
Wykres 33. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były główne obszary zmian [N=11]




Zmiany finansowe w projektach EB zostały szczegółowo omówione w rozdziale F*inansowanie projektów*.

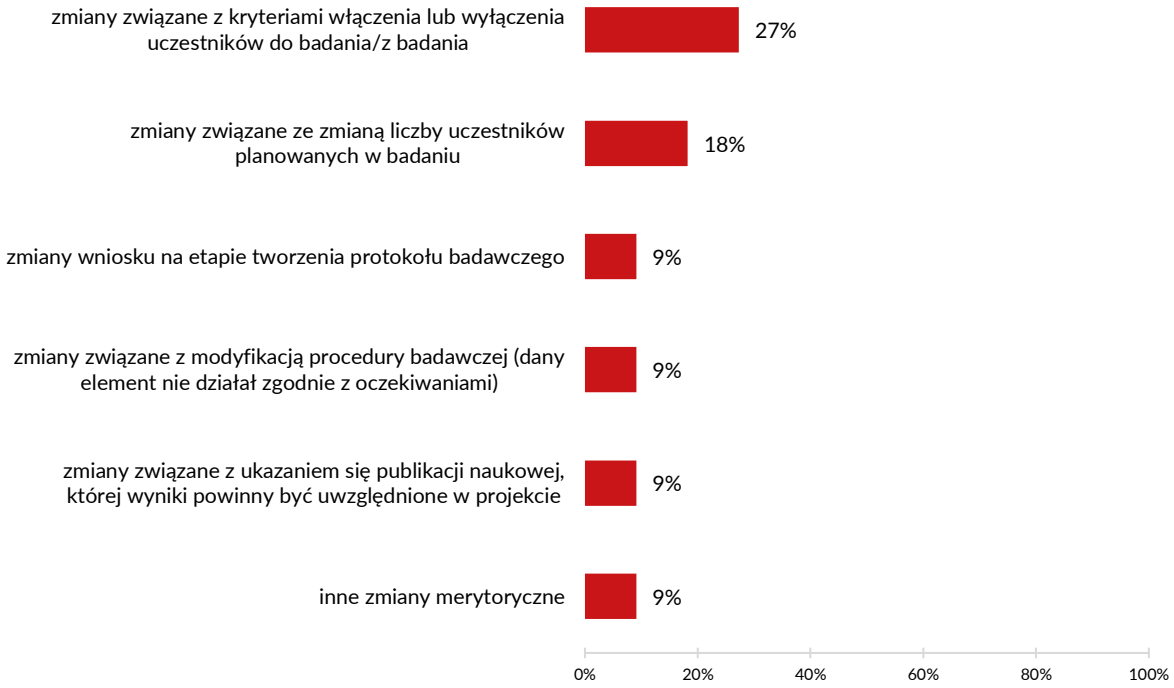
Zmiany organizacyjne zostały zgłoszone przez 64% Beneficjentów (7 projektów). 55% to zmiany terminów realizacji zadań, a 45% dotyczyło zmiany listy/lub liczby ośrodków. Wykres 34 prezentuje proporcje wprowadzanych zmian w zakresie organizacyjnym.

Wykres 34. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były zmiany organizacyjne [N=11]



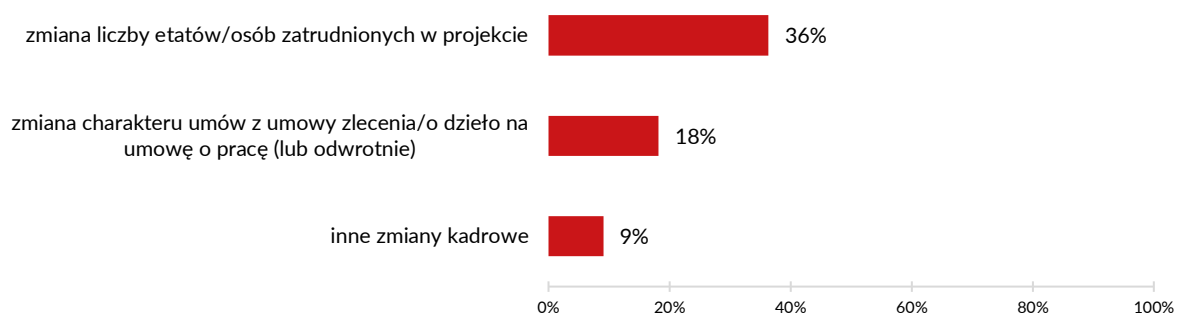

W trakcie realizacji 64% (7 projektów) beneficjentów zgłosiło również wprowadzenie zmian merytorycznych w protokole badania. 27% dokonało zmian kryteriów włączenia lub wyłączenia uczestników, a 18% wprowadziło zmiany związane z ich liczbą. Wykres 35 prezentuje proporcje wprowadzanych zmian w protokole badania klinicznego.

Wykres 35. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były zmiany merytoryczne [N=11]




Zmiany kadrowe w 4 eksperymentach (36%) dotyczyły zwiększenia/zmniejszenia liczy etatów lub osób zatrudnionych w projekcie, a 18% związane było ze zmianą charakteru umów zawieranych z personelem realizującym eksperyment. Wykres 36 prezentuje proporcje wprowadzanych zmian w obszarze kadrowym.

Wykres 36. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były zmiany kadrowe [N=11]




## 3.9. Rekrutacja uczestników i przebieg badania

Zakładany postęp w realizowanych projektach wyłonionych w ramach konkursów 2022/ABM/01 oraz 2022/ABM/03 jest ściśle związany z tempem rekrutacji uczestników badań. W ewaluowanych projektach czas, w którym uczestnik przebywa w badaniu jest bardzo zróżnicowany i wynosi od 1 do 60 miesięcy. Planowana do rekrutacji liczba uczestników po zmianach to 11 958 (minimum 24 uczestników, a maksimum 3 000 uczestników). Na etapie przeprowadzania ewaluacji w 35 projektach zrekrutowano łącznie 1 402 pacjentów co stanowi 11,7% z ogólnej zaplanowanej liczby uczestników.

### 3.9.1. Niekomercyjne badania kliniczne

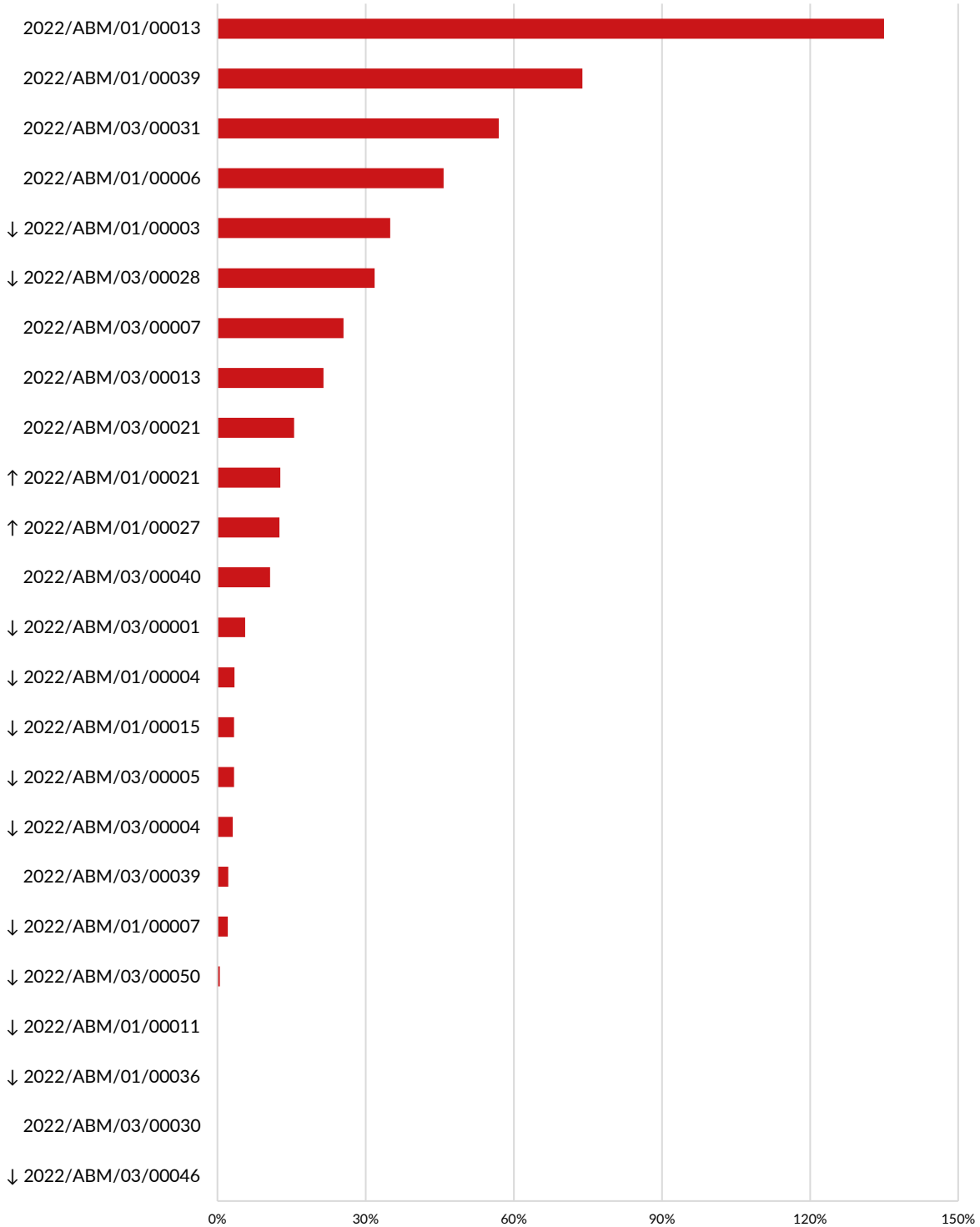
W ewaluowanych projektach NBK czas, w którym pacjent przebywa w badaniu klinicznym (screening; leczenie; monitoring; follow up) wynosi od 2 do 60 miesięcy.

Pierwsi pacjenci w NBK rekrutowani byli między 17 lipca 2023 roku a 5 sierpnia 2025 roku. Tak ogromna rozpiętość (24 miesiące) przekracza znacznie różnicę wynikającą z prowadzenia naboru konkursowego.

Odsetek zrekrutowanych pacjentów (do czasu, w którym przeprowadzono ewaluację) jest bardzo zróżnicowany i wynosi od 0 - 135%, z medianą wynoszącą 8%. Z ogólnej liczby pacjentów wynoszącej 6 432 do czasu przeprowadzenia ostatniego etapu ewaluacji (ankiety), zostało zrekrutowanych 846 pacjentów. Stanowi to 13% deklarowanej populacji.

Do czasu przeprowadzenia ewaluacji w jednym projekcie została zrekrutowana całkowita liczba pacjentów, a dodatkowo włączono jeszcze kolejnych 14 co zrealizowało wskaźnik rekrutacji na poziomie 135% (2022/ABM/01/00013: *Jednoramienne badanie II fazy oceniające skuteczność i bezpieczeństwo pembrolizumabu w połączeniu z agonistą LAG-3 eftilagimodem i radioterapią w leczeniu przedoperacyjnym chorych na mięsaki tkanek miękkich (EFTISARC-NEO)* - badanie z obszaru onkologii). Drugim projektem, w którym osiągnięto największy procent rekrutacji jest 2022/ABM/01/0039: *Wieloośrodkowe, randomizowane, kontrolowane placebo badanie fazy III, prowadzone metodą podwójnie ślepej próby oceniające wpływ dapagliflozyny na prewencję kardiotoksyczności u chorych na raka piersi w trakcie chemioterapii z udziałem antracyklin* – badanie z obszaru serce i układ sercowo-naczyniowy, w którym zrekrutowano 73% pacjentów (139 na 188 planowanych). W 8 projektach rekrutacja jest poniżej 10% zakładanej populacji, a w 4 projektach poziom rekrutacji wynosi 0%. Na wykresie 37 przedstawiono poziom rekrutacji pacjentów w projektach NBK.

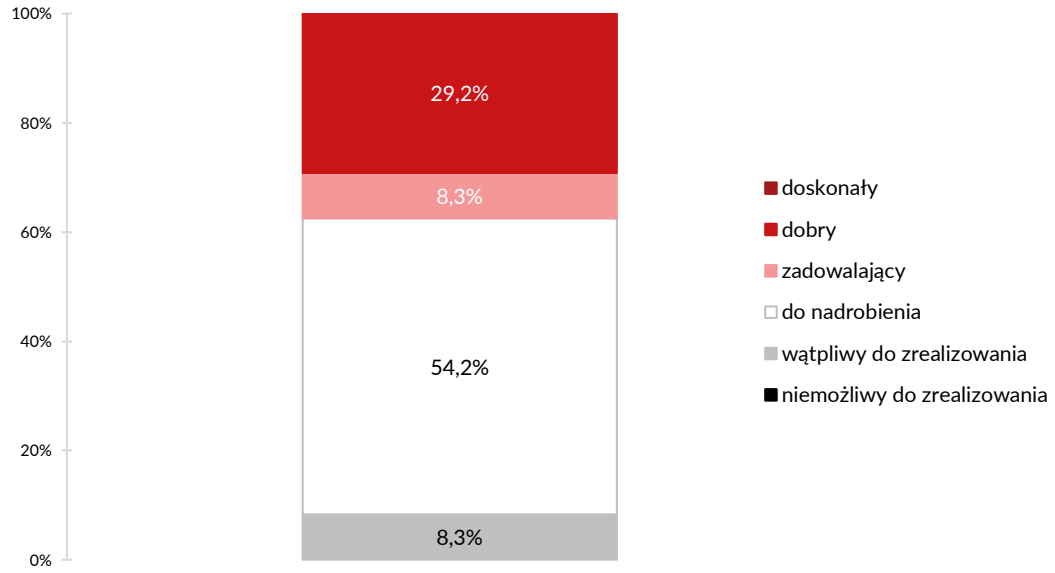
Wykres 37. Poziom rekrutacji pacjentów w projektach NBK na dzień 2025-11-30 (odniesiony do aktualnej planowanej liczby pacjentów) [N=24][18]




[18] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, w których liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy jest odpowiednio wyższa lub niższa od aktualnie planowanej liczby ośrodków (WoD).

Spośród 24 głównych badaczy, poproszonych o ocenienie stanu rekrutacji w prowadzonym przez nich badaniu klinicznym, 37,5% określiło jako dobry lub zadowalający, 54,2% stwierdziło, że stan rekrutacji względem planu jest do nadrobienia, a według 8,3% badaczy rekrutacja jest wątpliwa do zrealizowania. Należy przy tym zaznaczyć, że 9 z 12 głównych badaczy prowadzących projekty ze stanem rekrutacji poniżej 10% określiło stan jako „do nadrobienia", a 1 jako „zadowalający", przy czym stan zaawansowania realizacji tych projektów według daty planowanego zakończenia wynosi od 39% do 54%. Ocena stanu rekrutacji pacjentów dokonana przez beneficjentów została zaprezentowana na wykresie nr 38.

Wykres 38. Ocena stanu rekrutacji pacjentów w projektach NBK [N=24]




Jako środki zaradcze lub działania następcze na skutek wolniejszego niż przewidziane we Wniosku o Dofinansowanie tempa rekrutacji, 46% głównych badaczy dokonało zmian związanych z kryteriami włączenia lub wyłączenia pacjentów, a 33% dokonało zmiany związanej z liczbą ośrodków rekrutujących. Badacze określili też główne formy rozpowszechniania informacji o badaniu klinicznym przedstawione na wykresie 39.

Wykres 39. Główne formy rozpowszechniania informacji o badaniu w projektach NBK [N=24]




- 96% projektów informacje o prowadzonym badaniu rozpowszechnia poprzez lekarzy prowadzących badanie oraz lekarzy z ośrodków partnerskich (50%),
- 75% głównych badaczy umieściło informację o badaniu klinicznym na stronie internetowej jednostki sponsora, a 38% utworzyło (jako dodatkowe lub jedyne źródło informacji) własną stronę projektu.
- 50% prowadzi kampanię informacyjną w mediach społecznościowych.
- 21% głównych badaczy zdecydowało się na wydruk broszur i ulotek informacyjnych na temat badania klinicznego.
- 13% głównych badaczy współpracuje z organizacjami zrzeszającymi pacjentów i ich rodziny.

Inne formy rozpowszechniania informacji o badaniu klinicznym, skierowane zarówno do środowiska lekarskiego, jak i pacjentów to:

- uczestnictwo badaczy w konferencjach medycznych, sympozjach, etc,
- telefonicznie.

Główni badacze zostali również zapytani w jaki sposób najczęściej kontaktują się z uczestnikami badania. Wszyscy badacze wskazali wizyty stacjonarne, a 5 jako dodatkowy sposób wykorzystuje teleporady. Jako inne formy wymieniony został kontakt przez dedykowaną platformę internetową oraz mailowo.

Dla powodzenia realizacji prowadzonych badań bardzo istotne jest również to w jakim stopniu uczestnicy badania stosują się do zaleceń i procedur przewidzianych w protokole np. przyjmowanie leku w dawce i czasie zgodnie ze schematem (tzw. compliance/adherencja). W celu monitorowania adherencji w 17 przypadkach (71%) compilance jest monitorowany przez personel medyczny. 14 beneficjentów (58%) zlicza opakowania produktów leczniczych zażywanych przez pacjentów, a 9 stosuje dzienniczki uzupełniane przez pacjentów (w tym w jednym projekcie używa się ich w formie elektronicznej). Dodatkowo w 3 projektach wprowadzono środki zaradcze na wypadek niskiego zaangażowania

pacjentów do których należą: zmiany okna wizytowego, możliwość rescreeningu pacjenta oraz odnotowywanie powodów niewłaściwego przyjmowania badanego produktu leczniczego w dokumentacji źródłowej, ponowne szkolenie pacjenta z wymagań dotyczących prawidłowego przyjmowania leku.

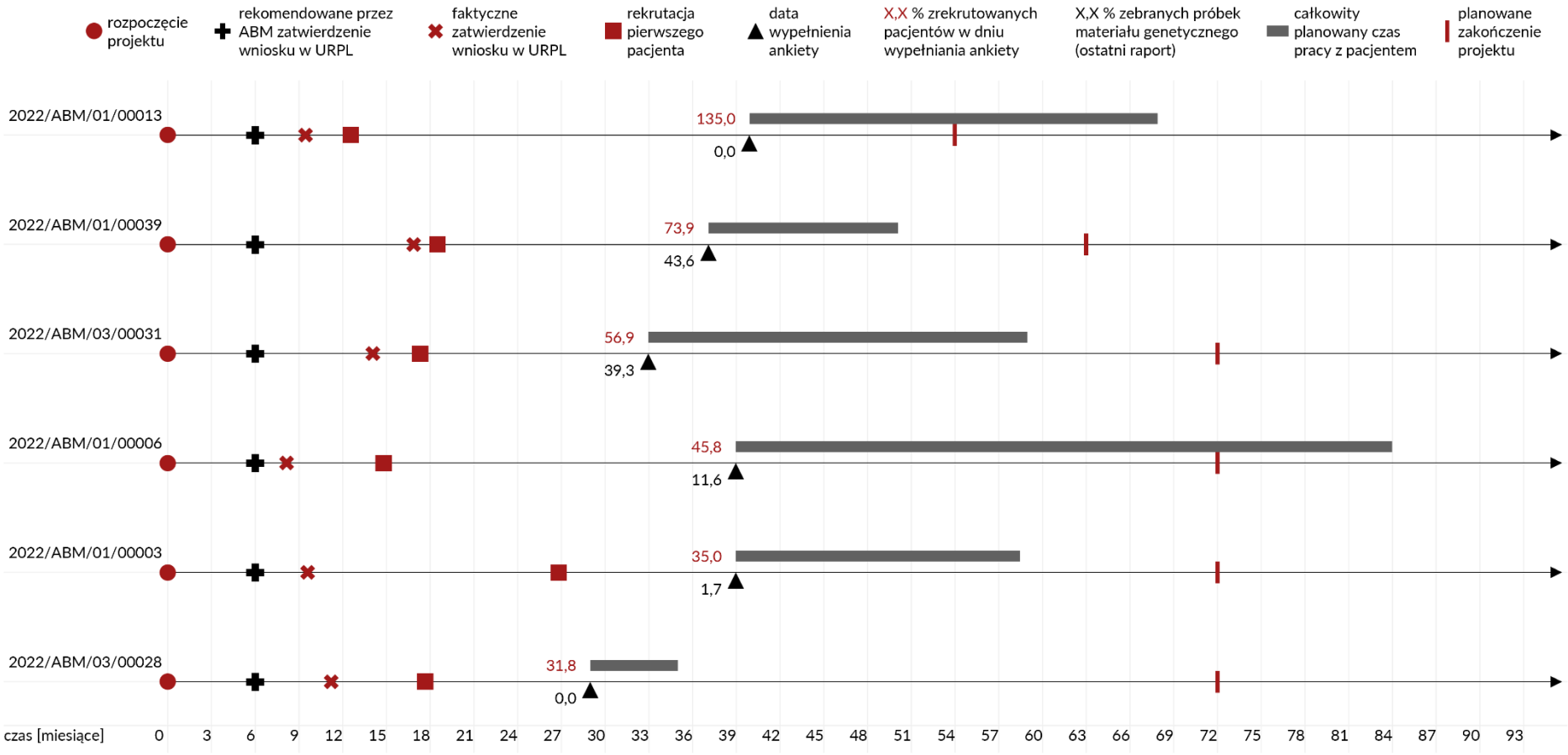
W 3 projektach (12,5%) compilance nie jest w ogóle monitorowany, ze względu na charakter badania.

Na wykresach 40 – 43 przestawione zostało zestawienie pokazujące dynamikę poszczególnych projektów. Na wykresach (na osi czasu) umieszczone zostały krytyczne etapy każdego projektu:

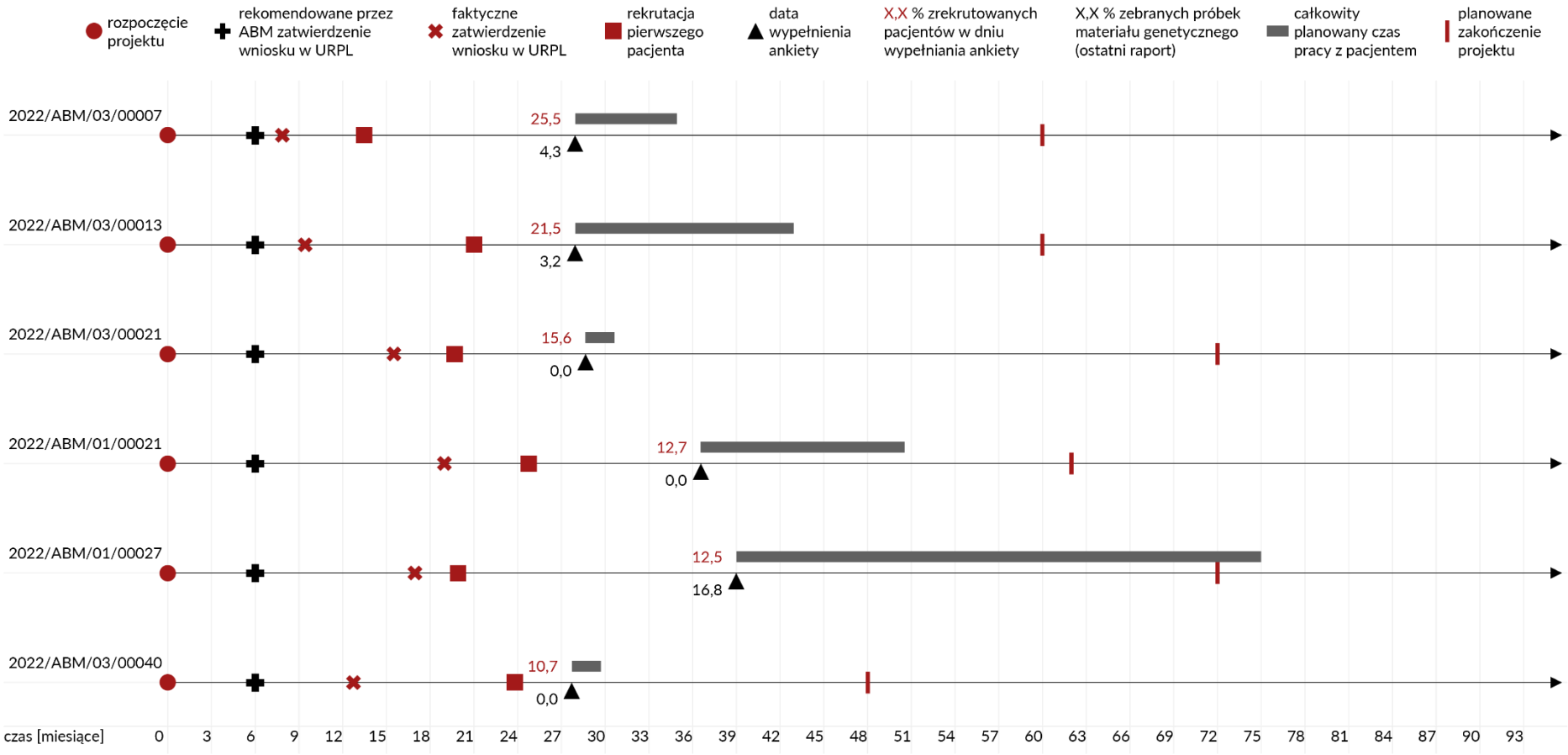
- rozpoczęcie projektu,
- otrzymanie zgody URPL na badanie kliniczne,
- rekrutacja pierwszego pacjenta,
- planowane zakończenie projektu wg aktualnego Wniosku o Dofinansowanie.

W celach poglądowych na wykresach został również zaprezentowany całkowity planowany czas, w którym jeden pacjent przebywa w badaniu klinicznym (screening; leczenie; monitoring; follow up). Dla bardziej realnej oceny możliwości zrealizowania badania klinicznego w wymiarze niemodyfikowanym, przedstawiony początek pracy z pacjentem przypada na dzień wypełnienia ankiety ewaluacyjnej (z uwzględnieniem aktualnego procentu zrekrutowanych pacjentów oraz procentu zebranych próbek materiału genetycznego zgodnie z ostatnim przekazanym raportem cząstkowym).

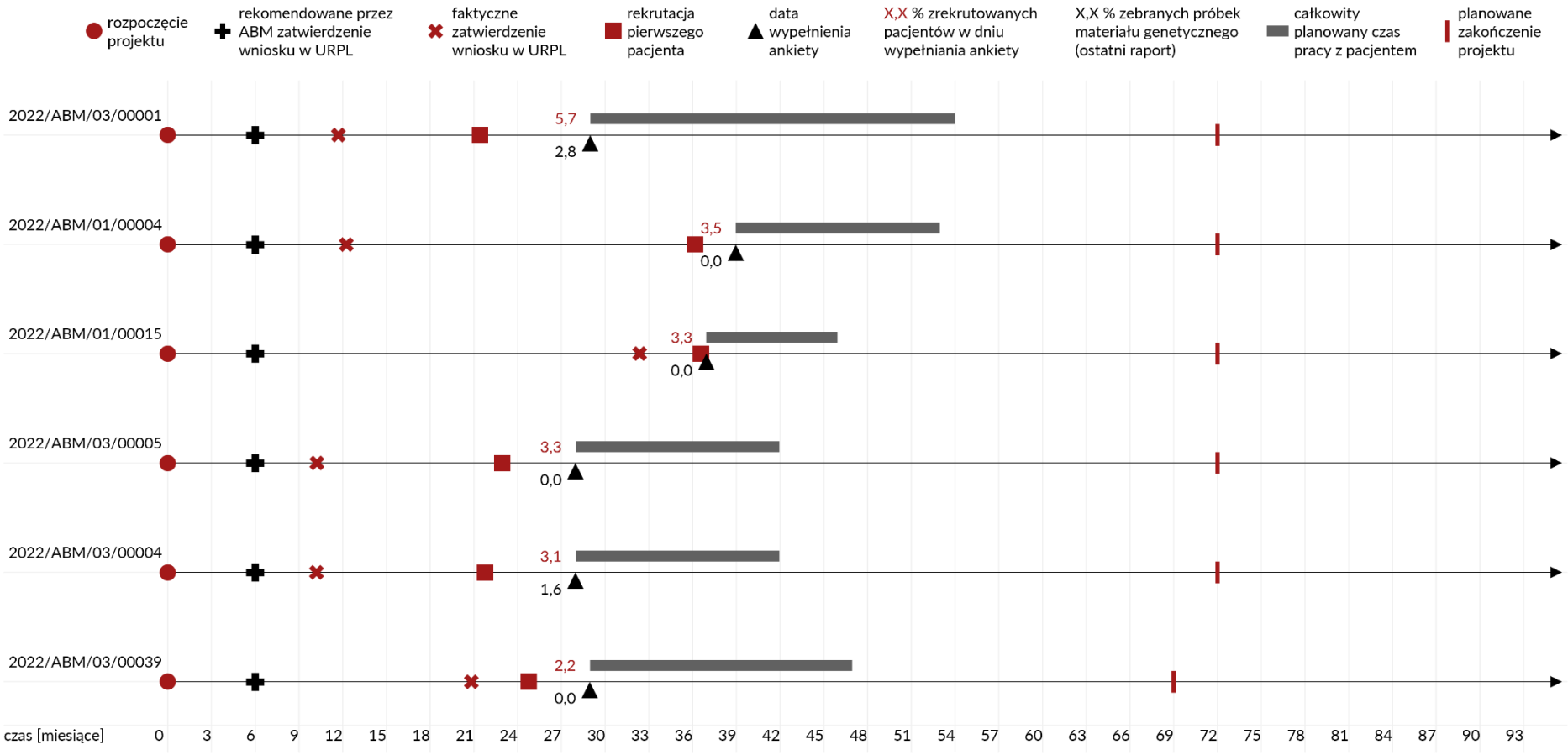
Wykres 40. Dynamika projektów NBK realizowanych w ramach konkursów 2022-ABM-01 oraz 2022-ABM-03 [1/4]



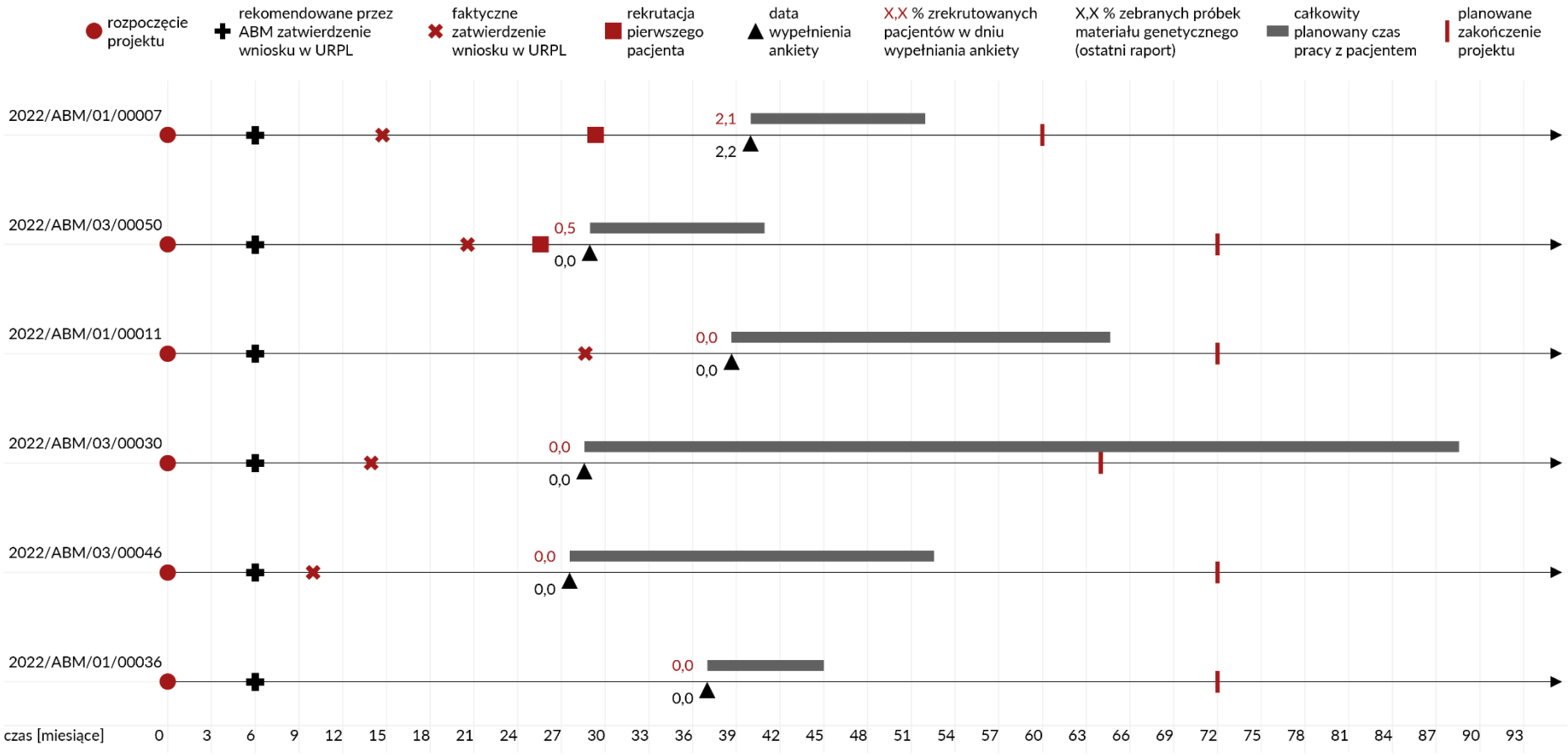
Wykres 41. Dynamika projektów NBK realizowanych w ramach konkursów 2022-ABM-01 oraz 2022-ABM-03 [2/4]



Wykres 42. Dynamika projektów NBK realizowanych w ramach konkursów 2022-ABM-01 oraz 2022-ABM-03 [3/4]



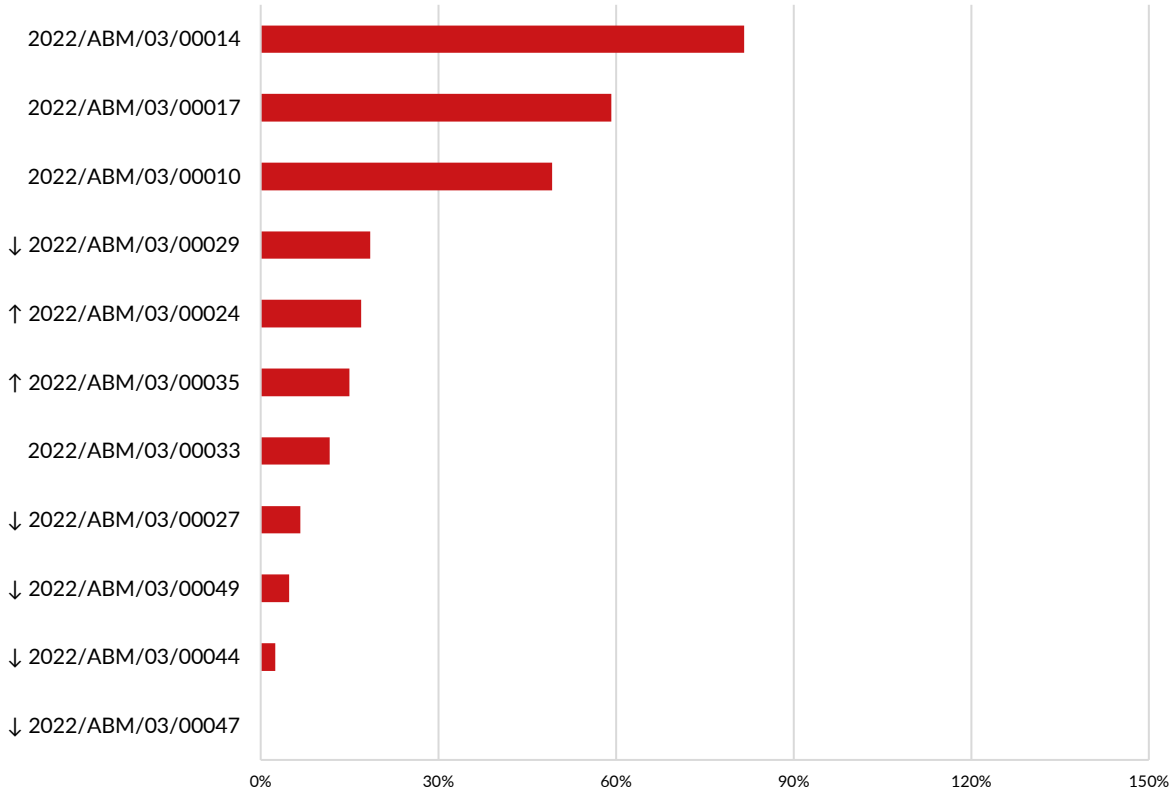
Wykres 43. Dynamika projektów NBK realizowanych w ramach konkursów 2022-ABM-01 oraz 2022-ABM-03 [4/4]



### 3.9.2. Eksperymenty badawcze

W ewaluowanych eksperymentach badawczych czas, w którym uczestnik przebywa w badaniu (screening; interwencja; monitoring; follow up) jest bardzo zróżnicowany i wynosi od 1 do 24 miesięcy. Pierwsi uczestnicy byli rekrutowani między 1 lipca 2022 roku a 31 grudnia 2024 roku. Liczba zrekrutowanych pacjentów (do czasu, w którym przeprowadzono ewaluację) wynosi od 0 - 82%, z medianą wynoszącą 15%. Z ogólnej liczby uczestników wynoszącej 5 526 do czasu przeprowadzenia ostatniego etapu ewaluacji (ankiety), zostało zrekrutowanych 556 pacjentów. Stanowi to 10% deklarowanej populacji. Do czasu przeprowadzenia ewaluacji żaden projekt nie zrekrutował całkowitej liczby uczestników. Dotychczas najwięcej uczestników (82% zakładanej populacji) zrekrutowano w projekcie 2022/ABM/03/00014: *Pionierska weryfikacja zastosowania immunomodulującego działania podprogowej laseroterapii mikropulsowej w zwyrodnieniu barwnikowym siatkówki z próbą optymalizacji protokołów laserowania 577 nm i 810 nm* – projekt z obszaru okulistyki. Drugim projektem, w którym osiągnięto największy procent rekrutacji (59%) to 2022/ABM/03/0017: *Jednoośrodkowy, randomizowany, otwarty eksperyment badawczy mający na celu ocenę bezpieczeństwa i skuteczności terapii z zastosowaniem denerwacji tętnic nerkowych wraz z ablacją migotania przedsionków u pacjentów z migotaniem przedsionków i niewydolnością serca* – projekt z obszaru serce i układ sercowo-naczyniowy. W 3 projektach, rekrutacja jest poniżej 10% zakładanej populacji, a w jednym nie zrekrutowano jeszcze żadnego pacjenta. Na wykresie 44 przedstawiono poziom rekrutacji uczestników w projektach EB.

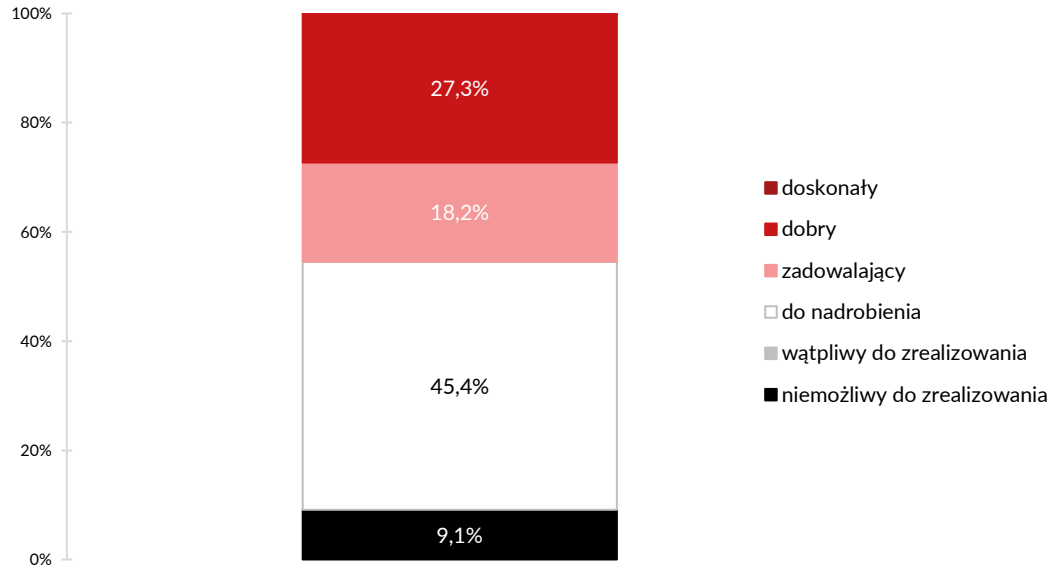
Wykres 44. Poziom rekrutacji uczestników w projektach EB na dzień 2025-11-30 (odniesiony do aktualnej planowanej liczby uczestników) [N=11][19]




[19] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, w których liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy jest odpowiednio wyższa lub niższa od aktualnie planowanej liczby ośrodków (WoD).

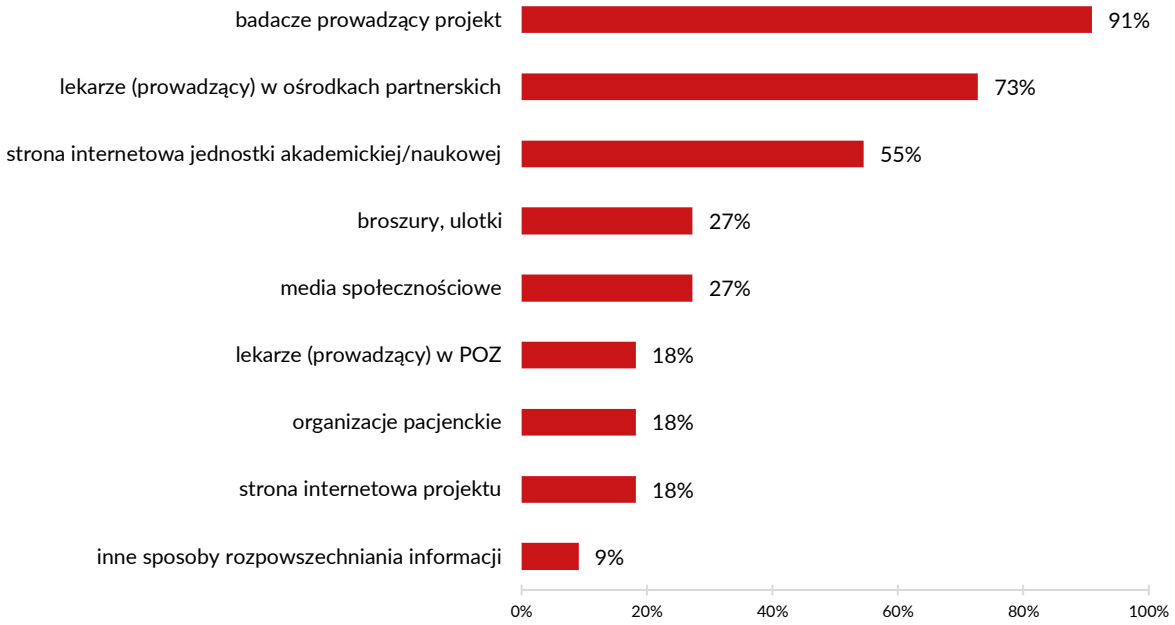
Główni badacze realizujący eksperymenty badawcze również zostali poproszeni o ocenienie stanu rekrutacji w prowadzonym przez nich projekcie. 45,5% poziom rekrutacji określiło jako dobry lub zadowalający, 45,4% stwierdziło, że stan rekrutacji względem planu jest do nadrobienia, a według 9% badaczy rekrutacja jest wątpliwa do zrealizowania. 3 z 4 głównych badaczy prowadzących projekty ze stanem rekrutacji poniżej 10% określiło stan jako „do nadrobienia", a jeden jako „zadowalający", przy czym zaawansowanie realizacji tych projektów według daty planowanego zakończenia wynosi od 40% do 62%. Ocena stanu rekrutacji uczestników została zaprezentowana na wykresie nr 45.

Wykres 45. Ocena stanu rekrutacji uczestników w projektach EB [N=11]




Jako środki zaradcze lub działania następcze na skutek wolniejszego niż przewidziane we Wniosku o Dofinansowanie tempa rekrutacji, 27% głównych badaczy dokonało zmian związanych z kryteriami włączenia lub wyłączenia uczestników, a 45% dokonało zmiany związanej z liczbą ośrodków rekrutujących. Badacze określili też główne formy rozpowszechniania informacji o eksperymencie badawczym, przedstawione na wykresie 46.

Wykres 46. Główne formy rozpowszechniania informacji o badaniu w projektach EB [N=11]




- 91% projektów informacje o prowadzonym badaniu rozpowszechnia poprzez lekarzy prowadzących badanie oraz lekarzy z ośrodków partnerskich (73%),
- 55% głównych badaczy umieściło informację o badaniu na stronie internetowej jednostki sponsora, a 18% utworzyło (jako dodatkowe lub jedyne źródło informacji) własną stronę projektu.
- 27% prowadzi kampanię informacyjną w mediach społecznościowych.
- 27% głównych badaczy zdecydowało się na wydruk broszur i ulotek informacyjnych.
- 18% głównych badaczy współpracuje z organizacjami zrzeszającymi pacjentów i ich rodziny.

Inne formy rozpowszechniania informacji o badaniu klinicznym, skierowane zarówno do środowiska lekarskiego, jak i pacjentów to wywiady w radio.

Główni badacze zostali również zapytani w jaki sposób najczęściej kontaktują się z uczestnikami badania. Wszyscy badacze wskazali wizyty stacjonarne, a 6 jako dodatkowy sposób wykorzystuje teleporady. Jako inne formy wymieniony został kontakt mailowy.

W celu monitorowania compilance w 2 przypadkach (18%) odnotowywany jest on przez personel medyczny, a 2 dwóch stosowane są dzienniczki (w formie papierowej). W 7 projektach (64%) compilance, ze względu na specyfikę zaplanowanej w projekcie interwencji, nie jest w ogóle monitorowany. Żaden z Beneficjentów realizujących eksperymenty badawcze nie wprowadził również procedur naprawczych na wypadek niskiego compilance.

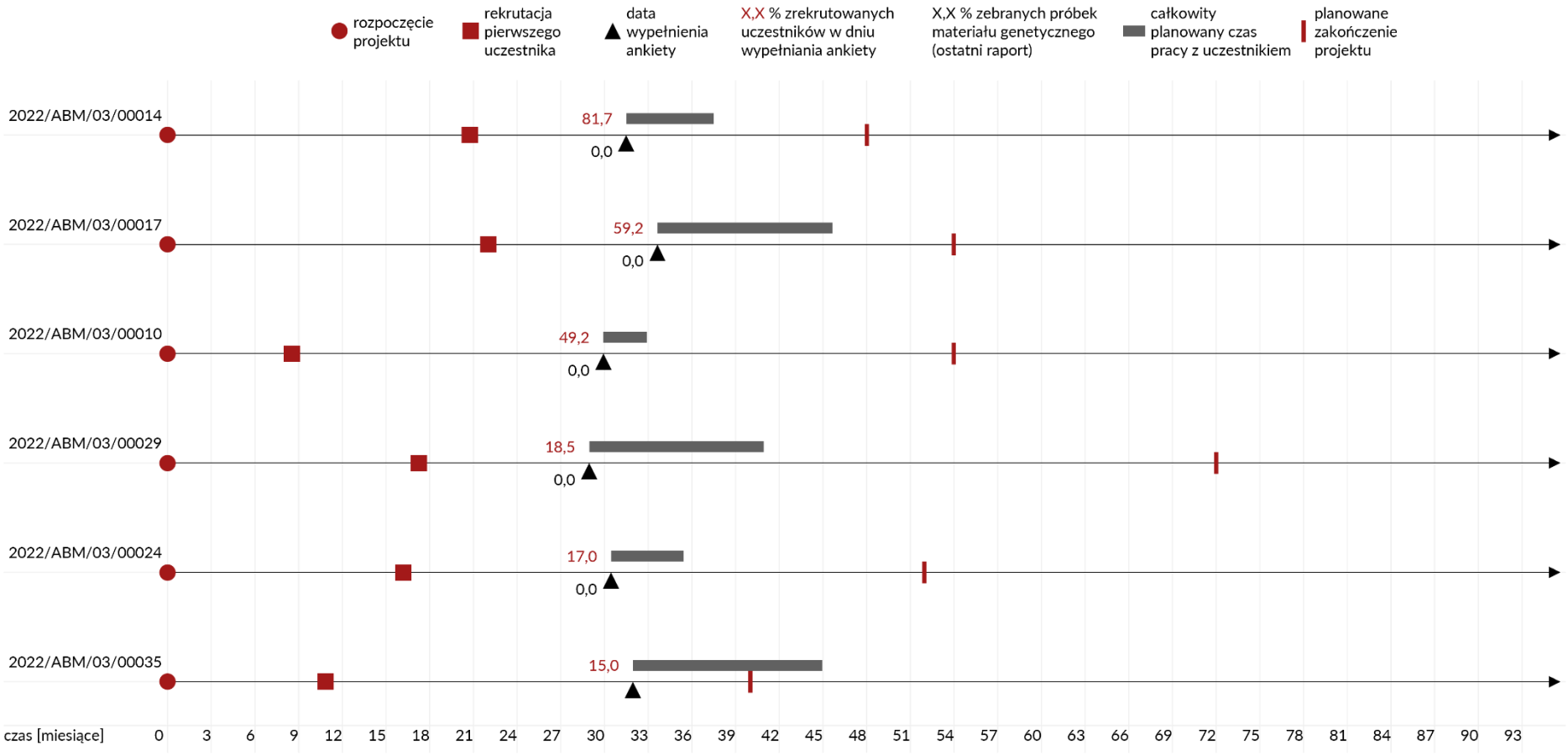
Na wykresach 47 – 48 przestawione zostało zestawienie dynamiki poszczególnych projektów, gdzie umieszczono krytyczne etapy każdego z nich:

- rozpoczęcie projektu,
- rekrutacja pierwszego uczestnika,

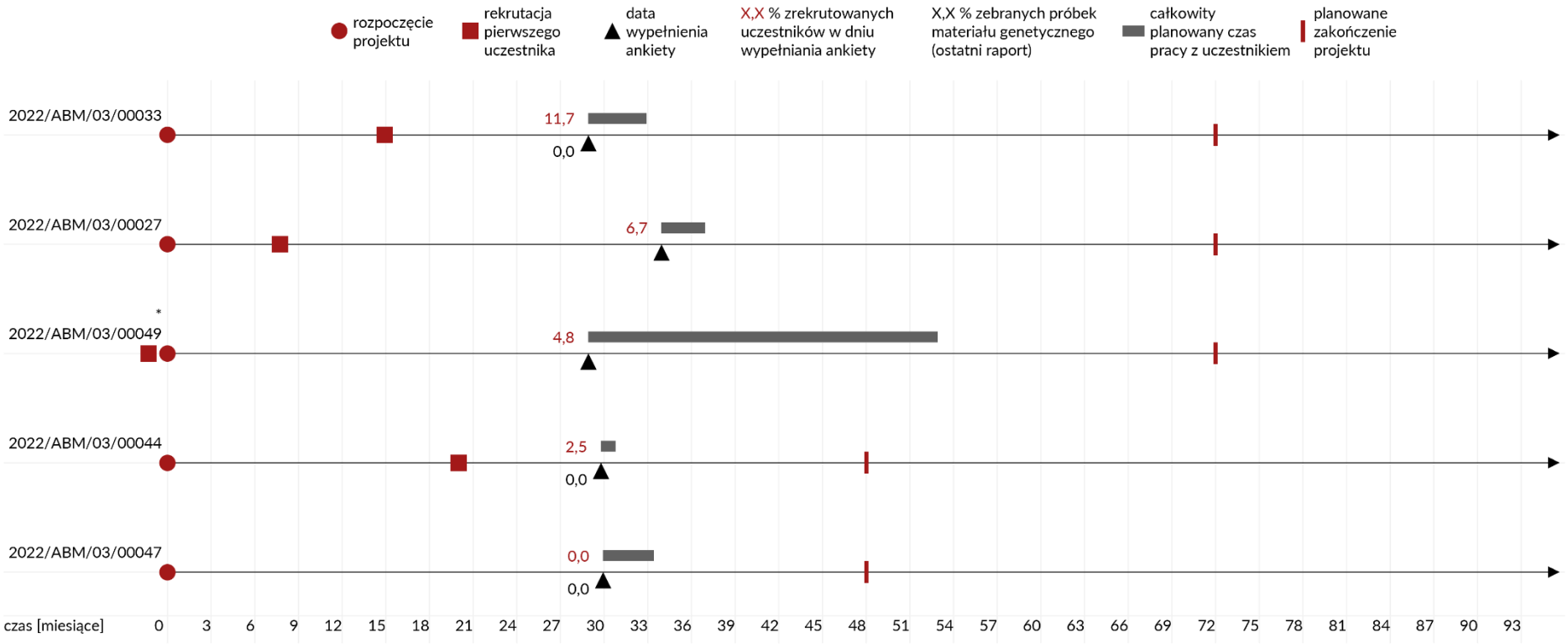
- planowane zakończenie projektu wg aktualnego Wniosku o Dofinansowanie.

W celach poglądowych na wykresach został również zaprezentowany całkowity planowany czas, w którym jeden uczestnik przebywa w badaniu. Dla bardziej realnej oceny możliwości zrealizowania eksperymentu badawczego w wymiarze niemodyfikowanym, przedstawiony początek pracy z uczestnikiem badania przypada na dzień wypełnienia ankiety ewaluacyjnej (z uwzględnieniem aktualnego procentu zrekrutowanych uczestników oraz procentu zebranych próbek materiału genetycznego zgodnie z ostatnim przekazanym raportem cząstkowym).

Wykres 47. Dynamika projektów EB realizowanych w ramach konkursu 2022-ABM-03 [1/2]



Wykres 48. Dynamika projektów EB realizowanych w ramach konkursu 2022-ABM-03 [2/2][20]




[20] Rekrutacja pierwszego uczestnika nastąpiła przed podpisaniem umowy z ABM.

## 3.10. Biobankowanie

Wszystkie projekty wyłonione w ramach konkursów 2022/ABM/01 oraz 2022/ABM/03, na mocy zapisów w Regulaminie konkursu zostały objęte wymogiem biobankowania materiału biologicznego w celu jego późniejszego wykorzystania do celów naukowych. Tym samym liczba biobankowanych próbek stała się jednym ze wskaźników projektów podlegającym ocenie i rozliczeniu. Wyjątek stanowią projekty, w których Beneficjent nie planuje pobierania od pacjentów próbek krwi i/lub innego materiału biologicznego celem standardowej diagnostyki. W takich przypadkach możliwe było zwolnienie z obowiązku realizacji wskaźnika. W związku z wprowadzeniem obowiązku biobankowania materiału biologicznego Agencja Badań Medycznych określiła wysokość zryczałtowanej kwoty odnoszącej się do przechowywania 1 próbki materiału biologicznego w biobanku w trakcie trwania Projektu. Natomiast Wnioskodawca na etapie planowania budżetu powinien dodatkowo zaplanować koszty związane z pobraniem próbki, jej konfekcjonowaniem (przygotowaniem / rozporcjowaniem) oraz ewentualnym transportem do biobanku. W 35 ewaluowanych projektach Beneficjenci pierwotnie zaplanowali pobranie i przekazanie do biobanku 12 735 próbek materiału biologicznego. W jednym projekcie ze względu na jego charakter gromadzenie próbek materiału biologicznego od pacjentów nie było wymagane. 8 głównych badaczy zawnioskowało o zmniejszenie liczby biobankowanych próbek, na co Agencja wyraziła zgodę, a ostateczna liczba materiału biologicznego planowanego do pozyskania to 8 968 próbek. Tym samym liczba projektów, w których materiał biologiczny nie będzie w ogóle gromadzony wzrosła z 1 do 4. Warto podkreślić, że obowiązek biobankowania został wprowadzony po raz pierwszy w dotychczas ogłaszanych konkursach, co mogło przyczynić się do trudności ujawnionych na etapie planowania i konstruowania budżetów niektórych projektów.

Obecny stan materiału biologicznego zdeponowanego w biobankach to 283 co stanowi 3,1% wszystkich zaplanowanych do zgromadzenia próbek.

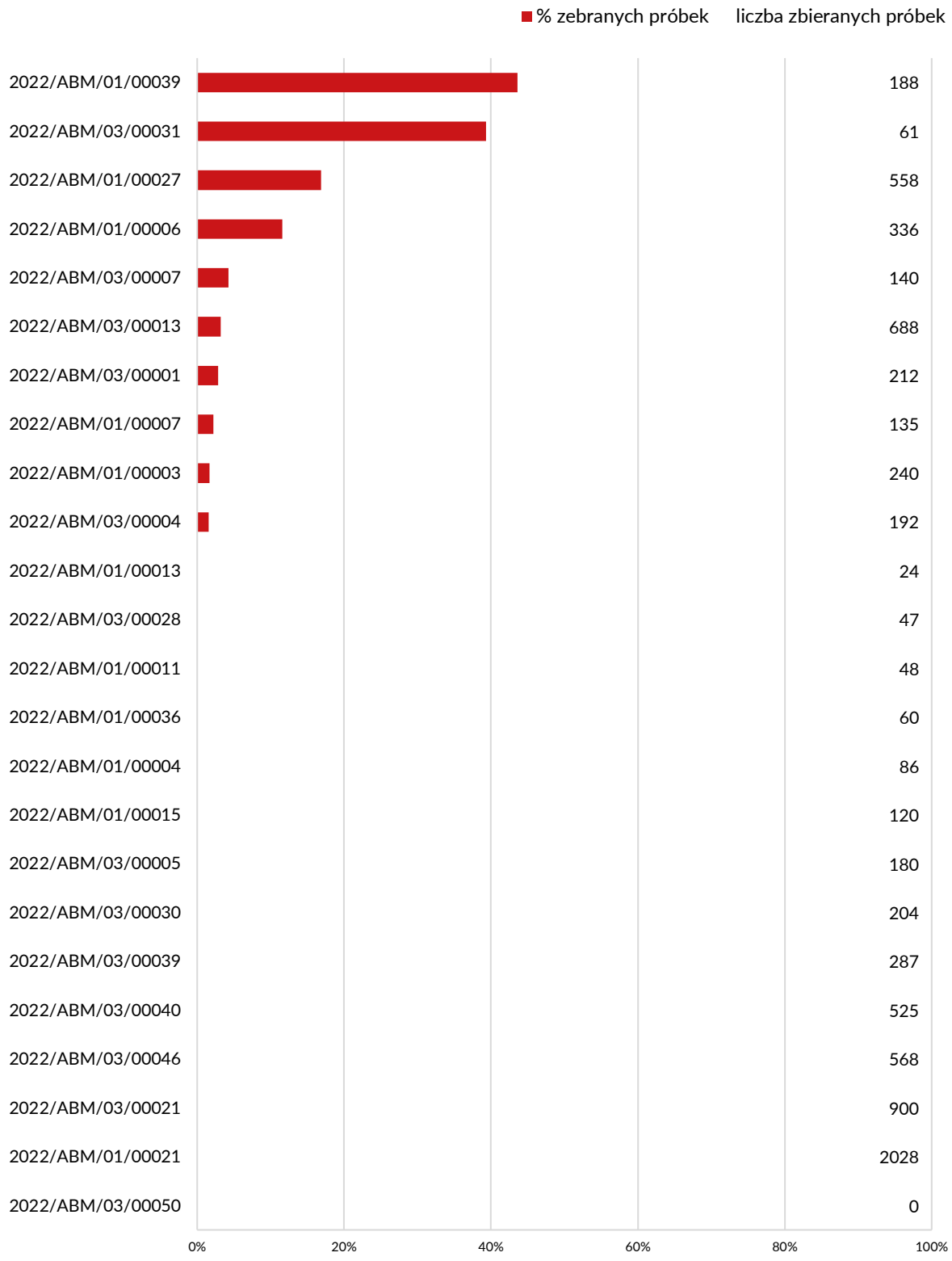
### 3.10.1. Niekomercyjne badania kliniczne

W ramach niekomercyjnych badań klinicznych pierwotnie zaplanowano pozyskanie 10 266 próbek materiału biologicznego. 5 głównych badaczy wystąpiło z wnioskiem o możliwość zmniejszenia liczby próbek, na co Agencja wyraziła zgodę. Po wprowadzonych zmianach liczba zaplanowanych do biobankowania próbek to 7 827. Największa liczba gromadzonych próbek została zadeklarowana w projekcie 2022/ABM/01/00021: *MAGIC-AML - Multiarm, Multicenter, RAndomized, Molecularly-Gulded Controlled Trial of Personalized Treatment Strategy - of Acute Myeloid Leukemia* (badanie z obszaru onkologii) – 2 028 próbek. W jednym projekcie 2022/ABM/03/00050: *Profilaktyka udaru mózgu za pomocą apiksabanu u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek w stadium 5 i migotaniem przedsionków (SACK)* zrezygnowano z pozyskiwania materiału biologicznego od pacjentów. Rezygnacja nastąpiła ze względu na źle oszacowane koszty dotyczące biobankowania, tj. koszty zostały oszacowane tylko na jeden rok, a nie na cały okres realizacji projektu, jak również zaniżono stawki za pobieranie, przesyłanie i przechowywanie próbek. Rezygnacja z biobankowania spowodowała pomniejszenie przyznanego dofinansowania o kwotę zaplanowaną w budżecie na ten cel.

Aktualnie w biobankach zdeponowano 283 jednostki materiału biologicznego, co odpowiada 3,1% całkowitej liczby próbek zaplanowanych do zgromadzenia. Najwięcej w projekcie 2022/ABM/01/00027: *Randomizowane, podwójnie zaślepione, kontrolowane placebo badanie oceniające wpływ allopurynolu na ryzyko zdarzeń sercowo-naczyniowych u pacjentów z wysokim i bardzo wysokim ryzykiem sercowo-*

*naczyniowym, z uwzględnieniem obecności zespołu Long-COVID* (badanie z obszaru serce i układ sercowo-naczynowy), w którym zebrano 94 próbki co stanowi 16,8% wszystkich zaplanowanych do zgromadzenia. Procent przekazanych do bankowania próbek materiału genetycznego w projektach NBK został zaprezentowany na wykresie 49.

Wykres 49. Procent przekazanych do bankowania próbek materiału genetycznego w projektach NBK [N=24][21]




[21] Na podstawie danych podanych w ostatnim Raporcie cząstkowym.

### 3.10.2. Eksperymenty badawcze

W ramach realizacji eksperymentów badawczych pierwotnie zaplanowano pozyskanie 2 469 próbek materiału biologicznego. 3 głównych badaczy wystąpiło z wnioskiem o możliwość zmniejszenia liczby próbek, na co Agencja wyraziła zgodę. Po wprowadzonych zmianach liczba zaplanowanych do biobankowania próbek to 1 141. Największa liczba gromadzonych próbek została zadeklarowana w projekcie 2022/ABM/03/00047: *Multicenter, randomized, open-label, four-arm study on the efficacy of fecal microbiota transplantation vs bezlotoxumab vs fidaxomicin vs vancomycin in the treatment and relapse prophylaxis of Clostridioides difficile infection. STOP-CDI study* – 282 próbki. W następujących 3 projektach zrezygnowano z pozyskiwania materiału biologicznego od pacjentów:

- 2022/ABM/03/00035: ze względu na charakter projektu beneficjent już na etapie składania Wniosku o Dofinasowanie nie zaplanował gromadzenia próbek materiału biologicznego od pacjentów.
- 2022/ABM/03/00027: wnioskodawca nie planuje pobierania materiału biologicznego od pacjentów w ramach procedur realizowanych w projekcie, w związku z tym na jego wniosek został zwolniony z obowiązku biobankowania.
- 2022/ABM/03/00049: na etapie projektowania budżetu beneficjent nie oszacował i nie zabezpieczył środków na koszty związane z pobieraniem i przechowywaniem materiału na potrzeby biobankowania na rzecz Agencji Badań Medycznych.

Aktualnie w biobankach nie zdeponowano jeszcze żadnej próbki materiału biologicznego od uczestników eksperymentów badawczych.

## 3.11. Finasowanie projektów

Wartość dofinansowania projektów poddanych ewaluacji w dniu ogłoszenia ostatecznej listy rankingowej i podpisywania umów z beneficjentami wynosiła 424 934 163,40 zł. Aktualna wartość dofinansowania projektów poddanych ewaluacji to 422 674 300,48 zł. Różnica ta wynika ze zmiany wysokości dofinansowania dla 4 realizowanych projektów. W trzech przypadkach dofinansowanie zostało zmniejszone, a w jednym zwiększone:

- 2022/ABM/01/00011: *Wieloośrodkowe, kontrolowane, randomizowane badanie kliniczne porównujące skuteczność auto- i allogenicznych mezenchymalnych komórek stromalnych w gojeniu przetok odbytu powstałych w przebiegu choroby Leśniowskiego i Crohna* - zmniejszenie dofinasowania spowodowane redukcją liczby uczestników badania, zmiana z 12 554 850,00 zł na 8 815 189,29 zł, spadek o 3 739 660,71 zł (niekomercyjne badanie kliniczne),
- 2022/ABM/01/00027: *Randomizowane, podwójnie zaślepione, kontrolowane placebo badanie oceniające wpływ allopurynolu na ryzyko zdarzeń sercowo-naczyniowych u pacjentów z wysokim i bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym, z uwzględnieniem obecności zespołu Long-COVID*- zwiększenie dofinansowania ze względu na przeprowadzoną analizę finansową oraz merytoryczną projektu, która wykazała, że zwiększenie dofinasowania jest niezbędne do dalszej jego realizacji oraz osiągnięcia zamierzonych celów, zmiana z 15 155 388,20 zł na 16 720 325,99 zł wzrost o 1 564 937,79 zł (niekomercyjne badanie kliniczne).
- 2022/ABM/03/00017: *Jednoośrodkowy, randomizowany, otwarty eksperyment badawczy mający na celu ocenę bezpieczeństwa i skuteczności terapii z zastosowaniem denerwacji tętnic nerkowych*

*wraz z ablacją migotania przedsionków u pacjentów z migotaniem przedsionków i niewydolnością serca*, zmiana z 4 743 089,50 zł na 4 697 549,50 zł, spadek o 45 540,00 zł – zmniejszenie dofinansowania spowodowane rezygnacją z biobankowania (eksperyment badawczy),

- 2022/ABM/03/00050: *Profilaktyka udaru mózgu za pomocą apiksabanu u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek w stadium 5 i migotaniem przedsionków (SACK)* - zmniejszenie dofinansowanie ze względu na rezygnację beneficjenta z biobankowania próbek, zmiana z 8 563 265,70 zł na 8 523 665,70 zł spadek o 39 600,00 zł (niekomercyjne badanie kliniczne),

Zmiany, jakie dokonują beneficjenci zgodnie z Umową o Dofinansowanie, mogą obejmować zmianę alokacji środków pomiędzy kategoriami oraz przeniesienie przyznanych środków finansowych pomiędzy zadaniami wyszczególnionymi we wniosku o dofinansowanie. Każdy rodzaj wymienionych zmian wymaga poinformowania lub zgody ABM.

### 3.11.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Zmiany alokacji środków między zadaniami były najczęściej wskazywane wśród projektów NBK, dokonało ich 21 beneficjentów. Zmiana alokacji środków między kategoriami kosztów wskazana została przez 20 Beneficjentów, a przesunięcia w czasie wydatkowania środków wskazało 13 głównych badaczy. Inne zmiany finansowe to. m.in. zmiany w sposobie wynagradzania personelu, wprowadzenie do budżetu nowych pozycji, przesunięcia środków między konsorcjantami. Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 50.

Wykres 50. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były zmiany finansowe [N=24]




Wnioski o Dofinansowanie projektów zawierają informację o całkowitym budżecie według typów uprawnionych kosztów w podziale na następujące kategorie:

- wynagrodzenie (umowa o pracę)
- wynagrodzenie (umowa zlecenie)
- koszty wynagrodzenia (umowa o dzieło)
- koszty wynagrodzenia (dodatek do wynagrodzenia)
- usługa medyczna
- lek
- koszty ubezpieczenia
- zaangażowanie CRO

- zakup sprzętu medycznego
- wyrób medyczny
- usługi merytoryczne zlecone
- inne.

Na wykresach 51 – 57 zaprezentowane zostały zmiany w wydatkowaniu środków między poziomem finansowania zadeklarowanym w momencie podpisywania umowy, a aktualnym poziomem finansowania (zgodnie z aktualnymi Wnioskami o Dofinansowanie) w podziale na główne kategorie:

- koszty leku,
- koszty wynagrodzeń (łącznie),
- koszty usług medycznych,
- koszty usług merytorycznych zleconych,
- koszty zaangażowania CRO,
- koszty zakupu sprzętu medycznego
- koszty zakupu ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty (łącznie).

W 12 projektach koszty zaplanowane na zakup leku nie uległy zmianie. Redukcję kosztów związanych z zakupem leku odnotowano w 8 projektach z medianą wynoszącą 26%. Największy spadek odnotowano w projekcie nr 2022/ABM/01/00039 i wyniósł 33,6%, a najmniejszy w projekcie nr 2022/ABM/01/00006 – 2,2%. Wzrost kosztów zakupu leku do badania odnotowano w 4 projektach – mediana 15,4%. Największy w projekcie nr 2022/ABM/03/00030 o 42,1%, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00031 o 0,3%.

W przypadku wynagrodzeń koszty wzrosły w 12 projektach, a mediana wzrostu wyniosła 17,4%. Największy wzrost procentowy wyniósł 128,4% z pierwotnie zaplanowanej kwoty. Dotyczy on projektu nr 2022/ABM/01/00015. Najmniejszy procentowy wzrost wynagrodzeń odnotowano w projekcie nr 2022/ABM/01/00013 – wyniósł on 1,1%. Spadek kosztów wynagrodzeń odnotowany został w 8 projektach. Mediana tego spadku wyniosła 11,5%. Największy odnotowano w projekcie nr 2022/ABM/03/00040 (37,1%), a najmniejszy w projekcie nr 2022/ABM/01/00036 (0,2%). W czterech projektach koszty wynagrodzeń pozostały bez zmian.

Koszty usług medycznych wzrosły w 9 projektach, a mediana wzrostu wyniosła 28,7%. Największy wzrost o 439,5% odnotowano w projekcie 2022/ABM/03/00040, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00021 o 0,4%. W 8 projektach koszty w tej kategorii zmalały, a mediana spadku wyniosła 15,8%. Największy spadek wystąpił w projekcie nr 2022/ABM/01/00011 i wyniósł 38,7%, a najmniejszy w projekcie nr 2022/ABM/01/00006 - 1%. W 5 projektach koszty usług medycznych pozostały bez zmian, a w 2 projektach nie zostały w ogóle uwzględnione.

Koszty usług merytorycznych zostały zaplanowane na etapie składania Wniosku o Dofinansowanie w 16 projektach. W 8 projektach koszty te wzrosły, a mediana tego wzrostu wyniosła 34,6%. Największy wzrost odnotowany został w projekcie 2022/ABM/03/00028 o 372,5%, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/01/00006 o 3,7%. Spadek kosztów odnotowano w 5 projektach, z medianą wynoszącą 40,9%. Największy spadek o 100% odnotowano w projekcie nr 2022/ABM/01/00039, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00039 o 3,0%. Dodatkowo w jednym projekcie (2022/ABM/01/00007)

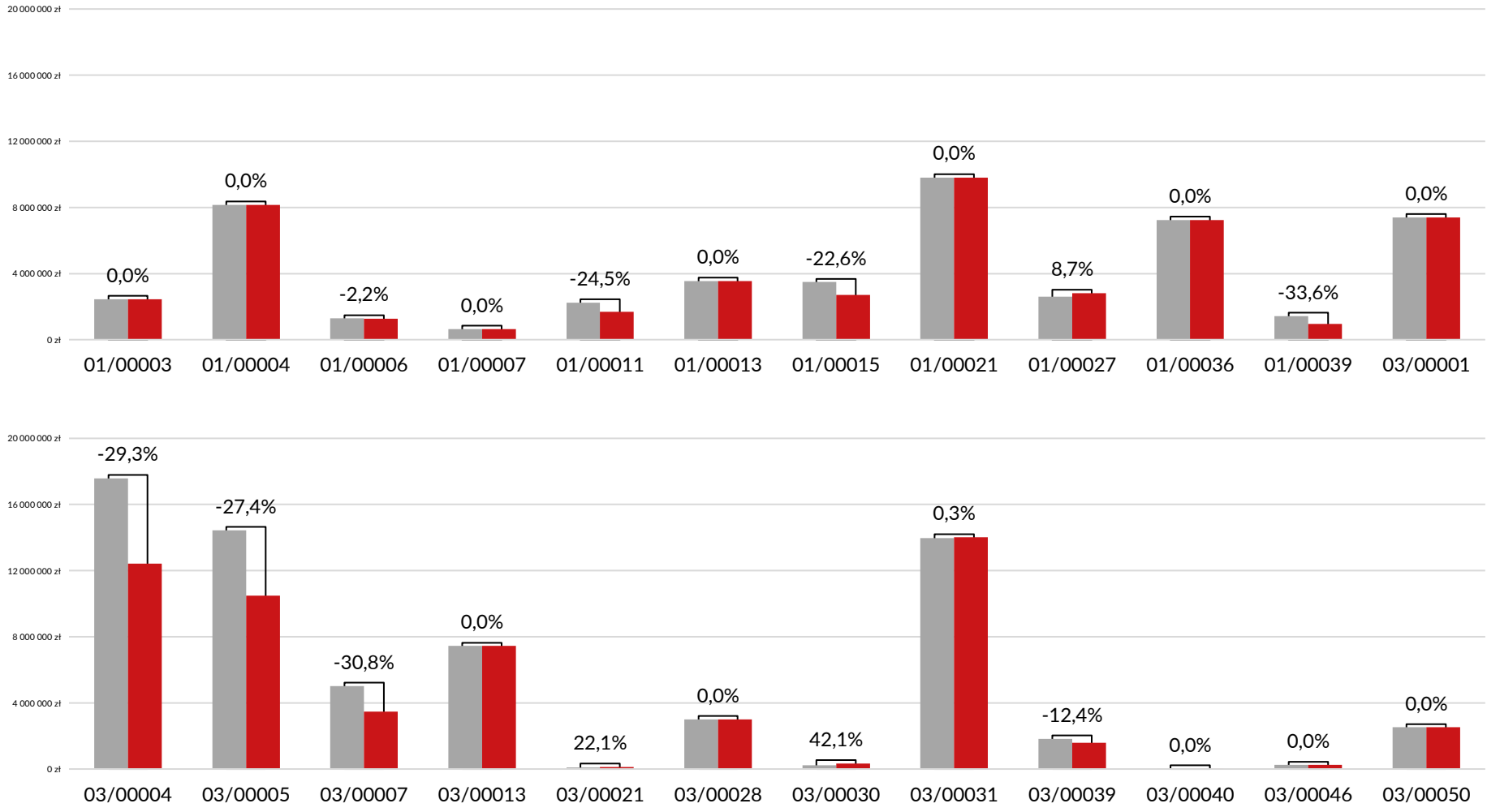
w aktualnym Wniosku o Dofinansowanie uwzględniono koszty usług merytorycznych (540 000,00 zł), które nie były szacowane na etapie składania Wniosku.

Koszty zaplanowane na zaangażowanie CRO w 8 projektach pozostały bez zmian, a w 1 projekcie (2022/ABM/03/00028) nie zostały w ogóle zaplanowane. W przypadku projektów bez udziału CRO, w ramach budżetu utworzono stanowiska wewnętrzne realizujące analogiczny zakres prac. W 6 projektach koszty wzrosły, mediana tego wzrostu wyniosła 21,8%. Największy wzrost odnotowano w projekcie 2022/ABM/01/00039 o 54,1%, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00040 o 1,8%. Koszty zaangażowania CRO zostały zredukowane w 9 projektach, a mediana spadku wynosi 11,3%. Największy spadek kosztów zaplanowanych na usługi CRO dotyczy projektu 2022/ABM/01/00015 i wynosi 70,4%, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00007 – 1,3%.

Koszty zakupu sprzętu medycznego w 8 przypadkach nie zostały w ogóle zaplanowane w budżecie projektu, a w 6 projektach pozostały bez zmian. Wzrost kosztów odnotowano w 7 projektach – mediana 41%. Największy wzrost dotyczy projektu 2022/ABM/03/00046 o 80%, a najmniejszy wyniósł 10,6% w projekcie 2022/ABM/03/0021. W 3 projektach koszt zakupu sprzętu medycznego uległ redukcji, a mediana spadku wyniosła 15,2%. Największy spadek - o 28,7% wystąpił w projekcie 2022/ABM/01/00027, a najmniejszy dotyczył projektu 2022/ABM/03/00013 – o 8,3%.

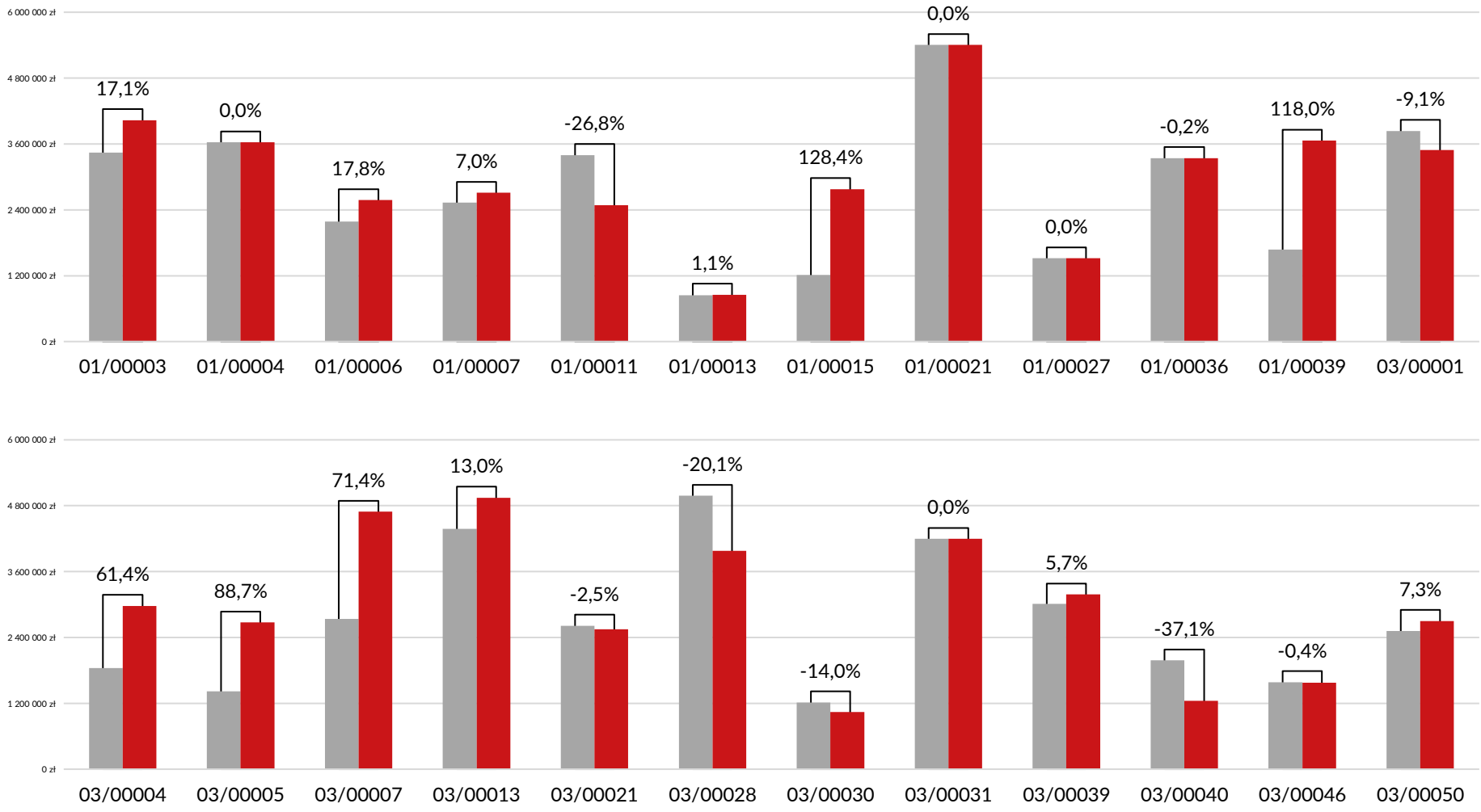
Ostatnią kategorią poddawaną analizie są analizowane łącznie koszty: usług ubezpieczeń, zakupu wyrobu medycznego oraz inne koszty. W 3 projektach w ramach tych kategorii nie dokonano żadnych zmian. Wzrost kosztów odnotowano w 7 projektach, a mediana wzrostu wyniosła 11,6%. Największy wzrost (o 24,5%) wystąpił w projekcie 2022/ABM/03/00004, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00028 o 5,8%. Redukcję kosztów w tej kategorii odnotowano w 14 projektach, a mediana spadku wynosi 22,2%. Największy spadek o 63,1% odnotowano w projekcie 2022/ABM/03/00040, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/01/00013 o 0,8%.

Wykres 51. Zmiany kosztów leku w projektach NBK [N=24][22]



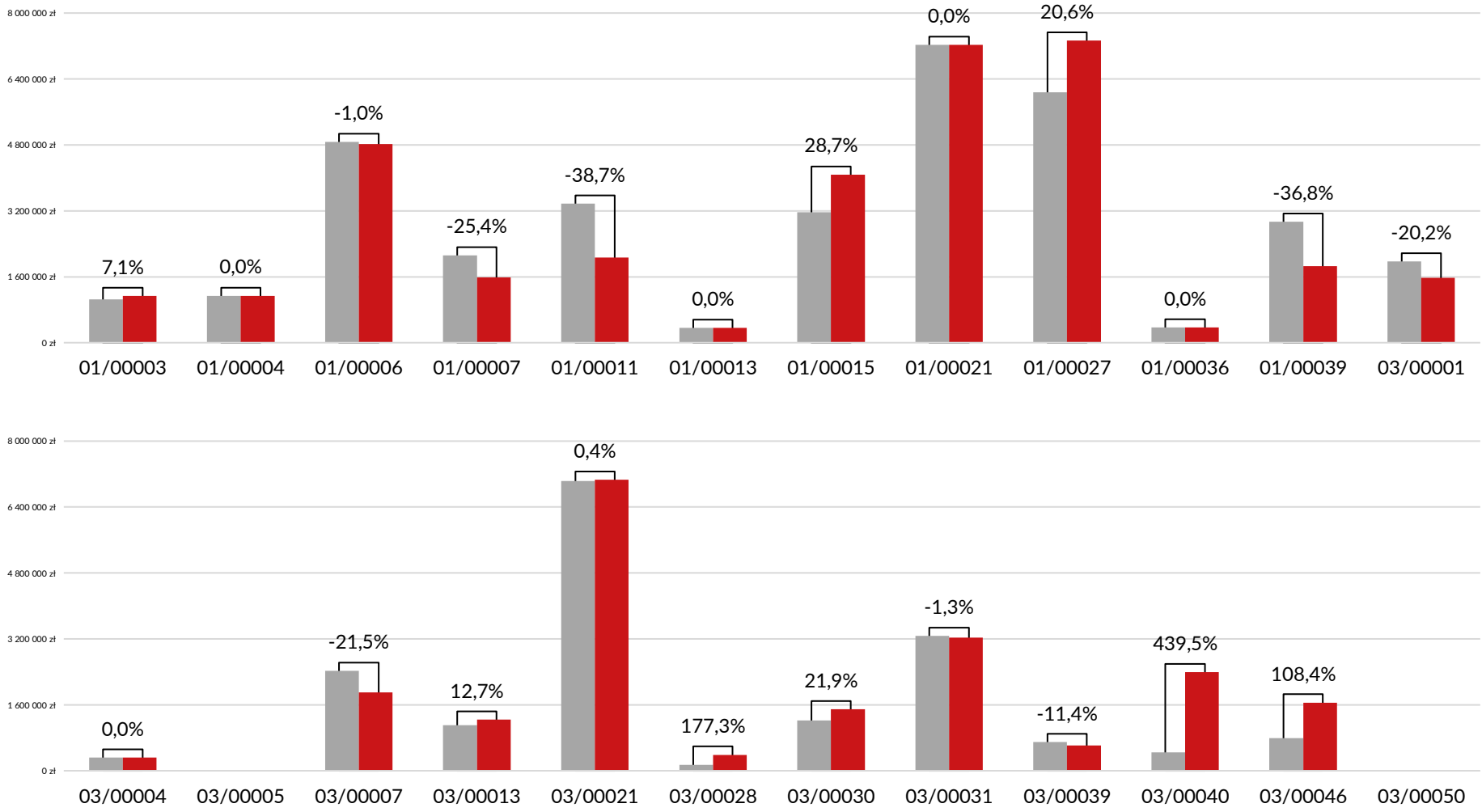

[22] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 52. Zmiany kosztów wynagrodzeń w projektach NBK [N=24][23]



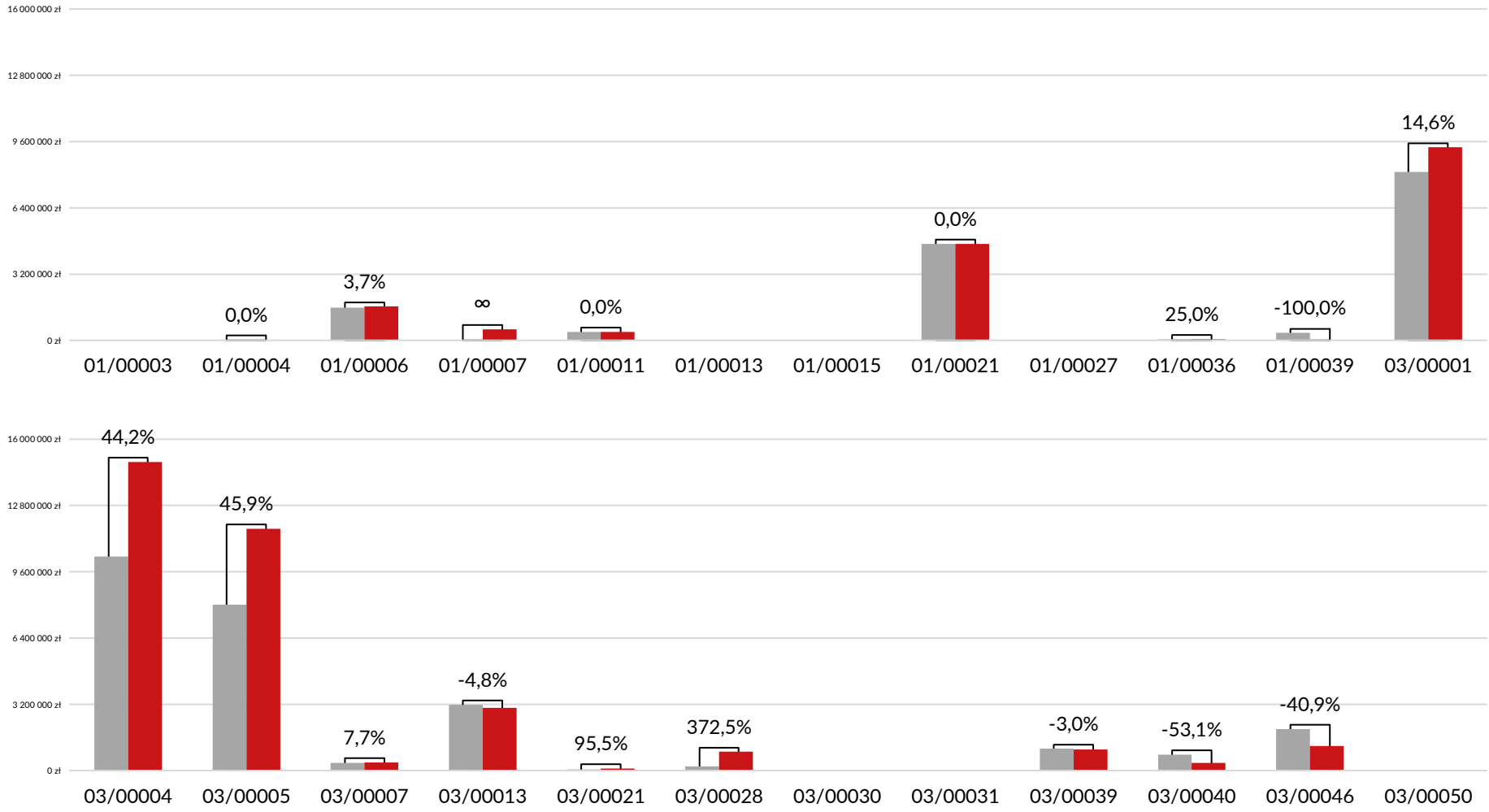

[23] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 53. Zmiany kosztów usług medycznych w projektach NBK [N=24][24]



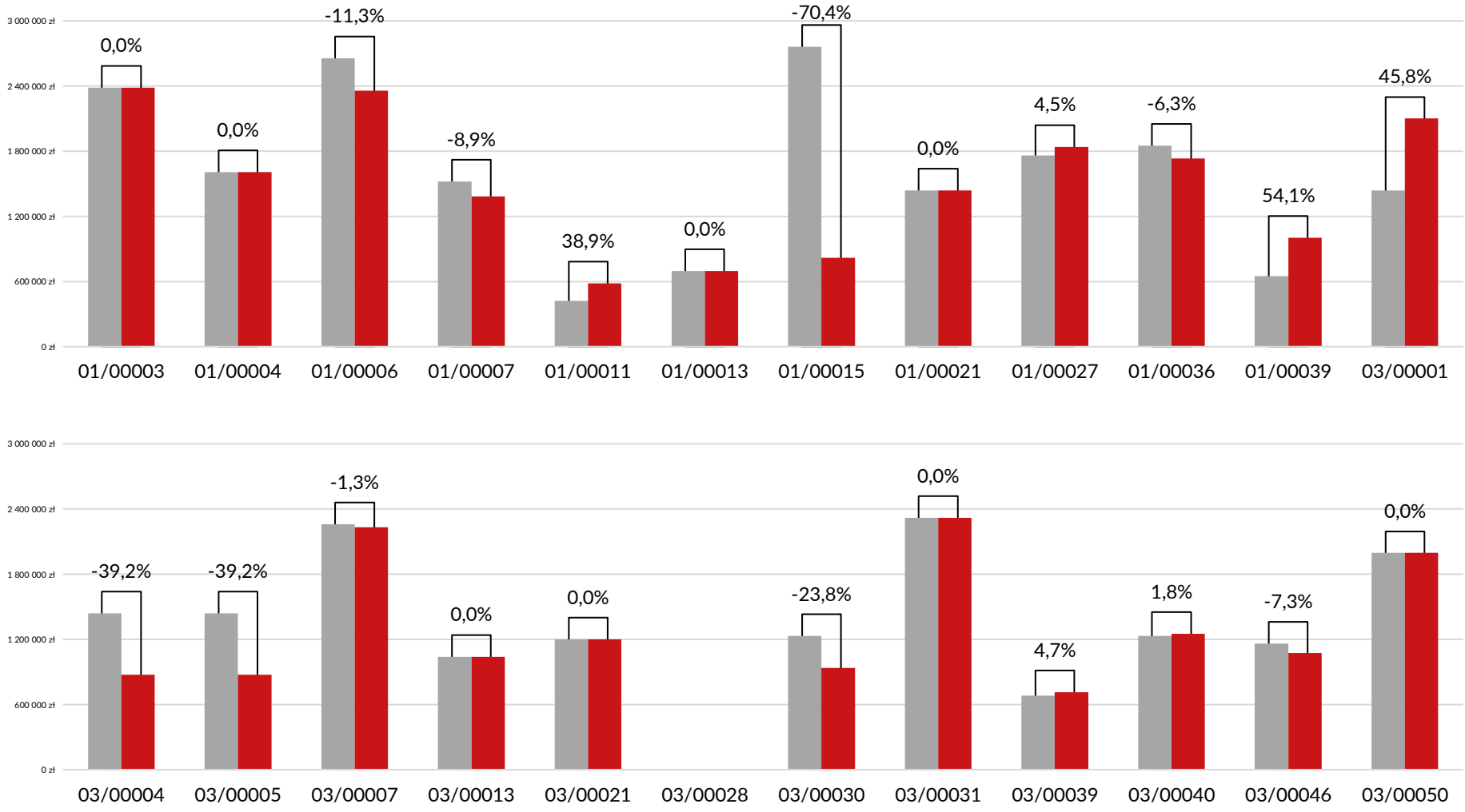

[24] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 54. Zmiany kosztów usług merytorycznych zleconych w projektach NBK [N=24][25]



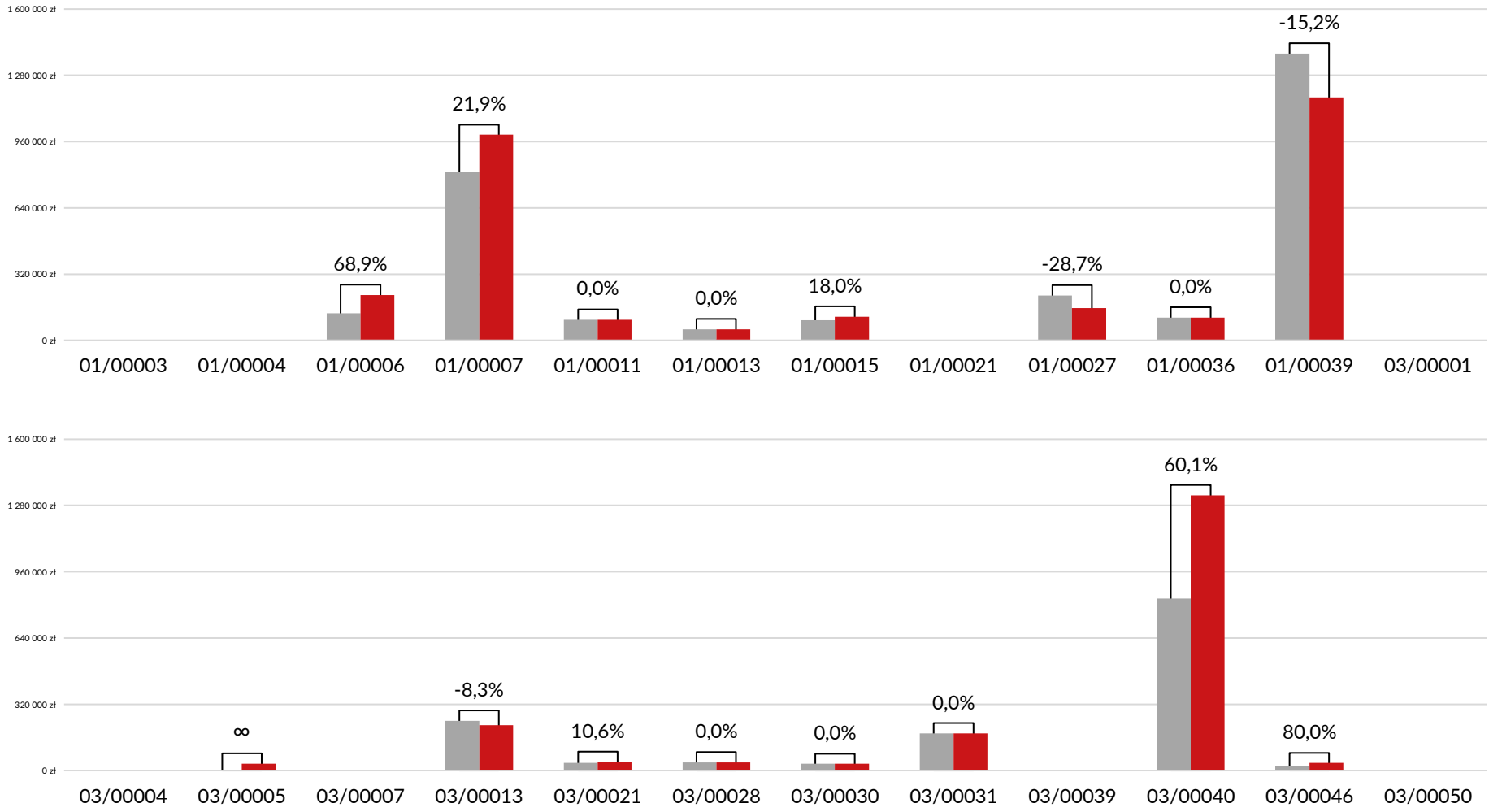

[25] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 55. Zmiany kosztów zaangażowania CRO w projektach NBK [N=24][26]



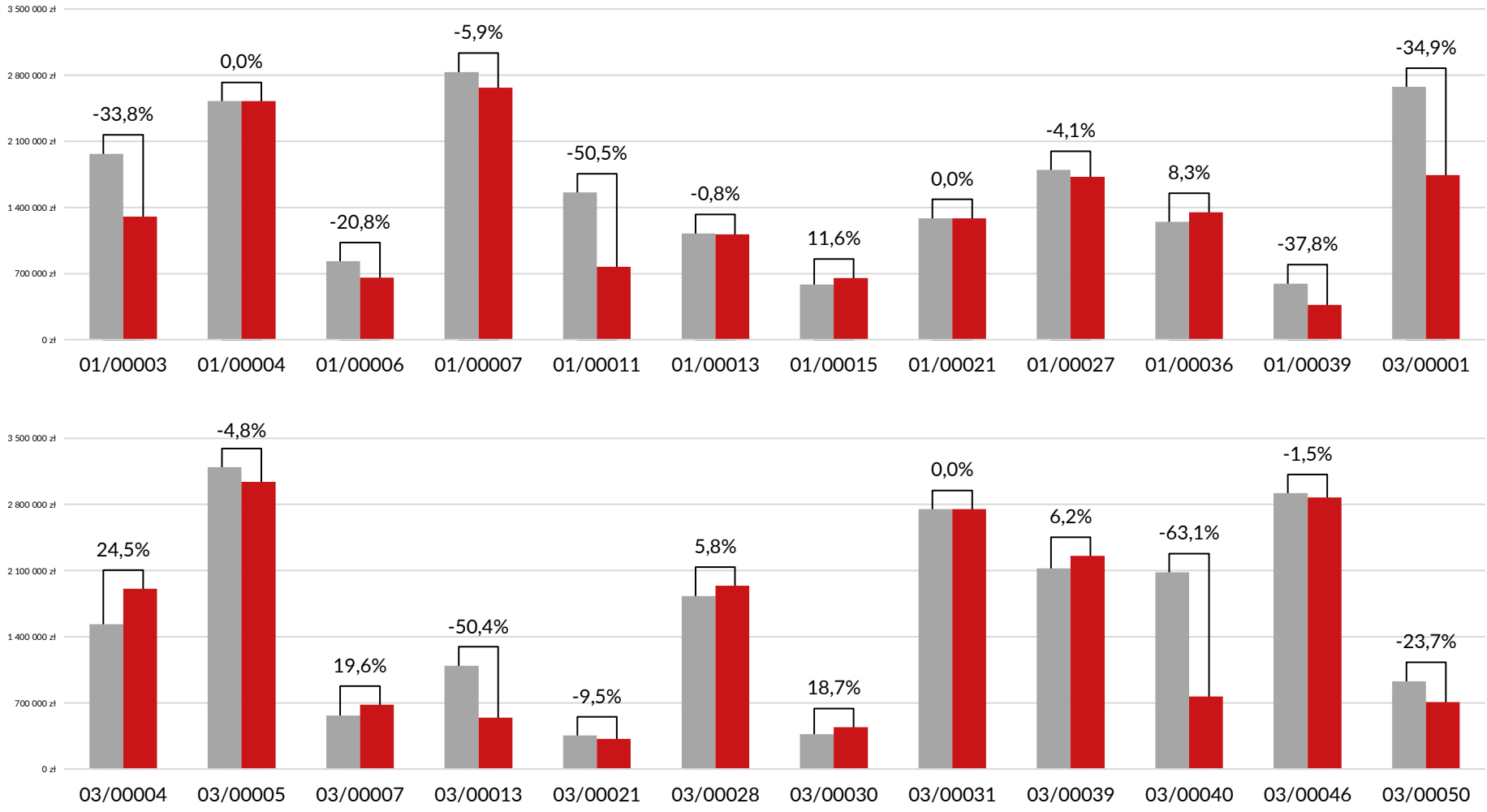

[26] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 56. Zmiany kosztów zakupu sprzętu medycznego w projektach NBK [N=24][27]




[27] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

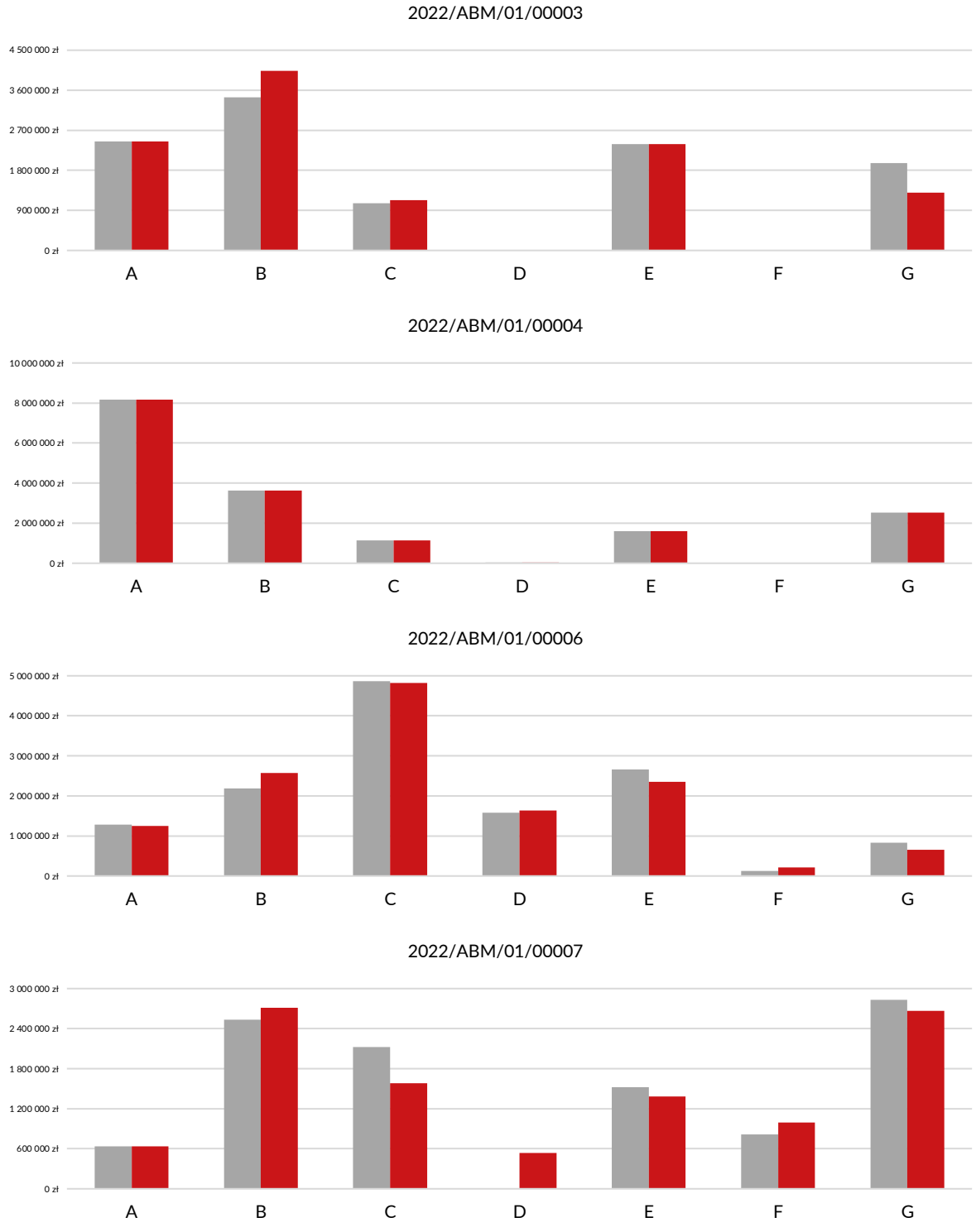
Wykres 57. Zmiany łącznych kosztów ubezpieczeń, wyrobów medycznych i innych kosztów[28]




[28] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

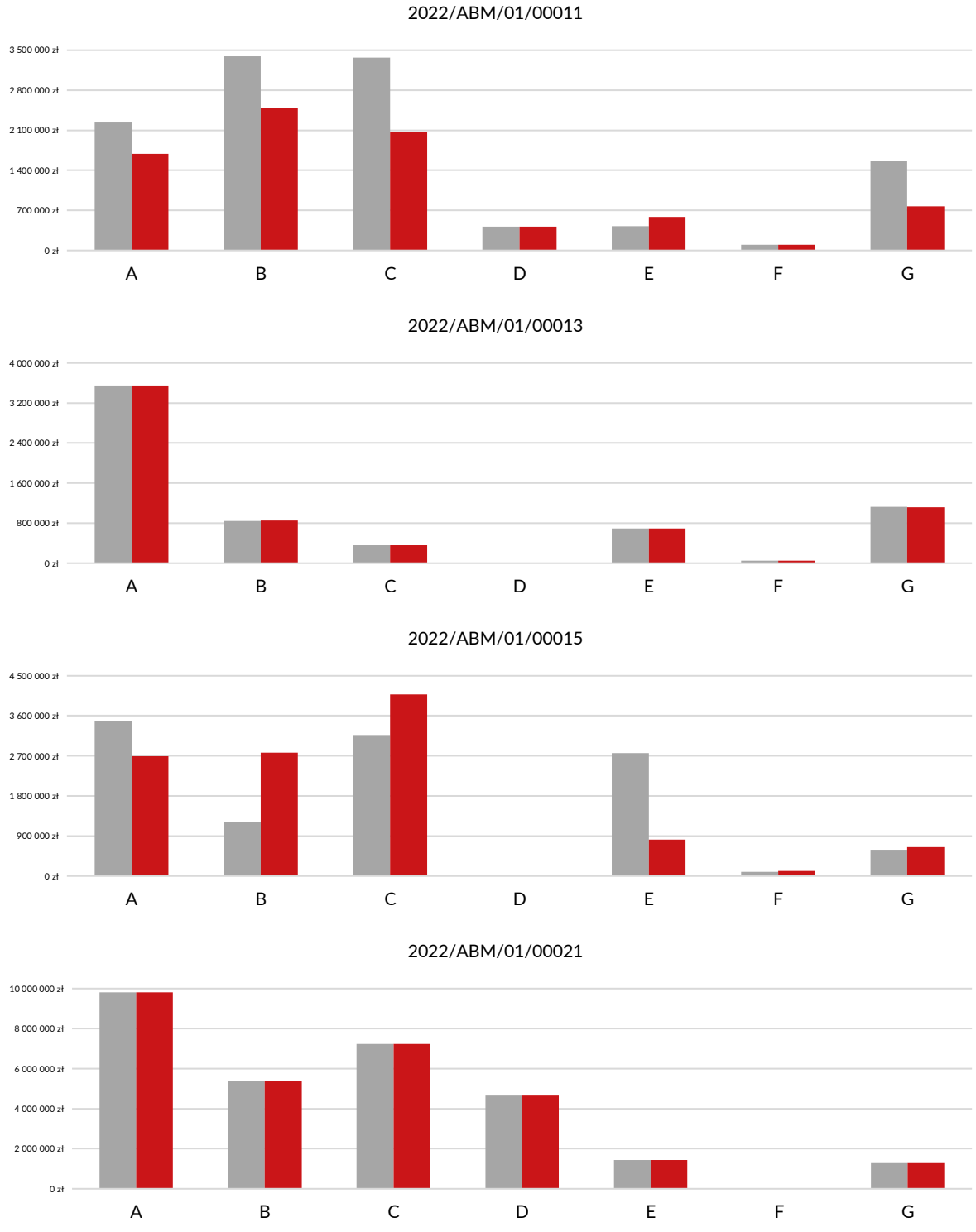
Na wykresach 58 – 63 zaprezentowane zostały zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w ewaluowanych projektach NBK. Łącznie we wszystkich 24 projektach NBK największy wzrost kosztów dotyczy kategorii usług merytorycznych zleconych – wzrost o 22,0% (oraz o 9 053 699,74 zł). Najwyższy łączny spadek, co do wartości odnotowany został w kategorii kosztów leku – spadek o 12 331 317,18 zł, co stanowi 10,6%, a najwyższy łączny spadek procentowy odnotowany został w kategorii łącznych kosztów ubezpieczeń, wyrobów medycznych i innych kosztów – spadek o 11,3% (oraz o 4 378 173,56 zł).

Wykres 58. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [1/6][29]



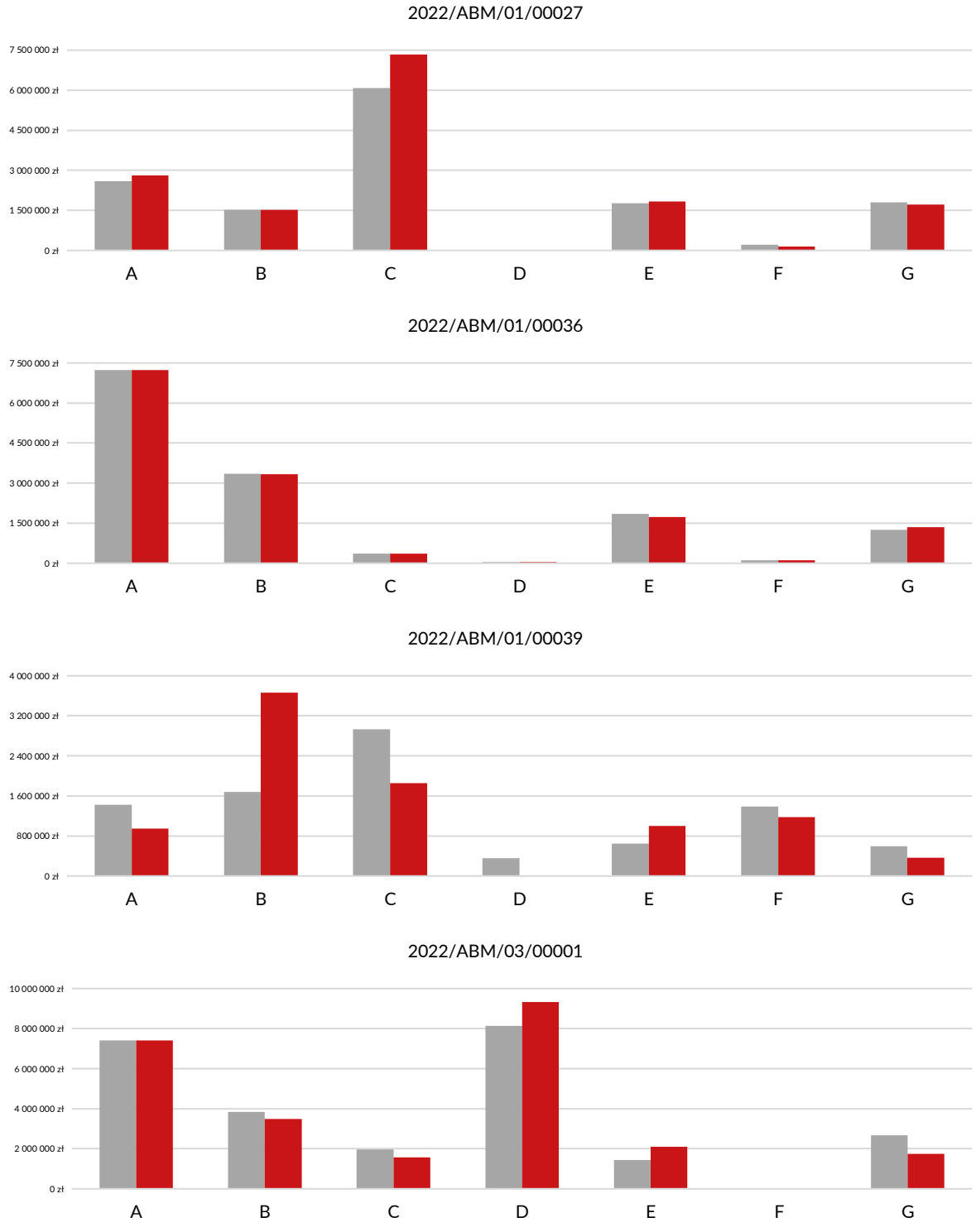

[29] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania, A – koszty leku, B – koszty wynagrodzeń, C – koszty usług medycznych, D – koszty usług merytorycznych zleconych, E – koszty zaangażowania CRO, F – koszty zakupu sprzętu medycznego, G – koszty ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty projektu.

Wykres 59. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [2/6][30]



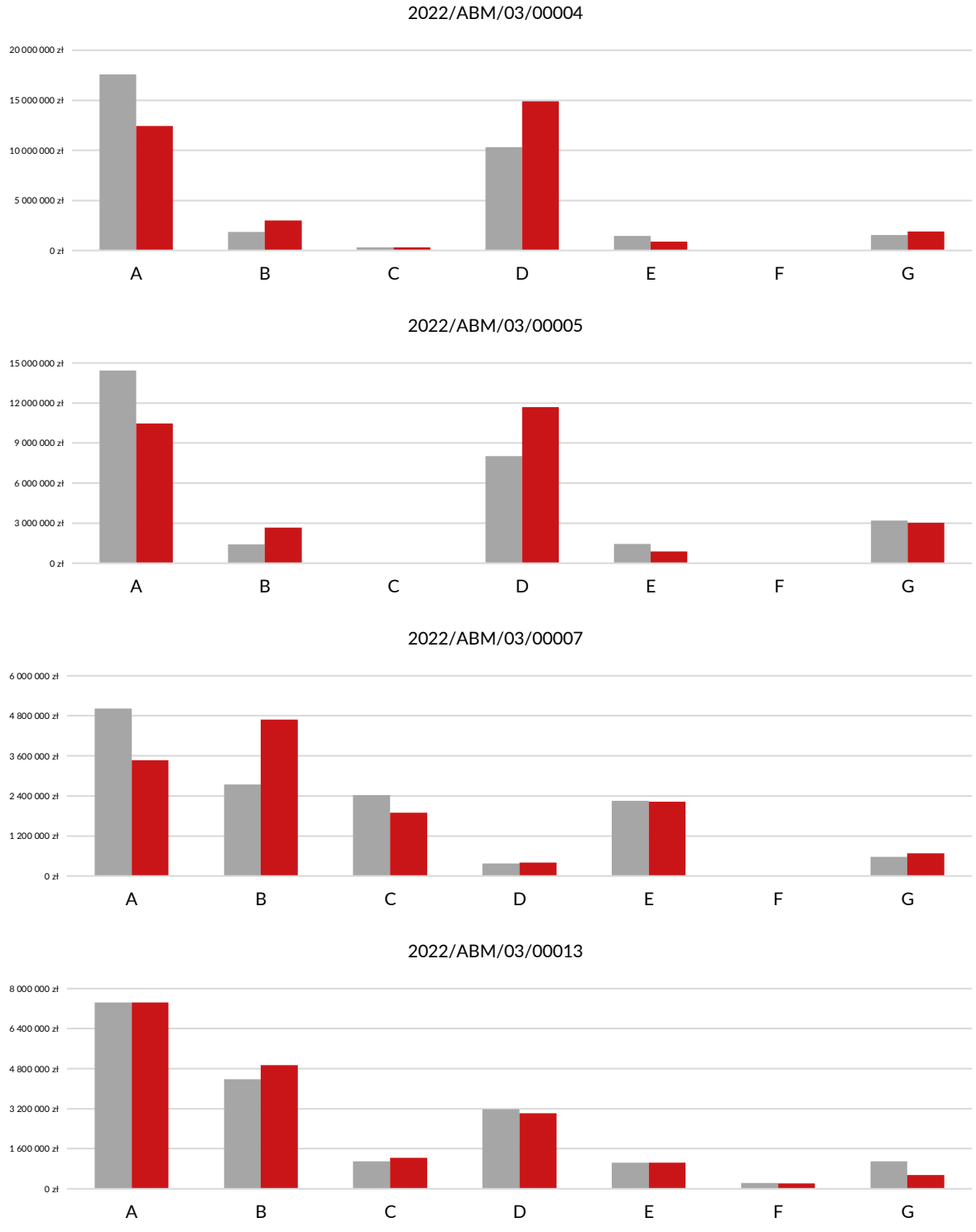

[30] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania, A – koszty leku, B – koszty wynagrodzeń, C – koszty usług medycznych, D – koszty usług merytorycznych zleconych, E – koszty zaangażowania CRO, F – koszty zakupu sprzętu medycznego, G – koszty ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty projektu.

Wykres 60. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [3/6][31]



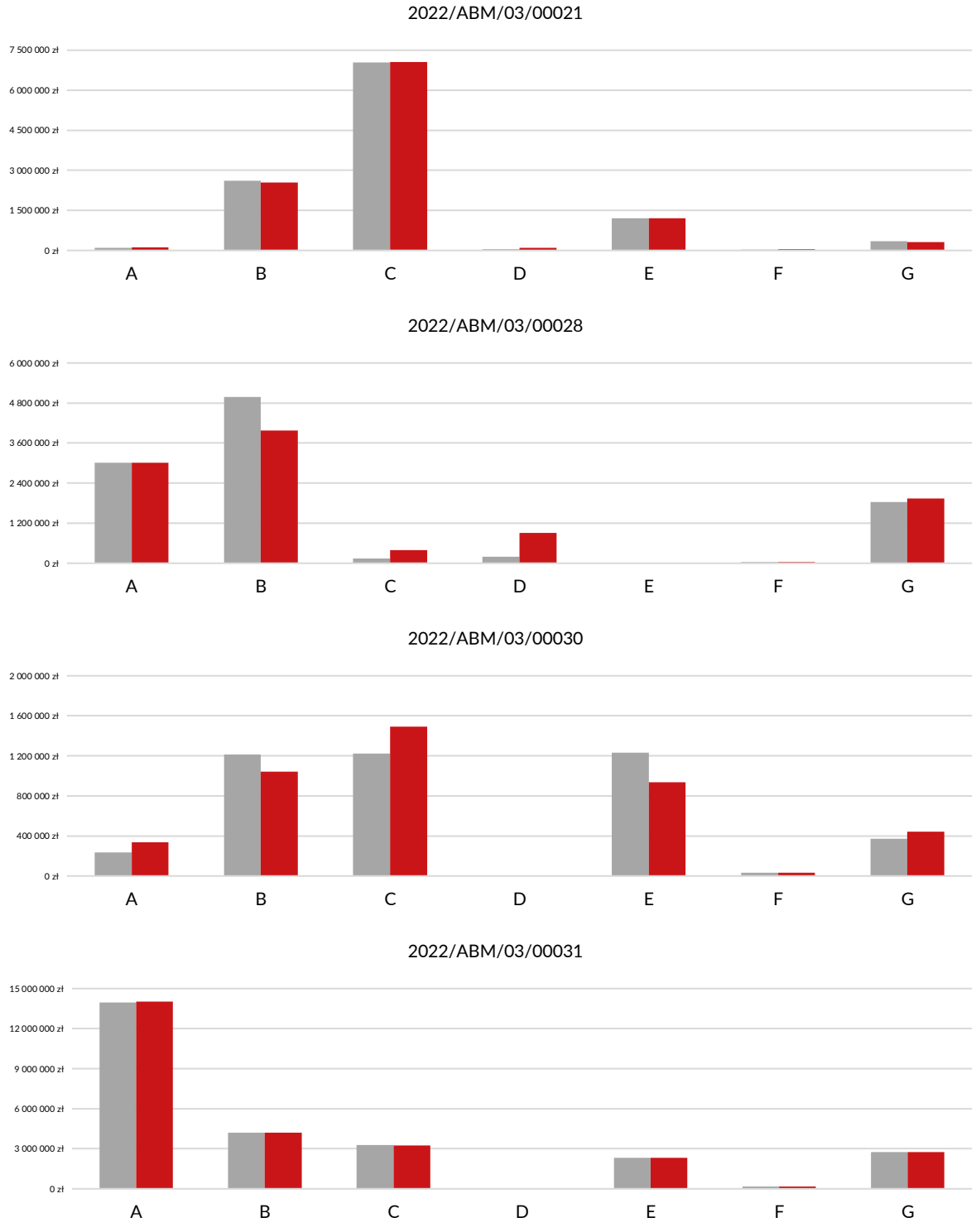

[31] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania, A – koszty leku, B – koszty wynagrodzeń, C – koszty usług medycznych, D – koszty usług merytorycznych zleconych, E – koszty zaangażowania CRO, F – koszty zakupu sprzętu medycznego, G – koszty ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty projektu.

Wykres 61. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [4/6][32]



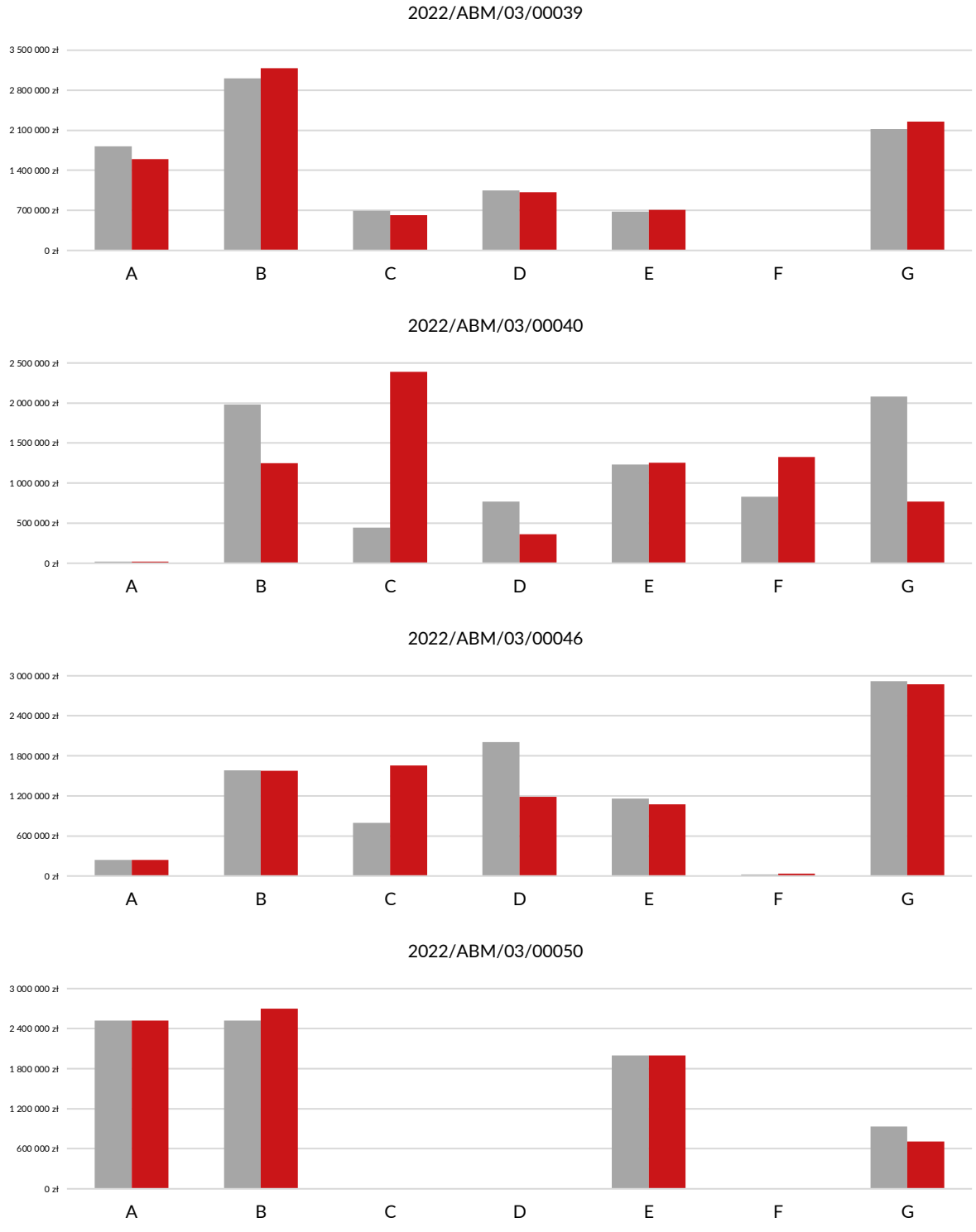

[32] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania, A – koszty leku, B – koszty wynagrodzeń, C – koszty usług medycznych, D – koszty usług merytorycznych zleconych, E – koszty zaangażowania CRO, F – koszty zakupu sprzętu medycznego, G – koszty ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty projektu.

Wykres 62. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [5/6][33]




[33] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania, A – koszty leku, B – koszty wynagrodzeń, C – koszty usług medycznych, D – koszty usług merytorycznych zleconych, E – koszty zaangażowania CRO, F – koszty zakupu sprzętu medycznego, G – koszty ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty projektu.

Wykres 63. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [6/6][34]

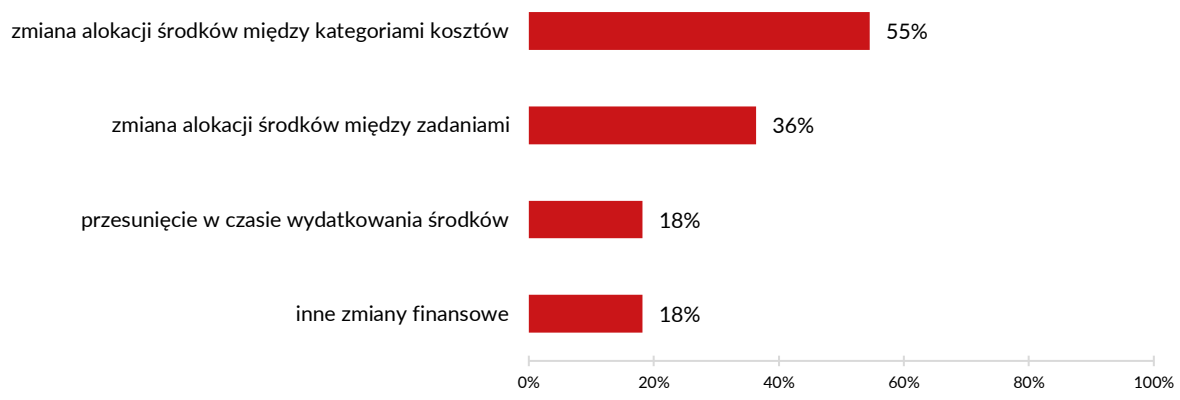



[34] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania, A – koszty leku, B – koszty wynagrodzeń, C – koszty usług medycznych, D – koszty usług merytorycznych zleconych, E – koszty zaangażowania CRO, F – koszty zakupu sprzętu medycznego, G – koszty ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty projektu.

### 3.11.2. Eksperymenty badawcze

Zmiany alokacji środków między kategoriami kosztów, które były najczęściej wskazywane wśród projektów eksperymentów badawczych, dokonało 6 beneficjentów. Zmiana alokacji środków między zadaniami wskazana została przez 4 beneficjentów, a przesunięcia w czasie wydatkowania środków wskazało 2 głównych badaczy. Inne zmiany finansowe dokonane przez beneficjentów to konieczność wprowadzenia nowych pozycji do budżetu projektu. Szczegółowe dane zostały zaprezentowane na wykresie 64.

Wykres 64. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były zmiany finansowe [N=11]




Na wykresach 65 – 71 zaprezentowane zostały zmiany w wydatkowaniu środków między poziomem finansowania zadeklarowanym w momencie podpisywania umowy, a aktualnym poziomem finansowania (zgodnie z aktualnymi Wnioskami o Dofinansowanie) w podziale na główne kategorie:

- koszty leku,
- koszty wynagrodzeń (łącznie),
- koszty usług medycznych,
- koszty usług merytorycznych zleconych,
- koszty zaangażowania CRO,
- koszty zakupu sprzętu medycznego
- koszty zakupu ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty (łącznie).

Koszty zakupu leku w 8 przypadkach nie zostały w ogóle zaplanowane w budżecie projektu, a w 1 projekcie nie uległy zmianie. Redukcję kosztów związanych z zakupem leku odnotowano w 1 projekcie – 2022/ABM/03/00047 – o 30,2%. Wzrost kosztów zakupu leku również odnotowano w 1 projekcie – 2022/ABM/03/00044 o 3,4%.

W przypadku wynagrodzeń koszty wzrosły w 5 projektach, a mediana wzrostu wyniosła 7,3%. Największy wzrost procentowy wyniósł 46,5% z pierwotnie zaplanowanej kwoty. Dotyczy on projektu 2022/ABM/03/00027. Najmniejszy procentowy wzrost wynagrodzeń odnotowano w projekcie 2022/ABM/03/00014 – wyniósł on 4,1%. Spadek kosztów wynagrodzeń odnotowany został w 1 projekcie i wyniósł on 21,3% (projekt 2022/ABM/03/00029). W pięciu projektach koszty wynagrodzeń pozostały bez zmian.

Koszty usług medycznych wzrosły w 1 projekcie o 112,5% (projekt 2022/ABM/03/00047). W 4 projektach koszty w tej kategorii zmalały, a mediana spadku wyniosła 6,7%. Największy spadek wystąpił w projekcie 2022/ABM/03/00029 i wyniósł 49,6%, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00035 – 3,3%. W 4 projektach koszty usług medycznych pozostały bez zmian, a w 2 projektach nie zostały uwzględnione.

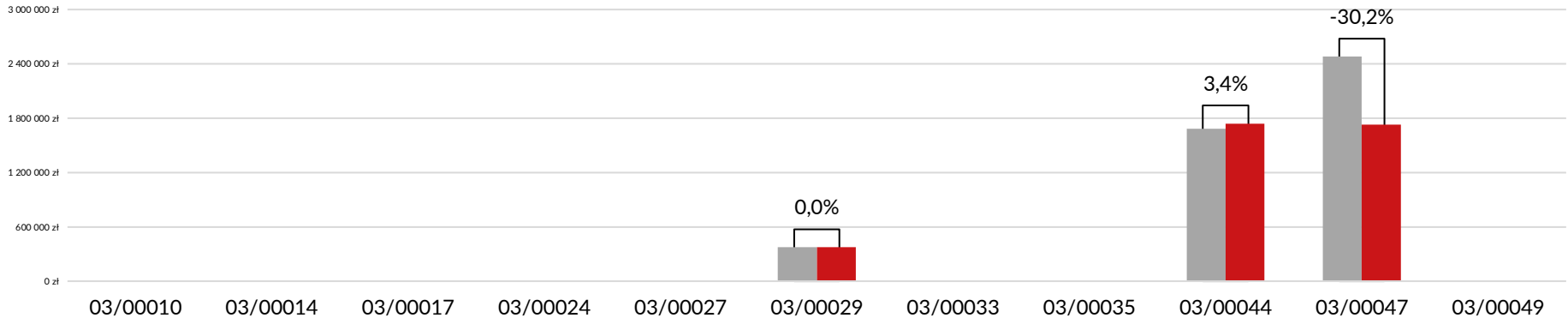
Koszty usług merytorycznych zostały zaplanowane na etapie składania wniosku o dofinansowanie tylko w 4 projektach. W 1 projekcie koszty te wzrosły o 280,4% (projekt 2022/ABM/03/00029). Spadek kosztów odnotowano w 2 projektach. Największy o 67,3% odnotowano w projekcie 2022/ABM/03/00027, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00024 – o 61,8%.

Koszty zaplanowane na zaangażowanie CRO w 4 projektach pozostały bez zmian, a w 5 projektach nie zostały w ogóle zaplanowane. W przypadku projektów bez udziału CRO, w ramach budżetu utworzono stanowiska wewnętrzne realizujące analogiczny zakres prac. W 2 projektach koszty zmalały. Największy spadek odnotowano w projekcie 2022/ABM/03/00024 o 100%, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00035 – o 1,3%.

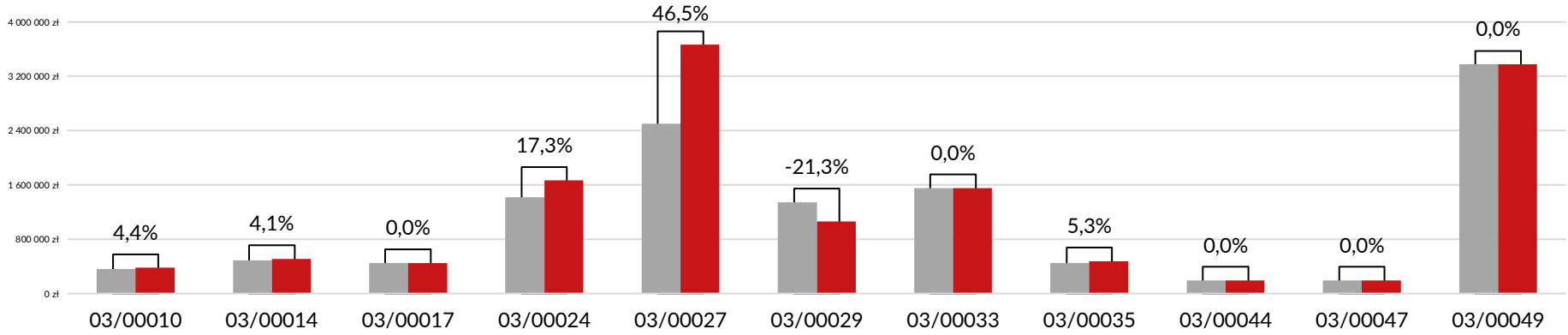
Koszty zakupu sprzętu medycznego w 4 przypadkach nie zostały w ogóle zaplanowane w budżecie projektu, a w 3 projektach pozostały bez zmian. Wzrost kosztów odnotowano w 4 projektach – mediana 14,4%. Największy wzrost dotyczy projektu 2022/ABM/03/00024 o 141,9%, a najmniejszy wyniósł 0,1% w projekcie 2022/ABM/03/00024.

Ostatnią kategorią poddawaną analizie są łączne koszty usług ubezpieczeń, zakupu wyrobu medycznego oraz inne koszty. W 4 projektach w ramach tych kategorii nie dokonano żadnych zmian. Wzrost kosztów odnotowano w 3 projektach, a mediana wzrostu wyniosła 14,5%. Największy wzrost (o 119,5%) wystąpił w projekcie 2022/ABM/03/00024, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00035 o 1,1%. Redukcję kosztów w tej kategorii odnotowano w 4 projektach, a mediana spadku wynosi 8,8%. Największy spadek o 24% odnotowano w projekcie 2022/ABM/03/00047, a najmniejszy w projekcie 2022/ABM/03/00014 – o 0,9%.

Wykres 65. Zmiany kosztów leku w projektach EB [N=11][35]

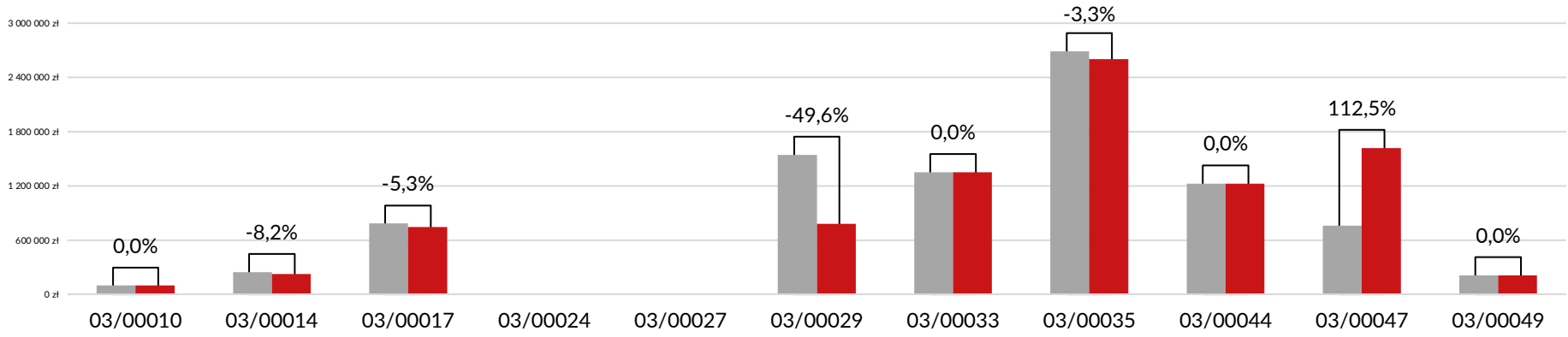



Wykres 66. Zmiany kosztów wynagrodzeń w projektach EB [N=11][36]

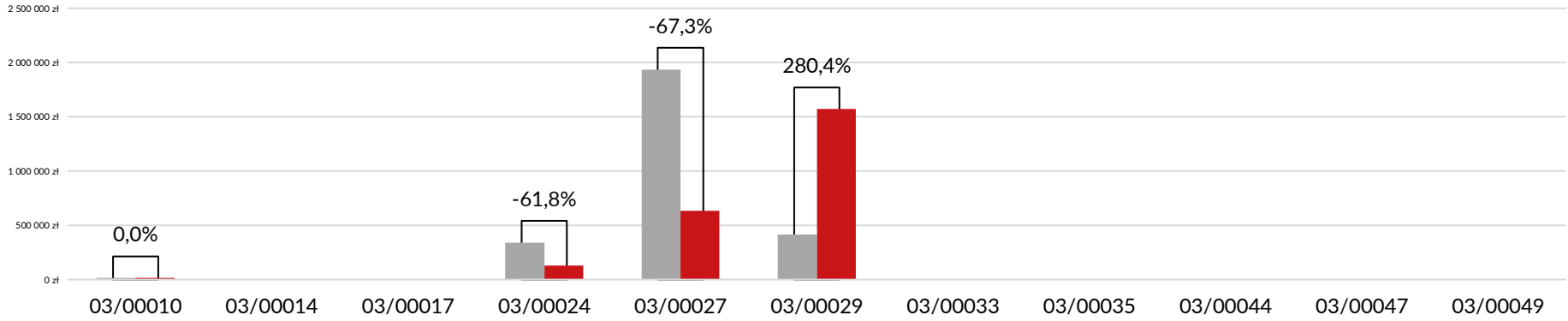



[35] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.
[36] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 67. Zmiany kosztów usług medycznych w projektach EB [N=11][37]

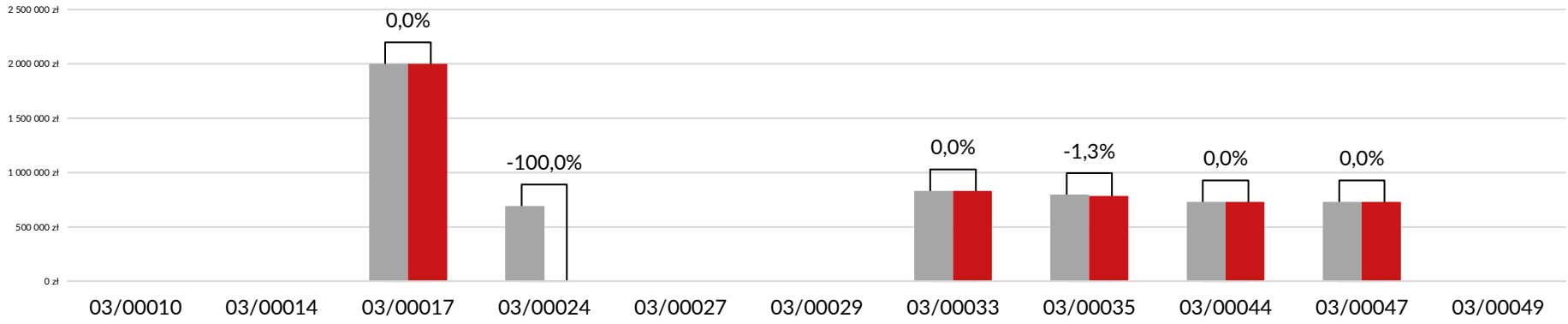



Wykres 68. Zmiany kosztów usług merytorycznych zleconych w projektach EB [N=11][38]

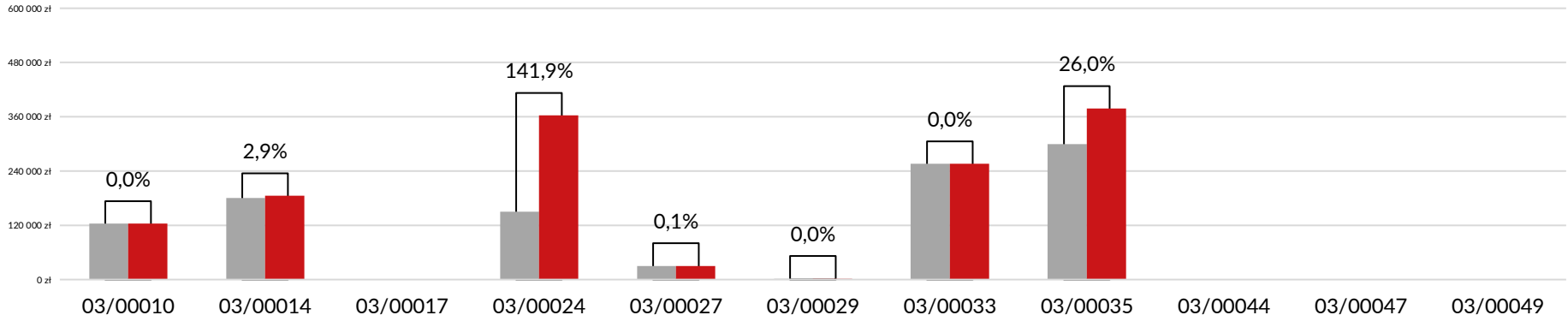



[37] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.
[38] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

Wykres 69. Zmiany kosztów zaangażowania CRO w projektach EB [N=11][39]

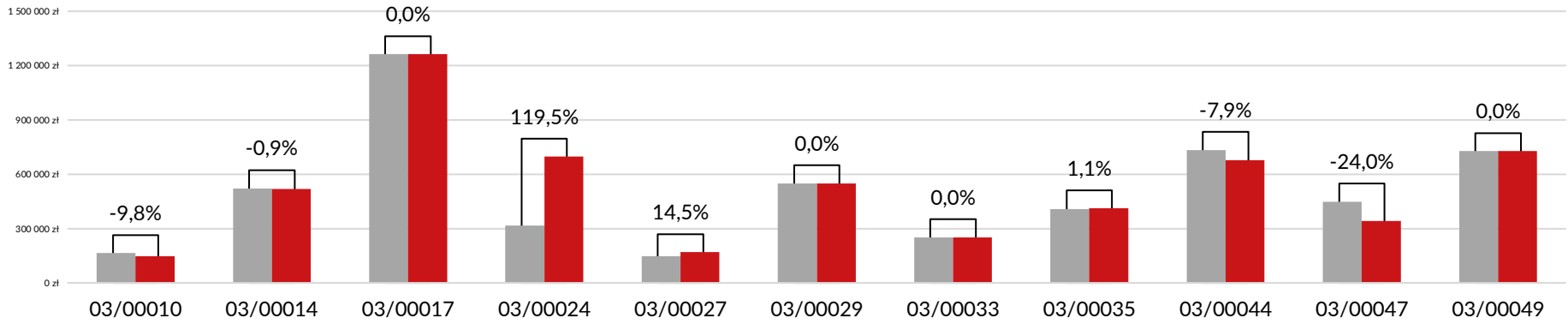



Wykres 70. Zmiany kosztów zakupu sprzętu medycznego w projektach EB [N=11][40]




[39] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.
[40] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

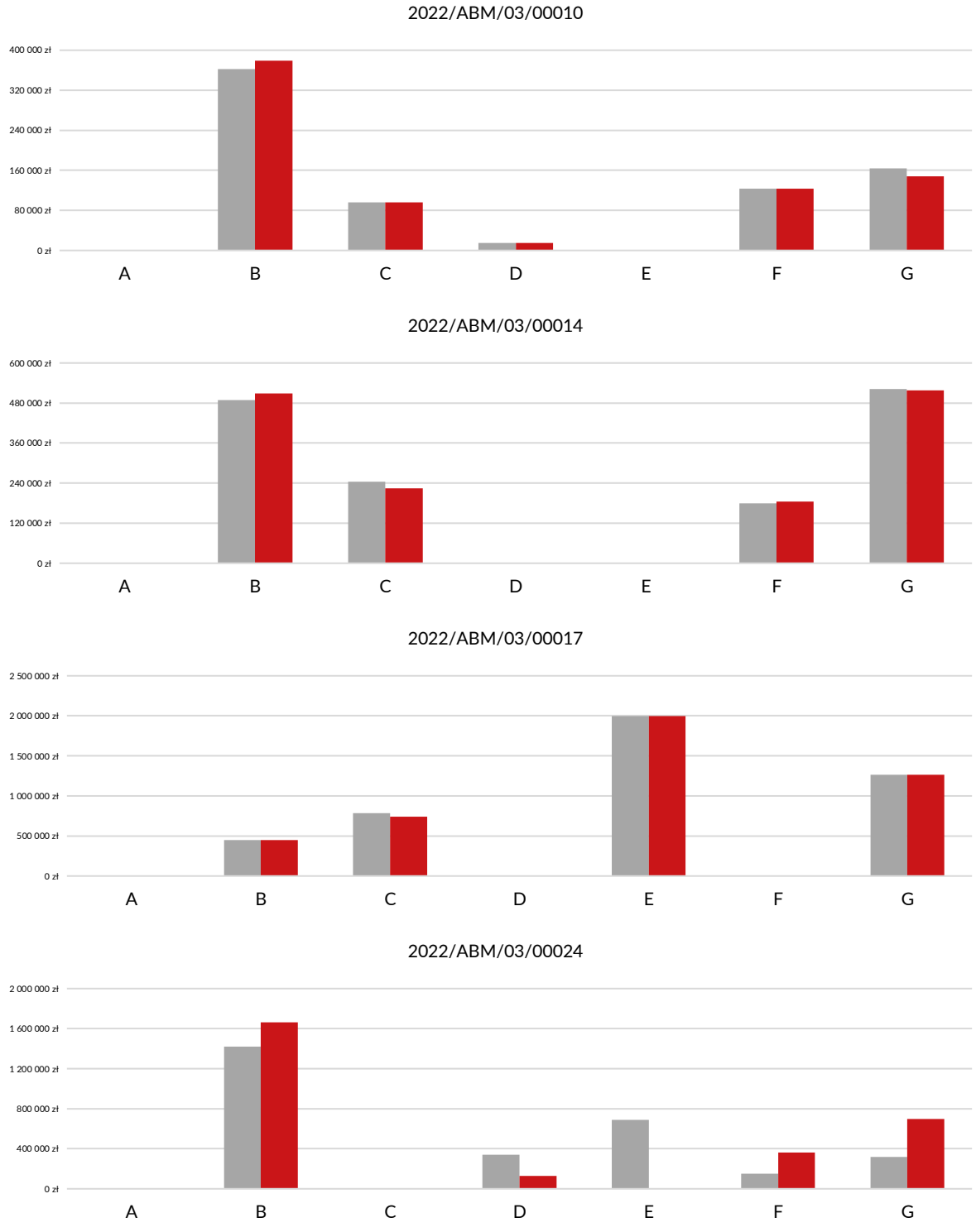
Wykres 71. Zmiany łącznych kosztów ubezpieczeń, wyrobów medycznych i innych kosztów w projektach EB [N=11][41]




[41] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania.

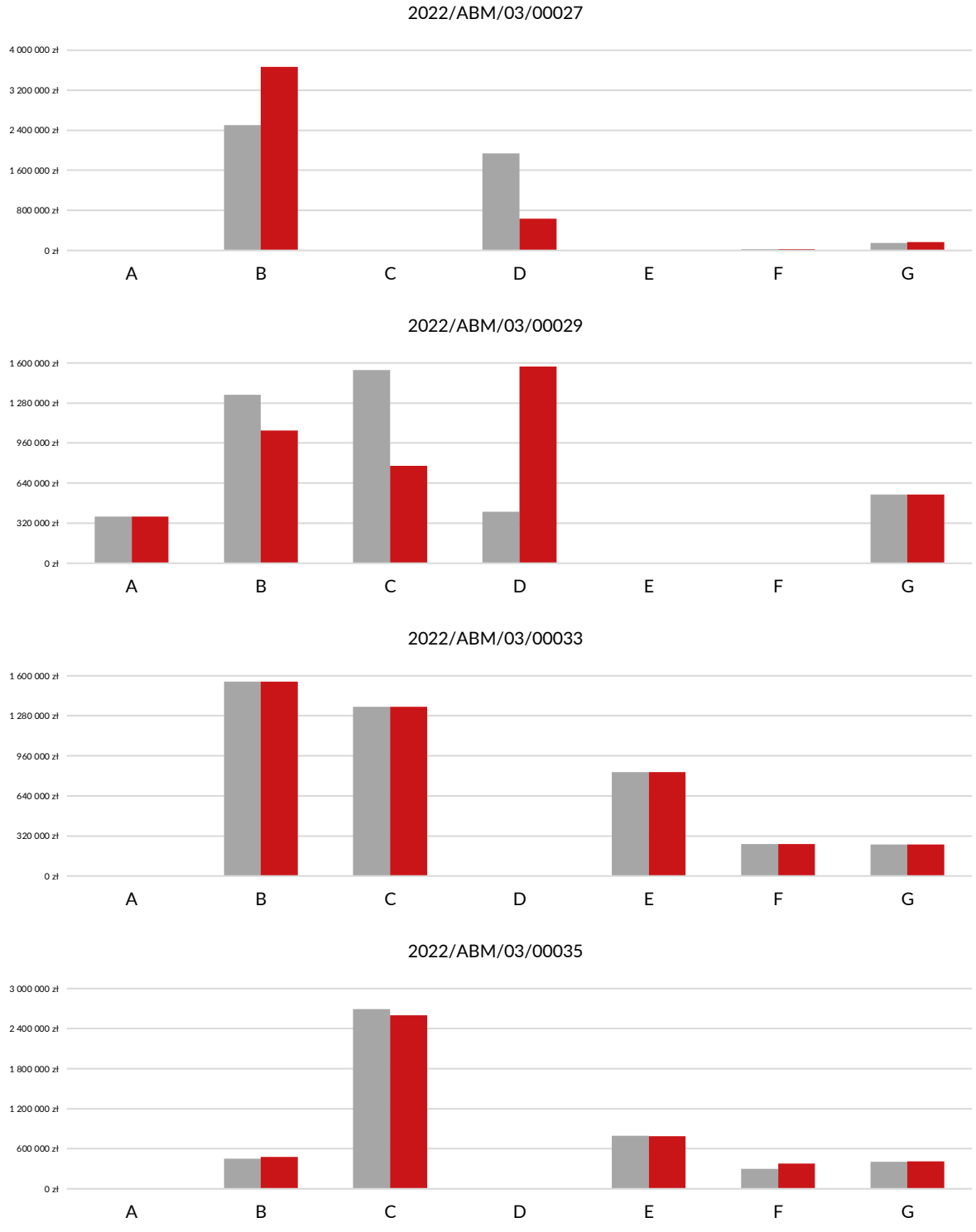
Na wykresach 72 – 74 zaprezentowano zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach. Łącznie we wszystkich 11 projektach EB największy wzrost kosztów, co do wartości dotyczy wynagrodzeń – wzrost o 1 181 011,50 zł, co stanowi 9,6%, a najwyższy wzrost procentowy dotyczy zakupu sprzętu medycznego – wzrost o 28,4% (oraz o 295 943,34 zł). Najwyższy łączny spadek odnotowany został w kategorii kosztów leku – spadek o 691 693,65 zł, co stanowi 15,2%.

Wykres 72. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach EB [1/3][42]



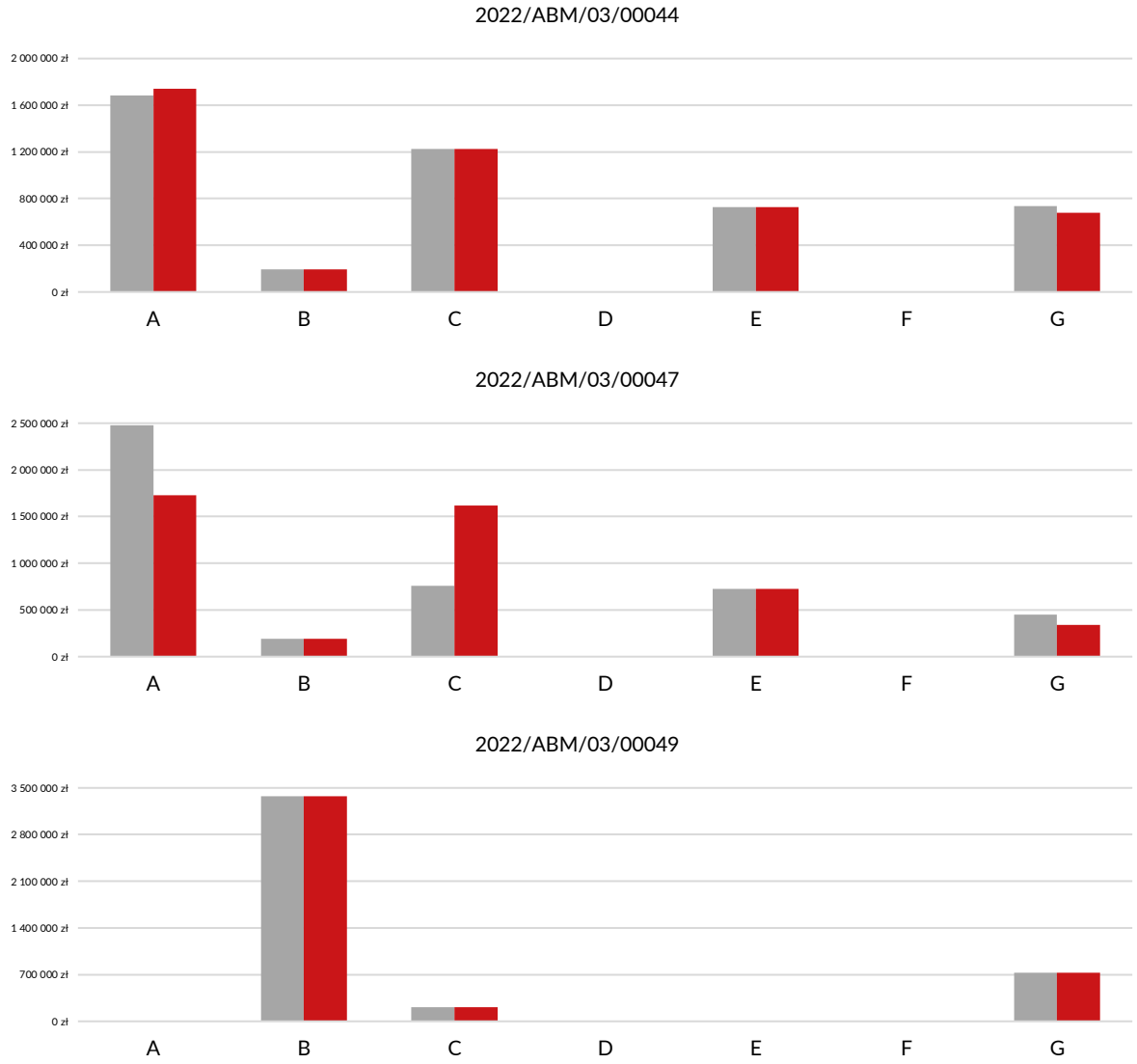

[42] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania, A – koszty leku, B – koszty wynagrodzeń, C – koszty usług medycznych, D – koszty usług merytorycznych zleconych, E – koszty zaangażowania CRO, F – koszty zakupu sprzętu medycznego, G – koszty ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty projektu.

Wykres 73. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach EB [2/3][43]




[43] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania, A – koszty leku, B – koszty wynagrodzeń, C – koszty usług medycznych, D – koszty usług merytorycznych zleconych, E – koszty zaangażowania CRO, F – koszty zakupu sprzętu medycznego, G – koszty ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty projektu.

Wykres 74. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach EB [3/3][44]




## 3.12. Gospodarowanie finansami projektów

Wszystkie projekty wyłonione w ramach konkursu 2022/ABM/01 oraz 2022/ABM/03 finansowane są w 100% z odpisu NFZ. Przyznane fundusze wypłacane są w systemie zaliczkowym zgodnie z harmonogramem płatności przygotowanym przez beneficjenta, będącym załącznikiem do umowy o dofinansowanie oraz po wykorzystaniu minimum 60% wypłaconej wcześniej zaliczki.

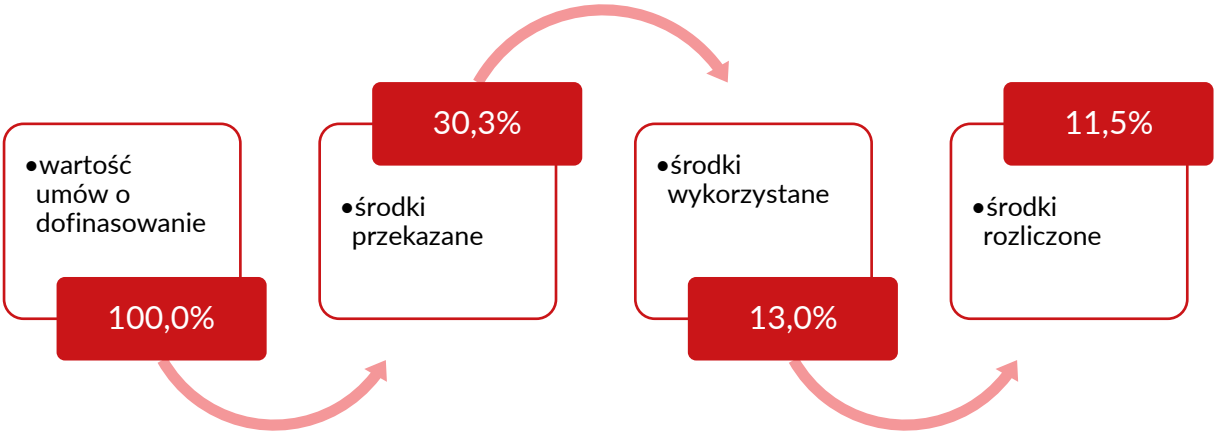
### 3.12.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Środki finansowe zostały przekazane do wszystkich beneficjentów ewaluowanych projektów NBK. Mediana dotychczasowych wypłat ze strony ABM wynosi 30,3% ogólnej kwoty finansowania

[44] Kolor szary – poziom finansowania zadeklarowany w momencie podpisywania umowy, kolor czerwony – aktualny poziom finansowania, A – koszty leku, B – koszty wynagrodzeń, C – koszty usług medycznych, D – koszty usług merytorycznych zleconych, E – koszty zaangażowania CRO, F – koszty zakupu sprzętu medycznego, G – koszty ubezpieczenia, wyrobów medycznych i inne koszty projektu.

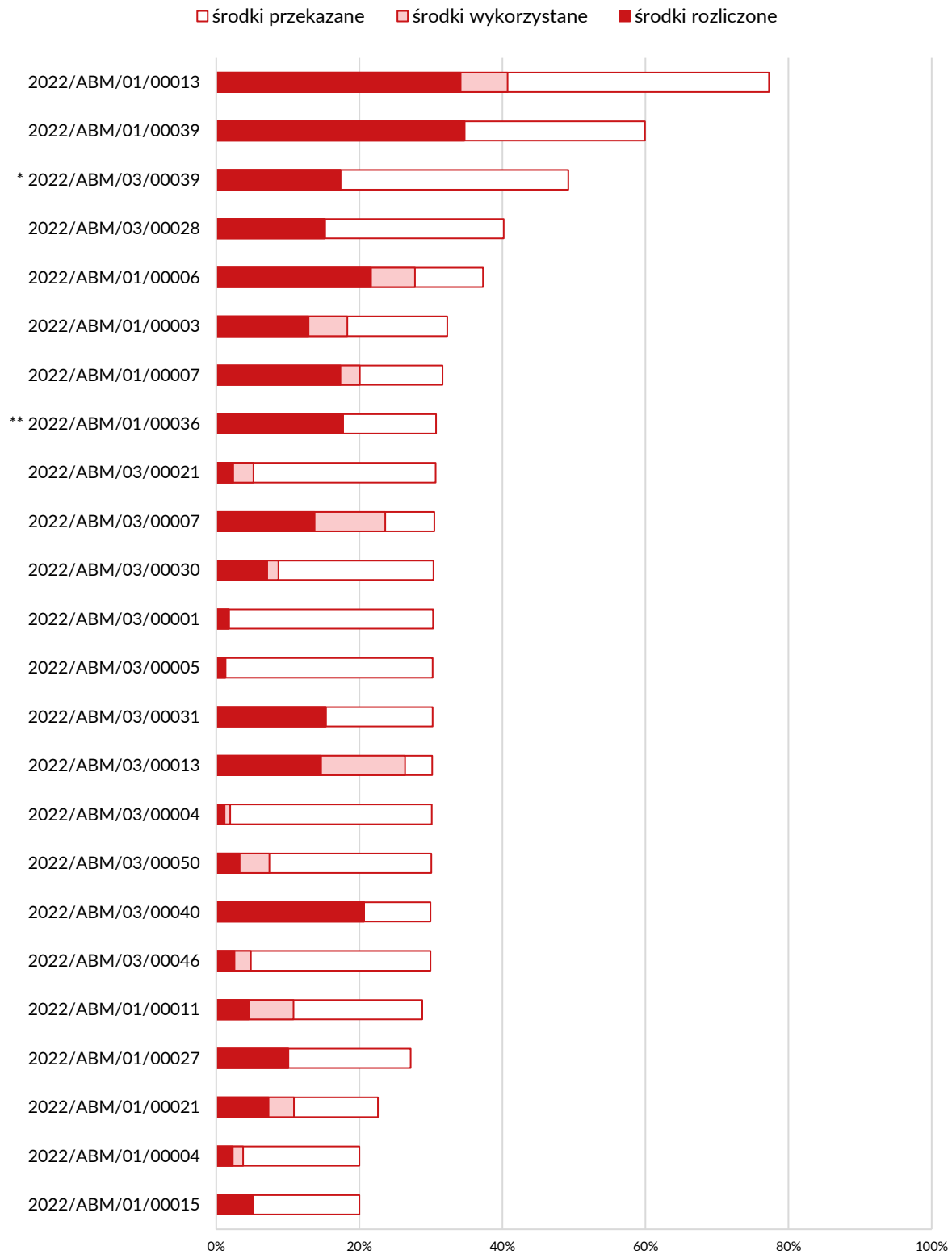
przypadającej na projekt. Mediana wykorzystanych przez beneficjentów środków finansowych z dotychczas otrzymanych to 13%, a mediana środków rozliczonych do dnia realizacji ankiet to 11,5%. Na wykresie 75 zaprezentowane zostały mediany przepływów środków finansowych w 24 projektach NBK.

Wykres 75. Mediana przepływów finansowych w projektach NBK [N=24]




Największy procent środków wykorzystanych w projekcie to 40,7% (projekt 2022/ABM/01/00013), a najmniejszy procent środków wykorzystanych w projekcie to 1,3% (projekt 2022/ABM/03/00005). Przepływy finansowe w projektach NBK zostały zaprezentowane na wykresie 76.

Wykres 76. Przepływy finansowe w projektach NBK (100% - wartość dofinansowania)[N=24][45]

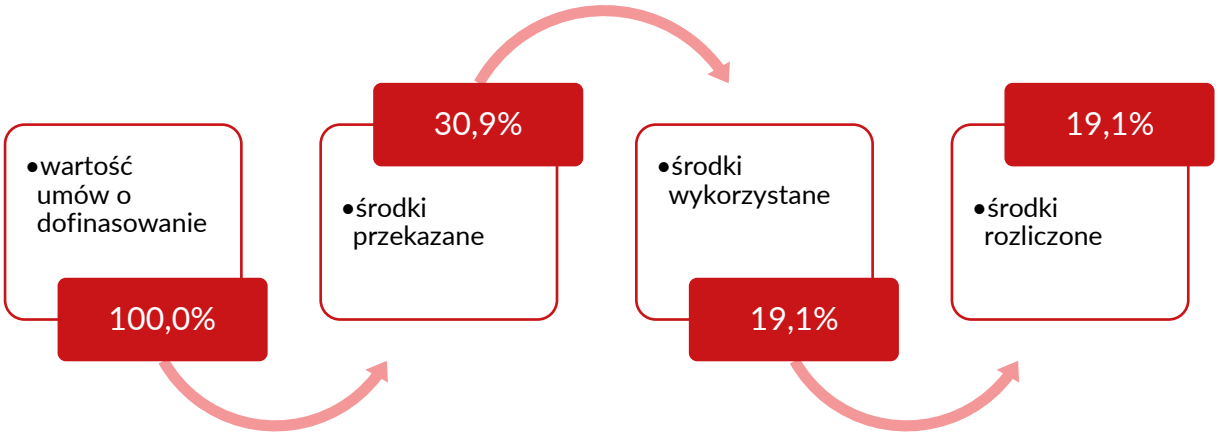



[45] * W projekcie 2022/ABM/03/00039 dodatkowo zwrócono 1 949 071,77 zł (19,2% wartości dofinansowania).
** W projekcie 2022/ABM/01/00036 dodatkowo zwrócono 2 000 000,00 zł (13,0% wartości dofinansowania).

### 3.12.2. Eksperymenty badawcze

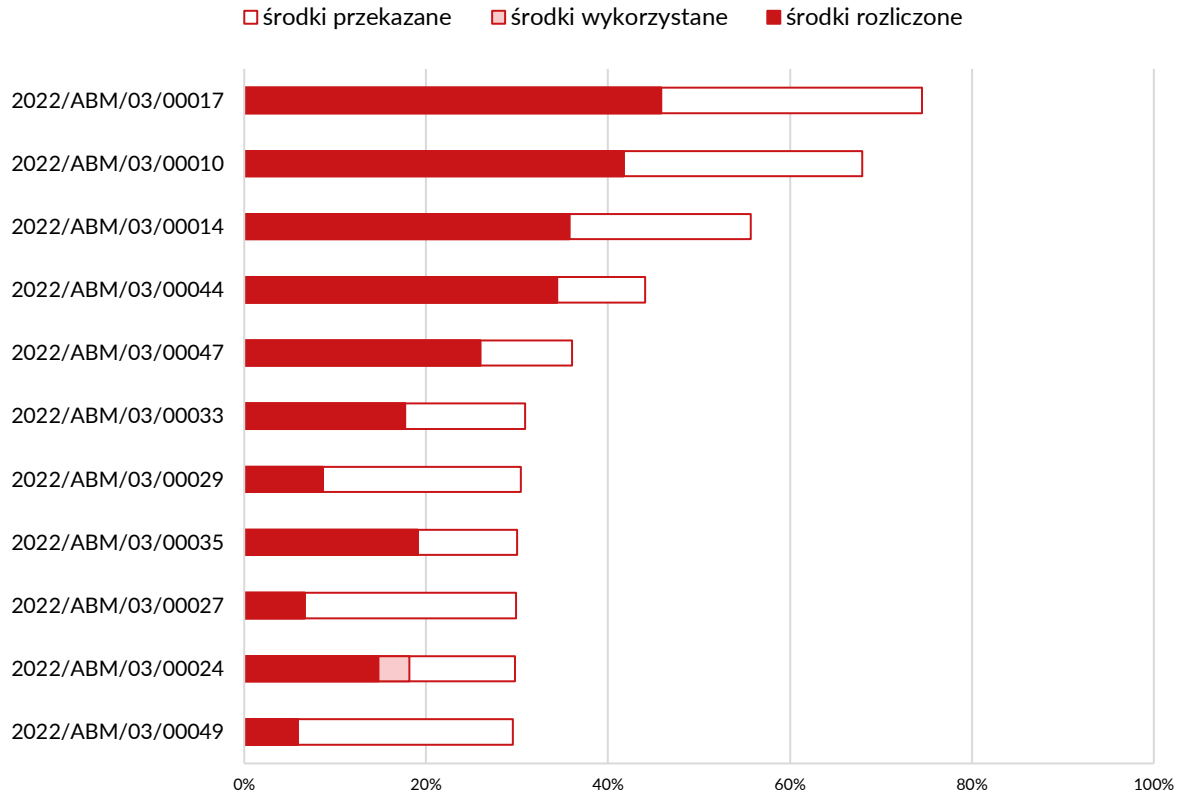
Mediana dotychczasowych wypłat ze strony ABM wynosi 30,9% ogólnej kwoty finansowania przypadającej na projekt EB. Mediana wykorzystanych przez beneficjentów środków finansowych z dotychczas otrzymanych to 19,1%, a mediana środków rozliczonych do dnia realizacji ankiet to 19,1%. Na wykresie 77 zaprezentowane zostały mediany przepływów środków finansowych w projektach EB.

Wykres 77. Mediana przepływów finansowych w projektach EB [N=11]




Największy procent środków wykorzystanych w ramach przydzielonych transz funduszy to 45,8%, a najmniejszy 5,9%. Przepływy finansowe w projektach EB zostały zaprezentowane na wykresie 78.

Wykres 78. Przepływy finansowe w projektach EB [N=11]



## 3.13. Upowszechnianie i wykorzystanie wyników badań

Jednym z kluczowych celów realizacji eksperymentów badawczych i niekomercyjnych badań klinicznych jest dostarczenie wysokiej jakości danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa interwencji medycznych, umożliwiających optymalizację praktyki klinicznej oraz racjonalizację wykorzystania zasobów ochrony zdrowia. W ramach prowadzonej ewaluacji badacze zostali poproszeni o wskazanie przewidywanej formy wykorzystania wyników badania, przy czym mogli oni wskazać więcej niż jedną. W opinii badaczy:

- 32 (91%) realizowanych projektów przyczyni się do poszerzenia dotychczasowej wiedzy medycznej,
- 24 (68,5%) realizowanych projektów umożliwi aktualizację standardów postępowań klinicznych,
- 23 (66%) realizowanych projektów pozwoli na wdrożenie nowej opcji terapeutycznej.

Na etapie składania wniosków o dofinansowanie badacze 35 projektów zaplanowali przygotowanie łącznie 190 wspólnych publikacji i doniesień konferencyjnych (minimum 2, maksimum 17).

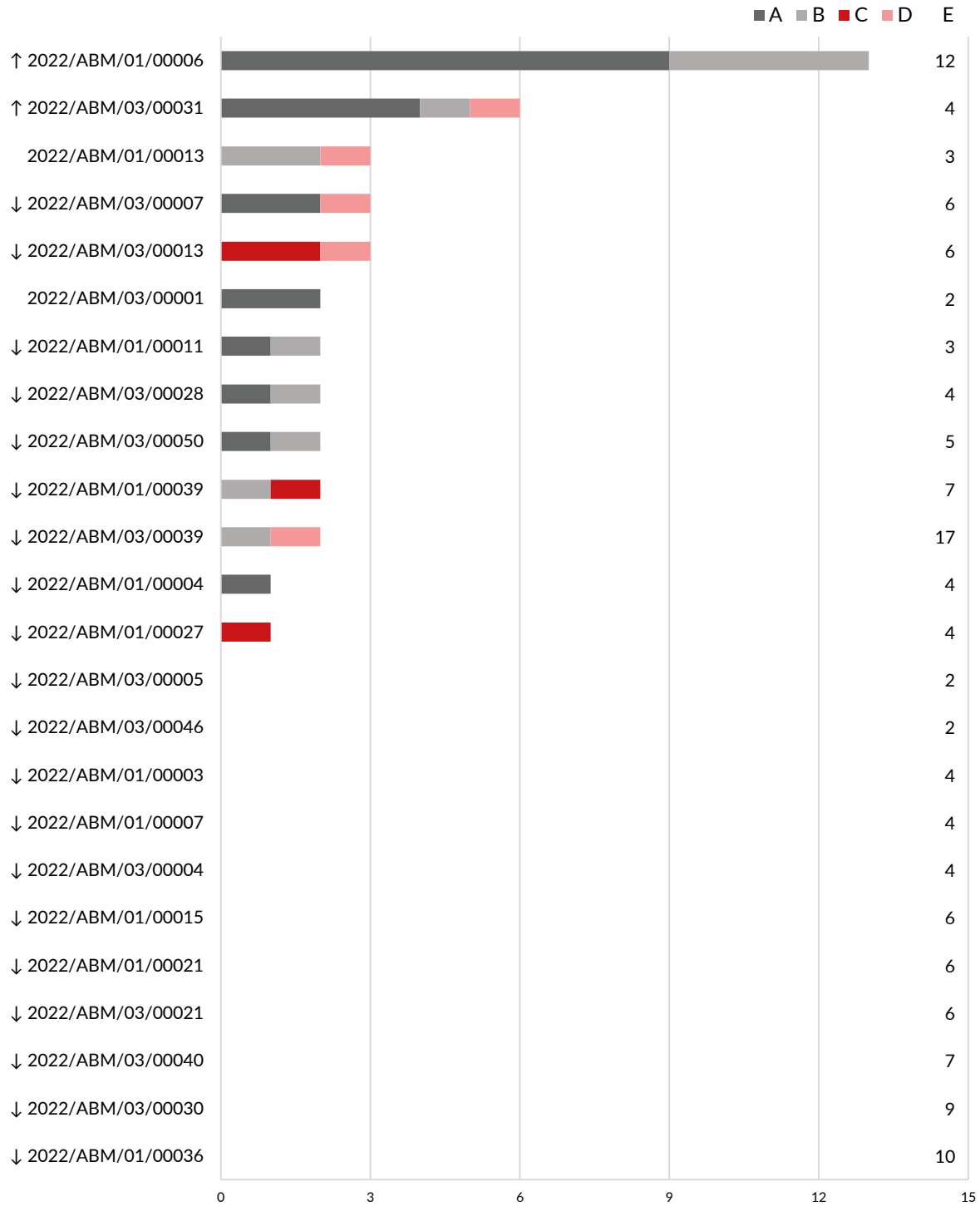
Do czasu przeprowadzenia ewaluacji badacze opublikowali 6 artykułów naukowych, których sumaryczny współczynnik IF wyniósł 12,7.

### 3.13.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Do czasu przeprowadzenia ewaluacji badacze zgłosili 21 doniesień w ramach konferencji polskich i 12 w ramach konferencji międzynarodowych. Ukazały się 4 publikacje naukowe w czasopismach o zasięgu międzynarodowym, a 5 jest przygotowanych. Sumaryczny współczynnik Impact Factor (IF) opublikowanych prac wynosi 8,7. Publikacja o najwyższym współczynniku IF, który wyniósł 3,4 została przygotowana w ramach projektu 2022/ABM/03/00013[46]. Jedna publikacja ukazała się w czasopiśmie bez wskaźnika bibliometrycznego IF. Szczegółowe informacje o efektach naukowych ewaluowanych projektów NBK zostały zamieszczone na wykresie 79.

[46] Talar-Wojnarowska, R., Fabisiak, A., Zatorski, H., Płoszka, K., Błaziak, K., Fendler, W., Rydzewska, G., Małecka-Wojciesko, E., & Eder, P. (2024). Comparison of ustekinumab, infliximab and combination therapy in moderately to severely active ulcerative colitis - a study protocol of a randomized, multicenter, head-to-head COMBO-UC trial. Frontiers in medicine, 11, 1458998. https://doi.org/10.3389/fmed.2024.1458998

Wykres 79. Efekty naukowe projektów NBK [N=24][47][48]



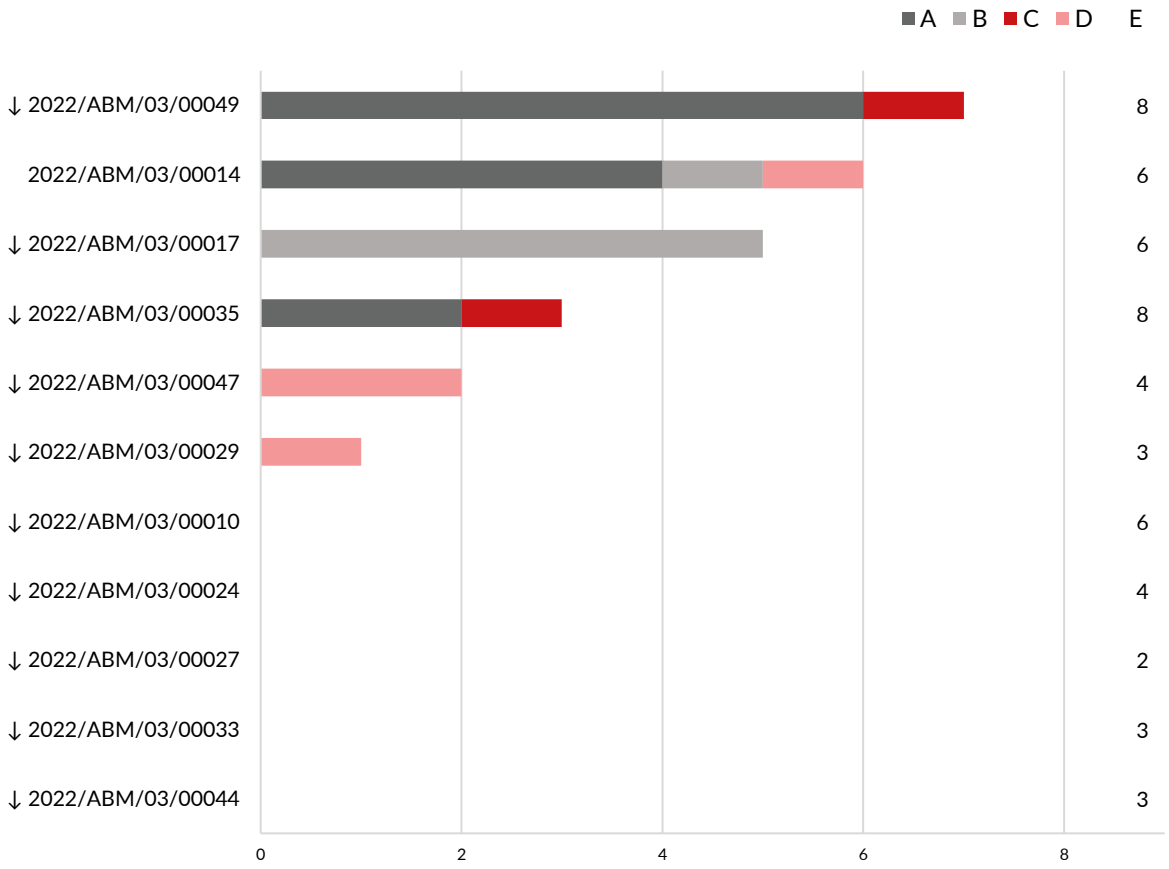

[47] A – liczba zaprezentowanych doniesień na konferencjach ogólnopolskich,
B – liczba zaprezentowanych doniesień na konferencjach międzynarodowych,
C – liczba wydanych publikacji,
D – liczba publikacji w przygotowaniu,
E – aktualna planowana liczba wspólnych publikacji, doniesień konferencyjnych itp..

[48] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, dla których łączna liczba doniesień i publikacji wydanych/ w przygotowaniu jest odpowiednio większa lub mniejsza od zaplanowanej w projekcie.

### 3.13.2. Eksperymenty badawcze

Do czasu przeprowadzenia ewaluacji badacze realizujący eksperymenty badawcze zgłosili 12 doniesień w ramach konferencji polskich i 6 w ramach konferencji międzynarodowych. Ukazały się 2 publikacje naukowe w czasopiśmie o zasięgu międzynarodowym (oba w tym samym), a 4 jest przygotowanych. Sumaryczny współczynnik Impact Factor (IF) opublikowanych prac wynosi 4,0. Szczegółowe informacje o efektach naukowych ewaluowanych projektów EB zostały zamieszczone na wykresie 80.

Wykres 80. Efekty naukowe projektów EB [N=11][49][50]




## 3.14. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów w terminie

Główni badacze zostali zapytani o prawdopodobieństwo ukończenia projektu w założonym we Wniosku o Dofinansowanie (aktualnym) terminie. Mediana odpowiedzi badaczy na to pytanie wyniosła 85%. Prawdopodobieństwo dotrzymania terminu zakończenia projektów zostało określone:

- na 100% w 7 projektach,
- między 90% a 95% w 5 projektach,

[49] A – liczba zaprezentowanych doniesień na konferencjach ogólnopolskich,
B – liczba zaprezentowanych doniesień na konferencjach międzynarodowych,
C – liczba wydanych publikacji,
D – liczba publikacji w przygotowaniu,
E – aktualna planowana liczba wspólnych publikacji, doniesień konferencyjnych itp..

[50] Za pomocą strzałek (↑ ↓) oznaczone zostały projekty, dla których łączna liczba doniesień i publikacji wydanych/ w przygotowaniu jest odpowiednio większa lub mniejsza od zaplanowanej w projekcie

- między 80% a 85% w 12 projektach,
- między 70% a 75% w 2 projektach,
- między 50% a 60% w 4 projektach,
- między 10% a 30% w 3 projektach,
- na 0% w 2 projektach.

Beneficjenci zostali również poproszeni o określenie minimalnego czasu o jaki powinien zostać wydłużony projekt, aby udało się go ukończyć:

- 16 badaczy wskazało, że nie widzi potrzeby wydłużania projektu,
- 8 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu od 6 do 9 miesięcy,
- 3 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu o 12 miesięcy,
- 4 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu o 18 miesięcy
- 4 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu o 24 miesiące.

Powyższe zestawienia dowodzą, że ponad połowa beneficjentów wątpi w możliwość zakończenia badania w aktualnym, zaplanowanym terminie.

### 3.14.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Mediana odpowiedzi badaczy na pytanie dotyczące ukończenia projektu w terminie wyniosła 83%. Prawdopodobieństwo dotrzymania terminu zakończenia projektów zostało określone:

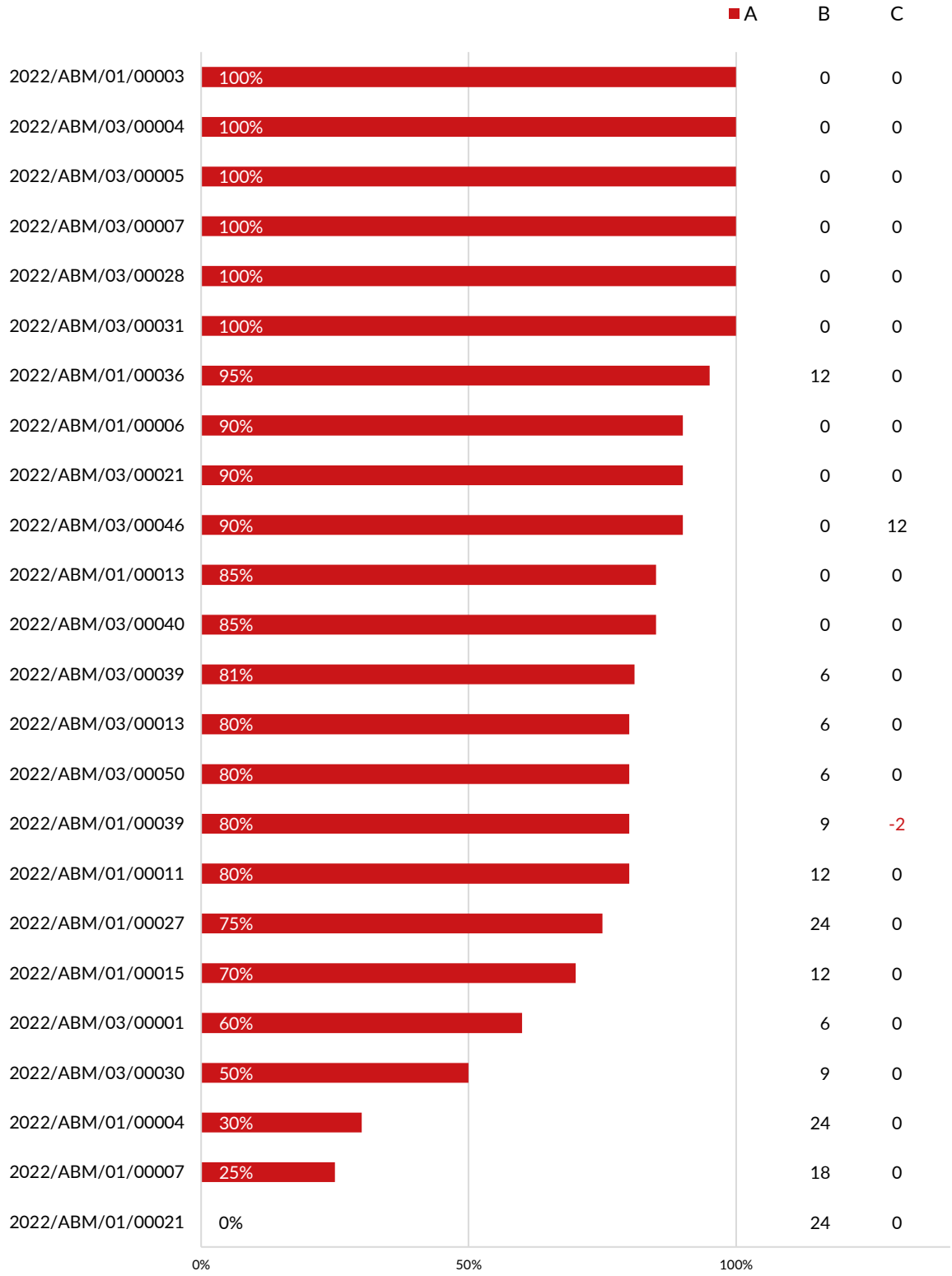
- na 100% w 6 projektach,
- między 90% a 95% w 4 projektach,
- między 80% a 85% w 7 projektach,
- między 70% a 75% w 2 projektach,
- między 50% a 60% w 2 projektach,
- między 25% a 30% w 2 projektach,
- na 0% w 1 projekcie.

Beneficjenci poproszeni o określenie minimalnego czasu o jaki powinien zostać wydłużony projekt, aby udało się go ukończyć odpowiedzieli:

- 11 badaczy wskazało, że nie widzi potrzeby wydłużania projektu,
- 6 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu od 6 do 9 miesięcy,
- 3 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu o 12 miesięcy,
- 1 badacz zgłosił potrzebę wydłużenia projektu o 18 miesięcy
- 3 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu o 24 miesiące.

Na wykresie 81 zaprezentowane zostały informacje o dotychczasowym wydłużeniu czasu realizacji projektów, prawdopodobieństwo ukończenia ich w terminie oraz minimalnego czasu, o jaki powinien zostać wydłużony każdy z projektów, aby udało się je w całości ukończyć.

Wykres 81. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów NBK w terminie {N=24}[51]




[51] A – prawdopodobieństwa ukończenia projektu terminie,
B – o ile miesięcy minimum powinien być wydłużony projekt, aby udało się go w całości ukończyć,
C – dotychczas zaakceptowane wydłużenie czasu realizacji projektu [miesiące].

### 3.14.2. Eksperymenty badawcze

Mediana odpowiedzi badaczy na pytanie dotyczące ukończenia projektu w terminie wyniosła 83%. Prawdopodobieństwo dotrzymania terminu zakończenia projektów zostało określone:

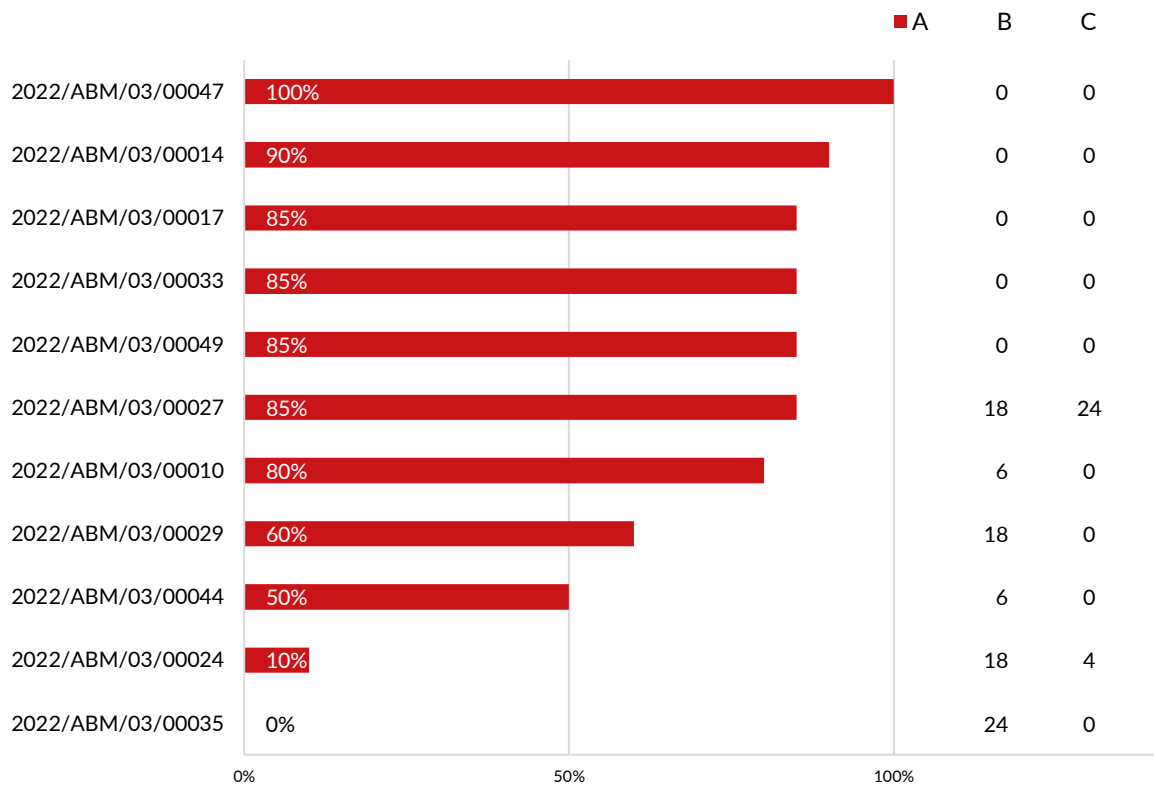
- na 100% w 1 projekcie,
- między 90% a 80% w 6 projektach,
- między 60% a 50% w 2 projektach,
- na 10% a w 1 projekcie,
- na 0% w 1 projekcie.

Beneficjenci poproszeni o określenie minimalnego czasu o jaki powinien zostać wydłużony projekt, aby udało się go ukończyć odpowiedzieli:

- 5 badaczy wskazało, że nie widzi potrzeby wydłużania projektu,
- 2 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu o 6 miesięcy,
- 3 badaczy zgłosiło potrzebę wydłużenia projektu o 18 miesięcy
- 1 badacz zgłosił potrzebę wydłużenia projektu o 24 miesiące.

Szczegółowe informacje dotyczące deklarowanego przez Beneficjentów prawdopodobieństwa zakończenia w terminie poszczególnych projektów EB zostały zamieszczone na wykresie 82.

Wykres 82. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów EB w terminie {N=11][52]




[52] A – prawdopodobieństwa ukończenia projektu terminie,
B – o ile miesięcy minimum powinien być wydłużony projekt, aby udało się go w całości ukończyć,
C – dotychczas zaakceptowane wydłużenie czasu realizacji projektu [miesiące].

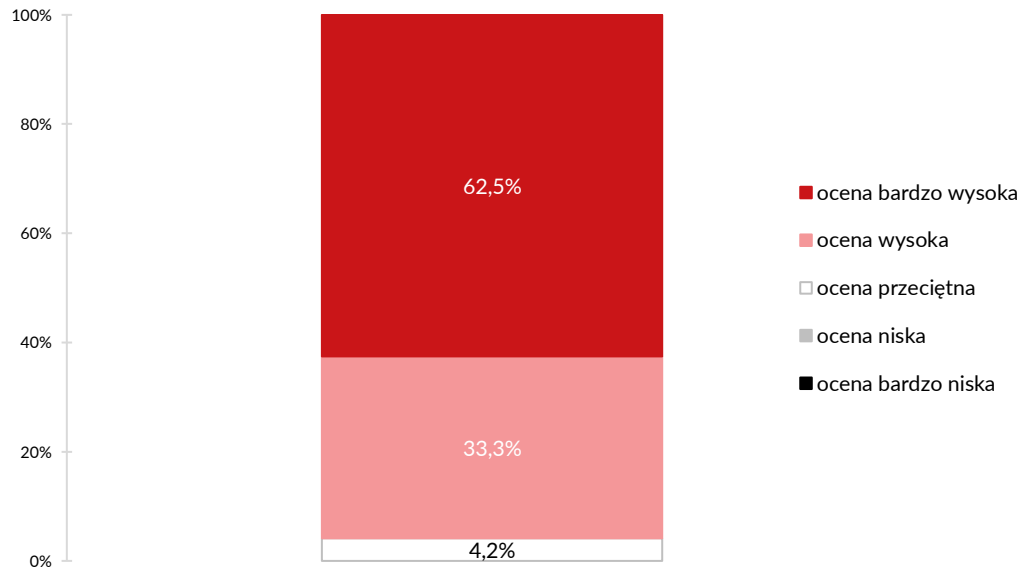
## 3.15. Współpraca z ABM

Zgodnie z zapisami umowy o dofinansowanie, każdy realizowany projekt podlega nadzorowi ze strony Agencji. W Agencji Badań Medycznych przyjęto dobrą praktykę bieżącego monitorowania projektów przez dedykowanych pracowników Działu Monitorowania. Każdemu projektowi, który uzyskał finansowanie, przydzielany jest Opiekun reprezentujący Agencję. Do jego głównych zadań należy udzielanie wsparcia i informacji, kontrola prawidłowego wydatkowania środków oraz utrzymywanie stałej komunikacji pomiędzy przedstawicielami sponsora, a Agencją. Po stronie Sponsora za bieżącą współpracę z ABM odpowiadają przede wszystkim koordynatorzy projektów – zatrudnieni bezpośrednio przez Sponsora lub działające w jego imieniu CRO – natomiast pośrednio także główni badacze. Beneficjent zobowiązany jest do przekazywania Agencji dokumentacji umożliwiającej prowadzenie monitoringu i sprawozdawczości oraz weryfikacji zgodności realizacji projektu z zapisami umowy. W tym celu składane są raporty merytoryczne i finansowe, zgodnie z harmonogramem płatności. Do zadań ABM należy analiza przedłożonych raportów oraz zatwierdzanie ewentualnych zmian – zarówno w zakresie finansów, jak i treści merytorycznej projektu. W ramach przeprowadzonej ewaluacji Beneficjenci zostali poproszeni o ocenę współpracy z opiekunami projektów wyznaczonymi przez ABM.

### 3.15.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Zebrane dane pokazują, że współpraca z przedstawicielami Agencji oceniana jest pozytywnie – aż 95,8% Beneficjentów realizujących niekomercyjne badania kliniczne wskazało na bardzo wysoką lub wysoką jakość współpracy, podczas gdy jedynie jeden główny badacz ocenił ją jako przeciętną. Wyniki te świadczą o utrzymywanym przez ABM wysokim standardzie relacji z Beneficjentami, co stanowi istotne wsparcie dla sprawnej i efektywnej realizacji projektów. Szczegółowa informacja o ocenie jakości współpracy beneficjentów z opiekunami projektów po stronie ABM została zawarta na wykresie 83.

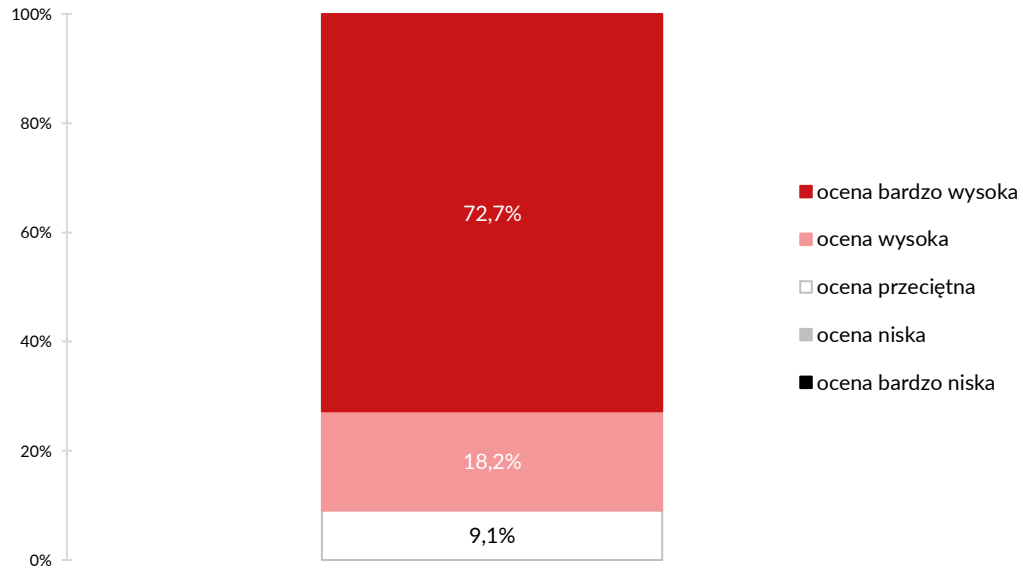
Wykres 83. Ocena jakości współpracy beneficjentów z opiekunami projektów wyznaczonymi przez ABM w projektach NBK [N=24]



### 3.15.2. Eksperymenty badawcze

Dane zgromadzone od Beneficjentów realizujących eksperymenty badawcze pokazują, że współpraca oceniana jest również bardzo wysoko – 90,9% wskazało na bardzo wysoką lub wysoką jakość współpracy, a tylko jeden Beneficjent ocenił ją jako przeciętną. Szczegółowa informacja o ocenie jakości współpracy beneficjentów z opiekunami projektów po stronie ABM została zawarta na wykresie 84.

Wykres 84. Ocena jakości współpracy beneficjentów z opiekunami projektów wyznaczonymi przez ABM w projektach EB [N=11]



# 4. Podsumowanie

Porównując niekomercyjne badania kliniczne i eksperymenty badawcze na podstawie danych zebranych w ramach raportu ewaluacyjnego, można wskazać szereg różnic. Poniższa tabela przedstawia zestawienie kluczowych parametrów realizacji projektów NBK i EB, obejmujące m.in. liczbę projektów oraz pacjentów/uczestników, czas trwania i stopień zaawansowania, przebieg procesu uzyskiwania zgód regulatorowych, stan kontraktowania i rekrutacji ośrodków, a także wskaźniki jakości czy biobankowanie biobankowanie materiału biologicznego. Dane zestawiono w celu syntetycznego wskazania różnic w skali, dynamice realizacji i efektywności operacyjnej obu grup projektów.

Tabela 1. Zestawienie kluczowych parametrów realizacji projektów NBK [N=24] oraz EB [N=11]

| Wskaźnik | NBK | EB |
|---|---|---|
| **liczba pacjentów /uczestników:** | | |
| planowanych | 6 432 | 5 526 |
| zrekrutowanych | 846 (13%) | 556 (10%) |
| czas trwania projektów [miesiące] | 48-72 | 40-72 |
| stopień zaawansowania projektów | 39%-74% | 40%-80% |
| **czas przebywania pacjenta/uczestnika w projekcie [miesiące]:** | | |
| minimum | 2 | 1 |
| mediana | 28 | 5 |
| maksimum | 60 | 24 |
| **pozytywna opinia KB [dni kalendarzowe]:** | | |
| minimum | 72 | -240 |
| mediana | 310 | -167 |
| maksimum | 634 | -76 |
| **zgoda URPL [dni kalendarzowe]:** | | |
| minimum | 78 | nd |
| mediana | 130 | nd |
| maksimum | 863 | nd |
| **ośrodki:** | | |
| zaplanowane | 136 | 63 |
| zakontraktowane | 94 | 41 |
| rekrutujące | 68 | 27 |

| Wskaźnik | | NBK | EB |
|---|---|---|---|
| **średnia ocena współpracy:** | | | |
| | CRO | 3,8 +/- 1,5 | 4,5 +/- 0,9 |
| | CWBK | 4,3 +/- 0,9 | 4,7 +/- 0,4 |
| | eCRF | 4,4 +/- 0,6 | 4,0 +/- 0,7 |
| **liczba próbek:** | | | |
| | zaplanowanych | 7 827 | 1 141 |
| | zbiobankowanych | 283 (3,1%) | 0 (0%) |
| **środki finansowe:** | | | |
| | przekazane | 30,3% | 30,9% |
| | wykorzystane | 13,3% | 19,1% |
| | rozliczone | 11,5% | 19,1% |
| **rozpowszechnianie wyników badania:** | | | |
| | konferencje krajowe | 21 | 12 |
| | konferencje międzynarodowe | 12 | 6 |
| | publikacje | 4 (IF: 8,7) | 2 (IF: 4,0) |

## 4.1. Stwierdzone problemy

Głównym zadaniem ewaluacji formatywnej jest uzyskanie informacji na temat postępu toczącego się procesu – w tym przypadku realizacji projektów oraz wyodrębnienie najważniejszych problemów z jakimi zmagają się beneficjenci pierwszego konkursu na niekomercyjne badania kliniczne. Główny cel analizy zebranych informacji to przedstawienie możliwych rozwiązań dla wyodrębnionych problemów. Rozwiązań, które można zastosować w trwających jeszcze projektach – aby w optymalny sposób doprowadzić do ich prawidłowego zakończenia oraz rozwiązań, które można zaimplementować w projektach, które wygrały kolejne konkursy.

Kategorie problemów zgłaszanych przez beneficjentów w okresach od początku realizacji projektu do czasu przeprowadzenia ewaluacji zostały pogrupowane w pięciu głównych obszarach:

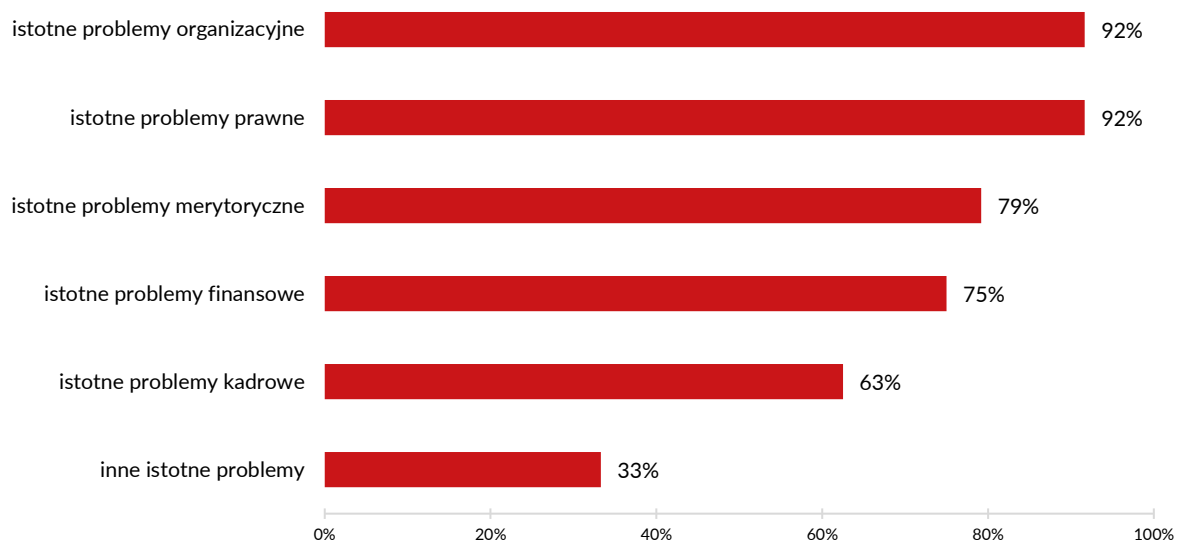
- problemy kadrowe,
- problemy merytoryczne,
- problemy prawne,
- problemy finansowe,
- problemy organizacyjne.

Struktura problemów zgłaszanych przez badaczy zarówno realizujących eksperymenty badawcze jak i badania kliniczne jest zbliżona i w obu przypadkach najwięcej problemów wystąpiło w obszarze organizacyjnym i prawnym.

### 4.1.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Podczas realizacji niekomercyjnych badań klinicznych najczęściej zgłaszane były problemy organizacyjne i prawne. Dane prezentujące główne kategorie zgłaszanych problemów zostały przedstawione na wykresie 85.

Wykres 85. Częstość występowania istotnych problemów w poszczególnych obszarach w projektach NBK [N=24]




Wśród problemów organizacyjnych najczęściej zgłaszane były problemy związane ze zmianą terminów realizacji przynajmniej jednego etapu projektu oraz zmiany listy / liczby ośrodków uczestniczących w projekcie (17 projektów). Badacze wskazali również inne problemy organizacyjne, które związane były m.in. ze: zmianą regulacyjną w postaci zmiany zasad rejestracji badań klinicznych (wprowadzenie wymogu rejestracji w systemie CTIS), wydłużenie procedur wyboru CRO (konieczne dostosowanie procesu rejestracji badania klinicznego do nowych wymogów systemu CTIS), wydłużeniem czasu poświęconego na przygotowanie dokumentacji do wyboru wytwórcy badanego produktu leczniczego i placebo z powodu wysoko innowacyjnego charakteru projektu i braku standardów GMP dla innowacyjnej klasy badanego produktu leczniczego, zakontraktowaniem ośrodków podwykonawczych – długie procedowanie umów trójstronnych po stronie ośrodków, wydłużonymi procedurami w strukturach sponsora. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów organizacyjnych zostały przedstawione na wykresie 86.

Wykres 86. Częstość występowania istotnych problemów organizacyjnych w projektach NBK [N=24]

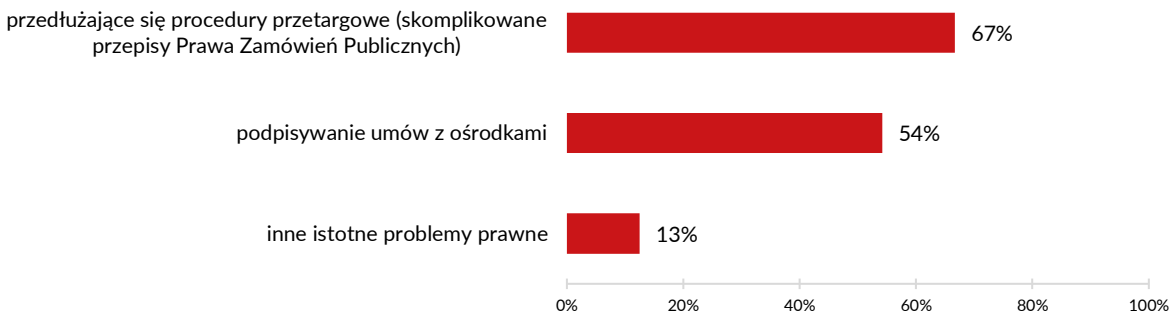



Obie główne kategorie problemów prawnych:

- podpisywanie umów z ośrodkami,
- przedłużające się procedury przetargowe (skomplikowane przepisy Prawa zamówień publicznych)

stanowiły problemy dla badaczy realizujących NBK. Badacze wskazali również inne problemy prawne które były związane m.in. z wejściem w życie Rozporządzenia (UE) 536/2014 oraz uruchomienie systemu CTIS (Clinical Trials Information System) w 2023 r. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów prawnych zostały przedstawione na wykresie 87.

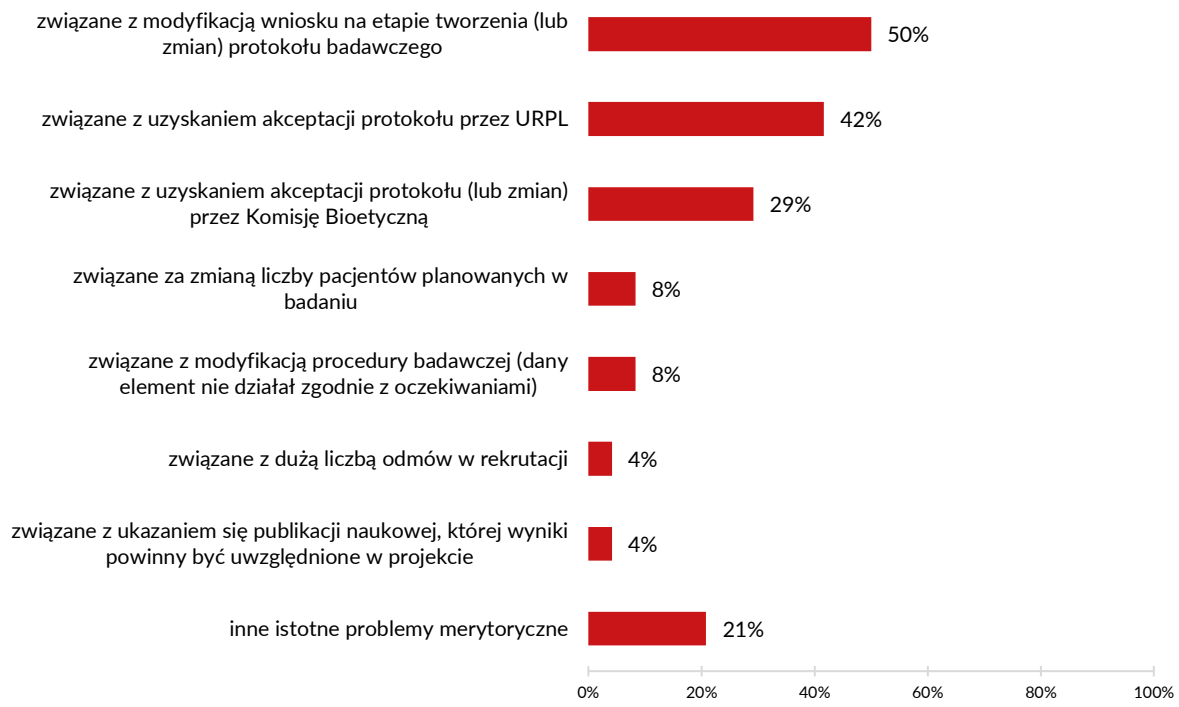
Wykres 87. Częstość występowania istotnych problemów prawnych w projektach NBK [N=24]




Wśród problemów merytorycznych najczęściej zgłaszane były problemy związane z modyfikacją wniosku na etapie tworzenia protokołu (12 projektów). Jako inne problemy merytoryczne badacze wskazali m.in.: konieczność modyfikacji składu badanego produktu leczniczego na etapie transferu technologii do jego wytwórcy, konieczność wykonania przez sponsora dodatkowych badań przedklinicznych według opinii URPL, trudności z dostępnością produktu leczniczego. Na opóźnienia w realizacji harmonogramu badania

przełożyła się bezpośrednio przede wszystkim trudność rekrutacji pacjentów. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów merytorycznych zostały przedstawione na wykresie 88.

Wykres 88. Częstość występowania istotnych problemów merytorycznych w projektach NBK [N=24]




Wśród problemów finansowych najczęściej zgłaszane było przesunięcie w czasie wydatkowania środków (13 projektów). Jako inne problemy finansowe badacze wskazali wzrost cen usług biobankowania powyżej limitów ustalonych przez ABM. Na opóźnienia w realizacji harmonogramu badania przełożyły się bezpośrednio przede wszystkim przesunięcia w czasie wydatkowania środków. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów finansowych zostały przedstawione na wykresie 89.

Wykres 89. Częstość występowania istotnych problemów finansowych w projektach NBK [N=24]



Największa liczba problemów kadrowych dotyczyła trudności z zatrudnieniem specjalistów ze względu na zaniżone stawki względem rynku komercyjnego (9 projektów). Jako inne napotkane problemy kadrowe badacze wskazali małą dyspozycyjność wykwalifikowanych osób i braki kadrowe. Wszystkie wymienione problemy przełożyły się bezpośrednio na opóźnienia w realizacji harmonogramu badania. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów kadrowych zostały przedstawione na wykresie 90.

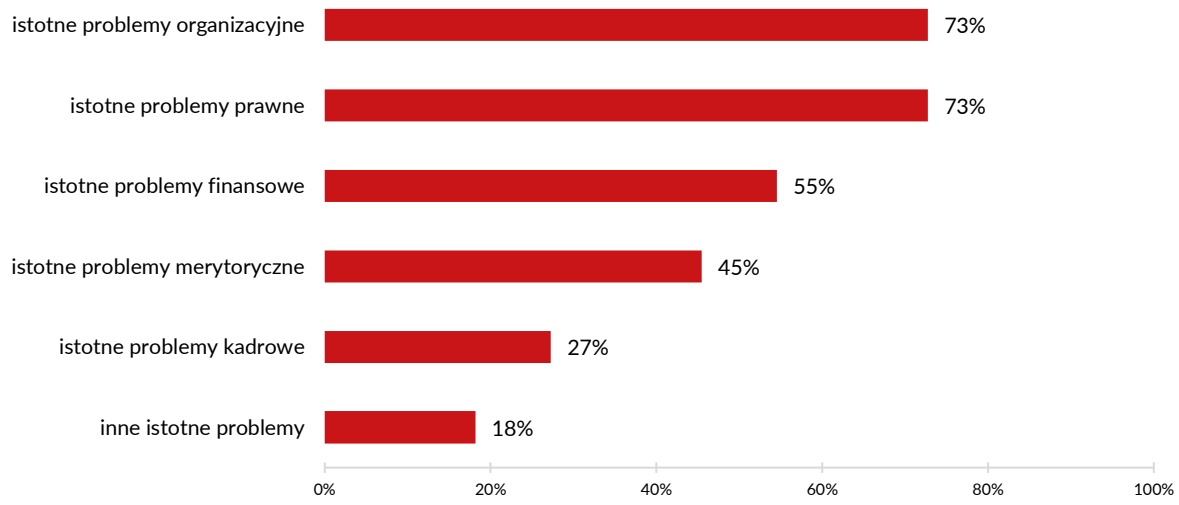
Wykres 90. Częstość występowania istotnych problemów kadrowych w projektach NBK [N=24]




### 4.1.2. Eksperymenty badawcze

Beneficjenci realizujący eksperymenty badawcze najczęściej zgłaszali również problemy organizacyjne i prawne. Dane prezentujące główne kategorie zgłaszanych problemów zostały przedstawione na wykresie 91.

Wykres 91. Częstość występowania istotnych problemów w poszczególnych obszarach w projektach EB [N=11]



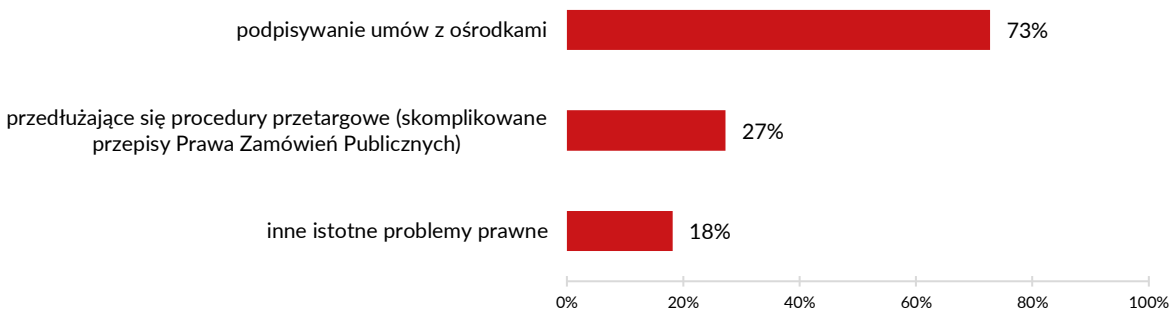
Wśród problemów organizacyjnych najczęściej zgłaszane była długotrwała wycena procedur przez ośrodki rekrutujące pacjentów (5 projektów) oraz problemy związane ze zmianą terminów realizacji przynajmniej jednego etapu projektu oraz zmiany listy / liczby ośrodków uczestniczących w projekcie (po 4 projekty). Badacze wskazali również inne problemy organizacyjne, które związane były m.in. z: długim procesem podpisywania umów o współpracy między ośrodkami oraz trudności w uzyskaniu opinii KB ze względu na brak lokalnej komisji. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów organizacyjnych zostały przedstawione na wykresie 92.

Wykres 92. Częstość występowania istotnych problemów organizacyjnych w projektach EB [N=11]




Najczęściej napotkane problemy prawne dotyczyły trudności z podpisywaniem umów z ośrodkami rekrutującymi pacjentów (8 na 11 projektów). Badacze wskazali również inne problemy prawne które były związane m.in. ze złożonością zapisów umowy trójstronnej oraz brakiem jednoznacznych przepisów dotyczących eksperymentów medycznych pozwalających przekazać rejestratory ILR ośrodkowi zewnętrznemu. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów prawnych zostały przedstawione na wykresie 93.

Wykres 93. Częstość występowania istotnych problemów prawnych w projektach EB [N=11]




Wśród problemów finansowych najczęściej zgłaszane było przesunięcie w czasie wydatkowania środków (4 projektu), trudności związane z organizacją i rozstrzygnięciem przetargów oraz wzrost kosztów związany z inflacją. Jako inne problemy finansowe badacze wskazali różną wycenę procedur w ośrodkach oraz brak możliwości zawarcia umów z zespołem badawczym w eksperymentach. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów finansowych zostały przedstawione na wykresie 94.

Wykres 94. Częstość występowania istotnych problemów finansowych w projektach EB [N=11]



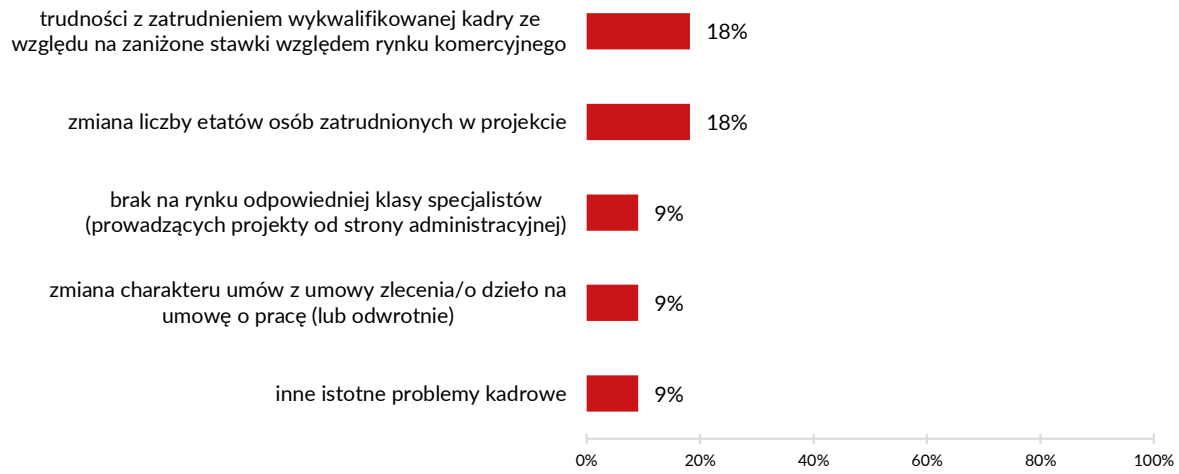

Wśród problemów merytorycznych najczęściej zgłaszane były problemy związane ze zmianą liczby pacjentów planowanych do włączenia do badania (3 projekty). Jako inne problemy merytoryczne badacze wskazali konieczność modyfikacji kryterium lekowego u dorosłych oraz brak zainteresowania ze strony ośrodków zewnętrznych prowadzeniem części klinicznej. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów merytorycznych zostały przedstawione na wykresie 95.

Wykres 95. Częstość występowania istotnych problemów merytorycznych w projektach EB [N=11]




Największa liczba problemów kadrowych dotyczyła trudności z zatrudnieniem wykwalifikowanej kadry ze względu na zaniżone stawki względem rynku komercyjnego oraz zmiany liczby etatów osób zatrudnionych (po 2 projekty). Inne napotkane problemy kadrowe to tymczasowa zmiana personelu spowodowana urlopami macierzyńskimi i zmianą miejsca pracy. Dane prezentujące występowanie poszczególnych problemów kadrowych zostały przedstawione na wykresie 96.

Wykres 96. Częstość występowania istotnych problemów kadrowych w projektach EB [N=11]




## 4.2. Środki zaradcze

Beneficjenci ewaluowanych projektów zostali poproszeni o wskazanie, które z przedstawionych w ankiecie potencjalnych środków zaradczych, pozwoliłyby na zmniejszenie lub eliminację pojawiających się problemów w przyszłości. Lista przedstawiona Beneficjentom została przygotowana na bazie drugiej części ewaluacji tj. wywiadów jakościowych z głównymi badaczami wybranych projektów. Wykorzystano w niej również doświadczenia z ewaluacji projektów z konkursów z lat 2019, 2020 i 2021. Poszczególne rozwiązania zostały pogrupowane w zależności od częstości ich wskazywania. Zarówno dla Badaczy realizujących projekty eksperymentów badawczych jak i prowadzący niekomercyjne badania kliniczne jako najbardziej oczekiwane rozwiązania wskazali wsparcie przy współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów, wprowadzenie dodatkowych zachęt dla ośrodków rekrutujących pacjentów oraz opracowanie internetowego podręcznika dobrych praktyk w niekomercyjnych badaniach klinicznych.

### 4.2.1. Niekomercyjne badania kliniczne

Najczęściej wskazywane rozwiązania (wybrane przez 33 - 37% respondentów)

- dodatkowe zachęty dla ośrodków rekrutujących pacjentów,
- porady prawne,
- internetowy podręcznik dobrych praktyk w niekomercyjnych badaniach klinicznych,
- wsparcie przy współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów.

Rozwiązania wskazywane przez 16% - 25% respondentów

- inicjowanie zmian w prawie upraszczających prowadzenie badań klinicznych,
- mini- konferencje dla lekarzy,
- szkolenia dla administracji jednostek naukowych i akademickich.

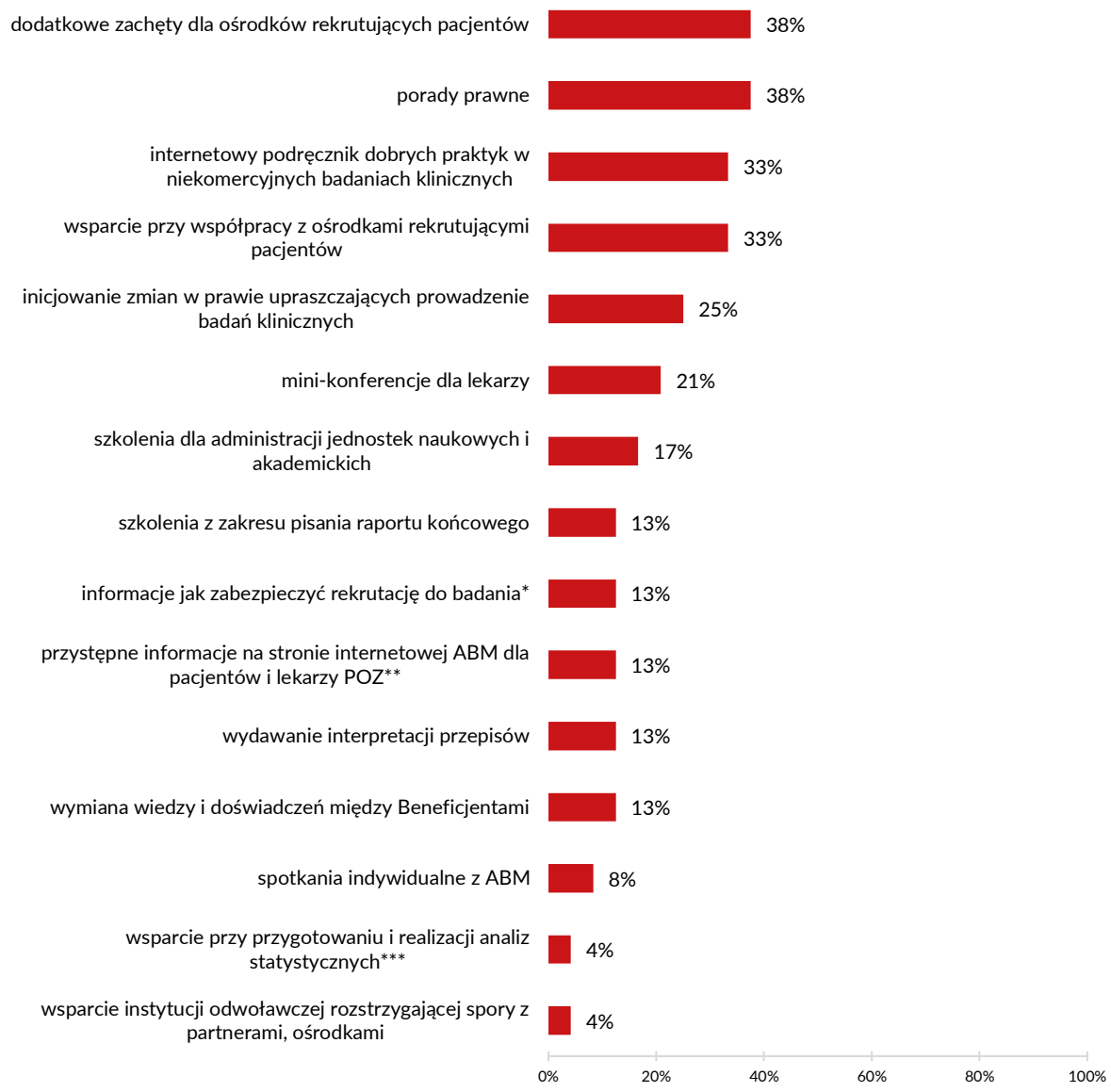
Rozwiązania wskazywane sporadycznie (4% - 12% respondentów):

- szkolenia z zakresu pisania raportu końcowego,
- informacje jak zabezpieczyć rekrutację do badania,

- przystępne informacje na stronie internetowej ABM dla pacjentów i lekarzy POZ,
- wydawanie interpretacji przepisów,
- wymiana wiedzy i doświadczeń między Beneficjentami,
- spotkania indywidualne z ABM,
- wsparcie przy przygotowaniu i realizacji analiz statystycznych,
- wsparcie instytucji odwoławczej rozstrzygającej spory z partnerami, ośrodkami.

Obszary najczęściej wskazywane przez Beneficjentów zostały zaprezentowane na wykresie 97.

Wykres 97. Obszary wsparcia wskazywane przez beneficjentów projektów NBK [N=24][53]




[53] * np. internetowe wskazówki/przewodniki
** opis choroby, osoby kontaktowe, terminy
***np. narzędzia randomizacyjne dla małych grup

### 4.2.2. Eksperymenty badawcze

Najczęściej wskazywane rozwiązania (wybrane przez 36% - 45% respondentów)

- wsparcie przy współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów.
- dodatkowe zachęty dla ośrodków rekrutujących pacjentów,
- internetowy podręcznik dobrych praktyk w niekomercyjnych badaniach klinicznych,

Rozwiązania wskazywane przez 18% - 27% respondentów

- szkolenia z zakresu pisania raportu końcowego,
- inicjowanie zmian w prawie upraszczających prowadzenie badań klinicznych,
- informacje jak zabezpieczyć rekrutację do badania,
- przystępne informacje na stronie internetowej ABM dla pacjentów i lekarzy POZ,
- wymiana wiedzy i doświadczeń między Beneficjentami,
- szkolenia dla administracji jednostek naukowych i akademickich.

Rozwiązania wskazywane sporadycznie (<10% respondentów):

- analizy statystyczne
- wsparcie przy przygotowaniu i realizacji analiz statystycznych,
- wydawanie interpretacji przepisów,
- wsparcie instytucji odwoławczej rozstrzygającej spory z partnerami, ośrodkami.
- spotkania indywidualne z ABM,

Obszary najczęściej wskazywane przez Beneficjentów zostały zaprezentowane na wykresie 98.

Wykres 98. Obszary wsparcia wskazywane przez beneficjentów projektów EB [N=11][54]




## 4.3. Wprowadzone rozwiązania

ABM monitorując realizację finansowanych projektów przygotowuje i podejmuje działania mające na celu usprawnienie ich przebiegu. Wychodząc naprzeciw sygnalizowanym już w pierwszej ewaluacji formatywnej potrzebom, Agencja podjęła szereg działań usprawniających realizację projektów w wielu obszarach. Najważniejsze wprowadzone rozwiązania zostały wprowadzone przedstawione poniżej.

### 4.3.1. Najważniejsze rozwiązania wprowadzone w 2024 roku

1 Uruchomiono bezpłatny kurs online ICH Good Clinical Practice z certyfikatem TransCelerate BioPharma Inc. oraz przeprowadzono liczne szkolenia z zakresu badań klinicznych, obejmujące m.in. koordynację badań, kontraktowanie, budżetowanie, GCP i zmiany w regulacjach prawnych.

[54] * np. internetowe wskazówki/przewodniki
** opis choroby, osoby kontaktowe, terminy
***np. narzędzia randomizacyjne dla małych grup

2 Opracowano Katalog Polskiej Sieci Badań Klinicznych (PSBK) z informacjami o ośrodkach i wsparciu dla sponsorów. Stworzono broszury edukacyjne dla pacjentów o placebo, wyszukiwarkach badań i mitach dotyczących badań klinicznych.

3 Zaktualizowano wzory umów badań klinicznych, uwzględniając nowe regulacje i potrzeby rynku. Wprowadzono nowe wzory formularzy świadomej zgody (ICF) z informacjami o ubezpieczeniach i wynikach badań.

4 Wdrożono procedurę postępowania w przypadku zdarzeń niepożądanych oraz uproszczono wnioski o dofinansowanie. Uruchomiono system eCRF ABM do zarządzania badaniami klinicznymi. Wprowadzono nowe funkcjonalności w systemach ABM, umożliwiające współredakcję dokumentów, elektroniczne podpisywanie umów i wymianę korespondencji.

5 Zwiększono możliwość dofinansowania dobrze rokujących projektów oraz limity kosztów pośrednich i wynagrodzeń. Wprowadzono premie za terminową rejestrację i rekrutację pacjentów. Zwolniono wybrane jednostki z obowiązku ustanawiania zabezpieczeń finansowych.

6 Zorganizowano 2 warsztaty, 7 seminariów oraz 9 spotkań informacyjnych skierowanych do beneficjentów i pacjentów. Wydarzenia te miały na celu nie tylko przekazanie rzetelnych informacji, ale także poszerzenie wiedzy uczestników.

### 4.3.2. Najważniejsze rozwiązania wprowadzone w 2025 roku

1 Uruchomiono nowe narzędzie - Poland Feasibility: Wsparcie dla Sponsorów badań klinicznych. Narzędzie to zostało stworzone z myślą o Sponsorach badań klinicznych – zarówno komercyjnych, jak i niekomercyjnych – aby ułatwić identyfikację odpowiednich ośrodków, które realizują świadczenia zdrowotne dla pacjentów z określonymi jednostkami chorobowymi. Umożliwi to szybsze, bardziej efektywne planowanie i realizację badań. Dzięki precyzyjnym danym, narzędzie to pomoże zoptymalizować proces doboru ośrodków, zmniejszając czas potrzebny na rozpoczęcie badania, a także poprawiając jego jakość i efektywność. Dodatkowo w listopadzie 2025 r. platforma została zaktualizowania i zyskała nowe funkcje i możliwości (m.in. nowe tryby wyszukiwania danych).

2 Agencja Badań Medycznych w ramach wsparcia podmiotów realizujących badania kliniczne, opracowała we współpracy z ekspertami zewnętrznymi oraz specjalistami z Centrów Wsparcia Badań Klinicznych Podręcznik dobrych praktyk dla ośrodków badań klinicznych wczesnych faz. Podręcznik został opracowany w oparciu o dwa główne dokumenty: Strategies to identify and mitigate risks for first-in-human and early clinical trials with investigational medicinal products – Scientific guideline Europejskiej Agencji Leków (EMA) oraz Guidelines for Phase I clinical trials 2018 edition opracowanego przez Association of the British Pharmaceutical Industry (ABPI). Informacje zawarte w podręczniku mają na celu podsumowanie procesu przejścia z rozwoju przedklinicznego produktu badanego do jego wczesnego rozwoju klinicznego, a także identyfikację czynników wpływających na ryzyko związane z rozwojem nowych produktów leczniczych stosowanych u ludzi.

3 Zorganizowano 1 warsztat, 8 seminariów oraz 3 szkolenia. Opracowano również 4 broszury informacyjne i ulotki związane z tematyką badań klinicznych. Działania te miały na celu nie tylko przekazanie rzetelnych informacji, ale także poszerzenie wiedzy uczestników.

# 5. Spis wykresów

Wykres 1. Podstawowe informacje o projektach NBK. Liczba projektów z poszczególnych obszarów tematycznych [N=24] ..... 43

Wykres 2. Podstawowe informacje o projektach EB. Liczba projektów z poszczególnych obszarów tematycznych [N=11] ..... 43

Wykres 3. Podstawowe informacje o projektach NBK. Liczba pacjentów z poszczególnych obszarów tematycznych [N=24] ..... 44

Wykres 4. Podstawowe informacje o projektach EB. Liczba uczestników z poszczególnych obszarów tematycznych [N=11] ..... 45

Wykres 5. Liczba projektów z partnerami krajowymi poszczególnych typów [N=35] ..... 47

Wykres 6. Zmiany w terminach realizacji projektów NBK (w dniach kalendarzowych – oś X) [N=24] ... 50

Wykres 7. Zmiany w terminach realizacji projektów EB (w dniach kalendarzowych – oś X) [N=11] ..... 51

Wykres 8. Całkowity planowany czas leczenia pacjentów w projektach NBK (w miesiącach – oś X) [N=24] ..... 53

Wykres 9. Całkowity planowany czas interwencji i obserwacji uczestników w projektach EB (w miesiącach – oś X), [N=11] ..... 54

Wykres 10. Zmiany w planowanej liczbie pacjentów– oś X, w poszczególnych projektach NBK [N=24] ..... 56

Wykres 11. Zmiany w planowanej liczbie uczestników– oś X, w poszczególnych projektach EB [N=11] ..... 57

Wykres 12. Podstawowe parametry rozkładu czasu oczekiwania (dni kalendarzowe – oś Y) na uzyskanie pozytywnej opinii KB i zgody URPL na realizację badań w projektach NBK [N=24] ..... 58

Wykres 13. Podstawowe parametry rozkładu czasu oczekiwania (dni kalendarzowe – oś Y) na uzyskanie pozytywnej opinii KB na realizację eksperymentów w projektach EB [N=24] ..... 59

Wykres 14. Zmiany w planowanej liczbie ośrodków – oś X, w poszczególnych projektach NBK [N=24] ..... 60

Wykres 15. Liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy i w których trwa rekrutacja pacjentów – oś X, na dzień 2025-11-30 (włączając ośrodki macierzyste) w projektach NBK [N=24] ..... 62

Wykres 16. Podsumowanie stanu współpracy z ośrodkami w analizowanych projektach NBK [N=24] 63

Wykres 17. Ocena jakości współpracy beneficjentów z ośrodkami rekrutującymi pacjentów w projektach NBK (poza ośrodkami sponsora) [N=21] ..... 63

Wykres 18. Zmiany w planowanej liczbie ośrodków – oś X, w poszczególnych projektach EB [N=11] . 64

Wykres 19. Liczba ośrodków, z którymi podpisano umowy i w których trwa rekrutacja pacjentów – oś X, na dzień 2025-11-30 (włączając ośrodki macierzyste) w projektach EB [N=11] ..... 65

Wykres 20. Podsumowanie stanu współpracy z ośrodkami w analizowanych projektach EB [N=11] .... 66

Wykres 21. Ocena jakości współpracy beneficjentów z ośrodkami rekrutującymi uczestników w projektach EB (poza ośrodkami sponsora) [N=8] ..... 66

Wykres 22. Ocena jakości współpracy beneficjentów z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora w projektach NBK [N=18] ..... 67

Wykres 23. Ocena jakości współpracy beneficjentów z jednostkami administracyjnymi w strukturach sponsora w projektach EB [N=8] ..... 68

Wykres 24. Współpraca z jednostkami zarządzającymi badaniem klinicznym [N=24] ..... 69

Wykres 25. Ocena jakości współpracy beneficjentów z CRO i CWBK w projektach NBK ..... 70

Wykres 26. Ocena eCRF w projektach NBK [N=22] ..... 70

Wykres 27. Współpraca z jednostkami zarządzającymi eksperymentem badawczym [N=11] ..... 71

Wykres 28. Ocena eCRF w projektach EB [N=8] ..... 72

Wykres 29. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były główne obszary zmian [N=24] ..... 72

Wykres 30. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były zmiany organizacyjne [N=24] ..... 73

Wykres 31. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były zmiany merytoryczne [N=24] ..... 73

Wykres 32. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były zmiany kadrowe [N=24] ..... 74

Wykres 33. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były główne obszary zmian [N=11] ..... 74

Wykres 34. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były zmiany organizacyjne [N=11] ..... 75

Wykres 35. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były zmiany merytoryczne [N=11] ..... 75

Wykres 36. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były zmiany kadrowe [N=11] ..... 76

Wykres 37. Poziom rekrutacji pacjentów w projektach NBK na dzień 2025-11-30 (odniesiony do aktualnej planowanej liczby pacjentów) [N=24] ..... 77

Wykres 38. Ocena stanu rekrutacji pacjentów w projektach NBK [N=24] ..... 78

Wykres 39. Główne formy rozpowszechniania informacji o badaniu w projektach NBK [N=24] ..... 79

Wykres 40. Dynamika projektów NBK realizowanych w ramach konkursów 2022-ABM-01 oraz 2022-ABM-03 [1/4] ..... 81

Wykres 41. Dynamika projektów NBK realizowanych w ramach konkursów 2022-ABM-01 oraz 2022-ABM-03 [2/4] ..... 82

Wykres 42. Dynamika projektów NBK realizowanych w ramach konkursów 2022-ABM-01 oraz 2022-ABM-03 [3/4] ..... 83

Wykres 43. Dynamika projektów NBK realizowanych w ramach konkursów 2022-ABM-01 oraz 2022-ABM-03 [4/4] ..... 84

Wykres 44. Poziom rekrutacji uczestników w projektach EB na dzień 2025-11-30 (odniesiony do aktualnej planowanej liczby uczestników) [N=11] ..... 85

Wykres 45. Ocena stanu rekrutacji uczestników w projektach EB [N=11] ..... 86

Wykres 46. Główne formy rozpowszechniania informacji o badaniu w projektach EB [N=11] ..... 87
Wykres 47. Dynamika projektów EB realizowanych w ramach konkursu 2022-ABM-03 [1/2] ..... 89
Wykres 48. Dynamika projektów EB realizowanych w ramach konkursu 2022-ABM-03 [2/2] ..... 90
Wykres 49. Procent przekazanych do bankowania próbek materiału genetycznego w projektach NBK [N=24] ..... 93
Wykres 50. Liczba projektów NBK, w których zgłaszane były zmiany finansowe [N=24] ..... 95
Wykres 51. Zmiany kosztów leku w projektach NBK [N=24] ..... 98
Wykres 52. Zmiany kosztów wynagrodzeń w projektach NBK [N=24] ..... 99
Wykres 53. Zmiany kosztów usług medycznych w projektach NBK [N=24] ..... 100
Wykres 54. Zmiany kosztów usług merytorycznych zleconych w projektach NBK [N=24] ..... 101
Wykres 55. Zmiany kosztów zaangażowania CRO w projektach NBK [N=24] ..... 102
Wykres 56. Zmiany kosztów zakupu sprzętu medycznego w projektach NBK [N=24] ..... 103
Wykres 57. Zmiany łącznych kosztów ubezpieczeń, wyrobów medycznych i innych kosztów ..... 104
Wykres 58. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [1/6] ..... 106
Wykres 59. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [2/6] ..... 107
Wykres 60. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [3/6] ..... 108
Wykres 61. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [4/6] ..... 109
Wykres 62. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [5/6] ..... 110
Wykres 63. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach NBK [6/6] ..... 111
Wykres 64. Liczba projektów EB, w których zgłaszane były zmiany finansowe [N=11] ..... 112
Wykres 65. Zmiany kosztów leku w projektach EB [N=11] ..... 114
Wykres 66. Zmiany kosztów wynagrodzeń w projektach EB [N=11] ..... 114
Wykres 67. Zmiany kosztów usług medycznych w projektach EB [N=11] ..... 115
Wykres 68. Zmiany kosztów usług merytorycznych zleconych w projektach EB [N=11] ..... 115
Wykres 69. Zmiany kosztów zaangażowania CRO w projektach EB [N=11] ..... 116
Wykres 70. Zmiany kosztów zakupu sprzętu medycznego w projektach EB [N=11] ..... 116
Wykres 71. Zmiany łącznych kosztów ubezpieczeń, wyrobów medycznych i innych kosztów w projektach EB [N=11] ..... 117
Wykres 72. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach EB [1/3] ..... 119
Wykres 73. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach EB [2/3] ..... 120
Wykres 74. Zmiany kosztów finansowania poszczególnych kategorii w projektach EB [3/3] ..... 121
Wykres 75. Mediana przepływów finansowych w projektach NBK [N=24] ..... 122

Wykres 76. Przepływy finansowe w projektach NBK (100% - wartość dofinansowania)[N=24] .....123
Wykres 77. Mediana przepływów finansowych w projektach EB [N=11] .....124
Wykres 78. Przepływy finansowe w projektach EB [N=11].....124
Wykres 79. Efekty naukowe projektów NBK [N=24].....126
Wykres 80. Efekty naukowe projektów EB [N=11].....127
Wykres 81. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów NBK w terminie {N=24] .....129
Wykres 82. Prawdopodobieństwo zakończenia projektów EB w terminie {N=11] .....130
Wykres 83. Ocena jakości współpracy beneficjentów z opiekunami projektów wyznaczonymi przez ABM w projektach NBK [N=24].....131
Wykres 84. Ocena jakości współpracy beneficjentów z opiekunami projektów wyznaczonymi przez ABM w projektach EB [N=11] .....132
Wykres 85. Częstość występowania istotnych problemów w poszczególnych obszarach w projektach NBK [N=24] .....135
Wykres 86. Częstość występowania istotnych problemów organizacyjnych w projektach NBK [N=24] .....136
Wykres 87. Częstość występowania istotnych problemów prawnych w projektach NBK [N=24].....136
Wykres 88. Częstość występowania istotnych problemów merytorycznych w projektach NBK [N=24] .....137
Wykres 89. Częstość występowania istotnych problemów finansowych w projektach NBK [N=24]...137
Wykres 90. Częstość występowania istotnych problemów kadrowych w projektach NBK [N=24].....138
Wykres 91. Częstość występowania istotnych problemów w poszczególnych obszarach w projektach EB [N=11] .....138
Wykres 92. Częstość występowania istotnych problemów organizacyjnych w projektach EB [N=11] 139
Wykres 93. Częstość występowania istotnych problemów prawnych w projektach EB [N=11] .....139
Wykres 94. Częstość występowania istotnych problemów finansowych w projektach EB [N=11] .....140
Wykres 95. Częstość występowania istotnych problemów merytorycznych w projektach EB [N=11] 140
Wykres 96. Częstość występowania istotnych problemów kadrowych w projektach EB [N=11] .....141
Wykres 97. Obszary wsparcia wskazywane przez beneficjentów projektów NBK [N=24] .....142
Wykres 98. Obszary wsparcia wskazywane przez beneficjentów projektów EB [N=11] .....144

# 6. Załączniki

## 6.1. Załącznik 1. Lista zagadnień do wywiadów jakościowych

### Zagadnienia do dyskusji:
### Ewaluacja formatywna konkursów 2022/ABM/01 oraz 2022/ABM/03

1. Przedstawienie osób z ABM
2. Podziękowanie za zgodę na udział w spotkaniu
3. Przedstawienie celu spotkania
4. Przedstawienie Głównego Badacza/innej osoby ze strony Beneficjenta obecnej na spotkaniu
5. Krótki opis projektu przez Beneficjenta
    5.1. Badania genetyczne [tak/nie]
6. Główne etapy projektu
7. Które etapy przebiegają zgodnie z planem?
8. Które etapy są opóźnione?
9. Kluczowe problemy na poszczególnych etapach
    9.1. Przyczyny problemów
    9.2. Prawdopodobieństwo zajścia
    9.3. Wpływ na projekt
    9.4. Przeciwdziałanie
10. Ocena współpracy z ABM na poszczególnych etapach
    10.1. Mocne strony
    10.2. Obszary do poprawy
    10.3. Sposoby, częstotliwość i jakość kontaktu
11. Wprowadzanie zmian w projektach
    11.1. Rodzaje zmian: metodyka, finansowe, organizacyjne, inne
    11.2. Przyczyny zmian
    11.3. Ewentualne propozycje usprawnień
12. Rekrutacja i kontakt z pacjentami
    12.1. Przyczyny opóźnień w rekrutacji
    12.2. Przeciwdziałanie opóźnieniom
    12.3. Sposoby kontaktu
    12.4. Problemy w kontaktach
13. Definiowanie kosztów: lek i placebo/wynagrodzenia/pozostałe koszty
    13.1. Od czego zależy definiowanie kosztów
    13.2. Problemy przy definiowaniu kosztów
    13.3. Środki niewydatkowane oraz oszczędności w projekcie
14. Współpraca z CRO
15. Współpraca z CWBK
    15.1. Zakres współpracy
    15.2. Ocena współpracy
    15.3. Główne problemy we współpracy
16. Współpraca z ośrodkami
17. Liczba ośrodków
    17.1. Ocena współpracy
    17.2. Główne problemy we współpracy
18. Partnerzy projektu i ewentualne problemy w tym zakresie
    18.1. Zagraniczni
    18.2. Prywatni
19. Podziękowanie za spotkanie

Agencja Badań Medycznych,
ul. Chmielna 69, 00-801 Warszawa 1

## 6.2. Załącznik 2. Ankieta ilościowa

# EWALUACJA FORMATYWNA KONKURSÓW 2022/ABM/01 ORAZ 2022/ABM/03

### Wsparcie w prowadzeniu projektu

1. Jakie jednostki pozostające lub niebędące w strukturach Sponsora wspomagają/ły prowadzenie projektu [nr projektu] od początku jego realizacji?
   *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

   - ☐ jednostki administracyjne w ramach Pana/i jednostki naukowej/medycznej
   - ☐ CRO (*proszę o wpisanie nazwy firmy*) _____
   - ☐ CWBK
   - ☐ inne jednostki (jakie?) _____

2. Jak ocenia Pan/i wsparcie projektu [nr projektu] zapewniane przez:
   *Tylko, jeżeli respondent współpracuje/współpracował z daną jednostką.*

| | 1 bardzo niska ocena | 2 | 3 | 4 | 5 bardzo wysoka ocena |
|---|---|---|---|---|---|
| jednostki administracyjne w ramach Pana/i jednostki naukowej/medycznej | o | o | o | o | o |
| CRO | o | o | o | o | o |
| CWBK | o | o | o | o | o |
| inne jednostki | o | o | o | o | o |

3. Jak ocenia Pan/i eCRF przygotowany w projekcie [nr projektu]?
   *Tylko, jeżeli w projekcie jest już przygotowany eCRF.*

   - ○ 1 ocena bardzo niska
   - ○ 2
   - ○ 3
   - ○ 4
   - ○ 5 ocena bardzo wysoka
   - ○ w projekcie {TOKEN:ATTRIBUTE_1} nie mamy przygotowanego eCRF

4. Proszę podać nazwę firmy, która przygotowała eCRF w projekcie [nr projektu].

   - ○ nazwa firmy _____

Agencja Badań Medycznych,
ul. Chmielna 69, 00-801 Warszawa 1

## Współpraca z ośrodkami

5. Jak ocenia Pan/i poziom współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów w projekcie [nr projektu] (poza ośrodkami Sponsora)?
*Możliwość zaznaczenia jednej odpowiedzi.*

- O 1 ocena bardzo niska
- O 2
- O 3
- O 4
- O 5 ocena bardzo wysoka
- O w projekcie nie zaplanowano współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów (poza ośrodkami Sponsora)

## Lek i placebo w projekcie

6. Czy do realizacji projektu [nr projektu] potrzebny był/jest zakup:

| | leku | placebo |
|---|---|---|
| tak – lek został zakupiony bezpośrednio od producenta (proszę podać nazwę producenta) | o _____ | |
| tak – lek/placebo został/o zakupiony/e przez hurtownię farmaceutyczną (proszę podać nazwę hurtowni): | o _____ | o _____ |
| tak – lek/placebo został/o wytworzony/e na zamówienie (proszę podać nazwę wytwórcy): | o _____ | o _____ |
| nie | o | o |

7. Czy w trakcie realizacji projektu [nr projektu] wystąpiły trudności z zakupem:
*Tylko, jeżeli potrzebny był zakup leku/placebo.*

| | leku | placebo |
|---|---|---|
| tak (jakie?) | o _____ | o _____ |
| nie | o | o |

## Informacja o badaniu

8. Jak informacja o realizowanym projekcie jest rozpowszechniana wśród pacjentów lub ich rodzin?
*Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi. Lista rotowana.*

- ☐ broszury, ulotki
- ☐ badacze prowadzący projekt
- ☐ lekarze (prowadzący) w ośrodkach partnerskich
- ☐ lekarze (prowadzący) w POZ
- ☐ media społecznościowe
- ☐ organizacje pacjenckie
- ☐ strona internetowa jednostki akademickiej/naukowej
- ☐ strona internetowa projektu
- ☐ inny sposób (jaki?) _____
- ☐ informacja o badaniu nie jest rozpowszechniana (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

9. Jaki jest sposób kontaktu z pacjentami w projekcie? Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.

- ☐ wizyty stacjonarne
- ☐ teleporady
- ☐ inny (jaki?) _____

## Rekrutacja pacjentów

10. Proszę wpisać datę zrekrutowania do badania pierwszego pacjenta w projekcie [nr projektu].
*Tylko, jeżeli zrekrutowano pacjenta/ów do badania.*

- ○ DD-MM-RRRR

11. Ile miesięcy wynosi całkowity planowany czas pracy z jednym pacjentem w projekcie [nr projektu] (screening + leczenie + monitoring + follow up) liczony od zerowej do ostatniej wizyty?
*Proszę wpisać liczbę w przedziale <1;60>.*

- ○ liczba miesięcy: _____

12. Jak ocenia Pan/i stan rekrutacji w projekcie [nr projektu] względem planu?
*Możliwość zaznaczenia jednej odpowiedzi.*

- ○ niemożliwy do zrealizowania
- ○ wątpliwy do zrealizowania
- ○ do nadrobienia
- ○ zadowalający
- ○ dobry
- ○ doskonały

13. Jakie działania mające na celu ograniczenie opóźnień w rekrutacji pacjentów zostały podjęte w projekcie [nr projektu]?
*Możliwość uzupełnienia do 5 odpowiedzi.*

- ☐ pierwsze podjęte działanie: _____
- ☐ drugie podjęte działanie: _____
- ☐ trzecie podjęte działanie: _____
- ☐ czwarte podjęte działanie: _____
- ☐ piąte podjęte działanie: _____
- ☐ nie podjęto działań mających na celu ograniczenie opóźnień w rekrutacji (odpowiedź wyklucza pozostałe)
- ☐ dotychczas nie stwierdzono opóźnień w rekrutacji pacjentów (odpowiedź wyklucza pozostałe)

## Compliance

14. W jaki sposób monitoruje się w projekcie [nr projektu] przestrzeganie przez pacjentów zaleceń terapeutycznych (compliance/adherencję)?
*Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ dzienniczki wypełniane przez pacjentów
- ☐ zliczanie opakowań
- ☐ odnotowywanie przez personel medyczny
- ☐ inne (jakie?) _____
- ☐ compliance w projekcie nie jest monitorowany (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

15. W jakiej formie pacjenci wypełniają dzienniczki w projekcie [nr projektu]?
*Tylko, jeżeli respondent wskazał dzienniczki w poprzednim pytaniu.*

- ○ forma papierowa
- ○ forma elektroniczna
- ○ inna forma (jaka?) _____

16. Czy w projekcie [nr projektu] wdrożono procedurę na wypadek niskiego compliance?

- ○ tak (jakie środki podjęto/zostaną podjęte?) _____
- ○ nie
- ○ nie dotyczy

## Bezpieczeństwo

17. Proszę wskazać liczbę poszczególnych zdarzeń, które miały miejsce w projekcie [nr projektu] do dnia wypełniania ankiety.

| | Liczba zdarzeń |
|---|---|
| ADR - Adverse Drug Reaction (niepożądane działania leku) | _____ |
| AE – Adverse Event (zdarzenia niepożądane) | _____ |
| SAE - Serious Adverse Event (ciężkie zdarzenia niepożądane) | _____ |
| SUSAR – Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction of medicinal product (podejrzewane niespodziewane ciężkie niepożądane działania produktu leczniczego) | _____ |

## Zmiany i problemy w projekcie

18. Jakie zmiany finansowe były zgłaszane w trakcie trwania projektu [nr projektu]? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ przesunięcie w czasie wydatkowania środków
- ☐ zmiana alokacji środków między zadaniami
- ☐ zmiana alokacji środków między kategoriami kosztów
- ☐ inne zmiany finansowe (jakie?) _____
- ☐ w trakcie trwania projektu nie były zgłaszane żadne zmiany finansowe (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

19. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy finansowe, które wystąpiły w trakcie realizacji projektu [nr projektu]. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ przesunięcie w czasie wydatkowania środków
- ☐ zmiana kosztów projektu związana z czynnikami innymi niż inflacja
- ☐ wzrost kosztów projektu związany z inflacją
- ☐ wycena procedur przez ośrodki rekrutujące pacjentów znacząco wyższa niż w cenniku ABM
- ☐ związane z organizacją i rozstrzygnięciem przetargów
- ☐ inne problemy finansowe (jakie?) _____
- ☐ w trakcie realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy finansowe (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

20. Jakie zmiany kadrowe były zgłaszane w trakcie trwania projektu [nr projektu]? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ zmiana charakteru umów z umowy zlecenia/o dzieło na umowę o pracę (lub odwrotnie)
- ☐ zmiana liczby etatów/osób zatrudnionych w projekcie
- ☐ inne zmiany kadrowe (jakie?) _____
- ☐ w trakcie trwania projektu nie były zgłaszane żadne zmiany kadrowe (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

21. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy kadrowe, które wystąpiły w trakcie realizacji projektu [nr projektu].
*Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ brak na rynku odpowiedniej klasy specjalistów (prowadzących projekty od strony administracyjnej)
- ☐ duża konkurencja między badaczami o dostęp do ośrodków i CRO
- ☐ zmiana charakteru umów z umowy zlecenia/o dzieło na umowę o pracę (lub odwrotnie)
- ☐ zmiana liczby etatów osób zatrudnionych w projekcie
- ☐ trudności z zatrudnieniem wykwalifikowanej kadry ze względu na zaniżone stawki względem rynku komercyjnego
- ☐ inne problemy kadrowe (jakie?) _____
- ☐ w trakcie realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy kadrowe (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

22. Jakie zmiany organizacyjne były zgłaszane w trakcie trwania projektu [nr projektu]? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi.
*Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ zmiana listy/ liczby ośrodków uczestniczących w projekcie
- ☐ zmiana terminów realizacji przynajmniej jednego etapu projektu (jaki/e to etap/y?) _____
- ☐ inne zmiany organizacyjne (jakie?) _____
- ☐ w trakcie trwania projektu nie były zgłaszane żadne zmiany organizacyjne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

23. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy organizacyjne, które wystąpiły w trakcie realizacji projektu [nr projektu].
*Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ problemy z zabezpieczeniem leku/placebo do badania (termin ważności/wielkość partii w odniesieniu do planu rekrutacji)
- ☐ zbyt wolno działająca administracja jednostki naukowej/akademickiej
- ☐ zmiana listy/liczby ośrodków uczestniczących w projekcie
- ☐ zmiana terminów realizacji przynajmniej jednego etapu projektu
- ☐ konflikty personalne w ośrodkach
- ☐ długotrwała wycena procedur przez ośrodki rekrutujące pacjentów
- ☐ inne problemy organizacyjne (jakie?) _____
- ☐ w trakcie realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy organizacyjne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

24. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy prawne, które wystąpiły w trakcie realizacji projektu [nr projektu]. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ podpisywanie umów z ośrodkami
- ☐ przedłużające się procedury przetargowe (skomplikowane przepisy Prawa Zamówień Publicznych)
- ☐ inne problemy prawne (jakie?) _____
- ☐ w trakcie realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy prawne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

25. Jakie zmiany merytoryczne były zgłaszane w trakcie trwania projektu [nr projektu]? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ zmiany wniosku na etapie tworzenia protokołu badawczego
- ☐ zmiany związane z uwagami/rekomendacjami Komisji Bioetycznej
- ☐ zmiany związane z uwagami/rekomendacjami URPL
- ☐ zmiany związane ze zmianą liczby pacjentów planowanych w badaniu
- ☐ zmiany związane z kryteriami włączenia lub wyłączenia pacjentów do badania/z badania
- ☐ zmiany związane z modyfikacją procedury badawczej (dany element nie działał zgodnie z oczekiwaniami)
- ☐ zmiany związane z ukazaniem się publikacji naukowej, której wyniki powinny być uwzględnione w projekcie
- ☐ inne zmiany merytoryczne (jakie?) _____
- ☐ w trakcie trwania projektu nie były zgłaszane żadne zmiany merytoryczne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

26. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne problemy merytoryczne, które wystąpiły w trakcie realizacji projektu [nr projektu]. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ związane z modyfikacją wniosku na etapie tworzenia protokołu badawczego
- ☐ związane z uzyskaniem akceptacji protokołu przez Komisję Bioetyczną
- ☐ związane z uzyskaniem akceptacji protokołu przez URPL
- ☐ związane z modyfikacją procedury badawczej (dany element nie działał zgodnie z oczekiwaniami)
- ☐ związane z ukazaniem się publikacji naukowej, której wyniki powinny być uwzględnione w projekcie
- ☐ związane za zmianą liczby pacjentów planowanych w badaniu
- ☐ związane z dużą liczbą odmów w rekrutacji
- ☐ inne problemy merytoryczne (jakie?) _____
- ☐ w trakcie realizacji projektu nie wystąpiły żadne istotne problemy merytoryczne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

27. Jakie inne zmiany były zgłaszane w trakcie trwania projektu [nr projektu]? Proszę o zaznaczenie wszystkich pasujących odpowiedzi. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ inna zmiana 1 (jaka?) _____
- ☐ inna zmiana 2 (jaka?) _____
- ☐ inna zmiana 3 (jaka?) _____
- ☐ w trakcie trwania projektu nie były zgłaszane żadne inne zmiany (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

28. Proszę zaznaczyć wszystkie istotne inne problemy, które wystąpiły w trakcie realizacji projektu [nr projektu]. *Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ zaburzenia związane z COVID19 i funkcjonowaniem służby zdrowia w okresie pandemii
- ☐ inny problem 1 (jaki?) _____
- ☐ inny problem 2 (jaki?) _____
- ☐ inny problem 3 (jaki?) _____
- ☐ w trakcie realizacji projektu nie wystąpiły inne istotne problemy (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

## Współpraca z ABM

29. Jak ocenia Pan/i jakość współpracy z opiekunem projektu [nr projektu] w ABM? *Możliwość zaznaczenia jednej odpowiedzi.*

- ○ bardzo niska ocena współpracy
- ○ niska ocena współpracy
- ○ przeciętna ocena współpracy
- ○ wysoka ocena współpracy
- ○ bardzo wysoka ocena współpracy
- ○ nie wiem/trudno powiedzieć

30. Czy ma Pan/i jakieś uwagi dotyczące współpracy z opiekunem projektu [nr projektu] w ABM? Jeśli tak, proszę o wpisanie ich poniżej. *Możliwość wpisania jednej odpowiedzi.*

- ○ _____
  _____
  _____
  _____
- ○ nie mam uwag do współpracy z opiekunem projektu w ABM

## Potencjalne dodatkowe wsparcie w realizacji projektu

31. Proszę zaznaczyć 3 najważniejsze obszary, w których potencjalne wsparcie mogłoby, Pana/i zdaniem, istotnie wspomóc realizację projektu badań klinicznych. *Możliwość zaznaczenia do 3 odpowiedzi.*

- ☐ internetowy podręcznik dobrych praktyk w niekomercyjnych badaniach klinicznych
- ☐ szkolenia z zakresu pisania raportu końcowego
- ☐ analizy statystyczne
- ☐ wsparcie przy przygotowaniu i realizacji analiz statystycznych (np. narzędzia randomizacyjne dla małych grup)
- ☐ wsparcie przy współpracy z ośrodkami rekrutującymi pacjentów
- ☐ dodatkowe zachęty dla ośrodków rekrutujących pacjentów (jakie?) _____
- ☐ informacje jak zabezpieczyć rekrutację do badania (np. internetowe wskazówki/przewodniki)
- ☐ mini-konferencje dla lekarzy
- ☐ przystępne informacje na stronie internetowej ABM dla pacjentów i lekarzy POZ (opis choroby, osoby kontaktowe, terminy)
- ☐ porady prawne
- ☐ wydawanie interpretacji przepisów
- ☐ wsparcie instytucji odwoławczej rozstrzygającej spory z partnerami, ośrodkami
- ☐ inicjowanie zmian w prawie upraszczających prowadzenie badań klinicznych
- ☐ szkolenia dla administracji jednostek naukowych i akademickich
- ☐ spotkania indywidualne z ABM (jak często?) _____
- ☐ wymiana wiedzy i doświadczeń między Beneficjentami
- ☐ inna forma wsparcia (jaka?): _____
- ☐ dodatkowe wsparcie w realizacji projektu nie jest potrzebne (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

## Efekty projektu

32. Proszę o przedstawienie liczb obrazujących efekty naukowe projektu [nr projektu].

| | Liczba |
|---|---|
| doniesień na konferencjach ogólnopolskich zaprezentowanych do dnia wypełniania ankiety | _____ |
| doniesień na konferencjach międzynarodowych zaprezentowanych do dnia wypełniania ankiety | _____ |
| publikacji wydanych do dnia wypełniania ankiety | _____ |
| przygotowanych już publikacji planowanych do wydania po dniu wypełniania ankiety | _____ |

33. Proszę o wpisanie dla każdej publikacji wydanej do dnia wypełnienia ankiety:

- ☐ tytuł publikacji _____
- ☐ tytuł czasopisma, w którym nastąpiła publikacja _____
- ☐ IF czasopisma, w którym nastąpiła publikacja _____
- ☐ nazwisko Głównego Badacza jest wymienione wśród autorów
- ☐ publikacja posiada afiliację ABM

34. Jaka jest przewidywana forma wykorzystania wyników projektu [nr projektu]?
*Możliwość zaznaczenia kilku odpowiedzi.*

- ☐ poszerzenie wiedzy
- ☐ aktualizacja standardów postępowań klinicznych (procedur)
- ☐ wskazanie nowej opcji terapeutycznej
- ☐ inne (jakie?) _____

35. Proszę o ocenę prawdopodobieństwa ukończenia projektu [nr projektu] w terminie zgodnym z aktualnym Wnioskiem o Dofinansowanie. *Do oceny proszę posłużyć się skalą od 0 do 100%.*

- ○ _____

36. Proszę określić, o jaki minimalny czas powinien być wydłużony projekt [nr projektu], aby udało się go ukończyć.

- ○ 3 miesiące
- ○ 6 miesięcy
- ○ 9 miesięcy
- ○ 12 miesięcy
- ○ 18 miesięcy
- ○ 24 miesiące
- ○ projekt nie wymaga wydłużania, zostanie ukończony w terminie
  Jeśli chcieliby Państwo uzasadnić odpowiedź, można skorzystać z pola poniżej:
  _____
  _____
  _____

## Zmiany w regulaminach konkursów usprawniające realizację projektów

37. Jakie zmiany, które usprawniłyby realizację projektów mogłaby wprowadzić ABM w regulaminach przyszłych konkursów? Proszę o wskazanie do 3 najważniejszych zmian podając: konkretny punkt aktualnego regulaminu wymagający zmiany, propozycję modyfikacji oraz uzasadnienie proponowanej zmiany.

Pierwsza proponowana zmiana regulaminu

- ☐ punkt regulaminu wymagający zmiany: _____
- ☐ propozycja modyfikacji: _____
- ☐ uzasadnienie zmiany: _____

Druga proponowana zmiana regulaminu

- ☐ punkt regulaminu wymagający zmiany: _____
- ☐ propozycja modyfikacji: _____
- ☐ uzasadnienie zmiany: _____

Trzecia proponowana zmiana regulaminu

- ☐ punkt regulaminu wymagający zmiany: _____
- ☐ propozycja modyfikacji: _____
- ☐ uzasadnienie zmiany: _____
- ☐ regulamin konkursów nie wymaga zmian usprawniających realizację projektów (*odpowiedź wyklucza pozostałe*)

38. Czy ma Pan/i dodatkowe uwagi do realizacji projektu lub samej ankiety? Jeśli tak, proszę zamieścić je poniżej.

- ○ _____
  _____
  _____