

Lista projektów skierowanych do oceny merytorycznej po zakończonej procedurze oceny formalnej w ramach *Konkursu na niekomercyjne badania kliniczne w obszarze chorób rzadkich* o numerze: ABM/2021/1

Numer projektu	Lider Projektu	Konsorcjanci	Tytuł projektu
2021/ABM/01/00002/P/01	Uniwersytet Medyczny w Łodzi	Samodzielny Publiczny Zakład Opieki Zdrowotnej Centralny Szpital Kliniczny Uniwersytetu Medycznego w Łodzi	OptiMD - Program harmonizacji diagnostyki i personalizacji terapii cukrzycy monogenowej
2021/ABM/01/00003	Warszawski Uniwersytet Medyczny	-	Niekomercyjne i nierandomizowane badanie interwencyjne fazy 2a. oceniające skuteczność produktu leczniczego kryzotynib w terapii dzieci z ciężką postacią neurofibromatozy typu 2., w szczególności niepoddających się leczeniu chirurgicznemu oraz/lub radioterapii. (Akronim badania: KRONF2)
2021/ABM/01/00004	Narodowy Instytut Kardiologii Stefana kardynała Wyszyńskiego - Państwowy Instytut Badawczy	Śląski Uniwersytet Medyczny Stowarzyszenie "Serce dla Arytmii"	Sakubityryl/walsartan w zapobieganiu progresji choroby u pacjentów z arytmogenną kardiomiopatią prawej komory - wielośrodkowe badanie randomizowane ARNI-ARVC
2021/ABM/01/00005	Narodowy Instytut Kardiologii Stefana kardynała Wyszyńskiego - Państwowy Instytut Badawczy	Fundacja Serce Dziecka	Wpływ sakubityrylu/walsartanu na wydolność wysiłkową, przebudowę i czynność systemowej prawej komory u dorosłych chorych z wrodzonym skorygowanym przełożeniem pni tętniczych – randomizowane badanie kliniczne ORPHAN COR
2021/ABM/01/00006	Uniwersytet Medyczny w Białymstoku	-	Randomizowane, podwójnie zaślepienie badanie kliniczne oceniające wpływ leczenia metforminą na receptywność endometrium u kobiet z rozpoznaną niepłodnością żeńską spowodowaną nieprawidłową implantacją

2021/ABM/01/00007	Instytut Psychiatrii i Neurologii	-	Leczenie substytucyjne kwasami tłuszczowymi omega 3 u pacjentów z neurozwyrodnieniem ze spichrzaniem żelaza typu MPAN
2021/ABM/01/00008	Gdański Uniwersytet Medyczny	Stowarzyszenie chorych na mastocytozę	Zastosowanie dupilumabu w leczeniu mastocytozy układowej o powolnym przebiegu
2021/ABM/01/00009	Gdański Uniwersytet Medyczny	-	Badanie kliniczne obejmujące dzieci i młodzież z pierwotnym złośliwym nowotworem wątroby - wątrobiakiem zarodkowym (Hepatoblastoma) i rakiem wątrobowokomórkowym (Hepatocarcinoma) - POLPHITT
2021/ABM/01/00010	Uniwersytet Medyczny w Białymstoku	-	Randomizowane badanie kliniczne oceniające wpływ desmopresyny na ilość powikłań krwotocznych po biopsji nerki STOP BLEED (SafeTy Outcomes Post kidney Biopsy - randomized cLinical Evaluation of Efficacy of Desmopressin)
2021/ABM/01/00011	Gdański Uniwersytet Medyczny	Instytut Centrum Zdrowia Matki Polki Stowarzyszenie Marfan Polska	Ocena skuteczności walsartanu w zwalnianiu poszerzania się aorty u dzieci i młodych dorosłych z uwarunkowanymi genetycznie chorobami aorty piersiowej typu zespołu Marfana – wieloośrodkowe badanie randomizowane kontrolowane placebo z podwójnie ślełą próbą (Valsartan in Children and Young Adults with Marfan-type Heritable Thoracic Aortic Diseases – Valsar-TAD, a randomized, multicenter, double-blind, placebo-controlled trial)
2021/ABM/01/00012	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 7 SUM w Katowicach Górnośląskie Centrum Medyczne im. prof. Leszka Gieca w Katowicach	-	Zastosowanie metforminy jako leku wspomagającego remielinizację u pacjentów z chorobą ze spektrum zapalenia rdzenia i nerwów wzrokowych (neuromyelitis optica spectrum disorder - NMOSD)

2021/ABM/01/00013	Uniwersytet Medyczny w Lublinie	-	Ocena skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania N-acetylocysteiny u pacjentów z izolowaną formą zwyrodnienia barwnikowego siatkówki – badanie 2 fazy
2021/ABM/01/00014	Narodowy Instytut Kardiologii Stefana kardynała Wyszyńskiego - Państwowy Instytut Badawczy	Fundacja Serce Dziecka	„Zastosowanie sildenafilu u chorych z sercem jednokomorowym po operacji Fontana – badanie SINFON-PL”
2021/ABM/01/00015	Pomorski Uniwersytet Medyczny	-	PLACENTA_PL: Pierwsze polskie badanie niekomercyjne optymalizujące badania przesiewowe, prewencję i monitorowanie wczesnych ciężkich postaci niewydolności łożyska
2021/ABM/01/00016	Centrum Medyczne Kształcenia Podyplomowego	Uniwersytet Medyczny w Lublinie	Ocena skuteczności leczenia chorych z twardziłą układową z użyciem rekombinowanego ludzkiego przeciwciała monoklonalnego dupilumabu
2021/ABM/01/00017	Gdański Uniwersytet Medyczny	Uniwersytet Medyczny w Białymstoku, Uniwersytet Opolski Polskie Stowarzyszenie Osób z Niewydolnością Serca	A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Multicenter Study of Levosimendan Therapy in low ejection fraction Takotsubo Syndrome (LevoTako Trial)
2021/ABM/01/00018	Śląski Uniwersytet Medyczny	Górnos Śląskie Centrum Medyczne im. prof. Leszka Gieca Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach	Ocena Skuteczności i bezpieczeństwa terapii bezpośrednimi doustnymi antykoagulantami w porównaniu do warfaryny u pacjentów z zakrzepicą żył i/lub zatok mózgowych - badanie kliniczne z randomizacją (SUPREMI)
2021/ABM/01/00019	Instytut Matki i Dziecka	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy	Ocena skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania regorafenibu u pacjentów z opornymi na leczenie pierwotnymi nowotworami kości (REGBONE)

		Stowarzyszenie Pomocy Chorym na Mięśniaki i Czerniaki SARCOMA	
2021/ABM/01/00020	Instytut Psychiatrii i Neurologii	-	"Skuteczność i bezpieczeństwo ryluzolu u pacjentów w objawowym stadium ataksji rdzeniowo-mózdkowej typu 1 – badanie wieloośrodkowe, randomizowane, podwójnie zaślepione, z zastosowaniem protokołu z opóźnionym włączeniem interwencji leczniczej"
2021/ABM/01/00021	Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu	Politechnika Wroclawska Fundacja SMA	Rola markerów procesu zapalnego w krwi, płynie mózgowo-rdzeniowym oraz rezonansie magnetycznym w monitorowaniu bezpieczeństwa terapii oligonukleotydami antysensownymi u chorych z rdzeniowym zanikiem mięśni.
2021/ABM/01/00022	Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu	Szpital Uniwersytecki nr 1 im. dr Antoniego Jurasza w Bydgoszczy Fundacja „Na Ratunek Dzieciom z Chorobą Nowotworową”	A prospective multi-centre study to describe the safety and efficacy of Wharton's Jelly-derived mesenchymal stromal cells (hUCMSC) and tocilizumab in Steroid-Refractory acute GvHD (SR-aGvHD; ORPHA:39812) in pediatric patients after allogeneic hematopoietic stem cell transplantation (HSCT)
2021/ABM/01/00023	Instytut „Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka”	Centrum Medyczne Kształcenia Podyplomowego	„Lmfotok, Prenatalna i Okoloporodowa Diagnostyka, Obliteracyjne Leczenie – LIPIODOL”
2021/ABM/01/00024	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy	-	Pembrolizumab w Terapii Zaawansowanego, Progresującego Raka Kory Nadnerczy
2021/ABM/01/00025	Uniwersytet Medyczny w Białymstoku	Warszawski Uniwersytet Medyczny Ogólnopolska Federacja Stowarzyszeń Reumatyków "REF"	Mezenchymalne komórki macierzyste pozyskiwane z tkanki tłuszczowej (ADSC) jako strategia terapeutyczna w leczeniu wczesnej aktywnej uogólnionej postaci twardziny układowej – randomizowane, kontrolowane placebo badanie kliniczne „ScleroCell”

2021/ABM/01/00026	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy	Stowarzyszenie pomocy chorym na mięsaki i czerniaki Sarcoma	Alektynib w leczeniu chorych na Inflammatory Myofibroblastic Tumor (IMT) z rearanżacją genu ALK w stadium nieoperacyjnym – jednoramienne, wieloośrodkowe badanie II fazy
2021/ABM/01/00027	Instytut „Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka”	Transition Technologies Science Sp. z o.o. Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich ORPHAN	Otwarte randomizowane badanie kliniczne II fazy oceniające bezpieczeństwo i skuteczność rapamycyny w leczeniu rzadkich i ultraradkich chorób ośrodkowego układu nerwowego związanych z aktywacją szlaku mTOR u dzieci- BraimTOR.
2021/ABM/01/00028	Instytut Psychiatrii i Neurologii	Gdański Uniwersytet Medyczny Uniwersytet Medyczny im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu	Randomizowane, kontrolowane placebo, prowadzone w grupach równoległych metodą podwójnie ślepej próby badanie z użyciem polisomnografii mające na celu ocenę skuteczności i bezpieczeństwa stosowania baklofenu w leczeniu osób dorosłych i młodzieży w wieku powyżej 15 r.ż. chorujących na narkolepsję z katapleksją.
2021/ABM/01/00029	Uniwersytet Medyczny w Łodzi	Samodzielny Publiczny Zakład Opieki Zdrowotnej Centralny Szpital Kliniczny Uniwersytetu Medycznego w Łodzi Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry'ego	Prospektywne randomizowane badanie porównujące minimalne dawki glikokortykosteroidów vs. placebo jako leczenie wspomagające enzymatyczną terapię zastępczą w chorobie Fabry'ego (PL-Fabry Trial)
2021/ABM/01/00030	Wojskowy Instytut Medyczny	Uniwersytet Medyczny w Łodzi Gdański Uniwersytet Medyczny Stowarzyszenie Chorych na Układowe Zapalenie Naczyń: Vasculitis	VASCULITIS – Personalizowane leczenie immunosupresyjne z użyciem rituximabu w leczeniu układowych zapaleń naczyń z obecnością przeciwciał ANCA – randomizowane, wieloośrodkowe badanie kliniczne

2021/ABM/01/00031	Uniwersytet Medyczny im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu	Pomorski Uniwersytet Medyczny Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich	Inhibitory SGLT2 (Sodium-glucose co-transporter 2) a remodeling mitochondriów w chorobach mitochondrialnych z zajęciem układu nerwowego, krążenia lub narządu wzroku
2021/ABM/01/00034	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy	-	Nowoczesne leczenie chorych na raka gruczołowo-torbielowatego regionu głowy i szyi z wykorzystaniem PSMA znakowanego lutetem 177
2021/ABM/01/00035	Instytut Centrum Zdrowia Matki Polki	Uniwersytet Medyczny w Łodzi	POINTED (ang. Personalised management of patients with Osteogenesis Imperfecta – Novel Treatment upon Explicit Diagnosis) - Strategia spersonalizowanej opieki nad pacjentem z wrodzoną łamliwością kości w oparciu o precyzyjną diagnozę i nowe podejście terapeutyczne
2021/ABM/01/00036	Wojskowy Instytut Medyczny	Uniwersytet Medyczny w Łodzi	FORMA – wieloośrodkowe randomizowane badanie kliniczne z grupą kontrolną oceniające skuteczność i bezpieczeństwo ketoanalogów aminokwasów egzogennych w profilaktyce zaburzeń odżywienia w zespole nerczycowym
2021/ABM/01/00037	Uniwersytet Medyczny w Białymstoku	-	Niekomercyjne badanie kliniczne zastosowania modulatorów białka CFTR u chorych dorosłych z ciężką postacią choroby oskrzelowo-płucnej związanej z mukowiscydozą i mutacjami resztkowej funkcji genu CFTR.
2021/ABM/01/00038	Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu	Uniwersytet Jagielloński - Collegium Medicum	Ketoprofen w leczeniu pierwotnych obrzęków limfatycznych.
2021/ABM/01/00039	Warszawski Uniwersytet Medyczny	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy	Wieloośrodkowe badanie kliniczne 2 fazy oceniające bezpieczeństwo i skuteczność skojarzenia sargramostimu ze schematem D-VCd (daratumumab, bortezomib, cyklofosfamid, deksametazon) u nieleczonych pacjentów z amyloidozą łańcuchów lekkich (badanie STARLIGHT).

2021/ABM/01/00041	Narodowy Instytut Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji im. prof. dr hab. med. Eleonory Reicher	Ogólnopolskie Stowarzyszenie Młodych Z Zapalnymi Chorobami Tkanki Łącznej "3majmy Się Razem"	Nintedanib i tocilizumab - dobór leczenia u chorych z twardziną układową w zależności od aktywności zapalnej choroby i nasilenia śródmiąższowej choroby płuc (ILD) z uwzględnieniem metod teranostyki: aktywności cytokin, markerów zapalenia i włóknienia, obrazu tomografii komputerowej płuc i pozytonowej tomografii emisyjnej (PET) z fluorodeoksyglukozą ([¹⁸ F]FDG) oraz analogami somatostatyny i uwzględnieniem badania metabolomu i transkryptomu wybranych chorych. Projekt NINTOC- TU
-------------------	--	---	--