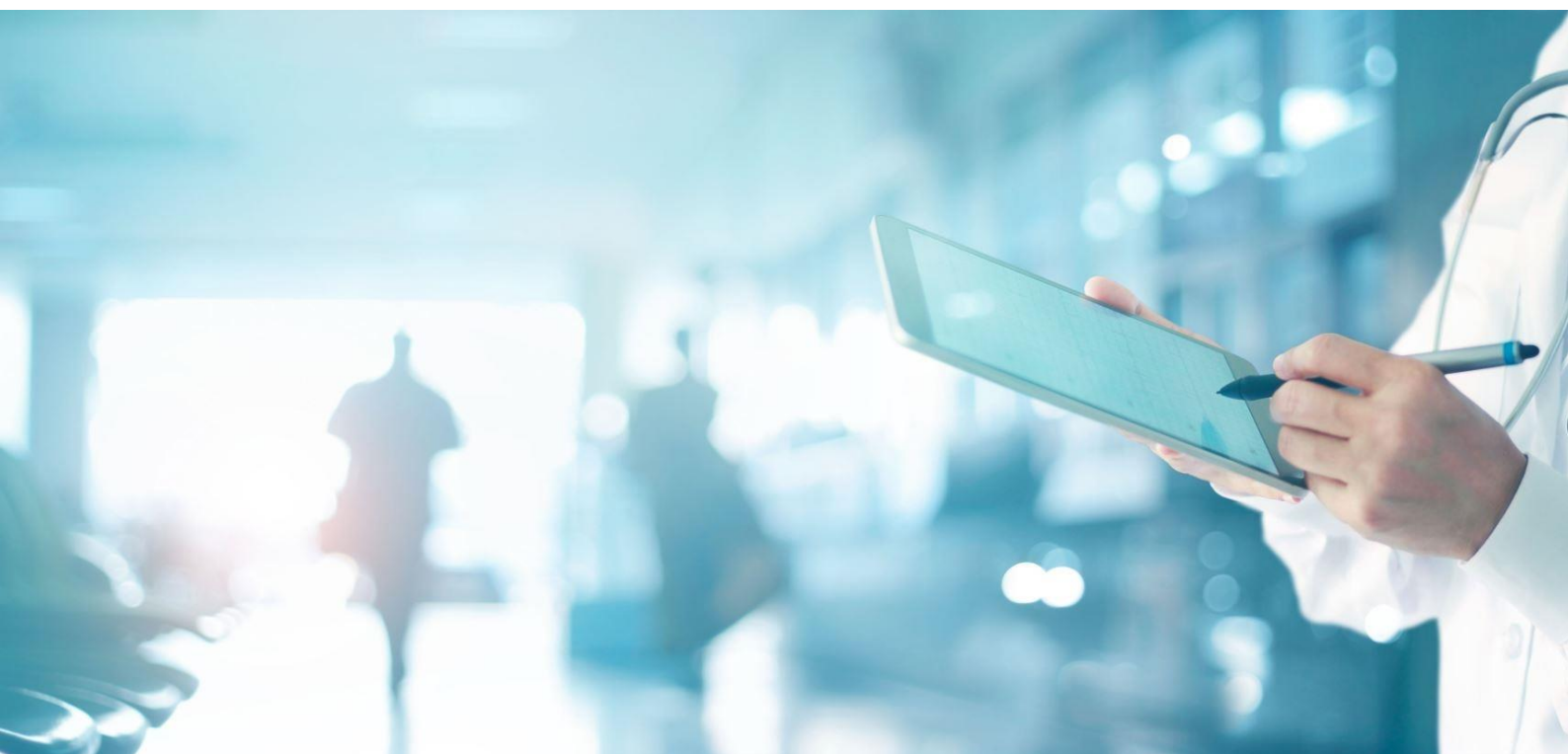


AGENCJA
BADAŃ
MEDYCZNYCH

ANALIZA POTRZEB, TRENDÓW I MOŻLIWOŚCI W BADANIACH BIOMEDYCZNYCH

Raport Rozpoznawczy

Analiza przygotowawcza do prac nad
Planami Działalności ABM



Warszawa, listopad 2023

Dział Nauki, Agencja Badań Medycznych

Pod redakcją naukową dr inż. Katarzyny Kaczmarek i Marcelego Ragana



Spis treści

Definicje i skrót	3
1. Wstęp	5
1.1 Cel raportu	5
1.2 Zespół analityczny Działu Nauki ABM	6
1.3 Metodologia	6
1.4 Istniejące dokumenty strategiczne ABM	6
2. Potrzeby polskich pacjentów – analiza perspektywy i percepcji zagrożeń zdrowotnych	8
2.1 Zmiany demograficzne populacji polskiej – starzenie się społeczeństwa katalizatorem epidemii chorób przewlekłych i wielochorobowości	8
2.2 Trendy epidemiologiczne i percepcja zagrożeń dla populacji polskiej – dominacja chorób kardiologicznych, onkologicznych, psychiatrycznych i cywilizacyjnych	9
2.4 Analiza wpływu chorób, urazów i czynników ryzyka w populacji polskiej – znaczny wpływ czynników behawioralno-metabolicznych oraz zagrożeń ze strony onkologii, kardiologii i medycyny urazowej	11
2.3 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe	13
3. Kierunki rozwoju polskiego systemu ochrony zdrowia	14
3.1 Mapa potrzeb – jasna i poprawna ścieżka diagnostyczno-terapeutyczna pacjenta odpowiedzią na zidentyfikowane problemy zdrowotne i bariery dostępu do świadczeń	14
3.2 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe	18
4. Kierunki rozwoju rynku lekowego	19
4.1 Technologie lekowe dominujące w badaniach – wzrost zapotrzebowania na nowe spersonalizowane leki w obszarze onkologii, chorób rzadkich, depresji, a także na technologie przeciwdrobnoustrojowe	19
4.2 Innowacyjne technologie lekowe o dużym potencjale rozwojowym – dynamiczny rozwój terapii zaawansowanych i bioterapeutyków	21
4.3 Czynniki mające decydujący wpływ na opracowywanie leków innowacyjnych – redukcja kosztów i ryzyk przez współpracę międzyinstytucjonalną i badania łączone	22
4.4 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe	22
5. Kierunki rozwoju rynku wyrobów medycznych i innych technologii medycznych	23
5.1 Cyfryzacja branży wyrobów medycznych – urządzenia i aplikacje mobilne odpowiedzią na potrzeby pacjentów	23
5.3 Innowacje w obszarze wyrobów medycznych – dynamiczny rozwój robotyki, nanotechnologii i biomateriałów	25
•Bioresorbowalne, bioniczne i biodegradowalne wyroby medyczne i opakowania	25



•Narzędzia, techniki i systemy chirurgiczne nowej generacji	26
•Nowoczesna inżynieria rehabilitacyjna	26
5.4 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe.....	28
6. Kierunki rozwoju badań naukowych (podstawowych i przedklinicznych).....	29
6.1 Badania genetyczne i epigenetyczne jako priorytet dla pacjentów i systemu ochrony zdrowia w Polsce.....	29
6.2 Kompleksowe badania nad immunoterapeutykami w onkologii.....	29
6.3 Kompleksowe badania nad złożonymi mechanizmami plastyczności mózgu – wypracowanie nowych rozwiązań poprawiających profilaktykę, diagnostykę, monitorowanie i leczenie chorób mózgu.	31
6.4 Medycyna Cyfrowa – mariaż medycyny z informatyką dla nowych rozwiązań diagnostyczno-terapeutycznych w medycynie personalizowanej.	31
6.5 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe	32
7. Badania kliniczne w Polsce i na świecie	33
7.1 Badania biomedyczne w Polsce i na świecie – rosnąca przewaga onkologicznych badań klinicznych	33
7.2 Dominujące trendy badań nad nowymi technologiami lekowymi i biomedycznymi – rozwój schematów badawczych nowej generacji	33
7.3 Czynniki o decydującym wpływie na prowadzenie badań klinicznych w poszczególnych obszarach medycznych – konieczność stymulacji europejskiego ekosystemu badań klinicznych	35
7.4 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe	36
8. Podsumowanie i diagnoza rozpoznawcza do przyszłych Planów Działalności ABM	37



Definicje i skróty

ABM – Agencja Badań Medycznych

AI – (ang. *Artificial Intelligence*) Sztuczna inteligencja

AMD – (ang. *age-related macular degeneration*) Zwrodnienie plamki związane z wiekiem

AOS – Ambulatoryjna Opieka Specjalistyczna

AOTMiT – Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

API – (ang. *Active Pharmaceutical Ingredient*) Substancja czynna

ASCO – (ang. *American Society of Clinical Oncology*) Amerykańskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej

ATMP – (ang. *Advanced Therapy Medicinal Product*) Produkt Leczniczy Terapii Zaawansowanej

BMI – (ang. *Body Mass Index*) Wskaźnik masy ciała

CARG – (ang. *Compound Annual Growth Rate*) Skumulowany roczny wskaźnik wzrostu, który określa stopę zwrotu z inwestycji w okresie jej trwania; używany do porównywania strategii inwestycyjnych

CAR-T – (ang. *Chimeric Antigenic Receptor of T cells*) Terapia oparta o limfocyty T z chimerycznym receptorem antygenowym

CAWI – (ang. *Computer Assisted Web Interview*) Wywiad wspomagany komputerowo przy wykorzystaniu stron WWW

CeZ – Centrum e-Zdrowia

DCT – (ang. *Decentralised Clinical Trial*) Zdecentralizowane badania kliniczne

DALY – (ang. *Disability Adjusted Life-Years*) Lata życia skorygowane niesprawnością

EMA – (ang. *European Medicine Agency*) Europejska Agencja Leków

EPO – (ang. *European Patent Office*) Europejski Urząd Patentowy

FDA – (ang. *Food and Drug Administration*) Amerykańska Agencja Żywności i Leków

GBD – (ang. *Global Burden of Disease*) Globalne obciążenie chorobami – raport tworzony przez Institute for Health Metrics and Evaluation, w którym przedstawiona jest analiza poziomu obciążenia chorobowego w wielu krajach na świecie

GUS – Główny Urząd Statystyczny

GWAS – (ang. *Genome-Wide Association Studies*) badania asocjacyjne genomu, kohortowe analizy wykorzystujące dane z całogenomowego sekwencjonowania nowej generacji i danych pozagenetycznych umożliwiające wskazywanie korelacji między wybranymi wariantami genetycznymi i fenotypem.

HIS – (ang. *Hospital Information System*) Szpitalny System Informatyczny

HIV – (ang. *Human Immunodeficiency Virus*) Ludzki wirus niedoboru odporności

IAPB – (ang. *International Agency for the Prevention of Blindness*) Międzynarodowa Agencja do Zapobiegania Ślepcie

ICD – (ang. *International Classification of Diseases*) Międzynarodowa Klasyfikacja Chorób

IHME – (ang. *Institute for Health Metrics and Evaluation*) Amerykański instytut badawczy odpowiedzialny za przygotowanie raportu/badania *Global Burden of Disease*

IKP – Internetowe Konto Pacjenta, platforma informacyjna Centrum e-Zdrowia



KRN – Krajowy Rejestr Nowotworów, rejestr danych o rozpoznanych przypadkach nowotworów złośliwych, który zawiera opis rozpoznania, ocenę zmian w czasie i przestrzeni, analizę przeżyć i prognozy, niezbędny do realizacji zadań publicznych i statystyk publicznych oraz analizy epidemiologicznej

MZ – Ministerstwo Zdrowia

NBK – Niekomercyjne Badania Kliniczne

NFZ – Narodowy Fundusz Zdrowia

NGS – (ang. *Next-Generation Sequencing*) typy sekwencjonowania DNA lub RNA nowej generacji, stosowane m.in. w diagnostyce onkologicznej umożliwiające otrzymanie i analizę sekwencji całogzomowej (**WES**), jak i całogenomowej (**WGS**). Techniki NGS są wykorzystywane m.in. do analizy porównawczej tkanek zdrowych i nowotworowych w celu przewidywania potencjalnego rozwoju choroby, badań przesiewowych pod kątem chorób rzadkich, ale również do prowadzenia analiz populacyjnych typu GWAS.

NMDA – Kwas N-metylo-D-asparaginowy, metylowana pochodna kwasu asparaginowego o aktywności neuronalnej

P1 – System e-zdrowie, platforma stanowiąca podstawę cyfrowego ekosystemu usług medycznych Centrum e-Zdrowia

POChP – Przewlekła Obturacyjna Choroba Płuc

POZ – Podstawowa Opieka Zdrowotna

PZH – *Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego PZH – Państwowy Instytut Badawczy*

REIDs – (ang. *Emerging and Re-Emerging Infectious Diseases*) Nowe i powracające choroby zakaźne, choroby, pojawiające się w danej populacji

RNA – (ang. *Ribonucleic Acid*) Kwas rybonukleinowy

RWD – (ang. *Real-World Data*) – Dane dotyczące stanu zdrowia pacjenta i/lub świadczenia opieki zdrowotnej pochodzące m. in. z rejestrów pacjentów, które pozwalają wnioskować o efektywności technologii w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej.

RWE – (ang. *Real-World Evidence*) – Dowód kliniczny dotyczący użycia i potencjalnych korzyści lub ryzyka związanego z produktem medycznym, pochodzącym z analizy danych rzeczywistych (RWD).

WES – (ang. *Whole-Exome Sequencing*) sekwencjonowanie całogzomowe, jeden z typów sekwencjonowania NGS stosowany do analizy sekwencji obszarów kodujących genomu (egzomu).

WGS – (ang. *Whole-Genome Sequencing*) sekwencjonowanie całogenomowe, jeden z typów sekwencjonowania NGS stosowany do analizy sekwencji kodujących i niekodujących, tj. całego genomu.

WHO – (ang. *World Health Organization*) Światowa Organizacja Zdrowia

WZW – Wirusowe Zapalenie Wątroby

ZUS – Zakład Ubezpieczeń Społecznych



1. Wstęp

1.1 Cel raportu

Celem raportu jest dokonanie rozpoznania bieżących **możliwości i trendów na rynku badań klinicznych** z perspektywy **potrzeb polskich pacjentów** oraz **systemu ochrony zdrowia** dla określenia **kluczowych obszarów** rekomendowanych do uwzględnienia w Planach Działalności ABM na kolejne lata.

Treści i wnioski przedstawione w ramach niniejszej analizy stanowią doprecyzowanie kierunków i obszarów określonych dotychczas w dokumentach Strategicznych ABM oraz są **merytorycznym uzasadnieniem dla poszczególnych obszarów kluczowych i elementów premiowanych**.

Trendy poruszane w niniejszym raporcie ogniskują się wokół szczególnie istotnych **priorytetów badawczo-rozwojowych**, które zazębiają się ze sobą tematycznie:

Medycyny Translacyjnej – rozwoju innowacyjnych biomarkerów oraz narzędzi diagnostycznych stanowiących podstawę do wdrażania terapii celowanych i spersonalizowanych;

Medycyny Cyfrowej – opartej m.in. o diagnostykę multiomiczną ze szczególnym uwzględnieniem sekwencjonowania nowej generacji (NGS), telemedycynę, terapie cyfrowe, analizy RWE/RWD, duże wolumeny danych i algorytmy AI;

Bezpieczeństwa Lekowego – zapewnienie substancji czynnych, leków generycznych i biopodobnych oraz terapii zaawansowanych produkowanych w Polsce w ramach budowania odporności systemu ochrony zdrowia na kryzysy ponadpaństwowe oraz realia starzejącego się społeczeństwa;

Nowoczesnych Schematów Badawczych – m.in. badań zdecentralizowanych, koszykowych, parasolowych, platformowych, czy badań typu N-of-1.

Raport stanowi również mapę potrzeb w określonych **obszarach terapeutycznych**:

- **Kardiologii** – z niską percepcją zagrożeń w świadomości społecznej,
- **Onkologii** – zwłaszcza nowotworów płuc,
- **Neurologii, psychiatrii i psychologii** – ze szczególnym uwzględnieniem chorób neurodegeneracyjnych,
- **Chorób autoimmunologicznych,**
- **Chorób zakaźnych,**
- **Chorób rzadkich i ultraradkich.**

Odpowiedzią Agencji na analizę klarujących się trendów i potrzeb są przedstawione w Rozdziale 8. **kluczowe obszary niekomercyjne, komercyjne i strategiczne** wraz ze szczegółowym uzasadnieniem, które stanowią syntezę wniosków z niniejszego raportu i dają podstawę do szerokiej debaty eksperckiej nad kształtem Planów Działalności Agencji na najbliższe lata.



1.2 Zespół analityczny Działu Nauki ABM

Raport przygotowano na przestrzeni marca-września 2023 r. w ramach Zespołu Projektowego Działu Nauki w składzie:

- Tymoteusz Iwańczuk – Rozdział 2
- Aleksandra Jakubiak – Rozdział 3 i 5
- Justyna Misiak – Rozdział 4 i 7
- Marzena Kucharczyk – Rozdział 6
- Wojciech Bodzan – Analizy ankietowe Barometru, figury i infografiki
- Dr inż. Katarzyna Kaczmarska – Organizacja prac Zespołu, redakcja naukowa Raportu
- Marcei Ragan – Nadzór nad projektem, redakcja naukowa Raportu

1.3 Metodologia

Analizy dokonano na podstawie ogólnodostępnych źródeł w postaci raportów, zestawień, statystyk i publikacji naukowych – zarówno ze stron instytucji publicznych, ogólnodostępnych baz danych jak i danych udostępnianych przez przedsiębiorstwa.

Analizę uzupełniono o **dane z własnych badań ankietowych** – na przełomie kwietnia i maja 2023 roku Zespół Projektowy przeprowadził badanie ankietowe „**Barometr Badań Klinicznych**”, w którym badano opinie: przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów, ekspertów (w tym głównych badaczy realizujących projekty badań klinicznych, konsultantów krajowych oraz ekspertów ABM opiniujących projekty) oraz przedstawicieli wytwórców leków, substancji czynnych i wyrobów medycznych.

Badanie zostało zrealizowane techniką CAWI. Zaproszenia do udziału w projekcie zostały rozesłane łącznie do 1065 przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów, ekspertów i firm działających w sektorze medycznym. Przy dystrybucji ankiet do ekspertów wykorzystano wsparcie Ministerstwa Zdrowia, a przy dystrybucji ankiet do firm wykorzystano wsparcie stowarzyszeń producentów leków oraz wyrobów medycznych. Ostatecznie zebrano 210 ankiet, które poddano szczegółowej analizie.

Poniższe rozdziały stanowią zatem efekt zestawienia wyników analiz ze źródeł otwartych i badania ankietowego będących podstawą do określenia propozycji obszarów kluczowych i elementów premiujących do Planów Działalności Agencji w kolejnych latach.

1.4 Istniejące dokumenty strategiczne ABM

Dotychczas w ramach działalności ABM opracowano dokumenty strategiczne stanowiące podstawę do realizacji konkursów na dofinansowanie projektów komercyjnych i niekomercyjnych oraz rozwoju ekosystemu badań klinicznych i nauk biomedycznych. Poniżej przedstawiona została chronologiczna lista programów wraz z ich późniejszymi aktualizacjami:

1. **Plan Rozwoju Badań Klinicznych na lata 2020–2025 (2019, aktualizacja 2022)**
2. **Rządowy Plan Rozwoju Sektora Biomedycznego na lata 2022–2031 (2022)**
3. **Plan Rozwoju Badań Epidemiologicznych na lata 2023–2033 (2022)**

Powyższe dokumenty określają ramy działalności Agencji, której głównym zadaniem jest rozwój i poprawa jakości badań klinicznych i eksperymentów badawczych w Polsce.

Dokumenty te wyznaczają kierunki i obszary tematyczne, cele i działania oraz źródła i zakresy finansowania w ramach organizowanych przez Agencję konkursów.



Niniejszy raport stanowi bardziej szczegółową analizę kierunków działań nakreślonych w ramach dokumentów strategicznych, wskazując kluczowe obszary, dla poprawy zdrowia Polaków oraz zwiększenia jakości systemu ochrony zdrowia, a także wskazuje działania wymagające największej uwagi i priorytetowych działań Agencji.

W ostatnich miesiącach sfinalizowano również pracę nad dwoma dokumentami strategicznymi Agencji:

4. Strategia Edukacyjna Agencji Badań Medycznych na lata 2023 – 2027 (04.2023)

Dokument opracowany w 2023 roku, określa cele oraz ramy tematyczne działalności edukacyjnej jako nowego obszaru aktywności Agencji. Dokument ten stanowi podstawę działań na rzecz rozwoju kompetencji członków zespołów badawczych prowadzących badania kliniczne w Polsce, kształcenia studentów w zakresie badań biomedycznych, rozwoju kompetencji innowatorów rynku biomedycznego w obszarze komercjalizacji wyników badań i wdrażania ich do praktyki klinicznej, a także promowania szczególnie istotnej roli pacjenta w badaniach biomedycznych ze szczególnym uwzględnieniem badań klinicznych.

5. Program Rozwoju Medycyny Translacyjnej na lata 2024 – 2036 (09.2023)

Dokument stanowi dopełnienie powyższej listy i wyznacza obszary działalności Agencji, które mają na celu rozwój wdrożeń biomedycznych w Polsce od badań podstawowych aplikacyjnych, przez badania przedkliniczne, kliniczne, aż po rejestrację i wprowadzenie do praktyki klinicznej. Cele przedstawione w ramach strategii skupiają się na wsparciu obszarów badawczo-rozwojowych (konkursy TransMED SEED), obszarów wdrożeniowych (konkursy TransMED SPIN) oraz platformy edukacyjno-szkoleniowej stanowiącej przestrzeń na uzupełnienie kompetencji, komunikacji i współpracy w polskim ekosystemie badań i wdrożeń biomedycznych.



2. Potrzeby polskich pacjentów – analiza perspektywy i percepcji zagrożeń zdrowotnych

Podstawą wspierania rozwoju sektora badań biomedycznych jest dostęp do wiarygodnych informacji na temat stanu zdrowia społeczeństwa, dzięki którym można najefektywniej alokować ograniczone środki na najbardziej istotne potrzeby zdrowotne. Narzędziami umożliwiającymi rozpoczęcie identyfikacji najistotniejszych problemów zdrowotnych populacji są m.in. prognozy zmian demograficznych oraz analizy epidemiologiczne, które w niniejszym rozdziale zestawiamy z opiniami ekspertów i stowarzyszeń pacjentów.

2.1 Zmiany demograficzne populacji polskiej – starzenie się społeczeństwa katalizatorem epidemii chorób przewlekłych i wielochorobowości

W 2021 r. przeciętna długość życia mężczyzn wynosiła blisko 72 lat, a kobiet 80 lat. Długość życia systematycznie wydłużała się od początku lat 90 do 2014 r. W latach 2014-2019 wzrost ten uległ zahamowaniu u mężczyzn, a w przypadku kobiet w latach 2016-2019 wystąpił nawet trend spadkowy. W latach 2020-2021 w wyniku **pandemii COVID-19** zaobserwowano bezprecedensowe skrócenie długości życia ludności Polski. W porównaniu z wartością z 2019 r. długość życia w 2021 r. była **krótsza o 2,3 roku** u mężczyzn i **2,1 roku** u kobiet. W opracowaniu MZ "Polityka Lekowa Państwa 2018-2022" zwrócono uwagę na dwie kluczowe kwestie:

Konsekwencją zmian w strukturze demograficznej będzie istotny wzrost zapadalności i zachorowalności w grupie wiekowej 65+ w zakresie **chorób przewlekłych**.

- obserwowany istotny spadek liczby ludności w Polsce,
- narastający proces starzenia się polskiego społeczeństwa.

W efekcie MZ prognozuje, że w roku 2035 co czwarty, a w **2050 r. co trzeci Polak będzie miał ukończony 65 rok życia**¹.

Konsekwencją zmian w strukturze demograficznej będzie istotny wzrost zapadalności i chorobowości w grupie wiekowej 65+ w zakresie **chorób przewlekłych**, głównie **chorób układu krążenia i chorób nowotworowych**, ale także **cukrzycy, chorób układu oddechowego**, chorób ośrodkowego układu nerwowego (**choroby neurodegeneracyjne i psychiatryczne**). Wzrost częstotliwości występowania chorób przewlekłych będzie przekładał się na wzrost występowania **wielochorobowości**².

Według opracowania przygotowanego na zlecenie Polskiego Związku Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego w Unii Europejskiej populacja 65+ odpowiada za 40% ogólnego zapotrzebowania na leki na receptę. Biorąc pod uwagę powyższe prognozy, należy liczyć się z **coraz większym zapotrzebowaniem na świadczenia zdrowotne**, w tym na nowe, skuteczne i bezpieczne terapie lekowe³.

1 Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego PZH – Państwowy Instytut Badawczy, Sytuacja zdrowotna ludności Polski i jej uwarunkowania 2022, Warszawa 2022

2 Ministerstwo Zdrowia, Polityka lekowa państwa 2018-2022, <https://www.gov.pl/attachment/bb36ad25-4342-4000-bfaa-64004c64a62c>

3 Program rozwoju krajowego przemysłu farmaceutycznego do roku 2030. Instytut badań nad gospodarką rynkową, opracowanie przygotowane na zlecenie Polskiego Związku Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego Warszawa, Listopad 2013



2.2 Trendy epidemiologiczne i percepcja zagrożeń dla populacji polskiej – dominacja chorób kardiologicznych, onkologicznych, psychiatrycznych i cywilizacyjnych

Kolejnym etapem identyfikacji najistotniejszych problemów zdrowotnych populacji jest analiza wybranych **paramentów epidemiologicznych** oraz **opinii środowisk medycznych**. Podstawowym parametrem umożliwiającym uszeregowanie występujących chorób według istotności obciążenia jest udział zgonów w podziale na przyczyny. Zgodnie z danymi GUS dotyczącymi 2021 roku⁴ głównymi przyczynami zgonów w Polsce jako odsetka względem wszystkich zgonów, są:

1. choroby układu krążenia – 34,79%,
2. nowotwory – 19,61%,
3. COVID-19 – 17,35%,
4. choroby układu oddechowego – 5,42%,
5. zewnętrzne przyczyny zachorowania i zgonu – 4,17%,
6. choroby układu pokarmowego 3,98%,
7. zaburzenia wydzielania wewnętrznego, stanu odżywienia i przemian metabolicznych – 2,24%,
8. choroby układu nerwowego – 1,66%
9. choroby układu moczowo-płciowego – 1,18%
10. inne, przyczyny niedokładnie określone – 7,07%,

Należy podkreślić, że pandemia **COVID-19** znacząco wpłynęła na sytuację epidemiologiczną w Polsce, a wirus SARS-CoV-2 stał się **czwartą w 2020 r. i trzecią w 2021 r. najczęstszą przyczyną zgonów**. Szczegółowa analiza chorób układu krążenia pokazuje, że największy wpływ na liczbę zgonów w 2019 r. miały trzy wskazania:

1. choroba niedokrwienna serca (97,2 tys.),
2. udar (45,1 tys.),
3. kardiomiopatie i zapalenie mięśnia sercowego (11 tys.).

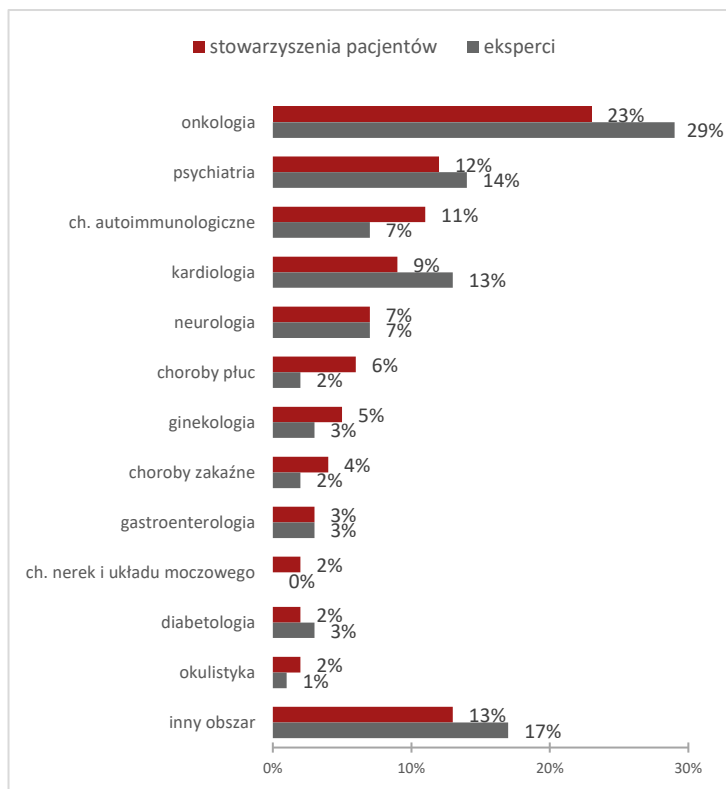
Wymienione problemy zdrowotne odpowiadały w 2019 r. za 38% zgonów⁵.

Choroby onkologiczne stanowią drugie, po chorobach układu sercowo-naczyniowego, obciążenie społeczeństwa pod względem śmiertelności. Zmniejszenie zapadalności oraz przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów jest jednym z kluczowych priorytetów zdrowotnych postulowanych przez MZ.

⁴ Mapy potrzeb zdrowotnych

<https://basiw.mz.gov.pl/mapy-informacje/mapa-2022-2026/analizy/epidemiologia/epidemiologia-wersja-polska-gus-i-nfz/>

⁵ Obwieszczenie ministra zdrowia z dnia 27 sierpnia 2021 r. w sprawie mapy potrzeb zdrowotnych



Rysunek 1 Obszary medycyny, które powinny być w pierwszej kolejności wspierane przez ABM, aby usprawnić system ochrony zdrowia – odpowiedzi ankietowe przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów (N=94 odpowiedzi) oraz ekspertów (N= 181 odpowiedzi, metodologia: CAWI). **Onkologia, psychiatria i choroby autoimmunologiczne** stanowią łącznie blisko połowę odpowiedzi zarówno stowarzyszeń pacjentów, jak i ekspertów, co świadczy o kluczowym znaczeniu tych obszarów niezależnie od perspektywy. Eksperti w odróżnieniu od pacjentów **większe zagrożenie dostrzegają jednak w chorobach onkologicznych i kardiologicznych**, natomiast stowarzyszenia pacjentów w porównaniu z ekspertami **większy nacisk kładą na choroby autoimmunologiczne, choroby płuc, ginekologię czy choroby zakaźne**.

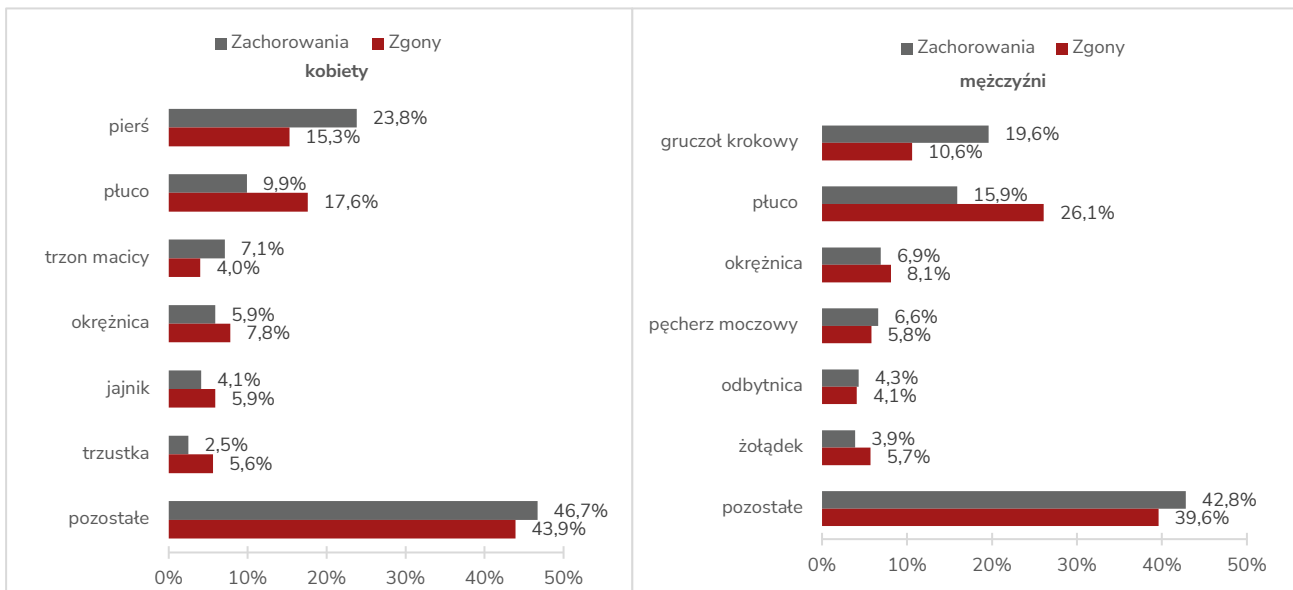
W celu dalszej szczegółowej oceny zagrożeń ze strony chorób onkologicznych wykonana została **analiza struktury zachorowań i zgonów** z podziałem na typy chorób nowotworowych. Wyniki raportu opartego na danych z Krajowego Rejestru Nowotworów wskazują na występowanie znacznego zróżnicowania w występowaniu poszczególnych nowotworów w zależności od płci – nowotwory piersi, gruczołu krokowego, płuc okrężnicy czy trzonu macicy jawią się jako główne zagrożenia nowotworowe w populacji polskiej (Ryc. 2).⁶ Szczególnie istotny jest **wysoki odsetek zgonów dla nowotworów płuc** w porównaniu z odsetkiem zachorowań, co może świadczyć zarówno o nieskuteczności oferowanych dotychczas terapii, jak też zbyt późnej diagnostyce pacjentów. Jednakże niezależnie od różnic między płciami wyraźne jest **wysokie rozdrobnienie zarówno zachorowań i zgonów na jednostki chorobowe klasyfikowane jako „pozostałe”** stanowiące blisko połowę wszystkich zdarzeń.

Priorytety MZ w tym zakresie są w pełni zgodne z opiniami zgłoszonymi zarówno przez stowarzyszenia pacjentów, jak również ekspertów w ramach badania ankietowego ABM (Rys. 1.).

Można zaobserwować **wyraźną różnicę w percepcji zagrożeń i potrzeb pomiędzy stowarzyszeniami pacjentów a ekspertami** – zwłaszcza w przypadku kardiologii, psychiatrii, chorób płuc i chorób autoimmunologicznych. Niemniej, pomimo różnic, onkologia prawie dwa razy częściej niż druga w kolejności psychiatria była wskazywana, zarówno przez przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów jak i ekspertów, jako kluczowy obszar medycyny wymagający wsparcia finansowego.

Zaskakująca jest jednak **stosunkowo niska percepcja zagrożeń, zwłaszcza wśród przedstawicieli pacjentów, ze strony chorób kardiologicznych**. W odniesieniu do przedstawionej dominacji kardiologii wśród zgonów i zachorowań w Polsce, niski wskaźnik ankietowy dla kardiologia a także dla chorób zakaźnych może wskazywać na post-pandemiczny charakter percepcji zagrożeń.

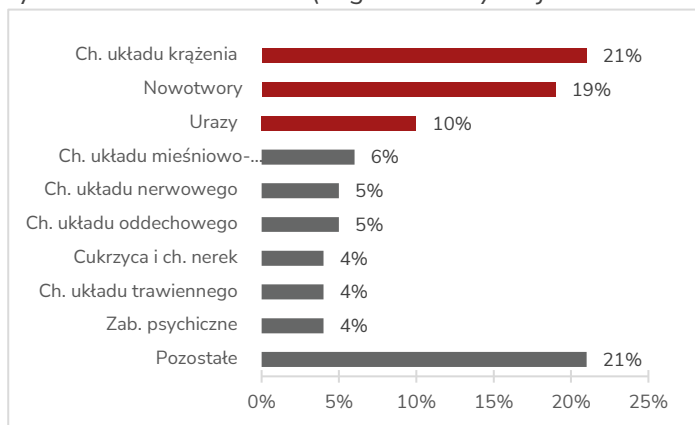
⁶ Raport KRN. Nowotwory złośliwe w Polsce w 2020 roku. Ministerstwo Zdrowia 2022.



Rysunek 2 Struktura zachorowań i zgonów na nowotwory złośliwe wśród kobiet i mężczyzn z podziałem na poszczególne organy na podstawie danych Krajowego Rejestru Nowotworów za 2020 r. Poza istotnym problemem zdrowotnym wynikającym z nowotworów piersi i gruczołu krokowego wysoce niekorzystny stosunek zachorowań do zgonów u obu płci obserwuje się m.in. dla nowotworów płuc oraz okrężnicy.

2.4 Analiza wpływu chorób, urazów i czynników ryzyka w populacji polskiej – znaczny wpływ czynników behawioralno-metabolicznych oraz zagrożeń ze strony onkologii, kardiologii i medycyny urazowej

Identyfikację najważniejszych zagrożeń epidemiologicznych i potrzeb populacji polskiej można także przeprowadzić w oparciu o wyniki raportu *Global Burden of Disease (GBD)* opracowanego przez *Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME)*. Badanie GBD miało na celu określenie skali utraty zdrowia z powodu chorób, urazów i czynników ryzyka. W ramach metodyki GBD jako główny miernik obciążeń chorobowych społeczeństw wykorzystano wskaźnik DALY (ang. *Disability Adjusted Life-Years* – lata życia skorygowane niesprawnością). DALY jest sumą dwóch subwskaźników – liczby utraconych lat życia z powodu przedwczesnego zgonu (ang. *Years of life lost* – YLL) oraz liczby lat przeżytych w niesprawności (ang. *Years Lived with Disability* – YLD). DALY o wartości jeden interpretuje się zatem jako jeden rok utraconego życia w pełnym zdrowiu⁷. Na podstawie wartości wskaźnika DALY zaobserwowano, że w Polsce w 2019 r. choroby układu krążenia, nowotwory, urazy oraz choroby układu



Rysunek 3 Najważniejsze grupy problemów zdrowotnych wg DALY w 2019 r. Równo połowę lat życia w zdrowiu Polacy tracą z powodu chorób układu krążenia, nowotworów oraz urazów.

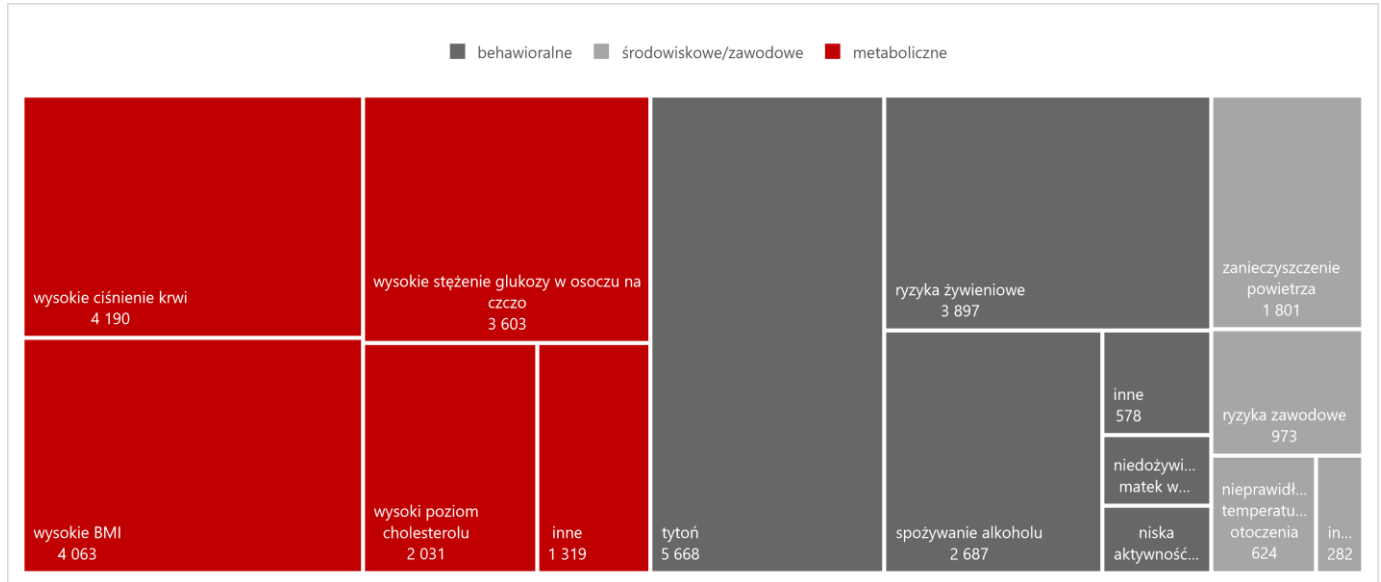
⁷ AOTMiT (<https://www.aotm.gov.pl/projekty-aotmit/gbd/>), Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego PZH - Państwowy Instytut Badawczy. Sytuacja zdrowotna, ludności Polski i jej uwarunkowania 2022. Warszawa 2022; Mapy Potrzeb Zdrowotnych

mięśniowo-szkieletowego są najczęstszą przyczyną utraconych lat życia w zdrowiu⁸ (Ryc. 3).

Kolejnym parametrem bazującym na metodyce GBD mogącym dobrze zobrazować stan zdrowia populacji jest ocena wpływu czynników ryzyka. Znajomość kluczowych czynników ryzyka pozwala w odpowiedni sposób poprzez politykę zdrowotną eliminować i zmniejszać narażenie na znane czynniki, co w dłuższej perspektywie przełożyć się może na obniżenie zachorowalności i w rezultacie wydłużenie długości i jakości życia. Analiza czynników ryzyka w Polsce została przeprowadzona poprzez przedstawienie ich wpływu na DALY i zgony (Ryc. 4). Udział głównych grup czynników ryzyka w Polsce w przeliczeniu na **DALY** i **zgony** wynosi odpowiednio dla⁹:

- behawioralnych czynników ryzyka – **48,5%** i **44,36%** (m.in. tytoń, ryzyka żywieniowe, spożywanie alkoholu, niedożywienie matek w ciąży, niska aktywność fizyczna, ryzykowne zachowania seksualne)
- Środowiskowych, zawodowych czynników ryzyka – **14,16%** i **13,99%** (m.in. zanieczyszczenie powietrza, ryzyka zawodowe, nieprawidłowa temperatura otoczenia, inne zagrożenia środowiskowe)
- metabolicznych czynników ryzyka – **37,34%** i **41,65%** (m.in. wysokie ciśnienie krwi, wysokie BMI, wysokie stężenie glukozy w osoczu na czczo, wysoki poziom cholesterolu, zaburzenia czynności nerek).

Specyfika przedstawionych czynników ryzyka jest etiologicznie powiązana z głównymi problemami zdrowotnymi – chorobami układu krążenia i nowotworami – co może świadczyć o złożonej przyczynowości behawioralno-metabolicznej tych chorób w populacji polskiej. Do potwierdzenia tych zależności i przyczynowości konieczne są jednak dobrze zaprojektowane badania epidemiologiczne, a do redukcji tego ryzyka niezbędne będzie poszukiwanie nowoczesnych rozwiązań diagnostyczno-prewencyjnych i wdrożenie działań edukacyjnych.



Rysunek 4 Udział czynników ryzyka w Polsce w 2019 r. (DALY na 100 tys. ludności). Czynniki behawioralne (m. in.: tytoń, alkohol, dieta) w największym stopniu wpływają na DALY.

8 Ministerstwo Zdrowia. Załącznik do uchwały nr 196/2021 Rady Ministrów z dnia 27 grudnia 2021 r. Zdrowa Przyszłość. Ramy strategiczne rozwoju systemu ochrony zdrowia na lata 2021–2027, z perspektywą do 2030 r

9 Obwieszczenie ministra zdrowia z dnia 27 sierpnia 2021 r. w sprawie mapy potrzeb zdrowotnych (<https://basiw.mz.gov.pl/mapy-informacje/mapa-2022-2026/analizy/czynniki-ryzyka-i-profilaktyka/>)



2.3 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe

Analiza sytuacji epidemiologicznej i demograficznej oraz percepcji zagrożeń zdrowotnych w Polsce pokazuje, że konsekwentnie choroby **układu krążenia i onkologia** stanowią największe wyzwanie dla systemu ochrony zdrowia – problemy zdrowotne w tych dwóch obszarach odpowiadają łącznie za 54% wszystkich zgonów oraz w 40% za utratę lat życia w zdrowiu (DALY) odpowiednio w 2021 oraz w 2019 roku. Bardziej szczegółowe analizy w obszarze onkologii wskazują z jednej strony na **wysokie rozdrobnienie zagrożeń** ze strony onkologicznych jednostek chorobowych (blisko 50% wszystkich zdarzeń zarejestrowano dla jednostek o stosunkowo niskim proporcjonalnym udziale w strukturze zachorowań i zgonów), a z drugiej strony obserwowana jest **wysoka skala ryzyka ze strony nowotworów płuc, piersi, gruczołu krokowego, trzonu macicy i okrężnicy**. Przypadek **nowotworów płuc jest szczególnie istotny**, ze względu na znacznie wyższy stosunek zgonów do zachorowań niż w przypadku nowotworów innych organów.

W przypadku zagrożeń kardiologicznych szczególnie istotną rolę odgrywa kolejno **choroba niedokrwienna serca, udar, kardiomiopatie i zapalenie mięśnia sercowego**.

Zmiany demograficzne wskazują ponadto na zwiększające się zapotrzebowanie na leki, a co za tym idzie również **substancje czynne**.

Percepcja społeczeństwa dotycząca zagrożeń w obszarze onkologii jest adekwatna do skali problemu, natomiast **świadomość zagrożeń kardiologicznych wydaje się niewystarczająca, wymagająca wsparcia edukacyjnego**.

Obserwowany jest efekt postpandemicznego obniżenia percepcji zagrożeń w obszarze chorób zakaźnych. Wyraźnie wyższe jest zainteresowanie zarówno pacjentów jak i ekspertów wsparciem **psychiatrii, neurologii** oraz obszaru **chorób autoimmunologicznych** w porównaniu z bezpośrednimi przyczynami zgonów i zachorowań oraz wpływem wskaźnika DALY.

W oparciu o powyższe wnioski można proponować wdrożenie w przyszłości działań w następujących obszarach kluczowych:

- 1. Rozwój Niekomercyjnych Badań Klinicznych w obszarze onkologii** z premiowaniem określonych typów nowotworów, ze szczególnym uwzględnieniem nowotworów płuc oraz **nowoczesnych protokołów badań klinicznych** – badań parasolowych, koszykowych, platformowych i ich kombinacji – ze względu zarówno na rozdrobnienie zagrożeń onkologicznych, jak i obecności kilku najbardziej najgorzej rokujących typów nowotworów.
- 2. Rozwój Niekomercyjnych Badań Klinicznych i eksperymentów badawczych** z premiowaniem badań w obszarze chorób **kardiologicznych, autoimmunologicznych i psychiatryczno-neurologicznych**, a także chorób **zakaźnych**. Ponadto ze względu na niską świadomość społeczną i ekspercką w obszarze zagrożeń kardiologicznych, którą Agencja obserwuje również na poziomie rekrutacji do obecnie prowadzonych badań klinicznych w obszarze kardiologii, niezbędne będzie opracowanie mechanizmów edukacyjnych i budowania świadomości w tym obszarze.
- 3. Rozwój badań epidemiologicznych** skierowany na badania zależności między **behawioralnymi i metabolicznymi czynnikami ryzyka**, a ich wpływem na **zagrożenia sercowo-naczyniowe i onkologiczne**, zwłaszcza nowotwory płuc, piersi i stercza, oraz chorobę niedokrwieną serca, udar oraz kardiomiopatię i zapalenie mięśnia sercowego.

4. **Wsparcie Edukacji** skierowanej na profilaktykę chorób kardiologicznych, redukcję wpływu powyższych czynników ryzyka oraz budowę świadomości zagrożeń i prewencji pod kątem chorób sercowo-naczyniowych.
5. **Wsparcie produkcji substancji czynnych** – Starzejące się społeczeństwo będzie zwiększało zależność systemu ochrony zdrowia od stabilnego dostępu do leków, ich substancji czynnych i surowców farmaceutycznych. Niezbędne będzie budowanie krajowych zdolności produkcji wybranych API kluczowych dla grupy 65+.
6. **Działania prewencyjne na wypadek potencjalnych pandemii** – doświadczenia pandemii COVID-19 na poziomie skokowego wzrostu śmiertelności jak również szybka utrata percepcji zagrożeń ze strony chorób zakaźnych wśród ekspertów i pacjentów wskazują na konieczność wczesnego przygotowania szkieletowych protokołów badań klinicznych – *Master Clinical Trial* (MCT) – w ramach przygotowań do potencjalnych epidemii/pandemii nowych lub powracających chorób zakaźnych (ang. *Emerging and Re-Emerging Infectious Diseases*, REIDs).

3. Kierunki rozwoju polskiego systemu ochrony zdrowia

3.1 Mapa potrzeb – jasna i poprawna ścieżka diagnostyczno-terapeutyczna pacjenta odpowiedział na zidentyfikowane problemy zdrowotne i bariery dostępu do świadczeń



Rysunek 5. Piramida potrzeb interesariuszy sektora medycznego – klinicystów i pacjenta podczas realizacji ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej.⁷⁻¹⁰

Piramida potrzeb (Ryc. 5) pomimo, że nie została opracowana pod kątem potrzeb pacjentów i systemu ochrony zdrowia, często jest wykorzystywana do lepszego zrozumienia różnych aspektów opieki nad pacjentami i może wskazywać kierunki rozwoju sektorów medycznych^{10,11,12,13}.

Specjaliści i naukowcy z obszaru nauk biomedycznych koncentrując się na rozwiązaniach technologii wysokich, nie powinni zapominać o podstawowych piętrach piramidy potrzeb. Analiza obecnego stanu wiedzy jednoznacznie wskazuje, że najbardziej istotne bariery w pełnym korzystaniu z usług systemu opieki

zdrowotnej dotyczą obszarów związanych z potrzebami podstawowymi⁷⁻¹⁰. Wciąż najwięcej niezaspokojonych potrzeb mieści się w domenie bezpieczeństwa pacjenta i lekarza podczas ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej, sprowadzając się do uzyskiwania prawidłowego, potwierdzonego

¹⁰ Surani Hayre-Kwan, et al. *Nursing and Maslow's Hierarchy: A Health Care Pyramid Approach to Safety and Security During a Global Pandemic*. *Nurse Lead*. 2021 Dec;19(6):590-595. DOI: 10.1016/j.mnl.2021.08.013

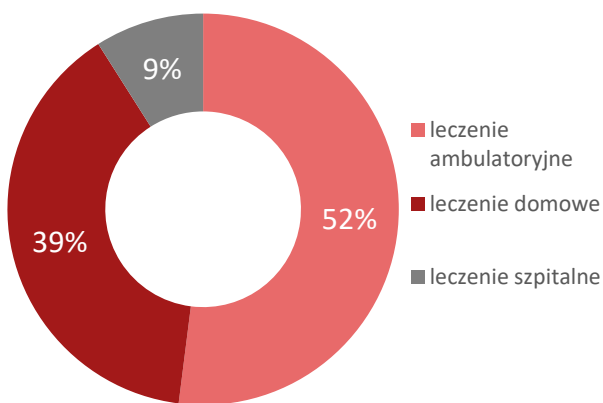
¹¹ Maslows Hierarchy of needs and its Application in the Healthcare Industry; <http://www.actforlibraries.org>. *Social Science*.

¹² Thijs van Iersel et al, *The Patient Motivation Pyramid and Patient-Centricity in Early Clinical Development*. *PumMed*. DOI: 10.2174/1574884716666210427115820.

¹³ Maria Emfietzoglou, *Maslow's Hierarchy of Needs in Nursing*. *Osmosis from Elsevier*.

rozpoznania, właściwej komunikacji między pacjentem, a personelem medycznym, (tj. sprawnego przekazywania zrozumiałej, prawdziwej, pełnej informacji) czy zastosowania adekwatnej terapii i bezpiecznych rozwiązań leczniczych. Popularny obecnie pacjentocentryczny trend w opiece zdrowotnej można również interpretować w kontekście **medycyny narracyjnej**, gdzie coraz częściej nacisk stawiany jest nie tylko na perspektywę pacjenta, a rolę **wsparcia komunikacji i zrozumienia pomiędzy lekarzem a pacjentem**, zwłaszcza w przypadku przechodzenia z modelu systemu opieki zdrowia opartego na leczeniu chorób w kierunku **prewencji chorób i opieki spersonalizowanej**.^{14,15}

W obecnym systemie opieki zdrowotnej koszty diagnostyki kryją się w kosztach kompleksowej procedury terapeutycznej. Dlatego też rzadziej stosuje się dostępne zaawansowane, ale droższe metody diagnostyczne, alokując tym samym większą część kosztów na leczenie. Lekarzy wciąż obowiązuje sztywny budżet (tzw. stawka kapitacyjna), która wynosi do 191,88 złotych rocznie. Między innymi z tego powodu 85% procedur z zakresu diagnostyki laboratoryjnej odbywa się w szpitalach, do których pacjent często zgłasza się już w zaawansowanym stadium choroby. Tylko 3% badań zlecają lekarze POZ, natomiast około 10% przypada na ambulatoryjną opiekę specjalistyczną (AOS)¹⁶.



Rysunek 6. System leczenia najbardziej pożądanym przez pacjentów. Odpowiedzi przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów. Metodologia: CAWI, N=82 odpowiedzi. Najbardziej pożądanym przez pacjentów jest leczenie ambulatoryjne i domowe. Zdecydowana większość pacjentów wolałaby uniknąć leczenia szpitalnego.

Tymczasem oczekiwania pacjentów wyrażone w ramach analizy ankietowej ABM wskazują na zupełnie inne preferencje pacjentów w zakresie najbardziej pożądanego systemu leczenia. Leczenie szpitalne jako optymalne rozwiązanie wskazywane jest **jedynie w 9% przypadków, dominuje natomiast preferencja leczenia ambulatoryjnego i domowego** (Ryc. 6). Potrzeby te są bardzo dobrze dostrzegane przez rynek – zdaniem przedstawicieli wytwórców leków, substancji czynnych i wyrobów medycznych najbardziej pożądanym przez pacjentów systemem leczenia to **leczenie domowe (45% wskazań)**, a w dalszej kolejności **leczenie ambulatoryjne (42% wskazań)** (Metodologia: CAWI, N=31 odpowiedzi).

Droższe procedury diagnostyczne i metody badawcze są limitowane, co jest błędem strategicznym, gdyż całkowity koszt leczenia na zaawansowanym etapie rozwoju choroby jest znacznie wyższy ekonomicznie i społecznie niż inwestycja w poszerzoną diagnostykę i optymalne leczenie na wcześniejszym etapie rozwoju choroby. Dlatego niezbędne wydaje się wprowadzenie powszechnego panelu badań przesiewowych podczas wizyt odbywanych w ramach podstawowej opieki zdrowotnej, zwłaszcza w kierunku chorób kardiologicznych, onkologicznych i metabolicznych. Przykładem może

14 Milota, M.M., Van Thiel, G.J.M.W., Van Delden, J.J.M., 2019. Narrative medicine as a medical education tool: A systematic review. *Medical Teacher* 41, 802–810. <https://doi.org/10.1080/0142159x.2019.1584274>

15 Magdalena Szpilman Doctor–Patient Communication as a Symptom of Damaged Humanity: A Point of Departure for Doctor–Oriented Narrative Medicine. *Rozprawa doktorska Artes Liberales UW 2023*

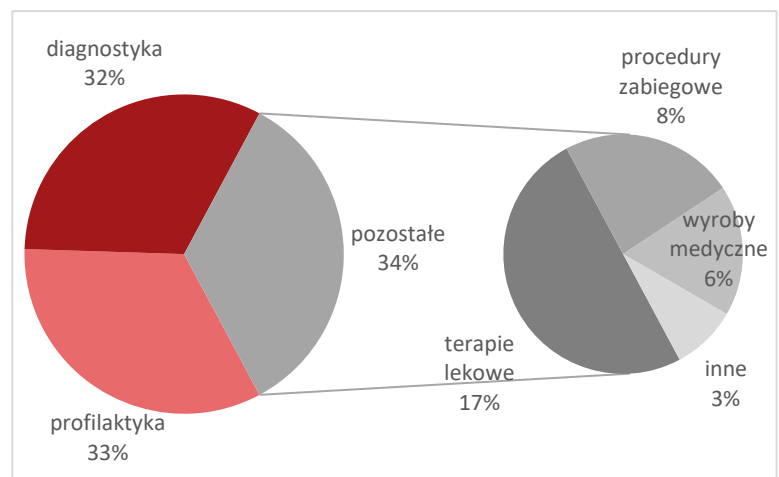
16 NIK. Raport. Dostępność i finansowanie diagnostyki laboratoryjnej. KZD.430.001.2017.

być prokalcytonina, której poziom rośnie na wczesnych etapach chorób o podłożu bakteryjnym, zapalnym czy nowotworowym znacznie wcześniej zanim pojawią się objawy kliniczne.^{17,18}

Ponadto niezbędne jest **opracowanie jasnych ścieżek diagnostycznych** prowadzących do prawidłowego rozpoznania w momencie, gdy pacjent zgłasza się do lekarza z objawami klinicznymi. Mimo finansowania ze środków publicznych wielu procedur i terapii, odpowiedzialność za doprowadzenie do końcowej diagnozy w dużej mierze spoczywa na pacjencie. Wynika to z faktu, że lekarz pierwszego kontaktu lub specjalista zleca określone badania w sposób zachowawczy uwzględniając fakt zawarcia diagnostyki w kosztach procedury. Dodatkowo lekarz często nie ma dostępu do pełnej historii medycznej pacjenta co może prowadzić do nieefektywnego lub nadmiarowego zlecenia badań diagnostycznych, bądź też błędnej diagnozy opartej na częściowych danych bez szerszego kontekstu informacyjnego. Często na skutek braku możliwości postawienia rozpoznania, zdarza się, że ścieżka diagnostyczna ulega przerwaniu co prowadzi do progresji choroby i konieczności zastosowania trudniejszych i droższych metod terapeutycznych na późniejszych etapach leczenia. Zatem, **opracowanie algorytmów diagnostycznych**, które umożliwią postawienie końcowej, potwierdzonej diagnozy bez utraty widoczności pacjenta w systemie, nawet przy zmianie specjalistów, jest niezbędnym etapem rozwoju systemu ochrony zdrowia. Dotyczy to zarówno sytuacji, gdy chory zgłasza się z objawami klinicznymi lub gdy zostały zidentyfikowane objawy patologiczne podczas wizyt przesiewowych. Najistotniejsze rodzaje interwencji podejmowane wobec pacjentów zostały zasygnalizowane w badaniu ankietowym ABM (Ryc. 7).

Szczegółnej uwagi w obszarze diagnostyki wymagają:

- algorytmy diagnostyki onkologicznej ze szczególnym uwzględnieniem nowotworów neuroendokrynych¹⁹ takich jak: chłoniaki i białaczki (powszechne zastosowanie metod cytometrii przepływowej), rakowiaki (prewencja przetłomu), neurofibromatozy, glejaki²⁰ i mięsaki²¹;
- choroby neurodegeneracyjne z naciskiem na schorzenia otępienne, opracowanie ścieżek diagnostycznych umożliwiających identyfikację pacjentów z patologicznym poziomem biomarkerów na bardzo wczesnym etapie choroby, dawałoby szansę na skuteczną prewencję i



Rysunek 7. Rodzaje interwencji najistotniejsze dla poprawy systemu ochrony zdrowia, odpowiedzi ekspertów. Metodologia: CAWI, N=117 odpowiedzi. Profilaktyka z diagnostyką stanowią 2/3 odpowiedzi ekspertów, co świadczy o konieczności rozwoju nowoczesnych rozwiązań w obszarach diagnostyki in vitro i diagnostyki obrazowej, poszukiwania **nowych biomarkerów** i rozwijanie szeroko pojętej **cyfryzacji**.

17 Violetta Dymicka-Piekarska, Alicja Wasiluk. Prokalcytonina (PCT), współczesny wskaźnik infekcji i stanów zapalnych Postępy Hig Med Dosw 2015; 69: 723-728. DOI: 10.5604/17322693.1158796

18 Sarhadi, V.K. et al. Molecular Biomarkers in Cancer. Biomolecules 2022. <https://doi.org/10.3390/biom12081021>

19 Kos-Kudła B., Blicharz-Dorniak J., Strzelczyk J. i wsp. Diagnostic and therapeutic guidelines for gastro-entero-pancreatic neuroendocrine neoplasms (recommended by the Polish Network of Neuroendocrine Tumours). Endokrynol Pol 2017; 68 (2): 79-110.

20 Anna Szotkiewicz, Elżbieta Adamkiewicz- -Drożyńska, Anna Balcerska. Guzy ośrodkowego układu nerwowego u dzieci — analiza objawów i propozycje diagnostyczne. Forum Medycyny Rodzinnej 2009, tom 3, nr 3, 181-185. 2009 Via Medica ISSN 1897-3590.

21 Piotr Rutkowski1 et al. Zalecenia dotyczące postępowania diagnostyczno-terapeutycznego u chorych na pierwotne nowotwory złośliwe kości. Biuletyn Polskiego Towarzystwa Onkologicznego NOWOTWORY 2016, tom 1, nr 3, 284-297. Polskie Towarzystwo Onkologiczne ISSN 2543-5248 www.biuletyn.nowotwory.edu.pl



zahamowanie progresji choroby co w obliczu starzejącego się społeczeństwa ma niebagatelne znaczenie²²;

- wyspecjalizowane centra diagnostyczne dla pacjentów z nieswoistymi objawami klinicznymi lub chorobami rzadkimi, nastrożającymi trudności w postawieniu rozpoznania nawet doświadczonym klinicytom,
- zastosowanie narzędzi rozszerzonej rzeczywistości (AR) i sztucznej inteligencji (AI) celem wspierania profesjonalistów medycznych w postępowaniu na ścieżce diagnostycznej²³.

Według ekspertów rynku medycznego, poza poradą diagnostyczną i szerszymi możliwościami zlecenia badań laboratoryjnych, niezbędny jest **dostęp do kompleksowej informacji o zdrowiu**. Mechanizm indywidualnego konta pacjenta (IKP) sprawdził się w trakcie pandemii COVID-19, jednak nadal istnieje szereg niezaspokojonych potrzeb na poziomie poszczególnych jednostek ochrony zdrowia w obszarze **wsparcia procesu diagnostycznego i terapeutycznego w oparciu o dane**. Niezbędne w tym celu będzie kontynuowanie w perspektywie wieloletniej **rozwoju Sieci Centrów Medycyny Cyfrowej oraz roli Agencji** w tworzeniu **Centralnego Repozytorium Danych Omicznych** i późniejszych centralnych analiz populacyjnych GWAS. Wyniki z takich badań w połączeniu z danymi innych systemów medycznych pozwolą w przyszłości na personalizację terapii oraz zapewnienie precyzyjnych narzędzi prewencyjnych dla poszczególnych interesariuszy systemu ochrony zdrowia.

W kontekście aktualnych dynamicznych zmian oraz rywalizacji międzynarodowej niezbędne jest wypracowanie nowej strategii i wsparcia systemowego w obszarze **bezpieczeństwa lekowego i biotechnologicznego**²⁴. W ostatnich dekadach Stany Zjednoczone i Europa ze względów ekonomicznych w większości przeniósły produkcję substancji czynnych (API) i półproduktów leczniczych do Azji doprowadzając do nierównomiernego podziału produkcji API w poszczególnych regionach świata. **Obecnie około 50% produkcji jest realizowane w Chinach, około 20% w Indiach, natomiast pozostałe 30% jest realizowane głównie w Europie i Stanach Zjednoczonych**²⁵. Kraje azjatyckie kontrolują zdecydowaną większość produkcji substancji czynnych w obszarach chorób krytycznych, np. cukrzycy, na którą choruje ponad 2 mln Polaków. W przypadku ograniczenia dostaw API, bezpieczeństwo lekowe Polaków może być zagrożone. Leki obecne na rynku polskim zawierają w swoim składzie ok. 2 tysięcy substancji czynnych, natomiast lista kluczowych produktów leczniczych Światowej Organizacji Zdrowia (WHO) zawiera ok. 500-600 substancji o krytycznym znaczeniu dla systemów ochrony zdrowia. W Polsce produkuje się zaledwie ok. 100 substancji czynnych, spośród których większość nie widnieje na wspomnianej liście WHO. W Europie produkuje się obecnie tylko dwa typy API. Pierwszym są nowe cząsteczki, na których firmy innowacyjne mają wysokie marże, dlatego strzegą tajemnicy technologicznej i produkują na rodzimym rynku. Jednak wraz z końcem ochrony patentowej, prawdopodobnie i te trafią do azjatyckich fabryk. Drugim typem substancji są te, które są stosowane w wąskich niszach produktowych np. leki na choroby sierocy, które z powodów niskich wolumenów sprzedaży nie są atrakcyjne dla rynków azjatyckich. To dwie główne nisze, w których Europa może obecnie konkurować z Chinami w zakresie produkcji API.

Kolejnym istotnym trendem z punktu widzenia systemu ochrony zdrowia **jest wykorzystanie teranostyki**, czyli ścisłego połączenie diagnostyki i terapii dostosowanej do konkretnego pacjenta. W ramach terapii onkologicznej obecnie weryfikowane są radiofarmaceutyki różnego typu, między

22 Eva Ausó et al. Biomarkers for Alzheimer's Disease Early Diagnosis. *J Pers Med*. 2020 Sep 4;10(3):114. doi: 10.3390/jpm10030114.

23 Yogesh Kumar, et al. Artificial intelligence in disease diagnosis: a systematic literature review, synthesizing framework and future research agenda. *J Ambient Intell Humaniz Comput*. 2023; 14(7): 8459–8486. Published online 2022 Jan 13. doi: 10.1007/s12652-021-03612-z

24 Stefan FISCHER, et al. Potential measures to facilitate the productions of active pharmaceutical ingredients (APIs). Policy Department for Economic, Scientific and Quality of Life Policies Directorate-General for Internal Policies PE 740.070 – March 2023

25 Global API Management Market 2023 – 2032. www.custommarketinsights.com/report/api-management-market/



innymi radiofarmaceutyki peptydowe²⁶. Zgodnie z prognozami ekspertów Polskiego Towarzystwa Medycyny Nuklearnej zastosowanie metod teranostycznych będzie w przyszłości coraz bardziej powszechne. Obecnie teranostyka korzysta z najnowszych zdobyczy technologii, takich jak nanotechnologie, nanomateriały, biomateriały i biomimetyki, które pozwalają na jednoczesną detekcję procesów patologicznych i dostarczenie leków bezpośrednio do obszarów objętych procesem chorobowym. Taka celowana interwencja pozwala na dostosowanie metod leczenia (w tym dawki leku) do indywidualnych potrzeb pacjenta²⁷. Teranostyka jako diagnostyka i terapia na poziomie molekularnym jest podstawą nowoczesnej spersonalizowanej medycyny precyzyjnej. Medycyna precyzyjna często wykorzystuje wyniki badań sekwencjonowania NGS do zindywidualizowania terapii, skutecznie zmieniając perspektywy leczenia – zwłaszcza w onkologii, niezależnie od stopnia rozszania nowotworu. Wyniki profilowania genetycznego metodami NGS są również często wykorzystywane do określenia indywidualnej ścieżki nowotworzenia oraz wskazania korzystnego postępowania terapeutycznego²⁸.

Zarówno w kontekście teranostyki, jak i opisywanych powyżej potrzeb diagnostycznych, warto również poruszyć istotność **kwestii prawnych i regulacyjnych**, które powinny korelować z sytuacją rynkową, postępem technologicznym, a także pozwalać na pełną alokację procedur i zasobów. Przykładem może być dostęp do produkcji radiofarmaceutyków na potrzeby własne szpitali, co jest praktykowane i dozwolone w innych krajach europejskich,²⁹ aczkolwiek zakres problematyki prawnej w kontekście teranostyki wymaga oddzielnych analiz wykraczających poza spektrum niniejszego Raportu.

3.2 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe

Z przedstawionej analizy potrzeb systemu ochrony zdrowia w Polsce można wskazać elementy rekomendowane do zaadresowania w kolejnych latach wśród poniższych obszarów kluczowych:

- **Rozwój Niekomercyjnych Badań Klinicznych** w obszarze diagnostyki molekularnej/laboratoryjnej i obrazowej – jak najwcześniejsza, pogłębiona i powszechna diagnostyka, ze szczególnym uwzględnieniem teranostyki i medycyny nuklearnej^{30, 31}.
- **Rozwój Centrów Wsparcia Badań Klinicznych** – jasno określona ścieżka diagnostyczna pacjenta prowadząca do szybkiego i kompleksowego rozwiązania zidentyfikowanych problemów zdrowotnych, która ma kluczowe znaczenie dla postawienia diagnozy, określenia terapii i optymalizacji czasu leczenia/hospitalizacji. Od pracowników sektora medycznego oczekuje się poprawnej diagnozy oraz adaptacji terapii w odniesieniu do indywidualnych cech pacjenta, uzyskania optymalnych wyników w oparciu o reakcję pacjenta na leczenie, a także wspierania pacjentów w obszarze behawioralno-metabolicznym (zwłaszcza dietetycznym) w celu utrzymania ich zdrowia fizycznego³². Model ścieżki pacjenta wymaga usprawnień organizacyjnych i systemowych, które mają szansę wpłynąć na skrócenie kolejek pacjentów, postawienie diagnozy na wczesnym etapie rozwoju choroby oraz wzrost efektywności terapii.
- **Rozwój zdolności produkcyjnych z zakresu medycyny cyfrowej** – lokalna produkcja wyrobów medycznych wszystkich klas i półproduktów potrzebnych do wytwarzania produktów leczniczych najczęściej stosowanych (m.in. leki przeciwcukrzycowe nowej generacji, systemy do monitorowania poziomu glikemii, leki na nadciśnienie i choroby serca, wyroby medyczne

26 Prof. Leszek Królicki: *Mamy przełom w medycynie nuklearnej*. 2020. Co w zdrowiu.

27 Aleksandra Lang. *Teranostyka: przyszłość personalizowanej medycyny precyzyjnej*. 2018. Termedia

28 Aleksandra Kurowska. *Zaawansowane badania genetyczne do finansowania z Funduszu Medycznego?* 2020. Co w zdrowiu.

29 Iwona Konarska. *Sztuczne ograniczenia możliwości korzystania z medycyny nuklearnej*. 2023. Termedia.

30 Maslows *Hierarchy of needs and its Application in the Healthcare Industry*; <http://www.actforlibraries.org>. Social Science.

31 Thijs van Iersel et al, *The Patient Motivation Pyramid and Patient-Centricity in Early Clinical Development*. PumMed. DOI: 10.2174/1574884716666210427115820.

32 Maria Emfietzoglou, *Maslow's Hierarchy of Needs in Nursing*. Osmosis from Elsevier



klas II-III niezbędne do monitorowania oraz stymulowania pracy serca), rozwój rozwiązań cyfrowych wspierających działania prewencyjne, zwłaszcza w obszarze onkologii i kardiologii z potencjalnym uwzględnieniem innowacyjnych systemów premiowania i gratyfikacji pacjentów¹⁸⁻¹⁹.

- **Rozwój medycyny translacyjnej oraz wsparcie dialogu i współpracy między środowiskami akademickimi i biznesowymi** – wytrwałe poszukiwanie nowych skutecznych i/lub mniej toksycznych terapii w chorobach nowotworowych, a także indywidualizacja podejścia diagnostyczno-terapeutycznego w powiązaniu z biomarkerami.
- **Rozwój świadomości społecznej i eksperckiej w kwestii zagrożeń ze strony chorób sercowo-naczyniowych i behawioralno-metabolicznych czynników ryzyka** – uwzględnienie złożoności i specyfiki interakcji między pacjentem, lekarzem, a systemem ochrony zdrowia w ramach budowania świadomości społecznej z zakresu chorób sercowo-naczyniowych. Rozważenie wprowadzenia systemów gratyfikacji pacjentów w ramach działań prewencyjnych.

4. Kierunki rozwoju rynku lekowego

4.1 Technologie lekowe dominujące w badaniach – wzrost zapotrzebowania na nowe spersonalizowane leki w obszarze onkologii, chorób rzadkich, depresji, a także na technologie przeciwdrobnoustrojowe.

Europejska Agencja Leków opracowała strategiczne cele do 2025 r., w ramach których określiła podstawowe rekomendacje odnoszące się m.in. do wsparcia rozwoju medycyny personalizowanej, biomarkerów i omiki, nowych produktów leczniczych terapii zaawansowanej (ATMP), zorientowanych na niezaspokojone potrzeby pacjentów oraz nowych leków przeciwbakteryjnych i ich alternatyw³³.

Przewiduje się, że onkologia zdominuje segment wskazań na rynku badań klinicznych. Prognozy te są całkowicie zgodne z wynikami badania ankietowego zrealizowanego przez ABM, gdzie onkologia została wskazana jako priorytet zarówno przez przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów, jak i przez ekspertów (Ryc. 1). Wśród badań realizowanych przez ośrodki, w których pracują Główni

Badacze prowadzący projekty finansowane przez ABM jest to już bardzo dobrze widoczne. Badania kliniczne w obszarze onkologii stanowią, zgodnie z deklaracjami tej grupy, 35% wskazań ze wszystkich obszarów badań i są wskazywane prawie trzy razy częściej niż kolejne obszary: choroby zakaźne i neurologia (po 13% wskazań). (Metodologia: CAWI, N= 23 odpowiedzi).

Kontynuowanie badań nad leczeniem nowotworów i rosnące zapotrzebowanie na medycynę precyzyjną przyczyniają się do wysokiego udziału onkologii w rozwoju rynku lekowego.

Kontynuowanie badań nad leczeniem nowotworów i rosnące zapotrzebowanie na medycynę precyzyjną przyczyniają się do wysokiego udziału onkologii w rozwoju rynku lekowego. Prognozuje się, że w latach 2022-2030 segment ten odnotuje wzrost o 6,4% CAGR³⁴. Rozwój onkologii koncentruje się na leczeniu guzów litych bioterapeutykami nowej generacji m.in. przeciwciałami bispecyficznymi oraz innymi nowatorskimi rozwiązaniami, takimi jak: koniugaty przeciwciał z lekami, bioterapeutyki zorientowane na terapię komórkowe, szczególnie terapię CAR-T

³³ EMA (2020), EMA Regulatory Science to 2025 Strategic reflection, Amsterdam, 2020.

³⁴ <https://www.precedenceresearch.com/clinical-trials-market> (data dostępu: 19.04.2022).



wykorzystujące zmodyfikowane limfocyty T stosowane w nowotworach hematologicznych. Rośnie także zainteresowanie szczepionkami mRNA, zwłaszcza w guzach łitych³⁵.

Opisanych zostało ponad 7 000 chorób rzadkich, w tym nowotwory rzadkie dla 95% z nich nie ma dostępnego leczenia. W związku z czym rośnie potrzeba opracowania nowych opcji terapeutycznych, takich jak: terapie komórkowe, genowe czy oparte o RNA^{36,37}. Terapie komórkowe i genowe są powszechne w onkologii, podczas gdy terapie oparte o RNA w chorobach infekcyjnych³⁹. Edycja genów zyskuje na znaczeniu w biotechnologicznym rozwoju produktów leczniczych, szczególnie w chorobach rzadkich, neurologii i onkologii³⁸. Chociaż w ostatnich latach w onkologii jej rozwój zwolnił z powodu istotnej liczby obserwowanych zdarzeń niepożądanych w badaniach klinicznych, co wymusiło wdrożenie proaktywnych planów bezpieczeństwa podczas testowania produktów³⁷.

Wciąż niezaspokojona pozostaje potrzeba opracowania nowych środków przeciwdrobnoustrojowych, metod leczenia lub szczepionek w zakresie pojawiających się zagrożeń dla zdrowia³⁹. Zgodnie z analizami WHO antybiotykooporność stanowi jedno z najistotniejszych zagrożeń dla globalnego zdrowia publicznego z szacunkiem blisko 10 mln zgonów rocznie w skali świata. Szczególne zagrożenie stanowią m.in. wielolekooporne prątki gruźlicy, odporne na metycylinę szczepy gronkowca złocistego, enterokoki i *Clostridium difficile* odporne na wankomycynę, enterobakterie odporne na karbapenemy, Gram-ujemne bakterie odporne na kolistynę⁴⁰. Powstające regulacje i wytyczne powinny wspierać rozwój szczepionek, terapii fagowych, nowych biologicznie cząsteczek aktywnych, takich jak: peptydy lub enzymy, niespecyficzne immunomodulatory, technologie edycji genów i antybiotyki fotoaktywowane (ang. *photo switchable antibiotics*)⁴¹.

Zgodnie z analizami WHO antybiotykooporność stanowi jedno z najistotniejszych zagrożeń dla globalnego zdrowia publicznego z szacunkiem blisko 10 mln zgonów rocznie w skali świata.

Ograniczone leczenie pozostaje w chorobach neurologicznych, związanych z wiekiem, takich jak: choroby otępienne i choroba Parkinsona. Biorąc pod uwagę starzejące się społeczeństwo i zwiększającą się liczbę osób na świecie z demencją spowodowaną chorobą Alzheimera, istnieje potrzeba opracowania skutecznych terapii dla ww. chorób³⁸.

W ostatnich latach wzrasta zapotrzebowanie na leki przeciwdepresyjne. Coraz większy nacisk kładzie się na ukierunkowane mechanizmy działania, w tym nowe inhibitory wychwytu zwrotnego serotoniny, steroidy neurotropowe, psychodeliki serotonergiczne i psychodeliki NMDA⁴². Zostało to również dostrzeżone przez ekspertów w badaniu ankietowym zrealizowanym przez ABM. Psychiatria, zaraz po onkologii, została wskazana jako obszar medycyny, który powinien być w pierwszej kolejności wspierany dla poprawy systemu ochrony zdrowia w Polsce (Ryc. 8).

35 IQVIA (2023), *Global Oncology Trends 2023*, New Jersey, 2023.

36 <https://www.tribecaknowledge.com/blog/5-pharma-trends-for-2023-challenges-and-opportunities-in-the-post-covid-landscape> (data dostępu: 19.04.2022).

37 Informa Pharma Intelligence (2021), *American Society of Gene + Cell Therapy (2021), Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape, Q4 2021 Quarterly Data Report*.

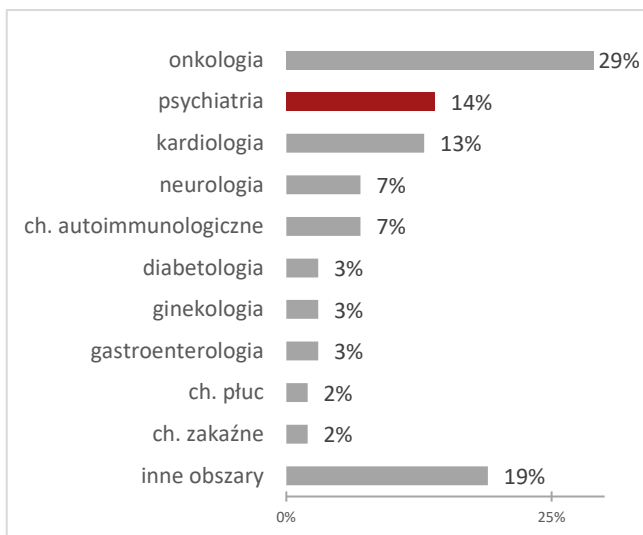
38 Chancellor D., *Editing The Future*. Informa Pharma Intelligence, 2022.

39 Komunikat Komisji do Parlamentu Europejskiego, Rady, Europejskiego Komitetu Ekonomiczno-Społecznego i Komitetu Regionów. *Strategia farmaceutyczna dla Europy*. Bruksela, 2020.

40 <https://www.termidia.pl/mz/Opornosc-przeciwdrobnoustrojowa-wyzwaniem-dla-zdrowia-publicznego,51274.html> (data dostępu: 19.04.2022).

41 Vignali V, Hines PA, Cruz AG, Zietek B and Herold R (2022) Health horizons: Future trends and technologies from the European Medicines Agency's horizon scanning collaborations. *Front. Med.* 9:1064003. doi: 10.3389/fmed.2022.1064003.

42 IQVIA (2023), *Global Trends in R&D 2023. Activity, productivity and enablers*. New Jersey, 2023.



Rysunek 8. Obszary medycyny które powinny być w pierwszej kolejności wspierane przez ABM dla poprawy systemu ochrony zdrowia w Polsce. Odpowiedzi ekspertów Metodologia: CAWI, N=181 odpowiedzi.

W związku ze wzrostem badań dotyczących psychodelików, takich jak: psylocybina lub MDMA, obecnie amerykański Urząd ds. Żywności i Leków (FDA) pracuje nad wytycznymi, które mają pomóc w ujednoczeniu badań klinicznych w tym obszarze⁴³.

Ponadto produkty lecznicze, w tym szczepionki oparte na roślinach (np. taligluceraza alfa produkowana w hodowli komórkowej marchwi stosowana do leczenia choroby Gauchera) są interesującą opcją, która może przynieść potencjalne korzyści terapeutyczne. Potrzeba jednak więcej dowodów naukowych w tym zakresie oraz wspierania badań, aby zmniejszyć obecnie istniejące niepewności z nimi związane⁴³.

Brakuje także metod leczenia dla określonych grup pacjentów wymagających specjalnego podejścia terapeutycznego, takich jak: dzieci, kobiety w ciąży, kobiety karmiące piersią i osoby starsze⁴¹. Pomimo podejmowanych w ostatnich latach inicjatyw w kierunku rozwoju leków pediatrycznych nadal w tej dziedzinie pozostają obszary z wysoką niezaspokojoną potrzebą, szczególnie w zakresie onkologii i neonatologii³⁵. EMA przewiduje, że w 2024 r. największy wzrost ocen będzie dotyczyć: nowych leków sierocych, ATMP, nowych leków niebędących sierocymi, z nieznacznym wzrostem w obszarze leków biopodobnych, generycznych i hybrydowych⁴⁴.

4.2 Innowacyjne technologie lekowe o dużym potencjale rozwojowym – dynamiczny rozwój terapii zaawansowanych i bioterapeutyków

Według raportu IQVIA w latach 2023-2027 r. prognozuje się wzrost globalnego rynku technologii lekowych, w tym największe zwiększenie wydatków na leki onkologiczne (13-16% CAGR), immunologiczne i przeciwcukrzycowe (po 3-6% CAGR). W obszarze onkologicznym przewiduje się rozwój ponad stu nowych produktów leczniczych, w tym innowacyjnych terapii komórkowych, opartych o RNA oraz immunoterapii ukierunkowanych na specyficzne mutacje niezależne od nowotworu. W obszarze immunologii, obejmującym molekuly drobnocząsteczkowe i leczenie biologiczne, największy wzrost prognozuje się w zakresie nowych produktów leczniczych oraz generycznych i biopodobnych. W związku z przewidywanym wzrostem otyłości (10-13%) zwiększy się dostępność wysoce skutecznych terapii w tym zakresie. Będzie także rosnąć znaczenie rynku neurologicznego, w tym nowych, przeciwmigrenowych produktów leczniczych, potencjalnych terapii chorób rzadkich, a także chorób Alzheimera i Parkinsona. Najnowsze osiągnięcia naukowe w dziedzinie genomiki, biomarkerów, diagnostyki i technik obrazowania i/lub medycyny regeneracyjnej połączone z powstawaniem przełomowych technologii cyfrowych zmieniają podstawy innowacji terapeutycznych związanych z ośrodkowym układem nerwowym.

Prognozuje się również wzrost wydatków na bioterapeutyki nowej generacji, wyższy na terapie komórkowe i oparte o RNA, niższy na terapie genowe (które częściowo zawierają się w obszarze

43 <https://www.clinicaltrialsarena.com/features/fda-draft-guidance-agenda-2023/> (data dostępu: 18.04.2022).

44 EMA (2023), Final Programming Document 2023-2025. Amsterdam, 2023.



onkologicznym)⁴⁵. W ciągu ostatnich 10 lat z różną zmiennością obserwowano wprowadzanie na rynek nowych substancji czynnych w obszarze chorób zakaźnych, w tym COVID-19, podobnie jak: terapii przeciwbakteryjnych, przeciwwirusowych, przeciwgrzybiczych i przeciw pasożytniczych, a także nowych leków na HIV, Ebolę i małą ospę⁴⁴.

4.3 Czynniki mające decydujący wpływ na opracowywanie leków innowacyjnych – redukcja kosztów i ryzyk przez współpracę międzyinstytucjonalną i badania łączone

Obecnie inwestycje w technologie lekowe niekoniecznie skupiają się na największych niezaspokojonych potrzebach pacjentów, ze względu na brak zainteresowania komercyjnego lub ograniczenia naukowe⁴¹ (np. złożoność chorób i niedobór wiarygodnych biomarkerów³⁸). Opracowanie nowego leku jest długotrwałym, kosztownym i ryzykownym procesem. Coraz większe znaczenie odgrywa w nim wykorzystanie nowoczesnych technologii, takich jak: sztuczna inteligencja i uczenie maszynowe. Problemem jest niedofinansowanie początkowych faz rozwoju produktu. Ze względu na wysokie koszty opracowywania produktów leczniczych firmy biofarmaceutyczne tworzą obecnie sojusze w celu zwiększenia zasobów i podziału ryzyka związanego z wysokimi kosztami. Oczekuje się, że tendencja do badań łączonych i współpracy w ramach badań klinicznych będzie rosta³⁶.

W rozwoju innowacji niezwykle istotne są: współpraca wielodyscyplinarna (naukowców, klinicystów, pacjentów, firm biotechnologicznych i farmaceutycznych), pozwalająca na opracowanie technologii dostosowanej do rzeczywistych potrzeb pacjentów, wiedza specjalistyczna, w tym techniczna i regulacyjna oraz efektywna komunikacja⁴⁶.

4.4 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe

Analiza rynku technologii lekowych pokazała dominację **produktów onkologicznych**, w tym terapii komórkowych, opartych o RNA oraz immunoterapii. Przewiduje się wzrost wydatków na leki immunologiczne: drobnocząsteczkowe, biologiczne – nowe oraz w mniejszym stopniu generyczne i biopodobne, a także leki przeciwcukrzycowe i bioterapeutyki. Rośnie potrzeba opracowywania **nowych spersonalizowanych opcji terapeutycznych** w obszarze chorób rzadkich, ukierunkowanego leczenia depresji, a także **nowych opcji przeciwdrobnoustrojowych, szczególnie antybiotyków**.

Zidentyfikowany brak skutecznego leczenia chorób neurologicznych (demencji, Alzheimer, Parkinsona) oraz pediatrycznych (szczególnie onkologii i neonatologii), wskazują na konieczność dalszego rozwijania terapii w tych obszarach. Eksperti w badaniach ankietowych podkreślają również potrzebę dalszego wspierania obszaru kardiologii. Dużą uwagę zwrócono też na wsparcie psychiatrii. Obszar ten wymaga zaopiekowania wieloaspektowego dla polepszenia sytuacji psychicznej i zdrowotnej szczególnie wśród **dzieci i młodzieży**.

W oparciu o powyższe analizy można w przyszłości wdrożyć następujące rozwiązania:

- **Rozwój produktów leczniczych terapii zaawansowanych** w obszarze chorób rzadkich, onkologicznych, neurologicznych oraz wsparcie infrastrukturalne i dostosowania istniejących już w Polsce wytwórni ATMP.
- **Rozwój leków generycznych i biopodobnych** oraz wsparcie w obszarze immunologii przy współpracy z organizacjami pacjenckimi w celu stworzenia technologii dostosowanej do potrzeb odbiorców.

⁴⁵ IQVIA (2023), *Global Use of Medicines 2023. Outlook to 2027. USA, 2023.*

⁴⁶ Mayrink NV., Alcoforado L., Chiore A., et al. *Translational research in health technologies: A scoping review. Front. Digit. Health, 03 August 2022.*



- **Rozwój medycyny translacyjnej**, wsparcie medycyny personalizowanej, rozwój biomarkerów i wykorzystanie technik omicznych, wsparcie współpracy z pacjentami (w celu stworzenia technologii dostosowanej do potrzeb odbiorców), wykorzystanie nowoczesnych technologii do analizy danych, takich jak: sztuczna inteligencja i uczenie maszynowe oraz badań łączyonych i współpracy międzyinstytucjonalnej do redukcji kosztów i ryzyk.
- **Rozwój badań epidemiologicznych** – wsparcie badań i analiz omicznych w obszarze onkologii, neurologii związanej z wiekiem, psychiatrii, pediatrii i neonatologii (szczególnie onkologicznej) oraz badań obejmujących populacje wrażliwe: kobiety w ciąży, karmiące piersią, osoby starsze, dzieci, wykorzystanie nowoczesnych technologii do analizy danych, takich jak: sztuczna inteligencja i uczenie maszynowe.
- **Rozwój onkologicznych niekomercyjnych badań klinicznych** – wsparcie badań i analiz omicznych, badań dotyczących guzów łitych, szczepionek mRNA oraz szczególnego zwrócenia uwagi na obszar onkologii w pediatrii.
- **Rozwój otwartych niekomercyjnych badań klinicznych i eksperymentów badawczych** – wsparcie badań i analiz omicznych w następujących obszarach terapeutycznych: onkologia, neurologia związana z wiekiem, psychiatria (ze szczególnym uwzględnieniem technologii przeciwdepresyjnych), pediatria i neonatologia.

5. Kierunki rozwoju rynku wyrobów medycznych i innych technologii medycznych

Kategorie wyrobów medycznych są bardzo zróżnicowane. Ich liczba na światowym rynku oceniana jest na około 2 miliony, a na rynku polskim na 300 tysięcy⁴⁷. Innowacja w tej branży ma często charakter ciągłej poprawy skuteczności, zmiany sposobów użytkowania czy ograniczenia efektów ubocznych istniejących już rozwiązań. Świadczy o tym fakt, że wyroby medyczne mają zazwyczaj cykl życia wynoszący zaledwie **18-24 miesięcy**⁴⁸, zanim ulepszony produkt stanie się dostępny na rynku. Pod tym względem działalność innowacyjna w branży wyrobów medycznych, mierzona liczbą patentów, znacząco przewyższa branżę farmaceutyczną.

Analizując trendy światowe i krajowe, a także niezaspokojone potrzeby pacjentów i wyzwania sektorów medycznych, należy spodziewać się rozwoju w ujęciu macierzowym. Zdecydowanie zauważalne są trendy w **powszechnej digitalizacji** istniejących wyrobów, udoskonalania ich i wyposażania w dodatkowe funkcjonalności, **zmiany modeli biznesowych i operacyjnych** firm produkujących wyroby medyczne i rozszerzanie ich oferty o usługi diagnostyczno-logistyczne oraz **tworzenie nowych produktów** jako odpowiedź na niezaspokojone potrzeby kliniczne, ale także logistyczne i funkcjonalne.

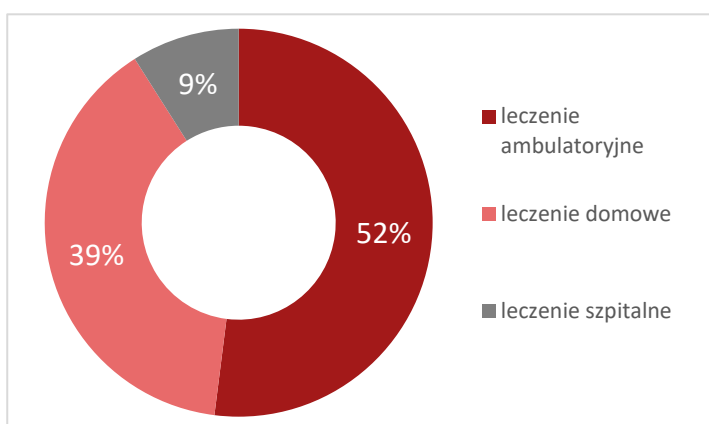
5.1 Cyfryzacja branży wyrobów medycznych – urządzenia i aplikacje mobilne odpowiedzią na potrzeby pacjentów

Aktualnie na znaczeniu zyskują te wyroby medyczne, które poza swoimi głównymi funkcjonalnościami niosą wartość dodaną np. dostarczają dane, pozwalają na monitorowanie stosowania przez pacjentów zaleceń lekarskich (*compliance*), monitorują parametry życiowe, minimalizują inwazyjność procedur. Obserwowany jest również rosnący popyt na nowoczesne urządzenia noszone (*wearables*), wyposażone w aplikacje oraz usługi (np. związane z zarządzaniem danymi zdrowotnymi).

⁴⁷ Raport Polmed (2022). Sektor wyrobów medycznych w Polsce. Wielkość, oddziaływanie, znaczenie; dr hab. Błażej Łyszczarz, prof. UMK prof. dr hab. Ewelina Nojszewska.

⁴⁸ MedTech Europe (2021): Access to Medical Technology Innovations: A Proposal for a Value of Innovation and Partnership Model.

Relacja producenta z użytkownikami końcowymi ulega zmianie i w znacznym stopniu wzmacnia się głównie przez ciągłe użytkowanie technologii (w przypadku urządzeń noszonych) i przeniesienie punktu ciężkości ze szpitala/kliniki do domu. Klinicyści w oparciu o te technologie zyskują dostęp do danych pozwalających trafnie diagnozować, monitorować stan parametrów pacjenta i zapobiegać pogorszeniu stanu zdrowia. Pacjenci natomiast unikają niepotrzebnych wizyt lekarskich i mają dostęp do szeregu rozwiązań wspierających budowanie dobrych nawyków. Rozwój technologii tego typu wymaga jednak odejścia od wytwarzania wyrobów jedynie do diagnozowania/leczenia i zorientowania na dostarczanie zintegrowanych, kompleksowych usług i rozwiązań, które będą w stanie, oprócz polepszenia skuteczności terapeutycznej/diagnostycznej obniżyć również koszty opieki.



Rysunek 9. Model leczenia najbardziej pożądanym przez pacjentów. Odpowiedzi przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów. Metodologia: CAWI, N=82 odpowiedzi.

Wyniki badania ankietowego przeprowadzonego w ramach Barometru Badań Klinicznych wykazały, że **tylko w 9% odpowiedzi przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów wskazywano na leczenie szpitalne jako najbardziej pożądanym przez pacjentów.** Najczęściej wskazywany optymalny model leczenia to leczenie ambulatoryjne (52% wskazań) lub domowe (39%) - Ryc. 9.

Oczekiwania te są dobrze rozpoznane przez wytwórców leków, substancji czynnych i wyrobów medycznych, którzy również wskazali leczenie domowe (45% odpowiedzi) jako najbardziej pożądanym

przez pacjentów model leczenia, a w drugiej kolejności leczenie ambulatoryjne – 42% odpowiedzi (Metodologia CAWI, N= 31 odpowiedzi).

Inteligentne systemy dostarczania leków i monitorowanie pacjentów spersonalizują i zminimalizują inwazyjność terapii za pomocą urządzeń takich jak innowacyjne, ubieralne systemy dostarczające leki (Biostamp) i inteligentne inhalatory. Te inteligentne urządzenia będą nie tylko wysyłać pacjentom przypomnienia o lekach (poprawiając w ten sposób przestrzeganie zaleceń), ale także prześlą zwrotne dane do ich lekarzy, umożliwiając bardziej spersonalizowaną i zapobiegawczą opiekę. Przykładem może być firma *Novartis*, która nawiązała współpracę z *Qualcomm Life* w celu opracowania inhalatora podłączonego do Internetu, który może wysyłać informacje do opartej na chmurze platformy analitycznej wykorzystującej duże wolumeny danych do wspomaganie leczenia pacjentów z przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POCHP)⁴⁹.

5.2 Przykłady wdrożeń rozwiązań cyfrowych do systemów ochrony zdrowia – redukcja kosztów przy jednoczesnym zwiększeniu wydajności systemów

Rzeczywistość biznesowo-legislacyjna wymusza na producentach wyrobów medycznych rewizję tradycyjnych modeli biznesowych i operacyjnych w celu wspierania heterogenicznej bazy klientów biznesowych oraz pacjentów (aktualnych i potencjalnych). Rosnące zaangażowanie firm w profilaktykę i diagnostykę, a także logistykę dostaw, zarządzanie odpadami szpitalnymi, monitoring

⁴⁹ Qualcomm expands collaboration with Novartis for connected COPD therapy, Qualcomm Press Release, 5 January 2016 <https://www.qualcomm.com/news/releases/2016/01/05/qualcomm-expands-collaboration-novartis-connected-copd-therapy>



pacjentów po wykonanej interwencji przyczyniają się do ogólnego obniżenia kosztów opieki zdrowotnej w tym m.in. do krótszych, tańszych i rzadszych wizyt w szpitalach.

Ten trend potwierdzają rozwiązania powstające z inicjatywy firm wyrobowych łączących się z dostawcami usług technologicznych lub IT, np. platforma (*Zimmer Biomet + HealthLoop*) wspierająca pacjentów oczekujących na zabieg endoprotezoplastyki⁵⁰. Aplikacja *HealthLoop* edukuje pacjentów w zakresie protokołów przed- i pooperacyjnych oraz gromadzi dane na temat wyników i terapii pooperacyjnej, aby pomóc w oszacowaniu kosztów refundacji. Z kolei firma *Siemens Healthineers* zawarła strategiczny sojusz z *IBM Watson Health*, koncentrując się na zarządzaniu zdrowiem populacji i rozwiązaniach *value based healthcare* dla szpitali⁵¹. Partnerstwo to pozwoli wykorzystać usługi obrazowania klinicznego analizując wolumen danych generowanych przez technologie medyczne, do lepszego zrozumienia podłoża chorób. Google i Ethicon są założycielami firmy *Verb Surgical* – opracowującej roboty chirurgiczne, które wykorzystują sztuczną inteligencję, oprogramowanie do analizy danych obrazu i wizji maszynowej⁵².

5.3 Innowacje w obszarze wyrobów medycznych – dynamiczny rozwój robotyki, nanotechnologii i biomateriałów

- **Nanotechnologia, mikrosystemy i biosensory w sektorze wyrobów medycznych**

Zarówno w projektowaniu poszczególnych wyrobów, jak i w samych procedurach interwencyjnych obserwuje się trend miniaturyzacji. Głównym powodem takich działań jest minimalna inwazyjność interwencji, mniejsze ryzyko powikłań, niższe koszty hospitalizacji i szybsza rekonwalescencja.

Trend ten wspiera rozwój technologii BioMEMS, systemów mikroprzepływowych i nanoskalowych, w tym metod mikroanalizy, macierzy i biochipów do wykrywania i ilościowego oznaczania istotnych klinicznie analitów w złożonych matrycach. Obszary zastosowań obejmują między innymi badania biomedyczne, kliniczną diagnostykę laboratoryjną, wysokowydajne badania przesiewowe i urządzenia do implantacji. W związku z tym zauważalne jest ożywienie w tworzeniu nano-rozwiązań, np. nanokapsułek i systemów dostarczania leków oparte na nanodiamentach, nanoendoskopów, mikro-nanosystemów do diagnostyki i terapii celowanej czy nanobotów DNA.

Obecnie obserwowany jest niezwykle dynamiczny wzrost zainteresowania metamateriałami hiperbolicznymi. Projektowanie, wytwarzanie i rozwój nowych nanomateriałów dla biosensorów optycznych jest niezwykle ważnym wyzwaniem nowoczesnej nauki i wyrafinowanych technologii, z uwagi na atrakcyjność rozwiązań i potrzebę miniaturyzacji, zmniejszania wagi oraz mobilności biosensorów. Ponadto, materiały z tej grupy nie wymagają zasilania elektrycznego oraz charakteryzują się wysoką dokładnością i precyzją detekcji.

- **Bioresorbowalne, bioniczne i biodegradowalne wyroby medyczne i opakowania**

Zarówno potrzeba kliniczna, jak i dbałość o ochronę środowiska wspierają badania i rozwój nowych biomateriałów, zwłaszcza w obszarze inżynierii tkankowej, urządzeń wszczepialnych, biosensorów i siłowników. Szczególnie duże nadzieje wiąże się z **inżynierią nowych nośników**, które mogą obejmować materiały biomimetyczne, liposomy, micelle, nanocząsteczki i dendrymery. Niewątpliwą zaletą biomateriałów jest ich biokompatybilność oraz zdolność do bioresorpcji umożliwiające

50 The biggest takeaway from the annual meeting of orthopedic surgeons (AAOS), *MedCity News*, 21 March 2017 <https://medcitynews.com/2017/03/biggest-takeaway-annual-meeting-orthopedic-surgeons-aaos/>

51 Siemens Healthineers, IBM Watson Health Forge Alliance On Population Health, *Med Device Online*, 12 October 2016 <https://www.meddeviceonline.com/doc/siemens-healthineers-ibm-watson-health-forge-alliance-on-population-health-0001>.

52 J&J and Google's Verb Surgical looks to define, lift robotic surgery, *Mass Device*, 20 October 2016 <http://www.massdevice.com/jj-googles-verb-surgical-looks-define-lift-robotic-surgery>.



pozyskiwanie biodegradowalnych stentów, protez i rusztowań, wszczepialnych bionicznych soczewek, wchłaniających nici i innych wyrobów zamykających, biodegradowalnych opakowań, a także organów i kości wytwarzanych w druku 3D, czy wchłaniających cewników, również w zastosowaniach pediatrycznych.

Projekty takie jak bio-hybrydowa nerka zminimalizują potrzebę korzystania z niektórych usług (np. dializ), a także zmniejszą wiele zagrożeń dla pacjentów związanych z obecnie stosowanymi systemami. Naukowcy z Uniwersytetu Kalifornijskiego opracowali pierwszy prototyp sztucznej, wszczepialnej nerki wielkości filiżanki do kawy. Zawiera ona filtry opracowane dzięki nanotechnologii krzemowej oraz żywe komórki nerki, które będą odżywiane przez samego pacjenta, co dodatkowo zapobiegnie odrzuceniu takiego organu⁵³.

- **Narzędzia, techniki i systemy chirurgiczne nowej generacji**

Przykłady rozwoju tej kategorii rozwiązań obejmują robotykę chirurgiczną i urządzenia do minimalnie inwazyjnych operacji w celu poprawy wyników interwencji chirurgicznych, a także zwiększania bezpieczeństwa pacjentów i skracania rekonwalescencji. Innowacyjne rozwiązania chirurgiczne, takie jak autonomiczne roboty chirurgiczne i inteligentne cewniki balonowe poprawią wyniki skomplikowanych operacji i umożliwią nowe formy operacji minimalnie inwazyjnych. Przykładem wdrożonego rozwiązania jest aplikacja firmy Stryker do całkowitej artroplastyki kolana wspomaganą ramieniem o funkcji robota, przeznaczona do użytku z systemem robotów Mako. Tak zaawansowane technologie rozwijają także równoległe systemy symulatorów medycznych do szkolenia chirurgicznego kadr. Popularne biopsje również podlegają ciągłym udoskonaleniom, aby uzyskiwać lepsze wyniki przy mniejszej inwazyjności procedury.

W dalszym ciągu istnieje duże zapotrzebowanie na rozwiązania z zakresu robotyki w chirurgii okulistycznej, rozwiązania wspomagane rozszerzoną rzeczywistością, a także rozwiązania teleoperacyjne.

- **Nowoczesna inżynieria rehabilitacyjna**

Skuteczna, holistyczna rehabilitacja i fizjoterapia w chorobach nerwowo-mięśniowych, głęboka stymulacja mózgu z obrazowaniem i celowaniem elektrofizjologicznym, neuroprotezy wspomagające słuch, wzrok, czy ruch oraz urządzenia do wydłużania kręgosłupa pozostają wciąż niezaspokojonymi potrzebami w tym medycynie rehabilitacyjnej. Odpowiedzią na przytoczone zapotrzebowanie są liczne prace nad stworzeniem inteligentnego sprzętu i oprogramowania do sterowania urządzeniami oraz przewidywania sygnałów fizjologicznych i ludzkiego zachowania. Należy oczekiwać, że przyniosą one wymierne efekty, które wejdą do praktyki medyczno-rehabilitacyjnej. Aktualnie, również w Polsce, prowadzone są przedsięwzięcia w zakresie inteligentnych egzoskieletów, a także stymulatorów mięśni i nerwów, co pozwala mieć nadzieję na rozwój wyrobów medycznych w tym zakresie.

- **Innowacyjna diagnostyka – wyższa czułość i swoistość przy mniejszej ilości badanego materiału**

Prawidłowa i wczesna diagnostyka stanowią warunek *sine qua non* właściwego procesu leczenia. Niestety w tym zakresie można zaobserwować wyzwania dwojakiego rodzaju:

- systemowego - taryfikacja procedur terapeutycznych, które zawierają w sobie także diagnostykę nierzadko staje się źródłem oszczędności placówek medycznych. Wybierane są

53 No More Dialysis, Scientists Have Developed A Bionic Kidney, Medical-Online, 3 April 2017 <http://www.medicalonline1.com/2017/04/03/no-more-dialysis-scientists-have-developed-a-bionic-kidney>



metody tańsze, a ich liczba jest mocno limitowana, przez co błędnie zdiagnozowany pacjent może otrzymać niewłaściwą terapię, a jego choroba ulec zaostrzeniu.

- o technicznego - udoskonalenie istniejących metod w kierunku wyższej czułości, swoistości oraz lepszej wydajności diagnostycznej z małych objętości może obniżyć koszty i zmniejszyć inwazyjność samych procedur diagnostycznych.

Drugie z wyzwań jest nieustannie podejmowane przez inżynierów firm z branży wyrobów medycznych – rozwijane są urządzenia do ultrasonografii (w tym echokardiografii), w celu uzyskania większej czułości i rozdzielczości, systemy do wizualnego obrazowania oka – w tym np. miniaturowe skanery siatkówki. Udoskonalane są metody cytometrii przepływowej, a także metody obrazowania, np. dynamiczny rezonans magnetyczny. Udoskonalanie metod diagnostyki obrazowej obejmuje także wyposażenie wyrobów w sztuczną inteligencję (AI) w celu przyspieszenia diagnozy i poprawienia trafności.

Przez okres pandemii COVID-19 na znaczeniu zyskały wszelakiego rodzaju testy diagnostyczne. Metody te rozwinęły się znacząco, przekładając się na zwiększenie zakresu badanych parametrów. Rośnie m.in. liczba testów metabolomicznych, predykcyjnych – wykorzystujących np. biomarkery proteomiczne. Opracowywane są nowe urządzenia do separacji komórek i bardziej czułe, specyficzne, szybsze i tańsze analizy genetyczne z wykorzystaniem sekwencjonowania WES i WGS. Coraz więcej mówi się także o potrzebach i pracach w zakresie diagnostyki nieinwazyjnej, np. pomiarów okresu refrakcji komorowej i czasu przewodzenia śródkomorowego, nieinwazyjnego monitora ciśnienia wewnątrzczaszkowego.

- **Nowe, wyrobowe i/lub biotechnologiczne podejście do walki z infekcjami bakteryjnymi**

Jak podają dane, w Europie, co roku dochodzi do 4,5 miliona zakażeń szpitalnych. Coraz większe zagrożenie stwarzają przy tym bakterie o szerokim spektrum oporności na leki, np. typu „ESKAPE”, które wymykają się zarówno lekom jak i mechanizmom obronnym organizmu. Dlatego liczne zespoły badawcze na całym świecie poszukują nowych metod walki z takimi drobnoustrojami, co jest jednym z najpoważniejszych wyzwań dla systemów ochrony zdrowia na świecie.

Przykładem rozwiązania będącego alternatywą do nowych antybiotyków jest metoda fotodynamiczna (opracowana przez Międzyuczelniany Wydział Biotechnologii UG i GUMed z ekspertami z chińskiego Uniwersytetu w Tianjin). Polega ona na podaniu kationowego fotouczulacza porfiryny galu naśladującego hem, który uwrażliwia bakterie na działanie światła, z pomocą którego następnie unieszkodliwia się te mikroorganizmy. Możliwość wykorzystania inaktywacji fotodynamicznej w walce z wielolekoopornymi drobnoustrojami stosuje się w celu zwalczania oporności na antybiotyki i zwiększenia fotodynamicznej aktywności przeciwbakteryjnej. Kolejnym przykładem są innowacyjne urządzenia diagnostyczne, które w sposób automatyczny prowadzą kompleksową ocenę wrażliwości bakterii izolowanych z próbek klinicznych na dostępne klinicznie antybiotyki oraz umożliwiają badanie wrażliwości na kombinacje antybiotyków.⁵⁴ Duże nadzieje wiązane są również z terapiami fagowymi, nowymi technologiami edycji genów i antybiotykami fotoaktywowanymi.

- **Wyroby medyczne w diagnostyce i terapii chorób rzadkich**

Pacjenci z chorobami rzadkimi mogą oczekiwać latami na diagnozę ze względu na trudności wynikające z nieswoistego charakteru objawów oraz braku możliwości porównań przypadków. Według NIH aż

54 Health horizons: Future trends and technologies from the European Medicines Agency's horizon scanning collaborations; Valentina Vignali^{1,2}, Philip A. Hines^{1,3*}, Ana Glória Cruz¹, Barbara Zi, etek¹ and Ralf Herold¹, ¹European Medicines Agency, Amsterdam, Netherlands, ²Department of Biomedical Engineering, W.J. Kolff Institute, University Medical Center Groningen, Groningen, Netherlands, ³Faculty of Health Medicines and Life S.



80% procent chorób rzadkich ma podłoże genetyczne, co determinuje potrzebę testów genetycznych w celu ich zdiagnozowania.⁵⁵ Opóźnienie diagnozy i skutecznej terapii często prowadzi do znacznego zaawansowania choroby lub nawet przedwczesnej śmierci.

Z perspektywy pacjenta, jego rodziny oraz systemu publicznego kwestia wczesnej i prawidłowej diagnostyki pozostaje kluczowa. Z kolei na etapie leczenia chorób rzadkich wskazuje się na potrzebę udoskonalenia urządzeń pomiarowych, np. współczynnika przesączania kłębuszkowego (GFR), ogólnoustrojowego przepływu krwi (np. w zespole Guillain-Barré i przy niedobrze beta-hydroksylazy dopaminy), a także narzędzi prognostycznych np. w chorobie Huntingtona. Z kolei klinicyści wskazują na konieczność udoskonalenia urządzeń do kontroli podawania leków w oparciu o dane z czujników fizjologicznych, co miałyby zastosowanie w praktycznie każdej chorobie, w przypadku której znane są zależności między dawką leku, a nasileniem choroby.

Dodatkowym wyzwaniem w chorobach rzadkich jest fakt niechęci inwestycyjnej przedsiębiorstw, wiążąca się z niewielkim rynkiem i obawą o zwrot z inwestycji.

- **Trendy w rozwoju diagnostyki nuklearnej**

Medycyna nuklearna dysponuje narzędziami pozwalającymi na wdrożenia koncepcji tzw. *magic bullet*, czyli zastosowania leków w sposób celowany.

Techniki radioizotopowe pozwalają na ocenę zaburzeń czynnościowych w bardzo wczesnym stadium choroby jeszcze przed wystąpieniem zmian strukturalnych. Przykładami badań morfologicznych są tomografia komputerowa, rezonans magnetyczny czy ultrasonografia, natomiast przykładem badań czynnościowych są metody radioizotopowe, które polegają na podaniu choremu radiofarmaceutyku, którego rozkład w organizmie odzwierciedla ściśle określoną funkcję np. przepływ krwi, aktywność układów receptorowych czy przemiany metaboliczne aminokwasów, lub produkcję i wydzielanie niektórych substancji chemicznych. Metody te pozwalają na rozpoznanie ogniska nowotworowego, gdy zawiera zaledwie 10^6 - 10^7 komórek oraz umożliwiają ocenę, czy zmiana widoczna w badaniu TK czy MRI jest nowotworem złośliwym, czy też zmianą łagodną. Promieniowanie alfa emitowane przez leki znakowane radioizotopami, wnikające specyficznie do komórek nowotworowych, uszkadza obie nici DNA, dzięki czemu skuteczność leczenia jest większa. Na skutek zróżnicowania właściwości metabolicznych komórek nowotworowych i zdrowych badania PET z 18-fluorodeoksyglukozą (FDG) są w stanie z dużą dokładnością odróżnić oba typy komórek. Inne radiofarmaceutyki potrafią odróżnić oba typy komórek po nasileniu procesów proliferacyjnych (^{18}F -cholina). Postępy w obszarze przeciwciał znakowanych radioaktywnie stosowanych do diagnostyki precyzyjnej umożliwiają wcześniejszą detekcję i w konsekwencji skuteczniejsze leczenie nowotworów złośliwych.⁵⁶

5.4 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe

W wyniku przedstawionej analizy trendów rynkowych oraz doniesień z sektora wyrobów medycznych należy rozważyć wsparcie poniższych kluczowych obszarów:

⁵⁵ *Unmet Device Needs in Rare Diseases – Report. The U.S. Food and Drug Administration (FDA) and the National Center for Advancing Translational Sciences (NCATS)/Office of Rare Diseases Research (ORDR) at the National Institutes of Health (NIH).*

⁵⁶ *Unmet Device Needs in Rare Diseases – Report. The U.S. Food and Drug Administration (FDA) and the National Center for Advancing Translational Sciences (NCATS)/Office of Rare Diseases Research (ORDR) at the National Institutes of Health (NIH) ciences, Maastricht University, Maastricht, Netherlands*



- **Wsparcie rozwoju medycyny cyfrowej**, poszerzanie funkcjonalności istniejących wyrobów medycznych m.in. o algorytmy AI, umożliwiające ciągłe monitorowanie, gromadzenie danych, integrację z innymi systemami/technologiami medycznymi,
- Wspieranie wdrażania **innowacyjnych wyrobów medycznych wykorzystujących nanotechnologie i mikrosystemy do diagnostyki, w tym wysokowydajnych badań przesiewowych**. Umożliwi wykonywanie diagnostyki w warunkach ambulatoryjnych lub domowych z zachowaniem dużej precyzji pomiaru z małej objętości badanego materiału.
- Wsparcie projektów mających na celu **opracowanie technologii wspomagającej antybiotykoterapie**. Stosowanie bezpiecznych z biologicznego punktu widzenia metod wykorzystujących inaktywację fotodynamiczną pozwoli na bardziej skuteczną walkę z drobnoustrojami i będzie miało szansę spowolnić proces narastającej lekooporności.
- **Rozwój zdolności produkcyjnych z zakresu radiofarmaceutyków**. Zwiększenie precyzji detekcji komórek nowotworowych znacząco wpłynie na postęp w terapiach precyzyjnych.
- Wspieranie **opracowań narzędzi, technik i systemów chirurgicznych nowej generacji z uwzględnieniem wyrobów rehabilitacyjnych**. Inteligentny sprzęt lub oprogramowanie do sterowania urządzeniami oraz przewidywania sygnałów fizjologicznych i ludzkiego zachowania stanie się szansą na mniej inwazyjne i bardziej precyzyjne zabiegi oraz rehabilitację, która skróci okres powrotu do uzyskania sprawności.

6. Kierunki rozwoju badań naukowych (podstawowych i przedklinicznych)

6.1 Badania genetyczne i epigenetyczne jako priorytet dla pacjentów i systemu ochrony zdrowia w Polsce.

Badania w dziedzinie genetyki medycznej stanowią integralną część **medycyny personalizowanej**, której niekwestionowany, dynamiczny rozwój obserwuje się już od kilku lat. Następuje zmiana paradygmatu opieki medycznej z leczenia jednym rodzajem terapii całej populacji (ang. „one size fits all”) na leczenie spersonalizowane. Wykorzystanie informacji na temat genotypu danej osoby do podejmowania decyzji dotyczących profilaktyki, diagnostyki i terapii chorób ma duże szanse do udoskonalenia metod diagnostycznych i terapeutycznych. Medycyna personalizowana daje największe nadzieje w **onkologii, kardiologii oraz chorobach rzadkich i neurodegeneracyjnych**. **Obszary te wskazane zostały również przez ekspertów jako najistotniejsze dla rozwoju nauk medycznych w Polsce (Ryc. 11)**. Dziedziną nauki o wysokim potencjale oddziaływania na medycynę jest **epigenetyka** koncentrująca się na zależnościach między czynnikami środowiskowymi, a elementami genetycznymi. Zmiany epigenetyczne mogą wpływać m.in. na sposób reagowania pacjenta na leczenie. Poza nowotworami, w polu badawczym epigenetyki znajdują się: **zaburzenia psychiczne, choroby układu krążenia, choroby reumatyczne, choroby metaboliczne** (np. modyfikacje epigenetyczne wydają się mieć znaczenie dla rozwoju cukrzycy typu 2) czy **niealkoholowe stłuszczenie wątroby**.⁵⁷

6.2 Kompleksowe badania nad immunoterapeutykami w onkologii.

Immunoterapia nowotworów (podejście oparte na wykorzystaniu układu immunologicznego pacjenta do walki z nowotworem), inaczej immuno-onkologia, jest jednym z najbardziej innowacyjnych i przyszłościowych obszarów biotechnologii. Wydaje się być tym, czym w leczeniu chorób zakaźnych

⁵⁷ Raport – BADANIA GENETYCZNE W POLSCE. Stan obecny, potrzeby, problemy, rozwiązania. 2023

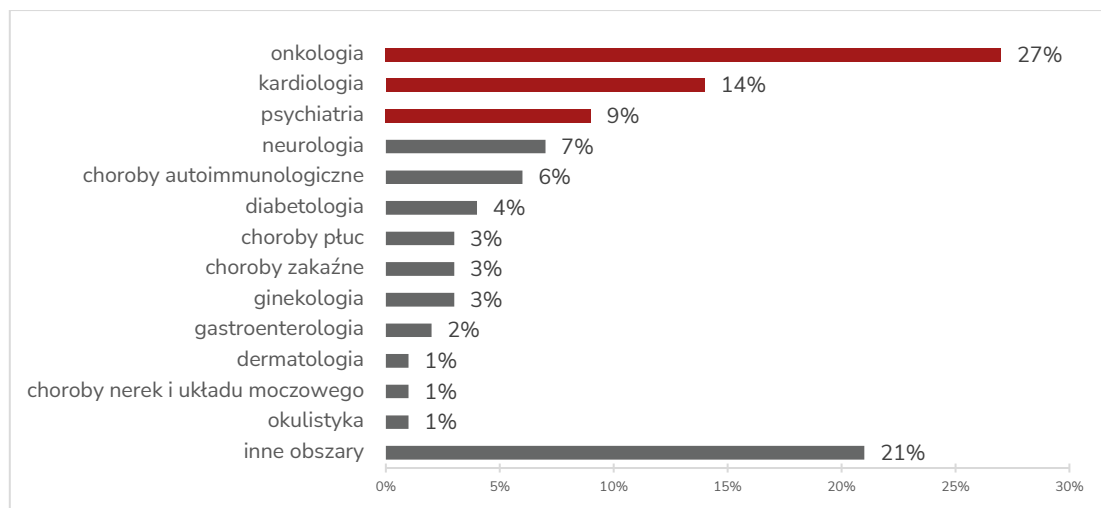


było wprowadzenie antybiotyków i szczepień ochronnych. Pierwszy z leków z tej grupy został zarejestrowany w 2011 r. w terapii czerniaka, a obecnie w pełni przebadanych i zarejestrowanych jest już kilkanaście terapii immunoonkologicznych.

Obecnie immunoterapia prowadzona jest dwukierunkowo:

- terapie z użyciem **inhibitorów tzw. punktów kontroli układu immunologicznego** (np. ipilimumab, pembrolizumab i niwolumab), w których układ odpornościowy aktywowany jest do walki z konkretnym nowotworem w sposób identyczny dla wszystkich pacjentów chorujących na ten nowotwór z powodzeniem stosowane w leczeniu czerniaka i nowotworów płuca,
- terapie personalizowane z użyciem **przeciwnowotworowych szczepionek terapeutycznych**, w których układ odpornościowy mobilizowany jest do walki z konkretnym nowotworem występującym u konkretnego pacjenta. Wymagają one określenia neoantygenów – białek występujących tylko i wyłącznie w danym, narastającym guzie, zależnych od unikalnej kombinacji mutacji genetycznych, jakie niosą komórki nowotworowe obecne u danego chorego.

Prowadzony jest szereg badań oceniających zastosowanie nowych terapii w leczeniu raka nerki, raka jelita grubego, raka gruczołu krokowego, raka piersi, nowotworów głowy i szyi oraz innych. **Do identyfikacji neoantygenów wykorzystuje się najnowsze osiągnięcia genetyki i biologii molekularnej NGS, a także algorytmy bioinformatyczne i modelowanie komputerowe.** Badaniom naukowym umożliwiającym poszerzenie wiedzy na temat immunologicznych aspektów nowotworów oraz wprowadzenie nowych terapii immunoonkologicznych na rynek przeznaczają się obecnie na całym świecie ogromne środki finansowe.^{58,59} **Onkologia wskazana została przez ekspertów jako najistotniejszy dla rozwoju nauk medycznych w Polsce obszar medycyny (Rys. 10).**



Rysunek 10. Obszary medycyny, które powinny być w pierwszej kolejności wspierane dla rozwoju nauk medycznych w Polsce. Odpowiedzi ekspertów. Metodologia: CAWI, N=188 odpowiedzi. Wskazania dotyczące onkologii, kardiologii i psychiatrii stanowią łącznie połowę wszystkich odpowiedzi.

⁵⁸ <https://www.fnp.org.pl/miedzynarodowe-centrum-badan-nad-szczepionkami-przeciwnowotworowymi/>

⁵⁹ Morse MA, Gwin WR 3rd, Mitchell DA. Vaccine Therapies for Cancer: Then and Now. *Target Oncol.* 2021 Mar;16(2):121-152.



6.3 Kompleksowe badania nad złożonymi mechanizmami plastyczności mózgu – wypracowanie nowych rozwiązań poprawiających profilaktykę, diagnostykę, monitorowanie i leczenie chorób mózgu.

Neuroplastyczność mózgu, czyli zdolność do nieustannych, trwałych reorganizacji sieci komórek nerwowych pod wpływem różnych bodźców jest kluczowa dla procesów uczenia się, zapamiętywania i regeneracji po uszkodzeniach wynikających z urazów lub chorób mózgu. Dzięki niej możliwa jest redukcja skutków np. stwardnienia rozsianego, choroby Alzheimera czy choroby Parkinsona. Z drugiej strony zaburzenia neuroplastyczności mogą prowadzić do wielu stanów patologicznych, takich jak: uzależnienia, zaburzenia ze spektrum autyzmu, depresja, schizofrenia oraz zaburzenia afektywne dwubiegunowe. Wiedza w zakresie neurobiologii i funkcjonowania mózgu wzrasta w ostatnich latach w ogromnym tempie. Rewolucyjny postęp dotyczy 1) **metod biologii molekularnej** umożliwiających wykonywanie wysokowydajnych analiz i manipulacji genowo-białkowych, 2) **metod precyzyjnego obrazowania i wizualizacji** zarówno pojedynczych komórek i synaps, jak i aktywności sieci neuronalnych w całym mózgu, 3) **technik tworzenia nowatorskich modeli badawczych**, takich jak organoidy mózgowe pochodzące z indukowanych pluripotencjalnych komórek macierzystych oraz 4) **bioinformatyki** pozwalającej na analizy olbrzymich zbiorów danych. Badania nad **mechanizmami neuroplastyczności** tworzą nowe możliwości poznania **etiopatogenezy wielu schorzeń neurologicznych, neurodegeneracyjnych i psychiatrycznych**. Choroby mózgu generują najwyższe koszty społeczne (koszt tych chorób w UE sięga nawet 800 mld euro). Obciążenie zaburzeniami układu nerwowego w ciągu ostatnich lat wzrosło i prawdopodobnie wzrośnie w przyszłości z powodu starzenia się populacji. Istnieje zatem pilna potrzeba poprawy profilaktyki, diagnostyki i terapii tych zaburzeń.^{60,61} **Psychiatria wskazana została przez ekspertów jako trzeci najistotniejszy dla rozwoju nauk medycznych w Polsce obszar medycyny (Rys. 11).**

Badania nad mechanizmami neuroplastyczności stworzą nowe możliwości poznania etiopatogenezy wielu schorzeń neurologicznych, neurodegeneracyjnych i psychiatrycznych.

6.4 Medycyna Cyfrowa – mariaż medycyny z informatyką dla nowych rozwiązań diagnostyczno-terapeutycznych w medycynie personalizowanej.

MEDYCINA CYFROWA
Narzędzia sztucznej inteligencji,
uczenie maszynowe,
zaawansowane algorytmy,
modelowanie i symulacje
komputerowe, wysokowydajne
obliczenia wielkoskalowe,
analizowanie ogromnych baz
danych, metody rozszerzonej
rzeczywistości można
wykorzystać do **zapobiegania**
chorobom oraz ich **precyzyjnego**
diagnozowania i leczenia.

Medycyna personalizowana bazuje na rozpoznaniu i zrozumieniu różnic pomiędzy pacjentami chorującymi na tę samą chorobę, dzięki czemu możliwe jest dopasowanie leczenia do potrzeb organizmu konkretnego pacjenta. Na zindywidualizowaną terapię nakłada się również coraz większa wiedza dotycząca złożoności samych chorób i wielości mechanizmów fizjologicznych, uczestniczących w ich rozwoju. **Medycyna cyfrowa**, nazywana także medycyną *in silico* lub medycyną obliczeniową, to nowa dziedzina wiedzy, której powstanie zawdzięcza się postępowi w obszarze technologii komputerowych. **Narzędzia sztucznej inteligencji, uczenie maszynowe, zaawansowane algorytmy, modelowanie i symulacje komputerowe, wysokowydajne obliczenia wielkoskalowe, analizowanie ogromnych baz danych, metody rozszerzonej rzeczywistości**

60 <https://www.fnp.org.pl/braincity-centrum-doskonalosci-w-zakresie-neuroplastycznosci-i-chorob-mozgu/>

61 Koch G, Spampinato D. Alzheimer disease and neuroplasticity. *Handb Clin Neurol.* 2022;184:473-479.



– wszystko to można wykorzystać do zapobiegania chorobom, ich **precyzyjnego diagnozowania, a także planowania i wspomaganie skutecznego leczenia, obarczonego minimalną liczbą działań niepożądanych**. Celem i wyzwaniem dla współczesnej medycyny jest połączenie wiedzy medycznej i możliwości obliczeniowych dla zapewnienia pacjentom jak najlepszej jakości życia, a to można osiągnąć dzięki zindywidualizowanemu postępowaniu leczniczemu.⁶²

6.5 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe

W oparciu o powyższe analizy można w przyszłości wdrożyć następujące rozwiązania:

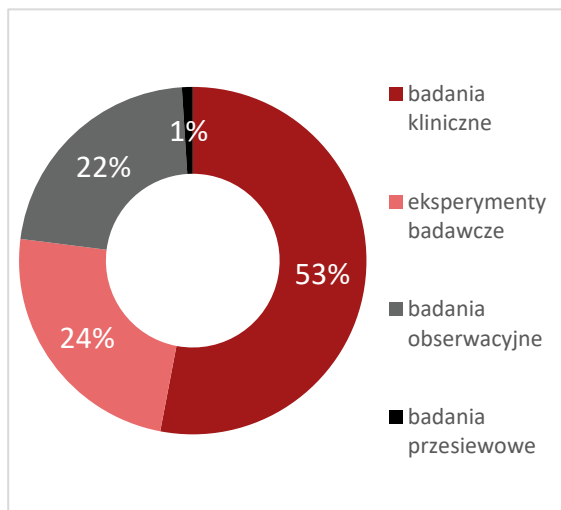
- **Rozwój zdolności wytwórczych z zakresu terapii zaawansowanych (ATMP)** - opracowywanie nowych terapii immunoonkologicznych, spersonalizowane przeciwnowotworowe szczepionki terapeutyczne,
- **Rozwój Medycyny Translacyjnej**
 - badania nad mechanizmami neuroplastyczności dają szansę na opracowaniu skutecznych metod diagnostycznych i diagnostyczno-terapeutycznych dla schorzeń neurologicznych, neurodegeneracyjnych i psychiatrycznych
 - nowe metody precyzyjnego obrazowania i wizualizacji – choroby układu nerwowego (neurologiczne, neurodegeneracyjne i psychiatryczne)
 - tworzenie nowatorskich modeli badawczych – choroby układu nerwowego (neurologiczne, neurodegeneracyjne i psychiatryczne)
- **Rozwój Badań Epidemiologicznych** - wspieranie badań na populacjach osób starszych obejmujących choroby neurodegeneracyjne i inne stany patologiczne związane z wiekiem.
- **Opracowanie Planu Rozwoju Medycyny Cyfrowej**
 - wykorzystanie narzędzi sztucznej inteligencji, uczenia maszynowego, zaawansowanych algorytmów, modelowania i symulacji komputerowych, wysokowydajnych obliczeń wielkoskalowych, analizowania dużych wolumenów danych i metod rozszerzonej rzeczywistości do zapobiegania chorobom, ich precyzyjnego diagnozowania i skutecznego leczenia
 - wykorzystanie informacji na temat profilu genetycznego poszczególnych osób do podejmowania decyzji dotyczących profilaktyki, diagnostyki i terapii chorób/zastosowaniu testów genetycznych i markerów molekularnych do doboru właściwej strategii terapeutycznej dla właściwego pacjenta we właściwym czasie i/lub na określeniu molekularnych predyspozycji do konkretnej choroby u konkretnej osoby, w celu podjęcia właściwych działań prewencyjnych we właściwym czasie (medycyna personalizowana).

⁶² <https://www.fnp.org.pl/centrum-zindywidualizowanej-medycyny-obliczeniowej-sano/>

7. Badania kliniczne w Polsce i na świecie

7.1 Badania biomedyczne w Polsce i na świecie – rosnąca przewaga onkologicznych badań klinicznych

Według bazy ClinicalTrials na świecie (stan na 08.05.2023 r.) zarejestrowano 451 373 badań, z czego 77% (347 993) były badaniami interwencyjnymi i najczęściej odnosiło się do: produktów leczniczych lub biologicznych, interwencji behawioralnych, wyrobów medycznych i procedur zabiegowych. W Europie zarejestrowano 129 648 badań, z czego w Polsce – 8 844, w tym 7 927 interwencyjnych⁶³. Z kolei w bazie ClinicalTrialsRegister w Europie zarejestrowano 42 304 badania kliniczne, z czego 4 218 w Polsce⁶⁴.



Rysunek 11.. Rodzaje badań najistotniejsze dla poprawy systemu ochrony zdrowia. Odpowiedzi ekspertów. Metodologia: CAWI, N=68 odpowiedzi. Ponad połowę wszystkich wskazań stanowią badania kliniczne.

Przewiduje się, że **badania interwencyjne zdominują rynek badań klinicznych**³⁴, a **onkologia pozostanie w nim głównym obszarem terapeutycznym**⁶⁵. Podobne zdanie prezentują też eksperci ankietowani przez ABM wskazujący na kluczową rolę badań klinicznych w poprawie systemu ochrony zdrowia w Polsce (Ryc. 11).

Badania kliniczne związane z COVID-19 spowodowały wzrost badań dotyczących innych chorób zakaźnych, szczególnie takich jak: zakażenia bakteryjne, HIV i wirusowe zapalenie wątroby oraz grypa. W latach 2021-2022 przyspieszył rozwój szczepionek mRNA i rozszerzył się na wiele obszarów chorobowych, niezwiązanych z COVID-19, np. grypę i infekcje układu oddechowego, inne choroby zakaźne, sercowo-metaboliczne i nowotworowe. Badania kliniczne z onkologii osiągnęły historycznie wysoki poziom w 2022 r.

(wzrost o 22% w porównaniu z 2018 r.) i dotyczyły głównie rzadkich wskazań nowotworowych. W 2022 r. badania rozpoczynane w innych, ważnych obszarach terapeutycznych powróciły do poziomu sprzed pandemii. Wyjątkiem były badania związane z okulistyką i zdrowiem kobiet, których poziom wzrastał w okresie pandemii i zrównał się lub nieznacznie przekroczył poziom z 2021 r. O 68% w porównaniu z okresem sprzed pandemii zwiększył się poziom rozpoczynanych prób klinicznych dotyczących depresji, a psychodeliki testowano w prawie 25% badaniach rozpoczynanych w 2022 r.⁴⁴.

7.2 Dominujące trendy badań nad nowymi technologiami lekowymi i biomedycznymi – rozwój schematów badawczych nowej generacji

Według EMA do 2025 r. strategiczne cele i podstawowe rekomendacje dotyczące produktów leczniczych przeznaczonych dla ludzi odnoszą się, m.in.: do współpracy w zakresie generowania dowodów, aby poprawić jakość ocen naukowych, np. poprzez wspieranie innowacji w badaniach klinicznych np. nowych projektów badań; nowych, klinicznych punktów końcowych, szczególnie tych związanych z jakością życia; technik do zbierania danych lub innych bazujących na omice i danych z rzeczywistej praktyki (RWD) w celu stratyfikowania populacji lub taksonomii choroby, a także

63 <https://clinicaltrials.gov/ct2/resources/trends> data dostępu 09.05.2023 r.

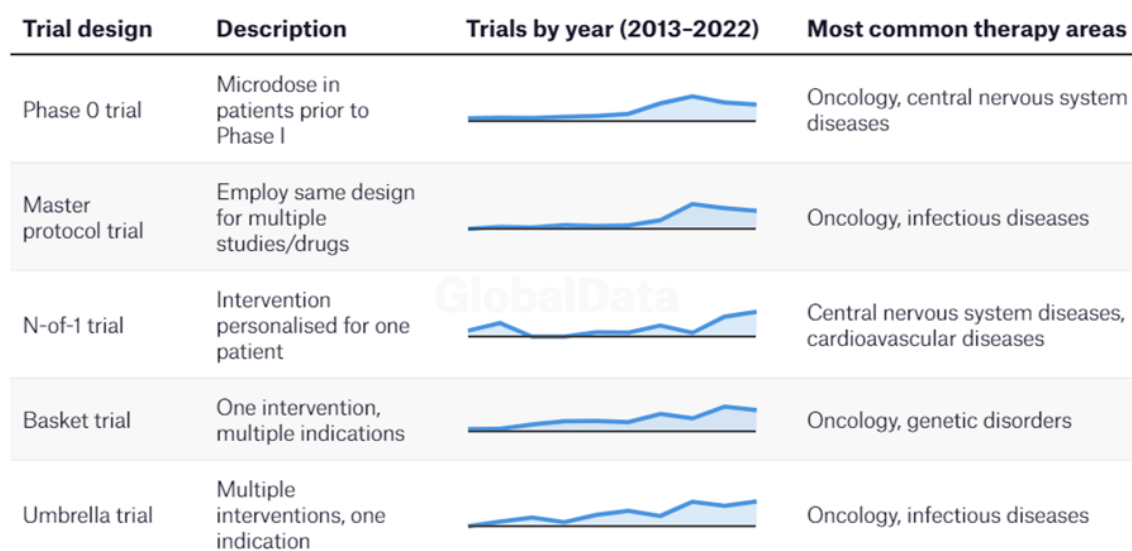
64 <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=&country=pl> data dostępu 09.05.2023 r.

65 <https://www.wcgclinical.com/clinical-research-trends-insights-for-2023/#section1> data dostępu 11.05.2023 r.

promowania włączania do badań pomijanych dotychczas podgrup, takich jak: kobiety w ciąży, osoby starsze, grupy zróżnicowane etnicznie³⁵.

Systematycznie **rośnie liczba badań klinicznych o nowoczesnej konstrukcji** (7,5 % w 2010 r. do 17% w 2022 r.), w tym parasolowych, koszykowych, platformowych, z protokołem głównym i adaptacyjnym^{44,66}. Badania tego typu dominują w onkologii, a w ostatnich trzech latach także w chorobach zakaźnych, w tym COVID-19⁴⁴, jak również w chorobach autoimmunologicznych⁶⁷. W 2022 r. FDA opracował wytyczne dotyczące stosowania protokołów głównych w badaniach produktów onkologicznych i biologicznych⁶⁸, a w 2019 r. wytyczne dla adaptacyjnych projektów badań⁶⁹. Ponadto FDA planuje harmonizację wytycznych z zagranicznymi urzędami rejestracyjnymi w zakresie adaptacyjnych badań klinicznych⁴³. Eksperci twierdzą, że badania fazy 0, które identyfikują aktywność leku specyficzną dla pacjenta przed badaniami fazy I oraz badania z protokołem głównym – które wykorzystują ten sam protokół dla wielu leków lub badań – mogą cieszyć się największym zainteresowaniem. Tymczasem stosowanie nietradycyjnych prób: N-of-1, koszykowych i parasolowych **rośnie**⁷⁰ (Ryc. 12).

Duże zmiany zachodzą także w badaniach analizy przeżycia. Przewiduje się, że **badania kliniczne będą coraz częściej zorientowane na pacjenta** (np. lek dopasowywany do pacjenta na podstawie jego biomarkerów guza) niż na lek (np. uczestnicy dopasowywani do specyfiki badania klinicznego)⁷⁸. W rozwoju rynku technologii lekowych obserwuje się także trend w gromadzeniu danych. RWD/RWE wykorzystuje się w coraz większym stopniu w projektowaniu czy uzupełnianiu danych z badań klinicznych⁷¹.



Rys. 12. Trendy w najczęstszych, nietradycyjnych projektach badań klinicznych [83].

Zarówno sponsorzy komercyjni, jak i niekomercyjni wykazują coraz większe zainteresowanie wykorzystaniem **RWE** nie tylko w badaniach IV fazy, ale także rejestracyjnych (fazy III i II), np. w postaci

66 Fountzilas E., Tsimberidou AM., Vo HH., *Clinical trial design in the era of precision medicine*. *Genome Medicine*, 2022, 14:101 <https://doi.org/10.1186/s13073-022-01102-1>.

67 <https://www.genedata.com/news/details/clinical-trial-design-trends> data dostępu 11.05.2023 r.

68 <https://www.fda.gov/media/120721/download> data dostępu 09.05.2023 r.

69 <https://www.fda.gov/media/78495/download> data dostępu 09.05.2023 r.

70 <https://www.clinicaltrialsarena.com/features/trial-design-2023/> data dostępu 09.05.2023 r.

71 <https://www.ppd.com/blog/six-predictions-biopharma-biotech-industries-2023/> data dostępu 09.05.2023 r.



syntetycznej (zewnętrznej/równoległej) grupy kontrolnej, łączącej RWD z danymi historycznymi. Dane zebrane przez pacjentów, obejmujące różnego rodzaju biosensory, urządzenia ubieralne (ang. wearable devices) czy aplikacje na telefon są ważną formą RWD. Według GlobalData w 2022 r. największy odsetek wykorzystania RWE w rozpoczynanych badaniach dotyczyło: onkologii, chorób zakaźnych i układu nerwowego⁷².

Wzrosła popularność **badania zdalnych, wirtualnych lub zdecentralizowanych** wśród tych rozpoczynanych przez przemysł, z niewielkim spadkiem w 2022 r.⁴⁴. Podobnie obserwuje się wzrost **digitalizacji** (np. zastosowania chmury obliczeniowej, platform internetowych czy innych, zaawansowanych narzędzi), mającej pomóc w rekrutacji pacjentów i uzyskiwaniu skutecznych badań⁸⁴. **Decentralizacja badań** klinicznych (DCT) jest podejściem zorientowanym na pacjenta, oferuje maksimum elastyczności i wygody, poprzez zastosowanie, np.: urządzeń ubieralnych /sensorów, osobistych aplikacji, takich jak: elektroniczne dzienniczki (używanych zdalnie), wyników raportowanych przez pacjenta, kontaktu telefonicznego w okresie obserwacji, wizyt domowych, dostarczanie leku do domu, zgody elektronicznej, zdalnego monitorowania danych^{73,74}. Obecnie tego rodzaju rozwiązania stosuje się najczęściej w badaniach klinicznych z obszaru: ośrodkowego układu nerwowego, metabolicznego/ endokrynologicznego i autoimmunologicznego/zapalnego⁸⁷, a także chorób zakaźnych⁴⁴. W grudniu 2022 r. EMA przygotowała rekomendacje dotyczące DCT⁷⁵, a FDA prowadzi w tym zakresie prace⁸².

Zwiększa się zastosowanie **sztucznej inteligencji czy uczenia maszynowego** przy projektowaniu badań (np. wybór najbardziej optymalnych punktów końcowych), rekrutacji (np. identyfikacja ośrodków i najodpowiedniejszej strategii), analizie, wspieraniu procesu diagnostycznego, generowaniu dowodów z rzeczywistej praktyki, a także analizach predykcyjnych^{76,44}.

Twórcy leków wskazują, że wykorzystywanie nowych technologii (w tym mRNA i platform do odkrywania leków) jest jedną z największych możliwości w badaniach klinicznych. Według przeprowadzonej ankiety wiodącym obszarem terapeutycznym jest hematologia/onkologia (59%), a następnie choroby rzadkie (39%) i immunologia/reumatologia (38%). W obszarach tych dominuje rozwój terapii komórkowych, genowych i opartych na kwasach nukleinowych, i przewiduje się ich dalszy rozwój⁸⁴.

7.3 Czynniki o decydującym wpływie na prowadzenie badań klinicznych w poszczególnych obszarach medycznych – konieczność stymulacji europejskiego ekosystemu badań klinicznych

W ostatnich latach notuje się coraz mniej badań klinicznych prowadzonych w Europie. Na zmniejszenie liczby rejestrowanych badań mogą mieć wpływ takie czynniki jak: niedostateczna pula kwalifikujących się pacjentów, długi czas dopuszczenia do obrotu technologii medycznych, rozwoju regionów pozaeuropejskich czy wysokich kosztów. Pomimo pojawiających się inicjatyw, wdrażanie cyfrowych technologii medycznych w Europie jest wolniejsze niż w innych regionach, np. Stanach Zjednoczonych, co pozostawia ją w tyle pod względem przyciągania nowoczesnych badań klinicznych. Najważniejszymi czynnikami przyspieszającymi rozwój badań klinicznych dla nowych technologii, np.

72 <https://www.clinicaltrialsarena.com/features/real-world-data-charge/> data dostępu 11.05.2023 r.

73 https://www.hma.eu/fileadmin/dateien/HMA_joint/00-About_HMA/03-Working_Groups/CTCG/2022_08-CTCG_EU_DCT_project.pdf data dostępu 09.05.2023 r.

74 Osborne A., Danheiser S., *Unlocking the Potential of Decentralized Clinical Trials*. Citeline, 2023.

75 https://health.ec.europa.eu/system/files/2023-03/mp_decentralised-elements_clinical-trials_rec_en.pdf data dostępu 09.05.2023 r.

76 <https://www.clinicaltrialsarena.com/buyers-guide/artificial-intelligence-companies-clinical-trials/> data dostępu 09.05.2023 r.



ATMP lub cyfrowych są: polityka cenowa i polityka dostępu do rynku, lokalizacja głównych szpitali i specjalistów oraz elastyczne środowisko regulacyjne⁷⁷.

Kluczowe czynniki napędzające wzrost rynku badań klinicznych to adaptacja nowych technologii w badaniach klinicznych, rosnącą częstość występowania chorób przewlekłych oraz popyt ze strony krajów rozwijających się⁷⁸. Rynek ten jest pobudzany przez wzrost zachorowań na nowe choroby. Rośnie tendencja do badań łączonych i współpracy, co dodatkowo wzmocni globalny rynek badań klinicznych⁷⁶.

Rekrutacja pacjentów, w tym utrzymanie pacjentów i różnorodność pacjentów, jest największym problemem dla firm biotechnologicznych i biofarmaceutycznych. Z kolei opracowywanie bardziej ukierunkowanych terapii, wiąże się z rosnącą złożonością badań klinicznych, przeszkodami regulacyjnymi⁸⁴ oraz trudnościami związanymi z zarządzaniem danymi i dostępem do odpowiedniej infrastruktury⁷⁹.

7.4 Podsumowanie i wnioski wdrożeniowe

Rynek badań klinicznych zdominowany jest badaniami interwencyjnymi (głównie produktów leczniczych klasycznych i biologicznych) w onkologii, szczególnie we wskazaniach rzadkich. Obserwuje się także wzrost badań w obszarze chorób zakaźnych i psychiatrii. Coraz częściej w badaniach klinicznych wykorzystuje się nowoczesne projekty badań zorientowane na pacjenta (np. fazy 0, parasolowe, koszykowe, N-of-1, z protokołem głównym, adaptacyjnym), rozwiązania zdecentralizowane i zdigitalizowane. Wnioski z niniejszego rozdziału można podzielić na wsparcie następujących obszarów kluczowych:

Rozwój Niekomercyjnych Badań Klinicznych – premiowanie za obszar terapeutyczny: onkologia, immunologia/choroby zakaźne, psychiatria, kliniczne punkty końcowe, takie jak: przeżycie całkowite, jakość życia, badania na populacjach, które dotychczas pomijano w badaniach klinicznych, tj. osoby starsze, kobiety w ciąży i karmiące piersią, zastosowanie rozwiązań związanych z decentralizacją i digitalizacją badań klinicznych, jak np. urządzenia noszone, e-dzienniczki, wizyty domowe, dostarczanie leku do domu pacjenta.

Rozwój Niekomercyjnych Badań Klinicznych w zakresie onkologii – premiowanie za onkologiczne choroby rzadkie, kliniczne punkty końcowe, takie jak: przeżycie całkowite, jakość życia, badania na populacjach, które dotychczas pomijano w badaniach klinicznych, tj. osoby starsze, zróżnicowane etnicznie, zastosowanie nowych projektów badań, takich jak: parasolowe, koszykowe.

Rozwój Badań Epidemiologicznych – premiowanie za badania na populacjach: kobiet w ciąży, karmiących piersią, osób starszych, zróżnicowanych etnicznie, które obecnie są wyłączone z badań klinicznych, wykorzystywanie nowych technologii do zbierania (np. urządzenia do noszenia) i analizy danych (np. sztuczna inteligencja, uczenie maszynowe),

Rozwój Medycyny Translacyjnej – wykorzystywanie nowych technologii do analizy danych (np. sztuczna inteligencja, uczenie maszynowe),

Rozwój zdolności wytwórczych z zakresu terapii zaawansowanych (ATMP) – wsparcie w obszarach terapeutycznych: hematologia/onkologia, choroby rzadkie, immunologia.

⁷⁷ European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA), *Factors affecting the location of biopharmaceutical investments and implications for European policy priorities. Final Report*, London, 2022.

⁷⁸ data dostępu 11.05.2023 r.



8. Podsumowanie i diagnoza rozpoznawcza do przyszłych Planów Działalności ABM

W Polsce konsekwentnie od wielu lat choroby **układu krążenia i onkologia** stanowią największe wyzwanie dla systemu ochrony zdrowia. Obserwowane zmiany w strukturze demograficznej będą miały istotny wpływ na wzrost zapadalności i zachorowalności w grupie wiekowej 65+ w zakresie **chorób przewlekłych**. Wzrost częstotliwości występowania chorób przewlekłych będzie objawiał się wzrostem częstości występowania wielochorobowości. Poza chorobami kardiologicznymi i onkologicznymi obserwowany jest wzrost zachorowań w obszarach **chorób metabolicznych, chorób układu oddechowego, chorób ośrodkowego układu nerwowego** (choroby neurodegeneracyjne i psychiatryczne), jest to skutek zarówno pandemii COVID-19, jak i wpływu czynników środowiskowych.

Zagrożenia wynikające z **wielochorobowości i starzejącego się społeczeństwa** wymuszają zwiększenie uwagi na badania epidemiologiczne skierowane na analizy zależności między **behawioralnymi i metabolicznymi czynnikami ryzyka**, a ich wpływem na **rozwój chorób sercowo-naczyniowych i onkologicznych**. Identyfikacja najważniejszych zagrożeń epidemiologicznych i potrzeb populacji polskiej pozwoli na bardziej efektywne dystrybuowanie ograniczonych zasobów lub planowanie z wyprzedzeniem struktury zasobów.

Wymienione czynniki: starzenie się społeczeństwa, skutki pandemii i czynniki środowiskowe stanowią wyzwanie w kluczowych obszarach takich jak **profilaktyka, diagnostyka i wprowadzenie skutecznych terapii**. Z punktu widzenia polskiego systemu ochrony zdrowia podstawowym istotnym działaniem na rzecz zdrowego społeczeństwa powinna być skuteczność działań we wszystkich wymienionych obszarach.

Diagnostyka wykorzystująca **zaawansowane analizy molekularne i obrazowe, wspomagana algorytmami AI** wpływająca na **personalizowanie terapii** stanowić będzie klucz do szybszego i kompleksowego rozwiązywania zidentyfikowanych problemów zdrowotnych oraz będzie mieć strategiczne znaczenie dla stawiania prawidłowej diagnozy, wyboru terapii i optymalizacji czasu leczenia/hospitalizacji. Ze względu na bardzo szybki rozwój technologii medycznych oraz coraz większą ilość danych medycznych istnieje potrzeba wspierania odpowiedzialnego **wykorzystania potencjału AI w systemie ochrony zdrowia**, zarówno w badaniach epidemiologicznych jak i usprawnieniu całego procesu diagnostyczno-terapeutycznego.

Zwiększona wydajność **systemów diagnostycznych połączona z edukacją**, mającą na celu zachęcanie społeczeństwa do **aktywnego uczestnictwa w programach profilaktycznych** ma szansę przyspieszyć wejście potencjalnego pacjenta na ścieżkę terapeutyczną. **Prawidłowa i szybka diagnostyka**, to nie tylko dobrze opracowane **biomarkery**, ale również wydajne i precyzyjne urządzenia umożliwiające **wykonywanie badań w warunkach ambulatoryjnych lub domowych** z zachowaniem dużej precyzji pomiaru z małej objętości badanego materiału. Wspieranie wdrażania **innowacyjnych wyrobów medycznych** wykorzystujących **nanotechnologie i mikrosystemy**, w tym wysokowydajnych badań przesiewowych wydaje się być kluczowym aspektem determinującym **personalizowaną ścieżkę terapeutyczną**.



Precyzyjne określenie ścieżki pacjenta ma kluczowe znaczenie we wzroście wskaźnika skuteczności procesu diagnostyczno-terapeutycznego. Ścieżka pacjenta powinna być określona dla poszczególnych obszarów, a pacjent niezależnie od zdiagnozowanej jednostki chorobowej, powinien pozostawać pod stałą opieką na każdym etapie tego procesu. **Jasny model ścieżki pacjenta** wymaga usprawnień organizacyjnych i systemowych, co znacząco wpłynie na skrócenie czasu między postawieniem **wstępnej diagnozy** a wdrożeniem odpowiedniej, **skutecznej terapii**. Na etapie określania optymalnego postępowania z pacjentem powinno się również zwrócić uwagę na **wsparcie komunikacji i zrozumienia pomiędzy lekarzem, a pacjentem**.

W rozwoju innowacyjnych rozwiązań w obszarze biomedycznym niezwykle istotna jest **współpraca interdyscyplinarna** (naukowców, klinicystów, pacjentów, firm biotechnologicznych i farmaceutycznych), pozwalająca na opracowanie technologii dostosowanych do rzeczywistych potrzeb pacjentów w obszarach stosowanych terapii oraz **wiedza specjalistyczna**, w tym techniczna i regulacyjna, a także **skuteczny przepływ informacji** w ramach ekosystemu innowacji. **Rozwój medycyny translacyjnej**, której celem jest bezpośrednie przełożenie odkryć naukowych dokonanych w laboratorium na praktyczne zastosowania kliniczne, które przyniosą korzyści dla zdrowia pacjentów, oprócz wsparcia finansowego i organizacyjnego będzie wymagał również wsparcia w obszarze **edukacji oraz budowania kompetencji** klinicznych, biznesowych i regulacyjnych, a co za tym idzie **możliwości wymiany wiedzy** w wymienionych obszarach **zarówno przez doświadczonych naukowców, przedstawicieli biznesu i jak i doktorantów i studentów kierunków biomedycznych**.

Starzejące się społeczeństwo będzie zwiększało zależność systemu ochrony zdrowia od stabilnego dostępu do leków, ich substancji czynnych i surowców farmaceutycznych. Niezbędne będzie **budowanie krajowych zdolności produkcji wybranych API**, zwłaszcza tych kluczowych dla grup 65+, których precyzyjne określenie na cele przyszłych Planów Działalności będzie przedmiotem **oddzielnego Raportu Działu Nauki ABM**.

Nie tylko rozwój zdolności wytwórczych substancji czynnych stanowi działanie wspierające bezpieczeństwo lekowe kraju. **Również rozwój leków generycznych i biopodobnych** jest ważnym czynnikiem zapewniającym **dostępność i stabilne ceny leków**, co jest szczególnie ważne ze względu na duży potencjał polskiego rynku lekowego i potencjał rodzimego sektora biofarmaceutycznego.

Rosnąca potrzeba nowych **spersonalizowanych opcji terapeutycznych** w obszarze onkologii, chorób rzadkich, ukierunkowanego leczenia depresji oraz nowoczesnych metod zwalczania drobnoustrojów napędza **rozwój produktów leczniczych terapii zaawansowanych**. Dla pełnego zagospodarowania krajowych możliwości wskazane byłoby wsparcie infrastrukturalne mające na celu budowę nowych i **dostosowanie istniejących już w Polsce wytwórni ATMP**, ze szczególnym uwzględnieniem terapii komórkowych w hematologii oraz personalizowanych terapii opartych na kwasach nukleinowych w terapiach onkologicznych.

W procesach terapeutycznych poza produktami leczniczymi niezwykle ważny element stanowią **techniki i systemy chirurgiczne nowej generacji**, które wydatnie zmniejszają inwazyjność interwencji, co przekłada się na szybszą regenerację. Szybki powrót pacjenta do zdrowia uzależniony jest również od odpowiednio dobranych **innowacyjnych rozwiązań służących rehabilitacji**, wykorzystujących min. biomateriały.



Przedstawione powyżej argumenty i wnioski stanowią podstawę do propozycji obszarów kluczowych, które w będą wykorzystywane do **przygotowywania Planów Działalności Agencji** w najbliższych latach i dalszych **cyklicznych aktualizacji Raportów Rozpoznawczych**. Poniżej przedstawione w formie tabelarycznego podsumowania szczegóły **obszarów kluczowych z podziałem na najważniejsze obszary niekomercyjne, komercyjne i strategiczne** ze szczegółowym opisem elementów premiowanych oraz dokumentacji źródłowej i odniesienia.



KLUCZOWE OBSZARY NIEKOMERCYJNE

1.	<p><u>Rozwój niekomercyjnych badań klinicznych i eksperymentów badawczych ze szczególnym uwzględnieniem chorób sercowo-naczyniowych</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">dalszy rozwój niekomercyjnych badań klinicznych i eksperymentów badawczych we wszystkich obszarach badawczych ze szczególnym uwzględnieniem chorób sercowo-naczyniowychkonieczność przedstawienia szczegółowego planu promocji badania, wsparcia rekrutacji i edukacji pacjentów w przypadku badań kardiologicznych	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">Kardiologia i choroby sercowo-naczynioweChoroby zakaźneChoroby autoimmunologiczneNeurologia i psychiatria – zwłaszcza terapie antydepresyjneWykorzystanie rozwiązań z obszaru digitalizacji i decentralizacjiBadania porównawcze typu Head-to-HeadWykorzystanie rozwiązań teranostycznychObjęcie badaniami priorytetowych populacji – pediatrycznej, geriatrycznej, kobiet w ciąży i karmiących piersią.Wczesna diagnostyka i prewencjaNowoczesne protokoły badań klinicznych – badania parasolowe, koszykowe, platformowe i ich kombinacjeWykorzystanie rozwiązań z zakresu medycyny cyfrowej – algorytmy AI, rozwiązania telemedyczne, wsparcie analizami opartymi na RWE/RWDSzczegółowy plan promocji badań klinicznych i edukacji pacjentów – kryterium niezbędne w przypadku projektów kardiologicznychUwzględnienie oceny jakości życia jako pierwszorzędnego punktu końcowego	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u></p> <p>Plan Rozwoju Badań Klinicznych</p> <p>Raport Rozpoznawczy</p> <ul style="list-style-type: none">Rozdział 2Rozdział 3Rozdział 4Rozdział 7
----	--	--	---



2.	<p><u>Rozwój niekomercyjnych badań klinicznych w zakresie onkologii</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• rozwój niekomercyjnych badań klinicznych w obszarze nowych terapii i diagnostyki onkologicznej• promowanie nowoczesnych protokołów badań nieukierunkowanych na jedno rozpoznanie, lecz obejmujące szeroki wachlarz schorzeń onkologicznych - ze względu na obecność w polskiej populacji kilku najbardziej ryzykownych typów nowotworów, a także rozdrobnienie pozostałych zagrożeń onkologicznych,	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Nowotwory płuc, piersi, gruczołu krokowego, jelita grubego, macicy• Nowotwory rzadkie• Populacja pediatryczna• Dodatkowe wsparcie pacjentów w wykorzystywaniu rozwiązań cyfrowych ze szczególnym uwzględnieniem telemedycyny i terapii cyfrowych, np. wsparcie analizy zgodności postępowania z wytycznymi lekarzy (<i>compliance</i>) lub wsparcie psychologiczne• Nowoczesne protokoły badań klinicznych – badania parasolowe, koszykowe, platformowe i ich kombinacje• Terapie celowane (ściśle określony cel molekularny) i personalizowane (profilowanie/stratyfikacja molekularna pacjentów)• Proponowanie nowoczesnej terapii/diagnostyki dla więcej niż jednej onkologicznej jednostki chorobowej• Wykorzystanie innowacyjnych metod diagnostyczno-terapeutycznych ze szczególnym uwzględnieniem teranostyki• Uwzględnienie przeżycia całkowitego lub jakości życia jako pierwszorzędowych punktów końcowych	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u></p> <p>Plan Rozwoju Badań Klinicznych</p> <p>Raport Rozpoznawczy</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 2○ Rozdział 4○ Rozdział 7
----	--	--	--



<p>3. <u>Rozwój badań epidemiologicznych zwłaszcza w obszarze zagrożeń sercowo-naczyniowych, onkologicznych, psychicznych i neurologicznych</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u> Rozwój wysokiej jakości badań epidemiologicznych, ze szczególnym uwzględnieniem:</p> <ul style="list-style-type: none">• analiz zależności między behawioralnymi i metabolicznymi czynnikami ryzyka, a ich wpływem na zagrożenia sercowo-naczyniowe i onkologiczne, zwłaszcza nowotworów płuc, piersi i stercza, oraz choroby niedokrwiennej serca, udaru, kardiomiopatii i zapalenia mięśnia sercowego.• oceny czynników ryzyka (np. behawioralnych, środowiskowych, nowych) związanych z powstawaniem i rozpowszechnieniem chorób neurologicznych oraz chorób i zaburzeń psychicznych, zwłaszcza neurodegeneracyjnych, związanych z wiekiem oraz neurorozwojowych.	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Choroby sercowo-naczyniowe• Choroby onkologiczne• Choroby pediatryczne, szczególnie onkologiczne i neonatologiczne• Choroby autoimmunologiczne• Choroby neurologiczne i zaburzenia psychiczne, ze szczególnym uwzględnieniem chorób neurodegeneracyjnych i związanych z wiekiem• Objęcie badaniami określonych grup pacjentów: dzieci, kobiet w ciąży lub karmiących piersią, osób starszych• Wykorzystanie rozwiązań medycyny cyfrowej – narzędzi omicznych, algorytmów AI i rozwiązań telemedycznych, zwłaszcza w przypadku badania skuteczności systemów gratyfikacji pacjentów i lekarzy w ramach działań wczesnej diagnostyki i prewencji	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u> Plan Rozwoju Badań Epidemiologicznych</p> <p>Raport rozpoznawczy</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 2○ Rozdział 3○ Rozdział 4○ Rozdział 6○ Rozdział 7
---	--	--



<p>4. <u>Rozwój medycyny translacyjnej oraz wsparcie dialogu i współpracy między środowiskami akademickimi i biznesowymi</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Utworzenie platformy TransMED wraz z programem akceleracyjnym dla potencjalnych beneficjentów – preTransMED• Realizacja i rozwój niekomercyjnych, aplikacyjnych badań podstawowych oraz badań przedklinicznych z obszaru medycyny translacyjnej pod kątem innowacyjnych biomarkerów, diagnostyki <i>in vitro</i> i rozwiązań opartych na wyrobach medycznych z perspektywą ich ścieżki wdrożeniowej w ramach konkursów TransMED SEED• Szczegółowa weryfikacja założeń projektowych w czterech filarach innowacji – technologicznym, klinicznym, biznesowym i regulacyjnym na każdym z wymaganych poziomów TRL i ich składowych.• Iteracyjny charakter weryfikacji projektów w trakcie ich trwania z możliwością adaptacji podejścia• Dalsza możliwość finansowania innowacji w ramach przyszłych konkursów komercyjnych TransMED SPIN• Utworzenie programu kompleksowych szkoleń z zakresu tworzenia innowacji dla doktorantów i studentów w ramach platformy TransMED	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• rozwiązania w obszarze chorób sercowo-naczyniowych, onkologicznych, chorób rzadkich i ultraradkich, neurologicznych i psychiatrycznych, chorób narządu wzroku• objęcie projektem priorytetowych populacji – pediatrycznej, geriatrycznej, kobiet w ciąży i karmiących piersią.• Innowacyjne ścieżki personalizacji medycyny• Wykorzystanie rozwiązań medycyny cyfrowej – m.in. rozwiązań telemedycznych, multiomiki, analiz RWE/RWD, algorytmów AI• Włączanie pacjentów i stowarzyszeń pacjentów do współpracy w celu opracowania technologii najbardziej dostosowanej do ich potrzeb,• Uwzględnienie wdrażania systemów gratyfikacji pacjentów i lekarzy w przypadku rozwoju rozwiązań z zakresu wczesnej diagnostyki i prewencji	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u></p> <p>Plan Rozwoju Medycyny Translacyjnej</p> <p>Strategia Edukacyjna Agencji Badań Medycznych</p> <p>Raport rozpoznawczy</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 4○ Rozdział 6○ Rozdział 7
--	---	--



5.	<p><u>Rozwój Centrów Wsparcia Badań Klinicznych pod kątem nowoczesnej diagnostyki i prewencji</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Rozwój kompetencji Centrów Badań Klinicznych w zakresie rozwoju technologii do wczesnej diagnostyki i prewencji pacjentów, ze szczególnym uwzględnieniem chorób o nieswoistych objawach klinicznych lub chorób rzadkich.• Wsparcie dla badań klinicznych i wdrożeń cyfrowych rozwiązań medycznych, zwłaszcza dla populacji priorytetowych	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Wsparcie wdrożenia biomarkerów do celów diagnostycznych i prognostycznych• Uwzględnienie wdrażania systemów gratyfikacji pacjentów i lekarzy w przypadku rozwoju rozwiązań z zakresu wczesnej diagnozy i prewencji	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u></p> <p>Plan Rozwoju Badań Klinicznych</p> <p>Raport rozpoznawczy:</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 3○ Rozdział 6○ Rozdział 7
----	--	---	---



6.	<p><u>Rozwój zdolności wytwórczych z zakresu terapii zaawansowanych (ATMP)</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Dalszy rozwój zdolności w Polsce w obszarze medycyny celowanej i personalizowanej• Rozbudowanie i dostosowanie infrastruktury w ramach istniejących wytwórni ATMP pod konkretne produkty lecznicze terapii zaawansowanych – zarówno CAR jak i inne produkty oparte na terapiach komórkowych• Dalszy rozwój krajowych zdolności w obszarze technologii RNA ze szczególnym uwzględnieniem personalizowanych terapii przeciwnowotworowych	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Hematologia/onkologia• Choroby rzadkie i ultraradkie• Choroby autoimmunologiczne,• Choroby neurologiczne	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u></p> <p>Plan Rozwoju Sektora Biomedycznego</p> <p>Raport Rozpoznawczy</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 4○ Rozdział 6○ Rozdział 7
7.	<p><u>Rozwój zdolności produkcyjnych z zakresu substancji czynnych (API)</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Rozwój oraz zachowanie istniejących możliwości produkcyjnych API w Polsce• Opracowanie nowych opcji przeciwdrobnoustrojowych z wyszczególnieniem antybiotyków• Rozwój spersonalizowanych terapii w obszarze chorób rzadkich, neurologicznych (demencji, Alzheimera, Parkinsona) oraz ukierunkowanego leczenia depresji	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Choroby rzadkie• Choroby neurologiczne (demencja, Alzheimer, Parkinson)• Onkologia• Immunologia	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u></p> <p>Plan Rozwoju Sektora Biomedycznego</p> <p>Raport Rozpoznawczy:</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 2○ Rozdział 3○ Rozdział 4



<p>8. <u>Rozwój świadomości społecznej i eksperckiej w kwestii zagrożeń ze strony chorób sercowo-naczyniowych i behawioralno-metabolicznych czynników ryzyka</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Opracowanie programu szkoleń dla praktyków oraz kampanii społecznych i edukacyjnych zorientowanych na przeciwdziałanie oraz rozwój świadomości z obszaru chorób sercowo-naczyniowych• Rozwój świadomości i metod zarządzania czynnikami ryzyka, ze szczególnym uwzględnieniem czynników behawioralno-metabolicznych• Promowanie personalizowanych metod terapeutycznych, diagnostycznych i prewencyjnych wśród klinicystów i pacjentów	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Oferowanie interaktywnych aktywności edukacyjnych w formie zdalnej• Selektywne dotarcie do grup krytycznych – m.in. populacji senioralnej i geriatrycznej, osób o wysokim ryzyku rozwoju chorób sercowo-naczyniowych,• Wykorzystywanie metod z zakresu medycyny cyfrowej, zwłaszcza telemedycznych, w budowaniu świadomości i zapobieganiu chorobom sercowo-naczyniowym,• Uwzględnienie nurtu medycyny narracyjnej koncentrującego się na relacji między pacjentem, lekarzem, a systemem ochrony zdrowia,• Uwzględnienie tematyki z zakresu systemów gratyfikacji pacjentów i lekarzy w obszarze wczesnej diagnostyki i prewencji	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u></p> <p>Strategia Edukacyjna Agencji Badań Medycznych</p> <p>Raport Rozpoznawczy 2023</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 2○ Rozdział 3
---	---	---



9.	<p><u>Rozwój jasnej ścieżki diagnostycznej pacjenta</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• stworzenie algorytmu nieprzerwanej ścieżki diagnostycznej pacjenta od zgłoszenia do momentu postawienia końcowego rozpoznania bez opuszczenia systemu ochrony zdrowia przez pacjenta po kolejnych konsultacjach u różnych specjalistów• automatyczny dostęp do kompleksowej informacji o zdrowiu pacjenta, wyników badań i zastosowanych terapiach (konsultacja = dostęp do IKP)• wczesna diagnoza końcowa to mniej agresywne leczenie oraz oszczędności dla systemu (mniej zaawansowany proces chorobowy, mniej agresywna = tańsza terapia, mniej działań ubocznych; błędna diagnoza = nieskuteczna terapia)• wdrożenie interdyscyplinarnych zespołów konsultujących (w tym online) na poziomie POZ, AOS, szpitali na etapie diagnostyki	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• interdyscyplinarny zespół klinicystów i diagnostów,• powiązanie różnych systemów danych medycznych z P1/IKP – wgląd w całość procedur dla danego pacjenta• współpraca z NFZ, MZ, AOTMiT• współpraca ze stowarzyszeniami pacjentów, zwłaszcza w obszarze chorób rzadkich,	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u></p> <p>Plan Rozwoju Badań Epidemiologicznych</p> <p>Raport Rozpoznawczy 2023</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 3
----	--	---	--



KLUCZOWE OBSZARY KOMERCYJNE

1.	<p><u>Rozwój zdolności produkcyjnych z zakresu leków generycznych i biopodobnych</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• opracowywanie i rozwijanie innowacyjnych rozwiązań w obszarze nowych postaci farmaceutycznych i rozwoju technologii substancji aktywnych produktów leczniczych dopuszczonych do obrotu (generyków) oraz leków biopodobnych	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• Immunologia• Personalizacja terapii• Tworzenie rozwiązań przyjaznych pacjentowi np. nowych sposobów podawania, postaci leków o przedłużonym uwalnianiu• Zastosowanie rozwiązań chroniących środowisko, np. biodegradowalnych opakowań• Zapewnienie leków generycznych lub biopodobnych w kluczowych obszarach terapeutycznych – onkologii, kardiologii, chorobach rzadkich, chorobach autoimmunologicznych, chorobach neurologicznych lub psychiatrycznych	<p><u>Dokumenty źródłowe:</u></p> <p>Plan Rozwoju Sektora Biomedycznego</p> <p>Raport Rozpoznawczy 2023</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 4○ Rozdział 5
-----------	---	--	--



2.	<p><u>Rozwój zdolności produkcyjnych z zakresu medycyny cyfrowej</u></p> <p><u>Założenia i cele:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• rozwój produktów z obszaru cyfrowego wsparcia diagnostyki, terapii cyfrowych i telemedycyny• skracanie kolejek i optymalizacja kosztów (mniej „pustych” konsultacji tylko po skierowanie, przeniesienie części pacjentów do ambulatorium bez utraty jakości)• szersze spektrum danych zbieranych o pacjencie zbieranych w różnych sytuacjach klinicznych	<p><u>Elementy premiowane:</u></p> <ul style="list-style-type: none">• format danych zgodny ze Standardem Sieci CMC• współpraca z AOS, POZ, szpitalem na etapie rozwoju produktu• walidacja rozwiązań w publicznym środowisku klinicznym• rozwój rozwiązań w kluczowych obszarach terapeutycznych – onkologia, kardiologia, choroby rzadkie, choroby autoimmunologiczne, choroby neurologiczne lub psychiatryczne	<p><u>Dokumenty źródłowe</u></p> <p>Plan Rozwoju Sektora Biomedycznego</p> <p>Raport Rozpoznawczy 2023</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 1○ Rozdział 5,○ Rozdział 6,○ Rozdział 7,
----	---	---	--



KLUCZOWE OBSZARY STRATEGICZNE

1.	<u>Utworzenie Planu Rozwoju Medycyny Cyfrowej</u> <u>Założenia i cele:</u> <ul style="list-style-type: none">• Szczegółowy plan rozwoju sieci RCMC z nadrzędną rolą Centrali Medycyny Cyfrowej ABM i Centralnym Repozytorium Danych Omicznych stanowiących podstawę do realizacji założeń medycyny personalizowanej opartej o dane medyczne ze szczególnym uwzględnieniem danych multiomicznych.• Budowa gospodarki opartej na danych medycznych na poziomie partnerstwa publiczno-prywatnego i ustawodawstwa unijnego.• Współpraca międzynarodowa z innymi ośrodkami realizującymi inicjatywy oparte o analizę danych medycznych, ze szczególnym uwzględnieniem danych multiomicznych.	<u>Elementy priorytetowe:</u> <ul style="list-style-type: none">• personalizacja terapii (dostosowanie leczenia do profilu genetycznego pacjenta, ukierunkowanie na konkretne cele molekularne)• optymalizacja procesu diagnostyczno-terapeutycznego pacjenta• usprawnienie procesów prewencyjnych, diagnostycznych i terapeutycznych• predykcje odpowiedzi na leczenie• programy profilaktyczne• programy przesiewowe	<u>Dokumenty źródłowe</u> <p>Raport Rozpoznawczy</p> <ul style="list-style-type: none">○ Rozdział 5,○ Rozdział 6,○ Rozdział 7, <u>Dokumenty powiązane:</u> <ul style="list-style-type: none">○ Plan Rozwoju Medycyny Translacyjnej○ Plan Rozwoju Sektora Biomedycznego○ Strategia Edukacyjna○ Program rozwoju e-zdrowia w Polsce na lata 2022 – 2027○ Technologie mobilne w nowoczesnej Polsce – odpowiedzialny rozwój i równe szanse; raport○ Raport Pacjent w świecie cyfrowym – czyli jak nowe technologie zmieniają rynek usług medycznych w krajach Europy Środkowo-Wschodniej
-----------	--	--	--