



AGENCJA
BADAŃ
MEDYCZNYCH

PLAN DZIAŁALNOŚCI AGENCJI BADAŃ MEDYCZNYCH NA ROK 2025



Spis treści

1. Wstęp.....	5
1.1. List Prezesa Agencji Badań Medycznych.....	5
2. Obecna organizacja Agencji Badań Medycznych	7
2.1. Organy ustawowe Agencji Badań Medycznych	7
2.1.1. Prezes Agencji Badań Medycznych	7
2.1.2. Rada Agencji Badań Medycznych	7
2.2. Struktura Agencji Badań Medycznych	8
2.3. Agencja Badań Medycznych w liczbach.....	9
3. Planowane działania ustawowe Agencji Badań Medycznych	9
3.1. Zestawienie działań ustawowych	9
3.2. Analiza zapotrzebowania na dofinansowanie badań naukowych i prac rozwojowych	11
3.2.1. Rozeznanie eksperckie	11
3.2.2. Rozeznanie potrzeb zdrowotnych:	13
3.2.3. Analiza finansowania obszarów naukowo-badawczych w Europie	16
3.3. Plany w zakresie finansowania działań ustawowych	21
3.3.1. Konkursy	21
3.3.2. Projekty własne ABM.....	25
3.3.3. Analizy systemowe	34
3.4. Nowe inicjatywy w Agencji Badań Medycznych	37
3.4.1. Powstanie Centrali Medycyny Cyfrowej	37
3.4.2. Działania związane z inicjatywą 1+MG.....	41
3.5. Kontrole finansowanych projektów	42
3.6. Ewaluacje finansowanych projektów, badań naukowych oraz prac rozwojowych	42
3.7. Wydawanie opinii i ekspertyz na rzecz organów administracji publicznej.....	43
3.8. Inicjowanie i rozwijanie współpracy międzynarodowej.....	43
3.8.1. Cancer WEEK 2025- warsztaty współorganizowane przez ASCO, FDA, EMA i NIO	44

3.8.2. Program edukacyjny The Polish Clinical Scholars Research Training (P-CSRT) .	45
3.8.3. Udział w inicjatywach europejskich	46
3.8.4. Współpraca międzynarodowa w realizacji projektów naukowych w ramach sieci ECRIN-ERIC	47
3.9. Działania o charakterze edukacyjnym i szkoleniowym	49
3.9.1. Szkolenie „Badania kliniczne w populacji osób narażonych na wykluczenie”	49
3.9.2. Szkolenie „Badania przedkliniczne i kliniczne produktów biologicznych, biopodobnych, ATMP”	49
3.9.3. Rozwój kompetencji specjalistów ochrony zdrowia z zakresu realizacji badań naukowych (Program Fundusze Europejskie dla Rozwoju Społecznego 2021-2027 FERS)	51
3.9.4. Wzrost kompetencji kadry Centrum Wsparcia Badań Klinicznych (CWBK) i Członków Zespołów Badawczych oraz budowanie świadomości pacjentów nt. badań klinicznych.....	51
3.10. Wsparcie działalności Krajowego Centrum Bioetyki.....	52
3.11. Upowszechnianie efektów zrealizowanych zadań	53
3.12. Wspieranie przedsiębiorstw w prowadzeniu i rozwijaniu działalności innowacyjnej	54
3.12.1. Warsaw Health Innovation Hub	54
4. Pozostała aktywność.....	57
4.1. Polish Clinical Trials Network/Polska Sieć Badań Klinicznych	57
4.1.1. Rozbudowa infrastruktury teleinformatycznej oraz wzrost poziomu cyfryzacji Polskiej Sieci Badań Klinicznych	58
4.1.2. Wzmocnienie potencjału i rozwój zasobów Polskiej Sieci Badań Klinicznych	59
4.1.3. Promocja Polskiej Sieci Badań Klinicznych na arenie krajowej i międzynarodowej	60
4.2. Utworzenie bazy ośrodków realizujących badania kliniczne	61
4.3. Rozwój krajowego systemu umożliwiającego ocenę możliwości realizacji badania klinicznego.....	62
4.4. Działania komunikacyjne i promocyjne	63
4.4.1. Serwis „Pacjent w Badaniach Klinicznych”	63

5. Plany organizacyjne	65
5.1. Plan finansowy na rok budżetowy 2025	65
5.2. Planowane zatrudnienie.....	66
5.3. Planowane inwestycje w zasoby techniczne.....	66

1. Wstęp

1.1. List Prezesa Agencji Badań Medycznych

Agencja Badań Medycznych kończy 5 rok swojej działalności. Rok 2024 był pełen wyzwań dla najmłodszej instytucji finansującej działalność naukową w Polsce. Krytyczna ewaluacja dotychczasowych działań Agencji, kontrole NIK i KAS pozwoliły na sformułowanie wniosków kluczowych dla zdefiniowania założeń „nowego otwarcia” dla Agencji. W działaniach Agencji na rok 2025 przewidziane są liczne zmiany jakościowe zarówno w obszarze oferty konkursowej jak i ewaluacji projektów, a także metodologii inicjowania i prowadzenia badań własnych.

Niezaspokojona potrzeba finansowania niekomercyjnych badań biomedycznych oraz innowacyjnych badań komercyjnych była istotną barierą rozwoju nauki w Polsce. ABM realizuje swoją misję w tym obszarze skutecznie i kompleksowo. Szeroki zakres tematyczny wspieranych projektów przy 33% wskaźniku sukcesu zaowocował dużym zainteresowaniem naukowców. W 315 wspieranych projektach realizowanych przez 436 podmiotów leczniczych, uczelni wyższych lub firm, uczestniczy ponad 9000 pacjentów, a planowana liczebność grup przekracza 41 tysięcy osób. Ten wymierny wkład w rozwój wiedzy medycznej jak i poprawę jakości leczenia jest namacalnym wynikiem działalności ABM. Wysoki budżet finansowanych projektów przekraczający obecnie 4.3 miliarda złotych, wymusił potrzebę wzmocnienia mechanizmów ewaluacji i kontroli. W Agencji wdrożono systemy analityczne wspierające te procesy poprzez identyfikację ryzyk na wszystkich etapach realizacji projektów. Rok 2025 to czas kiedy publikowane będą wyniki badań klinicznych rozpoczętych w pierwszych latach działalności Agencji – liczymy, że zostaną one poddane rzetelnej analizie, a wnioski z nich płynące przełożą się na poprawę funkcjonowania systemu opieki zdrowotnej w Polsce.

Rok 2025 to również przelom w mechanizmach oceny wniosków. W planowanych dwóch otwartych naborach na projekty inicjowane przez naukowców, bez ograniczeń tematycznych wykorzystane zostaną mechanizmy oceny wniosków z udziałem paneli eksperckich, tak aby zobiektywizować recenzję projektów z różnych obszarów. Planujemy, dzięki współpracy i wsparciu Narodowego Centrum Nauki, poszerzyć pulę recenzentów zagranicznych tak aby móc wspierać finansowo najlepsze projekty, których wyniki będą miały szansę wpłynąć nie tylko na system opieki medycznej w Polsce ale i na świecie.

Współpraca międzynarodowa jest drugim obszarem priorytetowym dla ABM w roku 2025. W ramach inicjatyw europejskich EU4Health oraz Horyzontu Europa Agencja planuje wspieranie działań dotyczących m.in. terapii spersonalizowanych w onkologii i badań dotyczących wirusów onkogennych. Planujemy wesprzeć Centra Wsparcia Badań Klinicznych w pozyskiwaniu sponsorów zagranicznych tak aby Polska stała się miejscem

realizacji najważniejszych badań komercyjnych oraz centrum koordynacji inicjatyw badawczych dla Europy środkowej i wschodniej.

Trzecim filarem aktywności Agencji są działania edukacyjne służące rozwojowi kadr niezbędnych do inicjowania i prowadzenia badań klinicznych. Inicjatywy te realizowane są przez Agencję, często przy wsparciu lub wspólnie z przemysłem farmaceutycznym dzięki czemu rozwijana wiedza i umiejętności w zakresie planowania badań klinicznych, biotechnologii, farmakokinetyki oraz regulacji prawnych odpowiadają bieżącym i przyszłym potrzebom rynku.

Nowoutworzone przy ABM Krajowe Centrum Bioetyki koncentrować się będzie na kreowaniu standardów i wytycznych w obszarze badań klinicznych i eksperymentów badawczych oraz zaangażowaniu w procesy legislacyjne tak aby dobro i bezpieczeństwo pacjentów było zawsze najwyższym priorytetem.

Czwarty filar działalności ABM to wspieranie przemysłu biomedycznego. W roku 2025 będzie to przede wszystkim realizacja projektów finansowanych ze środków KPO oraz działań prowadzonych poprzez Warsaw Health Innovation Hub. Działania ABM w tym obszarze, w roku 2025 skupione będą na ewaluacji projektów komercyjnych, identyfikacji barier i potrzeb oraz zdefiniowaniu kształtu przyszłych konkursów w taki sposób aby ich wyniki mogły zostać szybko i skutecznie wdrożone do praktyki klinicznej.

Agencja uruchomiła w 2024 roku dwa badania własne dotyczące diagnostyki endometriozы oraz problematyki uzależnień od nikotyny. W 2025 planowane są kolejne dwa projekty o zasięgu ogólnokrajowym oraz szereg analiz systemowych prowadzonych w oparciu o gromadzone przez jednostki naukowe oraz instytucje dane kliniczne, epidemiologiczne i statystyczne.

Nieustannie doskonalone procedury operacyjne, oferta odpowiadająca potrzebom rynku oraz szeroki zakres działalności na rzecz jakości badań klinicznych sprawiają, że Agencja Badań Medycznych pełni ważną rolę w systemie nauki w Polsce i przyczynia się do istotnego wzrostu widoczności badań biomedycznych prowadzonych przez polskich naukowców. Strategicznymi kierunkami działania Agencji w roku 2025 będą: ekspansja współpracy międzynarodowej, wpływ na ustrukturyzowanie obiegu danych medycznych oraz kształtowanie standardów bioetycznych.

Prof. dr hab. Wojciech Fendler
Prezes Agencji Badań Medycznych

2. Obecna organizacja Agencji Badań Medycznych

Agencja Badań Medycznych (dalej Agencja) jest państwową osobą prawną, utworzoną na mocy ustawy z dnia 21 lutego 2019 r. o Agencji Badań Medycznych (wersja aktualizowana 29 września 2023 r. Dz. U. 2023. 2064), dalej także jako: „Ustawa”. Kierunki działań Agencji na najbliższe lata zostały określone w Planie Rozwoju Badań Klinicznych na lata 2020-2025 (PRBK), przyjętym uchwałą nr 90 Rady Ministrów z dnia 20 września 2019 r. (M.P. poz. 1024). Plan ten stanowi dla Agencji podstawę działań mających na celu zwiększenie udziału badań klinicznych w ochronie zdrowia. Biorąc przykład z najlepiej rozwiniętych systemów ochrony zdrowia, aktywność Agencja ma również na celu wsparcie rozwoju rodzimej biotechnologii, poprzez zwiększenie zaangażowania w badania kliniczne jednostek naukowych posiadających zdolności wdrożeniowe.

2.1. Organy ustawowe Agencji Badań Medycznych

Zgodnie z ustawą o Agencji Badań Medycznych organami Agencji są:

- ➔ Prezes Agencji Badań Medycznych.
- ➔ Rada Agencji Badań Medycznych.

2.1.1. Prezes Agencji Badań Medycznych

Prezesem Agencji Badań Medycznych jest prof. dr hab. n. med. Wojciech Fendler.

Zastępcą Prezesa do spraw finansowania badań jest mgr Ireneusz Staroń.

2.1.2. Rada Agencji Badań Medycznych

Rada Agencji działa na podstawie Ustawy oraz Regulaminu Rady Agencji Badań Medycznych. Kadencja Rady trwa 6 lat. Organ posiada kompetencje w zakresie opiniowania m.in. perspektywicznych kierunków działalności badawczej i zasad podziału środków finansowych. Rada opiniuje również roczny plan działalności Agencji i jego zmiany, który (zgodnie z Art. 14.1 Ustawy) określa zakres konkursów oraz własnych badań naukowych i prac rozwojowych na dany rok kalendarzowy.

- ➔ Przewodniczącym Rady jest prof. dr hab. n. med. Piotr Rutkowski – Kierownik Kliniki Nowotworów Tkanek Miękkich, Kości i Czerniaków; Centrum Onkologii – Instytut im. Marii Skłodowskiej-Curie.
- ➔ Zastępcą Przewodniczącego Rady jest prof. dr hab. n. med. Jerzy Sieńko – Oddział Chirurgii Ogólnej i Transplantacyjnej z Pododdziałem Chirurgii Onkologicznej SPWSZ.

Członkami Rady są:

- ➔ prof. Waldemar Priebe – Professor of Medicinal Chemistry; Department of Experimental Therapeutics; Division of Cancer Medicine; The University of Texas MD Anderson Cancer Center

- prof. George Wilding – Former Vice President and Deputy Chief Academic Officer/Vice Provost; Clinical and Interdisciplinary Research; The University of Texas MD Anderson Cancer Centre and Professor/Director Emeritus; University of Wisconsin Carbone Cancer Center
- prof. Christopher JL Murray – The Chair and Professor of Global Health at the University of Washington; Director of the Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME)
- Płk. dr inż. Krzysztof Różanowski – Dyrektor Departamentu Oceny Inwestycji
- PhD Michael J. Pencina – Vice Dean for Data Science and Information Technology; Professor of Biostatistics and Bioinformatics; Duke University School of Medicine
- prof. dr hab. n. med. Tadeusz Faustyn Krzemiński – Kierownik Katedry Farmakologii, Farmakologii Klinicznej i Toksykologii Klinicznej, Krakowska Akademia im. Andrzeja Frycza Modrzewskiego
- prof. dr hab. n. med. Jerzy Chudek – Kierownik Katedry I Kliniki Chorób Wewnętrznych i Chemioterapii Onkologicznej Śląskiego Uniwersytetu Medycznego
- dr n. med. Bernard Waśko – dyrektor Narodowego Instytutu Zdrowia Publicznego
- prof. dr hab. n. ekon. Alojzy Z. Nowak – Rektor Uniwersytetu Warszawskiego
- prof. dr hab. n. med. Tomasz Byrski – Klinika onkologii i chemioterapii PUM w Szczecinie
- ksiądz dr Arkadiusz Nowak – Prezes Instytutu Praw Pacjenta i Edukacji Zdrowotnej
- prof. dr hab. n. med. Mansur Rahnama-Hezavah – Kierownik Katedry i Zakładu Chirurgii Stomatologicznej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, konsultant krajowy z zakresu chirurgii stomatologicznej, prezes Polskiego Towarzystwa Chirurgii Stomatologicznej i Szczękowo-Twarzowej, sekretarz Prezydium Rady Doskonałości Naukowej II kadencji
- prof. dr hab. n. med. Rafał Dziadziuszko – Uniwersyteckie Centrum Kliniczne w Gdańsku, Gdański Uniwersytet Medyczny
- prof. dr hab. n. med. Krzysztof Warzocha – Instytut Ekspertyz Medycznych w Łodzi
- dr n. med. Zbigniew Teter – Departament Wojskowej Służby Zdrowia
- dr hab. n. med. Tomasz Jerzy Stefaniak – Uniwersyteckie Centrum Kliniczne w Gdańsku, Gdański Uniwersytet Medyczny
- prof. dr hab. n. med. Andrzej Matyja – Szpital Uniwersytecki w Krakowie
- dr hab. n. med. Mirosław Jarosz – Lubelska Akademia WSEI w Lublinie

2.2. Struktura Agencji Badań Medycznych

Strukturę Agencji tworzą główne jednostki:

- Biuro Agencji kierowane przez Dyrektora Annę Tyniec
- Wydział Zarządzania Projektami Niekomercyjnymi kierowany przez Dyrektora Krzysztofa Górskiego
- Wydział Finansowo-Księgowy kierowany przez Dyrektora Urszulę Myszkę

- Wydział Innowacji i Rozwoju Biotechnologii kierowany przez Dyrektora dr n. farm. Karolinę Marię Nowak MBA
- Wydział Nauki i Ewaluacji kierowany przez Dyrektora dr Zuzannę Nowak-Życzyńską
- Centrum Rozwoju Badań Klinicznych kierowane przez Dyrektora dr Elżbietę Bylinę
- Krajowe Centrum Bioetyki kierowane przez Monikę Trawińską

Funkcję Głównego Księgowego pełni Pani Jolanta Patała.

2.3. Agencja Badań Medycznych w liczbach

- 27 programów konkursowych w trakcie realizacji
- 312 podpisanych umów o dofinansowanie projektów
- wartość podpisanych umów o dofinansowanie – ponad 4 326 mln zł
- 277 projektów w trakcie realizacji
- typowy okres trwałości projektu – 5 lat
- 4 programy konkursowe w trakcie naboru
- 2 programy konkursowe w fazie przygotowania

3. Planowane działania ustawowe Agencji Badań Medycznych

3.1. Zestawienie działań ustawowych

Działalność ustawowa Agencji (art. 2 Ustawy), polega na:

1. dofinansowaniu badań naukowych i prac rozwojowych w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu oraz projektów interdyscyplinarnych wyłonionych w drodze konkursu, ze szczególnym uwzględnieniem badań klinicznych, obserwacyjnych i epidemiologicznych oraz eksperymentów badawczych;
2. wydawaniu opinii i ekspertyz w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu na rzecz organów administracji publicznej lub innych podmiotów w wyniku realizacji zawartych umów;
3. inicjowaniu i rozwijaniu współpracy międzynarodowej w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu na podstawie programów, o których mowa w art. 15 ust. 1 pkt 1;
4. inicjowaniu i realizacji własnych badań naukowych i prac rozwojowych;
5. wspieraniu działalności Naczelnej Komisji Bioetycznej, o której mowa w rozdziale 4 ustawy z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi (Dz. U. poz. 605);
6. inicjowaniu i rozwijaniu działań o charakterze edukacyjnym i szkoleniowym.

Do zadań Agencji w zakresie działalności określonej w art. 15 należy:

1. tworzenie i zarządzanie programami, na podstawie których będą dofinansowywane projekty, w tym projekty interdyscyplinarne;
2. upowszechnianie informacji o planowanych lub ogłaszanych konkursach;
3. ocena wniosków i zawieranie umów z beneficjentami;
4. nadzór i kontrola realizacji projektów, w tym projektów interdyscyplinarnych;
5. prowadzenie własnych badań naukowych i prac rozwojowych;
6. dofinansowanie projektów niekomercyjnych badań klinicznych i eksperymentów badawczych;
7. obsługa administracyjno-biurowa Naczelnej Komisji Bioetycznej, o której mowa w rozdziale 4 ustawy z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi;
8. prowadzenie działań o charakterze edukacyjnym i szkoleniowym w zakresie innowacji w ochronie zdrowia, ze szczególnym uwzględnieniem badań naukowych i prac rozwojowych w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu.

a także:

9. dofinansowywanie projektów, w tym projektów interdyscyplinarnych, zgodnych z programem, wyłonionych w drodze konkursu;
10. organizacja i finansowanie badań naukowych lub prac rozwojowych ad hoc w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu, ze szczególnym uwzględnieniem badań klinicznych, obserwacyjnych i epidemiologicznych oraz eksperymentów badawczych, w tym projektów interdyscyplinarnych;
11. upowszechnianie efektów zrealizowanych zadań;
12. wspieranie przedsiębiorstw w prowadzeniu i rozwijaniu działalności innowacyjnej w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu oraz projektów interdyscyplinarnych.

Agencja zobowiązana jest również do działań określonych art. 23 Ustawy: prowadzenia systematycznej ewaluacji finansowanych projektów i przeprowadzonych na ich podstawie badań naukowych oraz prac rozwojowych oraz innych zadań Agencji, w tym w zakresie korzyści finansowych dla budżetu państwa i systemu ochrony zdrowia z prowadzonych badań i analiz.

3.2. Analiza zapotrzebowania na dofinansowanie badań naukowych i prac rozwojowych

Inwestycje w badania biomedyczne i zdrowotne wykazują niezmiennie tendencję wzrostową, z 240 miliardów dolarów w 2009 r. do około 300 miliardów dolarów w 2023 r., a organizacje rządowe niezmiennie pozostają głównym źródłem finansowania badań biomedycznych¹. Do prawidłowego rozwoju branży niezbędne są właściwe wzorce finansowania projektów². Prawidłowy model wzorca finansowania powinien uwzględniać częstość występowania danej jednostki chorobowej, śmiertelność, zapotrzebowanie kliniczne na nowe terapie, skuteczność i nakłady finansowe na już istniejące terapie i nakłady finansowe pochodzące z innych jednostek finansujących. Kluczowe wydaje się wyważenie pomiędzy rozpoznaniem potrzeb społecznych i klinicznych, właściwą alokacją, zapewnieniem infrastruktury i przygotowaniem personelu do realizacji projektów (z włączeniem odpowiedniego poziomu wyszkolenia). Nadmiar środków finansowych bez rozwoju infrastruktury i podnoszenia kwalifikacji zespołów badawczych może nieść ze sobą niebezpieczeństwo niskiej jakości badań klinicznych. Agencja wykonała szeroką analizę, uwzględniającą wieloaspektowość problematyki finansowania.

3.2.1. Rozeznanie eksperckie

3.2.1.1. Rozeznanie zapotrzebowania na wsparcie naukowo-badawcze wśród towarzystw naukowych

W ramach przygotowań do opracowania Planu działalności Agencji na 2025 rok, zorganizowane zostały konsultacje społeczne dotyczące konkursów i badań własnych. W konsultacjach uczestniczyli przedstawiciele towarzystw naukowych oraz organizacji pacjenckich, aktywnych w poszczególnych obszarach systemu ochrony zdrowia.

Konsultacje te pozwoliły na lepsze zrozumienie priorytetowych obszarów badawczych oraz identyfikację kluczowych wyzwań, takich jak:

- potrzeba wsparcia badań interdyscyplinarnych, badań dotyczących chorób rzadkich oraz badań dotyczących populacji o wysokim ryzyku wykluczenia (np. populacji pediatrycznych, geriatrycznych, z chorobami przewlekłymi);
- potrzeba kontynuacji niekomercyjnych badań klinicznych, w tym takich w których sponsorem będą organizacje pacjenckie oraz możliwości rozwoju badań międzynarodowych;

¹ Gomes CM, Marchini G, de Bessa J Júnior, et al. The landscape of biomedical research funding in Brazil: a current overview. *Int Braz J Urol.* 2024;50(2):209-222. doi:10.1590/S1677-5538.IBJU.2024.9905

² Sampat BN, Buterbaugh K, Perl M. New evidence on the allocation of NIH funds across diseases. *Milbank Q.* 2013;91(1):163-185. doi:10.1111/milq.12005

- potrzeba szerokiego włączania wyników badań nieklinicznych, pochodzących z analiz próbek pacjenta (np. genetycznych) celem polepszenia diagnostyki i personalizacji leczenia;
- potrzeba badań epidemiologicznych prowadzonych w populacji polskiej, z uwzględnieniem długotrwałych badań małych kohort;
- potrzeba analiz na poziomie systemowym, w tym dotyczących preskrypcji leków w wybranych wskazaniach czy w określonych grupach pacjentów;
- potrzeba walki z „fake newsami” i dostarczania wiarygodnych informacji pacjentom;
- potrzeba rozwoju kompetencji miękkich wśród personelu medycznego i badaczy jako narzędzia polepszającego realizację wskaźników w projektach;
- potrzeba finansowania asystentów medycznych, jako personelu wspomagającego lekarzy-badaczy i pacjentów.

Dodatkowo przedstawiciele organizacji pacjenckich sugerowali możliwość wprowadzenia oceny badacza jako mechanizmu potencjalnie gwarantującego zwiększenie powodzenia kolejnych badań oraz wskazywali na ciągle obecne problemy ze zrozumieniem dokumentacji badania.

Towarzystwa naukowe potwierdziły gotowość realizacji badań koszykowych i parasolowych, w których rolę sponsora pełniłaby Agencja.

Na podstawie zebranych informacji Agencja zaplanowała dwa otwarte konkursy: na niekomercyjne badania kliniczne oraz na eksperymenty badawcze, a także badanie własne mające na celu zwiększenie świadomości Polaków w obszarze badań klinicznych i ogólnej wiedzy dotyczącej medycyny opartej na dowodach naukowych.

3.2.1.2. Rozesznanie zapotrzebowania na działania w obszarze R&D w opinii członków Rady Agencji Badań Medycznych

Członkowie Rady Agencji mogli przekazać swoją opinię na temat zagadnień związanych z projektowanym Planem działalności Agencji na rok 2025 w obszarze konkursów i badań własnych, poprzez wypełnienie ankiety CAWI. Zdaniem członków Rady Agencji kontynuacja corocznych otwartych konkursów na niekomercyjne badania kliniczne oraz na eksperymenty badawcze jest dobrą strategią. W konkursach na niekomercyjne badania kliniczne należy premiować badania uwzględniające wskaźniki PROMs (Patient-Reported Outcome Measures) i PREMs (Patient-Reported Experience Measures). Ankietowani członkowie Rady Agencji potwierdzili również, iż dobrą inicjatywą byłaby integracja beneficjentów prowadzących podobne badania w zespoły badawcze przygotowujące nowoczesny protokół badania (np. badanie typu koszykowego), a wprowadzenie ramienia cyfrowego i/lub bazowanie na cyfrowych danych zbieranych w czasie rzeczywistym (RWD) do protokołów badań klinicznych mogłoby przynieść poprawę jakości badań finansowanych przez Agencję.

Zdaniem większości ankietowanych Agencja powinna prowadzić też własne niekomercyjne badanie kliniczne o charakterze parasolowym, którego pomysłodawcą i współorganizatorem byłoby ogólnopolskie stowarzyszenie naukowe.

W 2025 r. Agencja będzie promować współpracę między ośrodkami badawczymi oraz wykorzystanie nowoczesnych technik badawczych w badaniach klinicznych i eksperymentach badawczych, a także wprowadzenie do protokołów badań klinicznych wskaźników odnoszących się do odczuć i doświadczeń pacjentów uczestniczących w badaniach.

3.2.2. Rozeznanie potrzeb zdrowotnych:

3.2.2.1. Analiza map potrzeb zdrowotnych

Na potrzeby Planu działalności Agencji dokonano analizy danych zawartych na stronie Mapy Potrzeb Zdrowotnych - Opieka Długoterminowa na lata 2022-2026³, dotyczących prognoz epidemiologicznych, czynników ryzyka oraz opieki długoterminowej, ze szczególnym uwzględnieniem wyzwań, które będą istotne w 2025 roku. Dokument podkreśla rosnące zapotrzebowanie na usługi opiekuńcze w Polsce, związane przede wszystkim z procesem starzenia się społeczeństwa oraz potrzebą zaspokojenia potrzeb zdrowotnych osób starszych i niesamodzielnych.

Na podstawie opublikowanych wyników dokonano analizy kluczowych danych wyodrębniając obszary, które będą uwzględniane przy tworzeniu otwartych konkursów ogłoszanych przez Agencję w roku 2025:

- ➔ choroby układu krążenia
- ➔ choroby układu nerwowego
- ➔ choroby przewlekłe układu oddechowego
- ➔ choroby układu mięśniowo-szkieletowego
- ➔ choroby skórne i choroby tkanki podskórnej
- ➔ cukrzyca i choroby nerek
- ➔ zaburzenia psychiczne
- ➔ choroby nowotworowe

3.2.2.2. Analiza potrzeb medycznych na podstawie danych literaturowych

Globalny rynek badań klinicznych będzie rósł ze średnioroczną stopą wzrostu (compound annual growth rate - CAGR) wynoszącą 6,49% od 2024 r. do 2030 r. Wzrost rynku był szczególnie widoczny w 2020 r. z powodu pandemii COVID-19 i to zarówno w obszarze

³ Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 27 sierpnia 2021 r. w sprawie mapy potrzeb zdrowotnych. Dz. Urz. Min Zdrowia, 30 sierpnia 2021 r. poz. 69.

wirtualnych, jak i tradycyjnych badań klinicznych. Oczekuje się, że szybka ewolucja technologiczna, digitalizacja badań biomedycznych rosnąca częstość występowania chorób przewlekłych, globalizacja badań klinicznych, coraz większa rola medycyny spersonalizowanej będą miały pozytywny wpływ na wzrost rynku. Rosnąca adaptacja rozwiązań zdecentralizowanych i telemedycyny w badaniach klinicznych przyczynia się do polepszonej rekrutacji, co pozytywnie wpływa na ogólny potencjał wzrostu rynku⁴. Według danych ClinicalTrials.gov, na dzień 17 maja 2023 r. zarejestrowano łącznie 452 604 badań klinicznych, z czego 64 838 aktywnie rekrutuje uczestników na całym świecie.⁵ Odnotowano zwiększone inwestycje w programy badawczo-rozwojowe, wzrost preferencji dla outsourcingu działań w celu skrócenia czasu, ograniczanie kosztów badań klinicznych i wygasanie patentów na leki cieszące się dużym zainteresowaniem. Badania fazy III dominowały na rynku, odpowiadając za 53,3% całkowitych przychodów w roku 2023⁶. Według Międzynarodowej Platformy Rejestru Badań Klinicznych (International Clinical Trials Registry Platform - ICTRP) Światowej Organizacji Zdrowia (WHO), w lutym 2023 r. z 271 906 badań klinicznych w znanej fazie rozwoju 35% znajdowało się w fazie II. Do maja 2023 r. badania fazy II stanowiły 74 432 badań klinicznych, co stanowiło 36% wszystkich rejestracji. Ta znacząca reprezentacja badań fazy II podkreśliła ich kluczową rolę w ocenie skuteczności i bezpieczeństwa nowych metod leczenia przed przejściem do badań fazy III na większą skalę i ostatecznych procesów zatwierdzania regulacyjnego⁷. W zależności od źródła największy udział w przychodach rynku badań klinicznych w 2023 r. miały choroby autoimmunologiczne/zapalne (na Clinicaltrials.gov wylistowano ponad 8900 badań interwencyjnych dotyczących chorób autoimmunologicznych/zapalenia)⁸ lub onkologiczne. Według WHO ICTRP, liczba zarejestrowanych badań klinicznych onkologicznych stale rosta, z około 19 211 w 2013 r. do 26 396 w 2022 r. Trend wzrostowy zaobserwowano ze względu na znaczące przełomy w immunoterapii, medycynie precyzyjnej, terapii genowej i terapii skojarzonej, co umocniło pozycję onkologii⁹. Zwraca się również uwagę na rosnącą rolę badań

⁴ Clinical Trials Market Size, Share & Trends Analysis Report By Phase (Phase I, Phase II, Phase III, Phase IV), By Study Design, By Indication, Indication By Study Design, By Sponsors, By Service Type, By Region and Segment Forecasts, 2024 – 2030. [Clinical Trials Market Size, Share And Growth Report, 2030 \(grandviewresearch.com\)](https://www.grandviewresearch.com/industry-analysis/Clinical-Trials-Market)

⁵ Clinical Trials Market - By Phase (I, II, III, IV), Study Design (Interventional, Observational, Expanded Access), Service Type (Outsourcing, In-house), Therapeutic Area (Oncology, Dermatology, Neurology, Cardiology) – Global Forecast (2024 – 2032) [Clinical Trials Market Size & Share Report, 2024 – 2032 \(gminsights.com\)](https://www.gminsights.com/industry-analysis/Clinical-Trials-Market)

⁶ Clinical Trials Market Size, Share & Trends Analysis Report By Phase (Phase I, Phase II, Phase III, Phase IV), By Study Design, By Indication, Indication By Study Design, By Sponsors, By Service Type, By Region and Segment Forecasts, 2024 – 2030. [Clinical Trials Market Size, Share And Growth Report, 2030 \(grandviewresearch.com\)](https://www.grandviewresearch.com/industry-analysis/Clinical-Trials-Market)

⁷ Clinical Trials Market - By Phase (I, II, III, IV), Study Design (Interventional, Observational, Expanded Access), Service Type (Outsourcing, In-house), Therapeutic Area (Oncology, Dermatology, Neurology, Cardiology) – Global Forecast (2024 – 2032) [Clinical Trials Market Size & Share Report, 2024 – 2032 \(gminsights.com\)](https://www.gminsights.com/industry-analysis/Clinical-Trials-Market)

⁸ Clinical Trials Market Size, Share & Trends Analysis Report By Phase (Phase I, Phase II, Phase III, Phase IV), By Study Design, By Indication, Indication By Study Design, By Sponsors, By Service Type, By Region and Segment Forecasts, 2024 – 2030. [Clinical Trials Market Size, Share And Growth Report, 2030 \(grandviewresearch.com\)](https://www.grandviewresearch.com/industry-analysis/Clinical-Trials-Market)

⁹ Clinical Trials Market - By Phase (I, II, III, IV), Study Design (Interventional, Observational, Expanded Access), Service Type (Outsourcing, In-house), Therapeutic Area (Oncology, Dermatology, Neurology, Cardiology) – Global Forecast (2024 – 2032) [Clinical Trials Market Size & Share Report, 2024 – 2032 \(gminsights.com\)](https://www.gminsights.com/industry-analysis/Clinical-Trials-Market)

nieklinicznych, w tym np. modeli eksperymentalnych pozwalających lepiej zrozumieć proces nowotworzenia lub reakcje mikrośrodowiska guza¹⁰. Dane pozyskiwane z próbek biologicznych pacjentów włączonych do badań klinicznych mogą dostarczyć informacji na temat optymalnych kombinacji terapeutycznych¹¹. Oczekuje się, że w przyszłości badania kliniczne będą bardziej złożone, co związane będzie z generowaniem znacznej ilości różnorodnych danych¹². Wraz ze wzrostem ilości danych spodziewany jest wzrost znaczenia algorytmów do oceny bezpieczeństwa i skuteczności oraz algorytmów do redukcji kosztów (np. ośrodki wyłączane na podstawie ich przewidywanej efektywności kosztowej). Oczekuje się, że do 2050 roku symulacja wspomagana sztuczną inteligencją będzie odgrywać kluczową rolę w badaniach klinicznych. Równie istotne są urządzenia typu *wereables*, które mogą mieć pozytywny wpływ na jakość życia i zażywanie produktu leczniczego, a zatem na efekt terapeutyczny. Przykładowo, zamiast ręcznego sprawdzania poziomu cukru we krwi i podawania insuliny w razie potrzeby, proponuje się, aby pacjent polegał na urządzeniu elektromedycznym — nie tylko do monitorowania, ale także do podawania prawidłowych (i zmiennych) dawek w oparciu o konkretne potrzeby pacjenta. Działanie takie odciąża pacjenta psychicznie¹³. Nowe technologie nie tylko ułatwią rekrutację uczestników, ale także pomogą w identyfikacji pacjentów. Ponieważ urządzenia do noszenia (*wereables*) stają się coraz bardziej powszechne mogą one, w połączeniu z testami genetycznymi, skutkować wcześniejszymi i bardziej definitywnymi diagnozami szerokiego zakresu chorób¹⁴. Oczekuje się również, że dojdzie do lepszego zrozumienia procesów patofizjologicznych odpowiedzialnych za rozwój i progresję choroby w oparciu o szersze zestawy danych¹⁵.

Na podstawie wykonanej analizy Agencja wyznaczyła kierunki rozwoju badań klinicznych na rok 2025:

- ➔ wzmocnienie medycyny translacyjnej poprzez realizację założeń konkursu TransMED (ogłoszonego w 2024 r.)
- ➔ wspieranie badań laboratoryjnych (w tym badań próbek pacjentów) celem lepszego zrozumienia patofizjologii chorób, ich progresji i odpowiedzi na leczenie

¹⁰ Non Clinical Trials Market Size, Share, Industry, Forecast and Outlook (2023-2030) [Non-Clinical Trials Market Analysis, Size, Share and Report 2023-2030 \(datamintelligence.com\)](https://www.datamintelligence.com/reports/non-clinical-trials-market)

¹¹ Spreafico A, Hansen AR, Abdul Razak AR, Bedard PL, Siu LL. The Future of Clinical Trial Design in Oncology. *Cancer Discov.* 2021;11(4):822-837. doi:10.1158/2159-8290.CD-20-1301

¹² Gibney E. How many yottabytes in a quettabyte? Extreme numbers get new names. Prolific generation of data drove the need for prefixes that denote 10²⁷ and 10³⁰. *Nature.* 2022 November 18; doi: 10.1038/d41586-022-03747-9.

¹³ Hardman TC, Aitchison R, Scaife R, Edwards J, Slater G. The future of clinical trials and drug development: 2050. *Drugs Context.* 2023;12:2023-2-2. Published 2023 Jun 8. doi:10.7573/dic.2023-2-2

¹⁴ Wetsman N. Theranos promised a blood testing revolution – Here’s what’s really possible. *Innovation is possible, even if it’s not magic.* <https://www.theverge.com/22834348/theranos-blood-testing-innovation-drop-holmes>.

¹⁵ Hardman TC, Aitchison R, Scaife R, Edwards J, Slater G. The future of clinical trials and drug development: 2050. *Drugs Context.* 2023;12:2023-2-2. Published 2023 Jun 8. doi:10.7573/dic.2023-2-2

- ➔ analizy wykorzystania danych pochodzących z próbek biologicznych i urządzeń typu wearables do personalizacji leczenia
- ➔ wspieranie badań klinicznych typu „smart” opartych na danych i algorytmach,
- ➔ wykorzystanie w badaniach innowacyjnych technologii medycznych, w tym sztucznej inteligencji oraz badania wykorzystujące narzędzia cyfrowe do optymalizacji procesów rekrutacji i prowadzenia badań (w tym optymalizacji kosztów)
- ➔ promowanie badań w obszarze chorób przewlekłych, autoimmunologicznych / zapalnych i onkologicznych.

3.2.3. Analiza finansowania obszarów naukowo-badawczych w Europie

Finansowanie obszarów naukowo-badawczych w Europie jest realizowane przez szereg kluczowych agencji, które wspierają rozwój innowacji, badań klinicznych, wyrobów medycznych oraz innych aspektów medycyny. Agencje te oferują różnorodne programy finansowania, umożliwiając naukowcom i instytucjom badawczym realizację projektów o dużym znaczeniu dla zdrowia publicznego i postępu medycznego. Tabela 1 przedstawia szczegółowy przegląd kluczowych narodowych i międzynarodowych agencji badawczych w Europie, które planują uruchomić strategicznie istotne projekty medyczne i badawcze od trzeciego kwartału 2024 roku. W tabeli zostały zawarte informacje o głównych programach finansowania oferowanych przez te agencje, typach projektów, które będą realizowane, oraz planowanych datach rozpoczęcia inicjatyw.

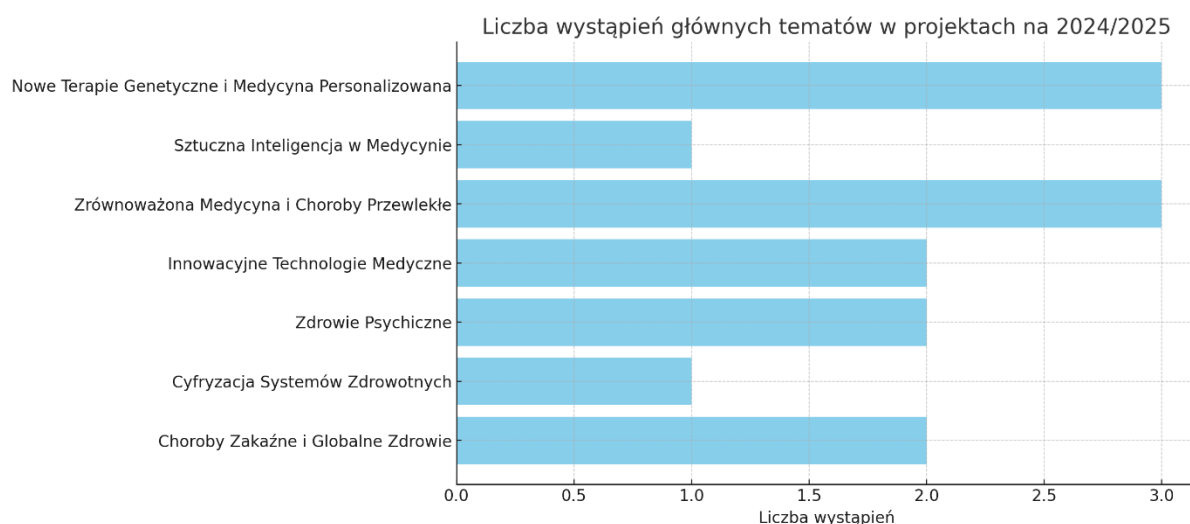
Tabela 1 Planowane projekty medyczne i badawcze w Europie od trzeciego kwartału 2024: kluczowe Agencje, programy i daty rozpoczęcia

Agencja	Kraj	Główne programy	Projekty na 2024/2025	Data rozpoczęcia	Źródła
Agence Nationale de la Recherche (ANR)	Francja	<p>PRCI (Collaborative Research Projects - International): Wspiera projekty realizowane we współpracy międzynarodowej.</p> <p>PRCE (Collaborative Research Projects - Enterprises): Wspiera projekty realizowane we współpracy z przedsiębiorstwami.</p>	<ul style="list-style-type: none"> - Badania nad nowymi terapiami genetycznymi. - Projekty dotyczące sztucznej inteligencji w diagnostyce medycznej. 	Lipiec 2024	ANR
Deutsche Forschungsgemeinschaft (DFG)	Niemcy	<p>Collaborative Research Centres (CRC): Wspiera długoterminowe projekty badawcze realizowane przez grupy naukowców.</p> <p>Priority Programmes (SPP): Koncentruje się na promowaniu nowych tematów badawczych o dużym potencjale innowacyjnym.</p>	<ul style="list-style-type: none"> - Projekty dotyczące zrównoważonej medycyny. - Badania nad chorobami neurodegeneracyjnymi. 	Sierpień 2024	DFG
National Institute for Health Research (NIHR)	Wielka Brytania	<p>Health Technology Assessment (HTA): Wspiera badania oceniające skuteczność, koszty i korzyści nowych technologii medycznych.</p> <p>Research for Patient Benefit (RfPB): Finansuje projekty badawcze mające bezpośredni wpływ na opiekę nad pacjentem.</p>	<ul style="list-style-type: none"> - Badania nad efektywnością nowych technologii medycznych. - Programy dotyczące zdrowia psychicznego młodzieży. 	Wrzesień 2024	NIHR

Agencja	Kraj	Główne programy	Projekty na 2024/2025	Data rozpoczęcia	Źródła
Instituto de Salud Carlos III (ISCIII)	Hiszpania	Strategic Action in Health (AES): Program wspierający badania zdrowotne o wysokim priorytecie narodowym. CIBER (Biomedical Research Networking Centres): Sieci badawcze skupiające się na różnych dziedzinach medycyny.	- Projekty dotyczące chorób sercowo-naczyniowych. - Badania nad immunoterapią raka.	Lipiec 2024	ISCIII
Fonds National de la Recherche (FNR)	Luksemburg	CORE: Główny program finansowania badań podstawowych i stosowanych. INTER: Wspiera międzynarodowe projekty badawcze.	- Badania nad biotechnologią. - Projekty dotyczące personalizowanej medycyny.	Sierpień 2024	FNR
Netherlands Organisation for Health Research and Development (ZonMw)	Holandia	Vici: Program wspierający doświadczonych badaczy. Off Road: Program wspierający innowacyjne, wysokiego ryzyka projekty badawcze.	- Innowacyjne projekty wysokiego ryzyka. - Badania nad starzeniem się populacji i zdrowiem publicznym.	Wrzesień 2024	ZonMw
European Research Council (ERC)	UE	ERC Starting Grants: Wspiera początkujących naukowców. Consolidator Grants: Wspiera naukowców na średnim etapie kariery. Advanced Grants: Wspiera doświadczonych naukowców. Synergy Grants: Wspiera grupy naukowców realizujących wspólne projekty.	- Badania nad neurobiologią i zdrowiem psychicznym. - Projekty dotyczące nowotworów i terapii genowych.	Lipiec 2024	ERC
Innovative Health Initiative (IHI)	UE	Projekty badawcze z zakresu innowacyjnych terapii i technologii medycznych: Wspiera współpracę publiczno-prywatną w zakresie rozwoju nowych leków i technologii medycznych.	- Badania nad technologiami medycznymi. - Projekty dotyczące współpracy publiczno-prywatnej w zakresie rozwoju nowych leków.	Sierpień 2024	IHI

Agencja	Kraj	Główne programy	Projekty na 2024/2025	Data rozpoczęcia	Źródła
European Health and Digital Executive Agency (HaDEA)	UE	Horizon Europe: Finansowanie badań naukowych i innowacji. EU4Health: Wspiera projekty zdrowotne. Digital Europe Programme: Wspiera cyfryzację systemów zdrowotnych.	- Inicjatywy w zakresie cyfryzacji systemów zdrowotnych. - Badania kliniczne nad chorobami rzadkimi.	Wrzesień 2024	HaDEA
European and Developing Countries Clinical Trials Partnership (EDCTP)	UE i Afryka Subsaharyjska	Badania nad malarią, gruźlicą, HIV/AIDS i innymi chorobami zakaźnymi: Wspiera badania kliniczne nad chorobami zakaźnymi w regionach o ograniczonych zasobach.	- Badania kliniczne nad nowymi terapiami na HIV. - Projekty dotyczące zwalczania malarii w regionach o ograniczonych zasobach.	Lipiec 2024	EDCTP
European Clinical Research Infrastructure Network (ECRIN)	UE	Wielonarodowe badania kliniczne: Wspiera międzynarodowe badania kliniczne, oferując wsparcie logistyczne i finansowe dla konsorcjów badawczych.	- Międzynarodowe badania nad nowymi metodami leczenia raka. - Projekty dotyczące zarządzania chorobami przewlekłymi w różnych krajach Europy.	Sierpień 2024	ECRIN

Europejskie agencje badawcze w latach 2024 / 2025 skupią się na kluczowych obszarach medycyny (rysunek 2), z naciskiem na innowacje i personalizację leczenia. Nowe terapie genetyczne i medycyna personalizowana będą dominującymi tematami, co podkreśla rosnące znaczenie dostosowywania terapii do indywidualnych potrzeb pacjentów. Zrównoważona medycyna i badania nad chorobami przewlekłymi są również priorytetem, odpowiadając na wyzwania związane ze starzejącą się populacją. Inwestycje w innowacyjne technologie medyczne, w tym sztuczną inteligencję, mają potencjał do przekształcenia diagnostyki i opieki zdrowotnej. Zdrowie psychiczne, zwłaszcza młodzieży, staje się coraz ważniejszym obszarem badań, co jest odpowiedzią na rosnące potrzeby w tym zakresie. Badania nad chorobami zakaźnymi, takimi jak malaria i HIV, pozostają istotne dla globalnego zdrowia publicznego. Cyfryzacja systemów zdrowotnych zyskuje na znaczeniu, co wskazuje na dążenie do modernizacji i poprawy efektywności opieki zdrowotnej. Ogólnie, europejskie agencje badawcze koncentrują się na innowacyjnych, zrównoważonych rozwiązaniach, które mają potencjał do znaczącego wpływu na przyszłość medycyny. Te priorytety odzwierciedlają dążenie do poprawy jakości życia pacjentów oraz do bardziej efektywnego zarządzania zasobami zdrowotnymi.



Rysunek 2. Planowane projekty medyczne i badawcze w Europie od trzeciego kwartału 2024

Zadaniami określonymi w konkursach ogłaszanych przez Agencję w roku 2025, jak i realizowanymi przez Agencję będą:

- ➔ działania zmierzające do rozwijania cyfrowych systemów zdrowotnych
- ➔ działania wspierające rozwój medycyny personalizowanej
- ➔ działania mające na celu analizę problemów zdrowotnych w obszarach takich jak zdrowie globalne, czy choroby otępienne

3.3. Plany w zakresie finansowania działań ustawowych

3.3.1. Konkursy

3.3.1.1. Otwarty konkurs na niekomercyjne badania kliniczne

Cel Uruchomienie konkursu na realizację badań klinicznych dotyczących identyfikacji i oceny produktów leczniczych w nowych wskazaniach terapeutycznych. Do najważniejszych zadań w ramach konkursu zaliczyć można:

➔ Opracowanie nowych standardów leczenia, diagnostyki lub rehabilitacji w ramach prowadzonych niekomercyjnych badań klinicznych a także zwiększenie wiedzy o najbardziej optymalnych klinicznie terapiach w odniesieniu do szerokiego spektrum schorzeń ze szczególnym uwzględnieniem:

- chorób układu krążenia,
- chorób układu nerwowego,
- chorób autoimmunologicznych,
- chorób przewlekłych układu oddechowego
- chorób układu mięśniowo-szkieletowego
- chorób skórnych i chorób tkanki podskórnej
- chorób nowotworowych

➔ Zwiększenie liczby niekomercyjnych badań klinicznych w populacji szczególnie narażonych na wykluczenie w tym populacji pediatrycznej.

Opis problemu Ideą stojącą za finansowaniem niekomercyjnych badań klinicznych jest przede wszystkim poprawa zdrowia publicznego poprzez rozwijanie nowych metod leczenia, diagnostyki i prewencji chorób, które niekoniecznie mają bezpośredni potencjał komercyjny. Badania te często skupiają się na obszarach, które mogą być pomijane przez firmy farmaceutyczne, takich jak rzadkie choroby, terapie ukierunkowane na konkretne populacje, optymalizacja istniejących terapii, czy ocena długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa dostępnych leków. Niekomercyjne badania niekomercyjne mogą dotyczyć również problematyki obniżenia kosztów leczenia, poprawy jakości życia pacjentów lub zrozumieniu mechanizmów progresji chorób, co z kolei może prowadzić do opracowania bardziej spersonalizowanych i wydajnych kosztowo terapii.

Rezultaty

- ➔ Wskazanie najefektywniejszych klinicznie produktów leczniczych stosowanych w danej chorobie na tym samym etapie leczenia lub diagnostyki,
- ➔ Dostarczenie wysokiej jakości dowodów naukowych mających na celu zoptymalizowanie wytycznych praktyki klinicznej w zakresie stosowanych produktów leczniczych,

- Zwiększenie dostępu pacjentów do najefektywniejszych klinicznie produktów leczniczych,
- Poprawa opieki nad pacjentami wynikająca z uzyskania wiedzy o nowych/najefektywniejszych możliwościach terapeutycznych stosowanych w danej chorobie na danym etapie leczenia,

**Termin realizacji
działania** Q II 2025 r.

**Indykatywne źródła
finansowania** 200 000 000,00 zł

**Wskaźniki
monitorowania**

- Liczba zwalidowanych innowacyjnych metod terapeutycznych opracowanych w ramach niekomercyjnych badań klinicznych,
- Liczba pacjentów objętych niekomercyjnymi badaniami klinicznymi,
- Liczba publikacji wskazujących najefektywniejsze klinicznie procedury terapeutyczne stosowane w danej chorobie, mające na celu zoptymalizowanie wytycznych praktyki klinicznej,
- Liczba uruchomionych badań klinicznych w Polsce zgodnie z wymogami regulatorowymi,
- Liczba biobankowanych próbek materiału biologicznego.

3.3.1.2. Otwarty konkurs na eksperymenty badawcze

- Cel** Uruchomienie konkursu na realizację eksperymentów badawczych dotyczących oceny procedur medycznych w tym procedur diagnostycznych i terapeutycznych. Do najważniejszych zadań w ramach konkursu zaliczyć można:
- ➔ Opracowanie nowych procedur medycznych oraz ścieżek pacjenta w ramach prowadzonych eksperymentów badawczych a także zwiększenie wiedzy o najbardziej optymalnych klinicznie procedurach diagnostycznych w odniesieniu do szerokiego spektrum schorzeń ze szczególnym uwzględnieniem:
 - chorób układu krążenia,
 - chorób układu nerwowego,
 - chorób autoimmunologicznych,
 - chorób przewlekłych układu oddechowego
 - chorób układu mięśniowo-szkieletowego
 - chorób skórnych i chorób tkanki podskórnej
 - chorób nowotworowych
 - ➔ Prowadzenie eksperymentów badawczych w najlepszych standardach.
- Opis problemu** Badania typu *head-to-head* odgrywają kluczową rolę w bezpośrednim porównywaniu skuteczności i bezpieczeństwa dwóch lub więcej metod leczenia. Ich celem jest dostarczenie wiarygodnych i obiektywnych danych na temat tego, która z procedur medycznych jest bardziej skuteczna lub ma mniej działań niepożądanych, co pomaga lekarzom i decydentom medycznym w podejmowaniu świadomych decyzji terapeutycznych. Identyfikowanie najefektywniejszych procedur medycznych spośród dostępnych na rynku pozwoli na optymalizację postępowania terapeutycznego i stanowić będzie niezbędne narzędzie pomocnicze przy podejmowaniu decyzji refundacyjnych przez płatnika publicznego, który z powodu ograniczonych zasobów finansowych, niejednokrotnie musi dokonywać wyboru pomiędzy alternatywnymi technologiami medycznymi.
- Obszary wymagające wsparcia:
- ➔ Procedury
 - ➔ Medycyna personalizowana.

- Rezultaty**
- Wskazanie najefektywniejszych klinicznie procedur medycznych, stosowanych w danej chorobie na tym samym etapie leczenia lub diagnostyki,
 - Dostarczenie wysokiej jakości dowodów naukowych mających na celu zoptymalizowanie wytycznych praktyki klinicznej w zakresie stosowanych procedur medycznych oraz zmianę praktyki klinicznej,
 - Zwiększenie dostępu pacjentów do najefektywniejszych klinicznie procedur medycznych (diagnostycznych, terapeutycznych),
 - Poprawa opieki nad pacjentami wynikająca z uzyskania wiedzy o nowych / najefektywniejszych procedurach terapeutycznych stosowanych w danej chorobie na danym etapie leczenia lub diagnostyki oraz opracowanie efektywnej ścieżki pacjenta,
 - Standaryzacja procedur i dokumentacji przedkładanej w procesie rejestracji eksperymentów badawczych i podniesienie jakości monitorowania pacjentów w trakcie realizacji eksperymentów badawczych,

Termin realizacji działania Q III 2025 r.

Indykacyjne źródła finansowania 75 000 000,00 zł

- Wskaźniki monitorowania**
- Liczba zwalidowanych innowacyjnych metod terapeutycznych (lecniczych) lub diagnostycznych opracowanych w ramach eksperymentów badawczych,
 - Liczba pacjentów objętych eksperymentami badawczymi,
 - Liczba publikacji wskazujących najefektywniejsze klinicznie procedury medyczne stosowane w danej chorobie na tym samym etapie diagnostyki lub leczenia, mających na celu zoptymalizowanie wytycznych praktyki klinicznej,
 - Liczba rozpoczętych eksperymentów badawczych w Polsce zgodnie z wymogami regulatorowymi
 - Liczba biobankowanych próbek materiału biologicznego.

3.3.2. Projekty własne ABM

3.3.2.1. **Projekt własny: Badanie porównawcze oceniające zastosowanie nieinwazyjnego testu EndoRNA w rozpoznaniu endometriozy względem laparoskopii – ENDO – kontynuacja**

Cel Ocena przydatności klinicznej testu EndoRNA w porównaniu do zabiegu laparoskopii w wykrywaniu endometriozy.

Ocena swoistości i czułości oraz wykazanie przydatności zastosowania testu EndoRNA w odniesieniu do populacji pacjentek z niejednoznacznymi wynikami badań obrazowych lub brakiem odchyleń w badaniach obrazowych pomimo objawów klinicznych sugerujących endometriozę oraz u pacjentek leczonych hormonalnie ze względu na podejrzenie endometriozy.

Cel na rok 2025 Włączenie do badania 450 kobiet, wykonanie nieinwazyjnego testu EndoRNA, porównanie wyników testu z wynikami przeprowadzonej z laparoskopii.

Opis problemu Endometrioza jest jednym z najczęstszych schorzeń ginekologicznych u kobiet. Według Światowej Organizacji Zdrowia endometrioza może dotyczyć ok. 10% kobiet w wieku rozrodczym na świecie. Zgodnie z danymi Fundacji Pokonać Endometriozę w Polsce problem endometriozy może dotyczyć nawet do 3 milionów kobiet. Choroba jest rozpoznawana u ok. 40% kobiet leczonych z powodu niepłodności oraz u ponad 60% kobiet z przewlekłym bólem miednicy mniejszej. Endometrioza jest schorzeniem przewlekłym stanowiącym poważny problem zdrowotny i istotnie wpływającym na jakość życia dotkniętych nią kobiet. Ponadto obecności nawet niewielkich ognisk endometriozy powoduje często niepłodność. Jednocześnie ze względu na zróżnicowany obraz kliniczny, mało charakterystyczne objawy, a także podobieństwo lub jednoczesne występowanie z innymi schorzeniami rozpoznanie endometriozy jest często opóźnione w stosunku do pojawienia się pierwszych objawów klinicznych. Średni czas od pierwszych objawów do rozpoznania choroby to około 6-8 lat we wszystkich krajach rozwiniętych.

Dotychczas potwierdzenie choroby było możliwe na podstawie badań obrazowych takich jak ultrasonografia przezpochwowa czy rezonans magnetyczny. Jednakże oba badania nie są wystarczająco czułe. Złotym standardem w diagnostyce endometriozy pozwalającym nie tylko na potwierdzenie diagnozy, ale także pobranie materiału do badania histopatologicznego jest laparoscopia. Jest to jednak procedura inwazyjna i wiąże się wystąpieniem powikłań u pacjentek.

W 2022 roku Europejskie Towarzystwo Rozrodu Człowieka i Embriologii opublikowało nowe wytyczne dotyczące diagnostyki i leczenia endometriozy proponując odejście od laparoskopii jako złotego standardu na rzecz badań obrazowych, a także zastosowania biomarkerów jako narzędzia pomocniczego w diagnostyce choroby. Ponieważ nie wszystkie postaci endometriozy można potwierdzić badaniem obrazowym od wielu lat prowadzone są badania mające na celu identyfikację markerów w surowicy krwi, endometrium i płynie otrzewnowym, które pozwalałyby na wczesną i nieinwazyjną diagnostykę endometriozy. Agencja na podstawie zlecenia Ministerstwa Zdrowia przeprowadza eksperyment badawczy mający na celu sprawdzenie przydatności klinicznej nieinwazyjnego testu wykorzystującego obecność biomarkera. Wyniki przeprowadzonego badania mogą wspomóc opracowanie algorytmu diagnostycznego i ograniczyć konieczności wykonywania laparoskopii. Ponadto analiza porównawcza przydatności pomiaru względem obecnego standardu diagnostycznego mogłaby być także wykorzystana jako jeden z dowodów badawczych w zakresie wprowadzenia metody do koszyka świadczeń gwarantowanych.

- Rezultaty**
- ➔ Weryfikacja przydatności pomiaru biomarkera (poziomu ekspresji mRNA genu *FUT4*) u pacjentek z wyleczoną endometriozą,
 - ➔ Opracowanie i wydanie raportu opisującego analizę i jej wyniki
 - ➔ Opracowanie publikacji naukowej.

Termin realizacji do 30 kwietnia 2026 r.
działania

Indykatywne źródła finansowania Odpis NFZ
7 939 000 zł

Wskaźniki monitorowania

- ➔ Liczba umów podpisanych z ośrodkami
- ➔ Liczba zrekrutowanych pacjentek

3.3.2.2. Projekt własny Analiza rozpowszechnienia i czynników związanych z używaniem wybranych substancji uzależniających w polskiej populacji – NIKO – kontynuacja

Cel Określenie rozpowszechnienia używania wyrobów nikotynowych w poszczególnych grupach demograficznych w Polsce poprzez:

- Określenie częstości używania wyrobów nikotynowych przez osoby je stosujące.
- Określenie wieku inicjacji nikotynowej oraz historii używania wyrobów nikotynowych.
- Ocenę liczby i rodzaju stosowanych wyrobów nikotynowych (badanie zjawiska dual use i polyuse) oraz czynników determinujących zmianę stosowanego wyrobu na inny produkt nikotynowy.
- Określenie motywacji osób do rozpoczęcia stosowania tytoniu/wyrobów nikotynowych, w szczególności nowych wyrobów.
- Ocenę okoliczności i czynników wpływających na rozpoczęcie stosowania wyrobów nikotynowych, w szczególności nowych wyrobów.
- Określenie determinantów i okoliczności, w których ludzie przestają używać wyrobów nikotynowych.
- Określenie okoliczności i przyczyn, dla których niektórzy ludzie, którzy przestali używać wyrobów nikotynowych, zaczynają je używać ponownie.
- Określenie różnic w postawach, zachowaniach i ocenie własnego zdrowia związanych z używaniem produktów nikotynowych wśród różnych grup społecznych w populacji polskiej.

Cele na rok

2025

Uruchomienie badania ilościowego na populacji liczącej 9 tys. osób, analiza danych, przygotowanie raportu zawierającego wyniki badań jakościowych i ilościowych oraz ich interpretację.

Opis problemu

Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 27 sierpnia 2021 r. w sprawie mapy potrzeb zdrowotnych na lata 2022-2026,¹⁶ czynnikiem ryzyka, który od 1990 roku powoduje najwyższą utratę lat życia w zdrowiu w Polsce jest tytoń. Co trzeci Polak pali tradycyjne papierosy codziennie¹⁷. W Polsce najbardziej niekorzystnym pod względem palenia tytoniu był rok 1982. W roku tym ponad 60% mężczyzn i ponad 30% kobiet paliło tytoń codziennie, a odsetek

¹⁶ Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 27 sierpnia 2021 r. w sprawie mapy potrzeb zdrowotnych. (Dz. Urz. Min. Zdr. 2021 r. poz. 69).

¹⁷ Jankowski M, Ostrowska A, Sierpiński R, et al. The Prevalence of Tobacco, Heated Tobacco, and E-Cigarette Use in Poland: A 2022 Web-Based Cross-Sectional Survey. *Int J Environ Res Public Health*. 2022;19(8):4904.

palaczy był najwyższy w historii kraju a także należał do najwyższych w Europie oraz Europie Środkowej i Wschodniej¹⁸.

Coraz powszechniejsze wśród palaczy staje się używanie tytoniu podgrzewanego. Dane z roku 2019 wykazują, że odsetek aktualnych użytkowników e-papierosów wśród dorosłych Polaków wynosi 1,4%¹⁹. Z kolei badania epidemiologiczne przeprowadzone w 2019 roku²⁰ wśród uczniów szkół ponadpodstawowych w wieku od 15 do 19 lat w Polsce wykazały, że odsetek osób, które w ciągu ostatnich 30 dni używały wyłącznie e-papierosa, wzrósł z 2% obserwowanych w latach 2010-2011 do 8% w latach 2013-2014. W latach 2015-2016 odsetek ten osiągnął poziom 11%. Najczęstszymi przyczynami sięgnięcia po e-papierosa przez nastolatków są: brak charakterystycznego, niemiłego zapachu towarzyszącego paleniu tytoniu, doznania smakowe (możliwość inhalacji aerozolem o słodkich smakach), niższe koszty używania e-papierosów w porównaniu z tradycyjnymi papierosami. Dynamiczna sytuacja epidemiologiczna sugeruje zatrzymanie spadku konsumpcji tradycyjnych wyrobów tytoniowych (papierosy) w Polsce i wzrost używania nowych produktów zawierających tytoń bądź nikotynę (elektroniczne papierosy, tytoń podgrzewany, saszetki nikotynowe, itp.). Obecnie nie są prowadzone badania pozwalające ocenić kompleksowo ww. zjawiska z perspektywy zagrożeń dla zdrowia populacji, co utrudnia podejmowanie decyzji opartych na dowodach. Polska z uwagi na niedostateczne uregulowania jest rynkiem szybkiej penetracji nowymi wyrobami przemysłu tytoniowego – szczególnie w grupie młodzieży i młodych dorosłych. Opieranie decyzji dot. polityki zdrowotnej przez władze publiczne na gruntowanej wiedzy i krytycznej analizie danych jest jednym z najważniejszych elementów decydujących o skuteczności podejmowanych działań.

¹⁸ Pinkas J. (red.) Współczesne wyzwania zdrowia publicznego. Wybrane zagadnienia. PZWL 2021. ISBN 978-83-200-6513-8.

¹⁹ Pinkas J, Kaleta D, Zgliczyński WS, et al. The Prevalence of Tobacco and E-Cigarette Use in Poland: A 2019 Nationwide Cross-Sectional Survey. *Int J Environ Res Public Health*. 2019;16(23):4820.

²⁰ Smith DM, Gawron M, Balwicki L, Sobczak A, Matynia M, Goniewicz ML. Exclusive versus dual use of tobacco and electronic cigarettes among adolescents in Poland, 2010-2016. *Addict Behav*. 2019;90:341-348.

Rezultaty	<ul style="list-style-type: none">➤ Ocena narażenia populacji Polski w zakresie substancji uzależniających,➤ Zmapowanie polityk zdrowotnych w krajach EU – określenie obszarów wymagających poprawy w Polsce,➤ Przygotowanie rekomendacji dla krajowej polityki zdrowotnej z uwzględnieniem światowych trendów,➤ Opracowanie publikacji / raportu z wyników analizy.
Termin realizacji działania	do 31 marca 2026 r.
Indykatywne źródła finansowania	Odpis NFZ 2 147 608,88 zł
Wskaźniki monitorowania	<ul style="list-style-type: none">➤ Raport z badań jakościowych➤ Raport z badania ilościowego właściwego

3.3.2.3. **Projekt własny, badawczo-edukacyjny „Świadomość, wiedza i nastawienie do badań klinicznych w Polsce”**

Cel	Ocena stanu wiedzy i postaw społeczeństwa do badań klinicznych. Ocena wpływu działań edukacyjnych na postrzeganie badań klinicznych i zmiany postaw w wybranych grupach.
Opis problemu	Badania kliniczne odgrywają kluczową rolę w opracowywaniu nowych i skutecznych metod leczenia oraz poprawie jakości życia pacjentów, ponieważ odpowiedzialne są za generowanie jednych z najwyższych poziomów dowodów naukowych wykorzystywanych w praktyce medycznej ²¹ . Niestety wiele badań nie potrafi odpowiedzieć na postawione pytania badawcze, gdyż nie spełniają wskaźników rekrutacyjnych ²² . Rosnąca złożoność protokołów badań w sposób negatywny przedkłada się nie tylko na koszty i długość procesu opracowywania leków, ale również wpływa na zainteresowanie potencjalnych ochotników udziałem w badaniach. ²³ Badania kliniczne powinny być postrzegane jako dobro społeczne. Społeczeństwo powinno rozumieć swoją rolę w zapobieganiu, diagnozowaniu i leczeniu chorób ²⁴ . Obecnie wiedza społeczeństwa na temat badań klinicznych jest słaba, a relacje

²¹ Leiter A, Diefenbach MA, Doucette J, Oh WK, Galsky MD. Clinical trial awareness: Changes over time and sociodemographic disparities. *Clin Trials*. 2015;12(3):215-223. doi:10.1177/1740774515571917

²² Massett HA, Dilts DM, Bailey R, et al. Raising Public Awareness of Clinical Trials: Development of Messages for a National Health Communication Campaign. *J Health Commun*. 2017;22(5):373-385. doi:10.1080/10810730.2017.1290715

²³ Getz KA, Campo RA. Trial watch: trends in clinical trial design complexity. *Nat Rev Drug Discov*. 2017;16(5):307. doi: 10.1038/nrd.2017.65

²⁴ [The Need for Awareness of Clinical Research | National Institutes of Health \(NIH\)](#)

medialne na temat badań klinicznych są często negatywne²⁵ Niewielkie zainteresowanie badaniami klinicznymi powodowane jest czynnikami, które zostały sklasyfikowane w trzech podstawowych domenach, takich jak dostępności badań, świadomości na temat badań i akceptacja badań²⁶. Poprawa wskaźników rekrutacji i retencji uczestników badań klinicznych jest silnie uzależniona od zaangażowania opinii publicznej i pacjentów w badania kliniczne.²⁷ Brak różnicowania wśród uczestników badań (w tym pod względem wieku, płci, pochodzenia etnicznego, chorób współistniejących) uniemożliwia właściwą ocenę wpływu uzyskanych wyników na możliwość ich praktycznej implementacji.²⁸ Jednym z najważniejszych czynników ograniczających udział potencjalnych uczestników w badaniach jest brak zaufania do badań, lekarzy, badaczy, leków i przemysłu farmaceutycznego²⁹. Stan ten może wynikać z poprzednich negatywnych doświadczeń z systemem ochrony zdrowia lub z własnych przekonań lub obaw³⁰. Istnieje duża liczba badań, wskazujących na brak zrozumienia przebiegu badania klinicznego w różnych jego obszarach np. rekrutacji lub gromadzeniu danych, jako czynnika limitującego zainteresowanie udziałem w tym procesie³¹. Opór psychiczny przed udziałem w badaniu często jest populacyjno-specyficzny. Dowiedziono istnienia przekonania wśród osób starszych, że są za stare, aby uczestniczyć w badaniach³². Istotne są też obawy dotyczące prywatności, statusu imigracyjnego, sprzeczności z przekonaniami religijnymi, obierania uczestnika jako „świnki morskiej” w eksperymencie, braku akceptacji społecznej (w tym

²⁵ Mackenzie IS, Wei L, Rutherford D, et al. Promoting public awareness of randomised clinical trials using the media: the 'Get Randomised' campaign. *Br J Clin Pharmacol*. 2010;69(2):128-135. doi:10.1111/j.1365-2125.2009.03561.x

²⁶ Denicoff AM, McCaskill-Stevens W, Grubbs SS, et al. The national cancer institute-american society of clinical oncology cancer trial accrual symposium: summary and recommendations. *Journal of oncology practice / American Society of Clinical Oncology*. 2013;9:267-276

²⁷ Anderson A, Borfritz D, Getz K. Global Public Attitudes About Clinical Research and Patient Experiences With Clinical Trials. *JAMA Netw Open*. 2018;1(6):e182969. Published 2018 Oct 5. doi:10.1001/jamanetworkopen.2018.2969

²⁸ Bodicoat DH, Routen AC, Willis A, et al. Promoting inclusion in clinical trials-a rapid review of the literature and recommendations for action. *Trials*. 2021;22(1):880. Published 2021 Dec 4. doi:10.1186/s13063-021-05849-7

²⁹ Fischer SM, Kline DM, Min SJ, Okuyama S, Fink RM. Apoyo con Cariño: strategies to promote recruiting, enrolling, and retaining Latinos in a cancer clinical trial. *J Natl Compr Canc Netw*. 2017;15(11):1392-1399. doi: 10.6004/jnccn.2017.7005.

³⁰ Cunningham-Erves J, Barajas C, Mayo-Gamble TL, McAfee CR, Hull PC, Sanderson M, et al. Formative research to design a culturally-appropriate cancer clinical trial education program to increase participation of African American and Latino communities. *BMC Public Health*. 2020;20(1):840. doi: 10.1186/s12889-020-08939-4.

³¹ Clark LT, Watkins L, Piña IL, Elmer M, Akinboboye O, Gorham M, Jamerson B, McCullough C, Pierre C, Polis AB, Puckrein G, Regnante JM. Increasing diversity in clinical trials: overcoming critical barriers. *Curr Probl Cardiol*. 2019;44(5):148-172. doi: 10.1016/j.cpcardiol.2018.11.002.

³² Bloch F, Charasz N. Attitudes of older adults to their participation in clinical trials: a pilot study. *Drugs Aging*. 2014;31(5):373-377. doi: 10.1007/s40266-014-0168-2.

rodziny lub przyjaciół)³³. Istotną zatem jest regularna ocena świadomości na temat badań klinicznych i organizowanie dedykowanych określonym barierom bloków edukacyjnych.³⁴ Problem ze społeczną świadomością, a zatem i rekrutacją został zauważony już wiele lat temu. W Szkocji celem zwiększenia zaangażowania społeczeństwa w badania kliniczne, już w 2008 r. uruchomiono kampanię medialną — „Get Randomised”. Kampania przyczyniła się do zwiększenia świadomości społeczeństwa na temat badań klinicznych (bezwzględny wzrost znajomości tego terminu o około 40% w porównaniu z okresem sprzed kampanii).³⁵ Wśród inicjatyw, które są od jakiegoś czasu pilotowane i wdrażane na świecie, należy wspomnieć: spotkania amerykańskiej Agencji np. Żywności i Leków oraz Europejskiej Agencji Leków z pacjentami i ich rodzinami w celu poznania bezpośrednich doświadczeń w leczeniu wybranych chorób; współpracę firm farmaceutycznych i biotechnologicznych z grupami rzeczników praw pacjentów i społecznościami pacjentów w mediach społecznościowych; wykorzystanie paneli doradczych pacjentów w celu uzyskania opinii na temat projektów protokołów; wdrożenie sieci telemedycyny i opieki domowej w celu zwiększenia wyгоды uczestnictwa; i tworzenie podsumowań wyników badań klinicznych w prostym języku, skierowanym do uczestników, którzy wzięli udział w badaniu³⁶. Ciągła ocena postaw, postrzegania i doświadczeń opinii publicznej i pacjentów w zakresie badań klinicznych pomaga tworzyć strategie i taktyki angażowania pacjentów, które mogą ostatecznie przyspieszyć tempo, w jakim badane leki trafiają obecnie na rynek, i pomóc złagodzić rosnące koszty rozwoju leków³⁷

³³ Bodicoat DH, Routen AC, Willis A, et al. Promoting inclusion in clinical trials—a rapid review of the literature and recommendations for action. *Trials*. 2021;22(1):880. Published 2021 Dec 4. doi:10.1186/s13063-021-05849-7

³⁴ Yadav S, Todd A, Patel K, et al. Public knowledge and information sources for clinical trials among adults in the USA: evidence from a Health Information National Trends Survey in 2020. *Clin Med (Lond)*. 2022;22(5):416-422. doi:10.7861/clinmed.2022-0107

³⁵ Mackenzie IS, Wei L, Rutherford D, et al. Promoting public awareness of randomised clinical trials using the media: the 'Get Randomised' campaign. *Br J Clin Pharmacol*. 2010;69(2):128-135. doi:10.1111/j.1365-2125.2009.03561.x

³⁶ Sacristán JA, Aguarón A, Avendaño-Solá C, et al.. Patient involvement in clinical research: why, when, and how. *Patient Prefer Adherence*. 2016;10:631-640. doi: 10.2147/PPA.S104259

³⁷ Anderson A, Borfittz D, Getz K. Global Public Attitudes About Clinical Research and Patient Experiences With Clinical Trials. *JAMA Netw Open*. 2018;1(6):e182969. Published 2018 Oct 5. doi:10.1001/jamanetworkopen.2018.2969

Rezultaty	<ul style="list-style-type: none">➤ Analiza stanu wiedzy i postaw społeczeństwa wobec badań klinicznych w Polsce➤ Materiały edukacyjne, mające na celu rozpowszechnienie informacji o roli badań klinicznych➤ Materiały propagujące jakość informacji wykorzystujących wiedzę medyczną opartą na faktach
Termin realizacji działań	styczeń 2025 r. – grudzień 2027 r.
Indykatywne źródła finansowania	Dotacja celowa 3 000 000,00 zł
Wskaźniki monitorowania	<ul style="list-style-type: none">➤ Raport z badania opinii i wiedzy społecznej dotyczącej badań klinicznych➤ Liczba opartych na faktach doniesień oraz materiałów edukacyjnych dotyczących badań klinicznych i standardów diagnostyczno-terapeutycznych➤ Liczba działań informacyjno-edukacyjnych prowadzonych przez Agencję w ramach badania własnego

3.3.2.4. Wpływ powszechnego wykorzystania urządzeń do ciągłego monitorowania glikemii na efektywność leczenia cukrzycy

Cel	Ocena wpływu zastosowania refundowanych systemów do ciągłego monitorowania glikemii w porównaniu do klasycznego monitorowania glikemii u dorosłych z cukrzycą na kontrolę metaboliczną choroby i ryzyko powikłań.
Opis problemu	Wprowadzenie refundacji na systemy ciągłego monitorowania glikemii (ang. <i>Continuous glucose monitoring</i> – CGM) dla pacjentów dorosłych z cukrzycą typu 1, typu 3 oraz innymi typami cukrzycy, wymagających co najmniej 3 wstrzyknięć insuliny na dobę, w istotny sposób zwiększyło wykorzystanie tego narzędzia w populacji polskiej. Refundacja sprawiła, że pacjenci dotąd nieposiadający dostępu do CGM z przyczyn finansowych lub barier technologicznych byli w stanie włączyć je do codziennej terapii choroby. Wyniki badań w ograniczonych grupach wskazują na istotną poprawę kontroli metabolicznej, jednak prace przeprowadzone na dużą skalę bazowały dotychczas głównie na anonimowych zagregowanych danych pacjentów uniemożliwiając identyfikację grup, u których osiągnęte efekty są najlepsze jak i tych, u których włączenie systemów CGM nie przynosi spodziewanego efektu. Jednocześnie, kryterium refundacyjne oceny czasu wykorzystywania CGM jest trudne do wyegzekwowania w oparciu o dostępne rozwiązania technologiczne, a na skalę epidemiologiczną niemożliwe.

Powyższy problem naukowy jak i administracyjny może zostać rozwiązany za pomocą projektu własnego nakierowanego na:

- o przekrojową ocenę na podstawie danych systemowych wykorzystania refundowanych CGM w Polsce,
- o kohortowe badanie wpływu włączenia CGM na częstość ostrych i przewlekłych powikłań cukrzycy oraz kontrolę metaboliczną choroby;
- o ocenę efektywności narzędzia informatycznego do konwersji i archiwizacji danych z systemów CGM i integracji ich z elektroniczną dokumentacją pacjenta.

Realizowany projekt obejmować będzie reprezentatywną próbę pacjentów diabetologicznych leczonych w ośrodkach diabetologicznych w co najmniej 5 województwach.

W trakcie projektu przeprowadzone zostaną prace programistyczne mające na celu dostosowanie aplikacji do integracji z elektroniczną dokumentacją pacjenta w IKP lub osobistej elektronicznej dokumentacji medycznej. Integracja narzędzia analitycznego pozwoli przetestować na skalę epidemiologiczną częstość stosowania narzędzi CGM na poziomie centralnym i zestawienia tych informacji z danymi o świadczeniach medycznych, absencjach chorobowych oraz hospitalizacjach gromadzonych na poziomie NFZ lub ZUS.

Rezultaty	<p>Powstanie raportu wykazującego, czy włączenie do standardowego postępowania terapeutycznego w cukrzycy monitorowania CGM pozwala poprawić kontrolę metaboliczną oraz oceniającego jak szybko następuje taka poprawa i w jakim stopniu oddziałuje ona na ryzyko powikłań.</p> <p>Uzyskane wyniki pozwolą określić grupy pacjentów u których włączenie CGM do terapii skutkuje największym stopniem poprawy kontroli metabolicznej i redukcją ryzyka powikłań.</p>
Termin realizacji działania	czerwiec 2025 r. – maj 2028 r.
Indykatywne źródła finansowania	Odpis NFZ 3 000 000,00 zł
Wskaźniki monitorowania	<ul style="list-style-type: none">➔ Liczba pacjentów włączonych do analizy➔ Wdrożenie aplikacji do integracji wyników CGM z elektroniczną dokumentacją pacjenta➔ Raport podsumowujący wyniki analizy

3.3.3. Analizy systemowe

3.3.3.1. Analiza dotycząca chorób otępiennych

Cel Zwiększenie poziomu wiedzy medycznej na temat polskiej populacji osób z chorobami otępiennymi ze szczególnym uwzględnieniem choroby Alzheimera, utworzenie systemu premiowania prac badawczo-rozwojowych w tym obszarze oraz realizacja badań własnych w oparciu o wyniki analizy systemowej.

Opis problemu Choroby otępienne, w tym choroba Alzheimera (AD), stanowią jedno z najpoważniejszych wyzwań zdrowotnych współczesnego społeczeństwa. W raporcie Alzheimer's Association (2023 r.) podkreślono negatywny wpływ braku wczesnej diagnozy na skuteczne spowalnianie postępu choroby, co z kolei przekładało się na gorszą jakość życia pacjentów.

Systemowe analizy i wdrożenie zmian w politykach zdrowotnych są kluczowe dla skutecznego zarządzania chorobami otępiennymi. Wczesna diagnoza, standaryzacja leczenia oraz inwestycje w badania i edukację mogą znacząco poprawić jakość życia pacjentów i ich rodzin oraz zmniejszyć obciążenie dla systemów ochrony zdrowia.

Na podstawie analizy Ministerstwa Zdrowia dotyczącej populacji polskiej dotkniętej chorobą Alzheimera,² wynika, że problem wielochorobowości w tej grupie pacjentów jest znamienny. Wśród osób z potwierdzoną chorobą Alzheimera najczęściej diagnozowane jest dodatkowo samoistne (pierwotne) nadciśnienie, miażdżyca, zmiany zwyrodnieniowe kręgosłupa, ostre zakażenia górnych dróg oddechowych o umiejscowieniu mnogim lub nieokreślonym czy zwyrodnienia wielostawowe.

Mimo, że liczba chorych na chorobę Alzheimera gwałtownie rośnie, nie ma jednego, skutecznego algorytmu leczenia tej choroby neurodegeneracyjnej³. W licznych badaniach wykazano, że skuteczność kliniczna terapii skojarzonej jest wyższa niż monoterapii. Dodatkowo, wczesne stosowanie terapii skojarzonych może zmniejszyć występowanie i nasilenie objawów neuro-behawioralnych, na przykład agresji/pobudzenia, a także może opóźnić przekazanie chorego do domu opieki⁴. Istnieje kilka schematów terapii skojarzonej, co w połączeniu ze zjawiskiem wielochorobowości w tej grupie rzuca znacząco na ryzyko powstania działań niepożądanych na tle wielolekowości.

Do tej pory nie oszacowano rzeczywistych kosztów stosowanej terapii z uwzględnieniem wielolekowości oraz wpływu tak rozległego leczenia na efekty zdrowotne pacjentów dotkniętych chorobą Alzheimera.

Regularne, oparte na dowodach aktualizacje istniejących wytycznych dotyczących choroby Alzheimera są konieczne, aby integrować szybko rozwijające się osiągnięcia technologiczne i medyczne oraz wprowadzać nowe podejścia do zarządzania wczesnymi stadiami choroby do praktyki klinicznej. Aby otworzyć drogę do wczesnej prognozy AD i leczenia ukierunkowanego oraz włączania nowoczesnych technik, jakimi są np. biomarkery w medycynie precyzyjnej, niezbędna jest analiza sytuacji w polskiej populacji osób dotkniętych chorobami otępiennymi. Analiza tej grupy pacjentów, uwzględniająca zjawisko wielochorobowości i wielolekowości pozwoli przede wszystkim na ocenę zapotrzebowania na realizację procedur medycznych oraz poszczególnych specjalistów medycznych.

Rezultaty Raport z oceny wpływu czynników wielolekowości i wielochorobowości na stosowane terapie w chorobie Alzheimera zdrowotne i koszty pacjentów dotkniętych chorobą Alzheimera.

Termin realizacji działań do czerwca 2025 r.

Indykatywne źródła finansowania Dotacja podmiotowa 200 000,00 zł

Wskaźniki monitorowania ➔ Raport z analizy szczegółowej populacji, u której stwierdzono zaburzenia otępienne, ze szczególnym uwzględnieniem choroby Alzheimera wraz z oceną wielolekowości na tle wielochorobowości oraz wpływu tych parametrów na koszty leczenia i zapotrzebowanie na opiekę szpitalną i długoterminową.

3.3.3.2. Ocena wielochorobowości, wielolekowości, zapotrzebowania na procedury medyczne oraz dostępności leczenia u pacjentów z chorobami rzadkimi

Cel Ustalenie skali zjawiska dotyczącego chorób rzadkich i zapotrzebowania na określone procedury medyczne i produkty lecznicze oraz ocena bezpieczeństwa medycznego, rozumianego jako pokrycie zapotrzebowania na procedury medyczne i produkty lecznicze

Opis problemu W Unii Europejskiej żyje około 30 milionów osób z chorobą rzadką.³⁸ Znaczna heterogeniczność chorób rzadkich wpływa zarówno na czas postawienia diagnozy, konieczność zaangażowania multidyscyplinarnego personelu medycznego i zapewniania specjalistycznych procedur ale również przedkłada się na proces opracowywania leków³⁹. Klasyfikacja rzadkich chorób jest również silnie uzależniona od skuteczności diagnostycznej⁴⁰, ponieważ wiele osób z rzadkimi zaburzeniami pozostanie często niedodiagnozowanych. Proces diagnostyczny uzależniony jest od dostępności narzędzi diagnostycznych i lokalnych zasobów (ludzkich i/lub ekonomicznych), a także od poziomu wiedzy na temat danej jednostki chorobowej⁴¹. Pacjenci z rzadkimi schorzeniami mają wiele niezaspokojonych potrzeb medycznych i społecznych. W dalszym ciągu nie ma skutecznych metod leczenia 90% rzadkich chorób. Zaawansowana analityka pozwala identyfikować wzorce występowania chorób, przewidywać ich postęp, określać reakcję pacjentów na leczenie, ustalać optymalne wytyczne dotyczące opieki oraz generować hipotezy badawcze w oparciu o wąsko zidentyfikowane populacje pacjentów objętych badaniami.⁴² Zarówno analizy na poziomie populacyjnym, jak i niekomercyjne badania poświęcone diagnostyce i terapii pacjentów z chorobami rzadkimi stanowią cenne źródło informacji, ponieważ dla wielu firm farmaceutycznych zaangażowanie w badania nad chorobami rzadkimi niesie zbyt wysokie ryzyko finansowe⁴³.

Analiza dotycząca skali i złożoności zjawiska w populacji polskiej nie została do tej pory przeanalizowana w sposób kompleksowy.

- Rezultaty**
- Ocena częstości występowania poszczególnych chorób rzadkich
 - Ocena zapotrzebowania na określone procedury medyczne i produkty lecznicze oraz ocena bezpieczeństwa medycznego, rozumianego jako pokrycie zapotrzebowania na procedury medyczne i produkty lecznicze. Ustalenie dodatkowych

³⁸ Fehr A, Prütz F. Rare diseases: a challenge for medicine and public health. *J Health Monit.* 2023 Dec 13;8(4):3-6. doi: 10.25646/11826. PMID: 38235014; PMCID: PMC10790412.

³⁹ Fehr A, Prütz F. Rare diseases: a challenge for medicine and public health. *J Health Monit.* 2023 Dec 13;8(4):3-6. doi: 10.25646/11826. PMID: 38235014; PMCID: PMC10790412.

⁴⁰ Li D, Tian L, Hakonarson H. Increasing diagnostic yield by RNA-Sequencing in rare disease-bypass hurdles of interpreting intronic or splice-altering variants. *Ann Transl Med* 2018;6:126. 10.21037/atm.2018.01.14

⁴¹ Danese E, Lippi G. Rare diseases: the paradox of an emerging challenge. *Ann Transl Med.* 2018 Sep;6(17):329. doi: 10.21037/atm.2018.09.04. PMID: 30306068; PMCID: PMC6174191.

⁴² Groft SC, Posada M, Taruscio D. Progress, challenges and global approaches to rare diseases. *Acta Paediatr.* 2021 Oct;110(10):2711-2716. doi: 10.1111/apa.15974. Epub 2021 Jun 19. PMID: 34105798.

⁴³ Lippi G, Plebani M. Biomarker research and leading causes of death worldwide: a rather feeble relationship. *Clin Chem Lab Med* 2013;51:1691-3. 10.1515/cclm-2013-0210

czynników wpływających na proces leczenia (w tym chorób współistniejących)

- ➔ Ocena bezpieczeństwa medycznego, rozumianego jako pokrycie zapotrzebowania na procedury medyczne i produkty lecznicze
- ➔ Ocena konieczności stymulacji określonych obszarów badawczo-rozwojowych
- ➔ Opracowanie raportu zawierającego kompleksową analizę problematyki w populacji polskiej i stanowiącego podstawę merytoryczną do założeń merytorycznych konkursu na niekomercyjne badania kliniczne w obszarze chorób rzadkich

Termin realizacji do grudnia 2025 r.
działania

Indykatywne źródła finansowania Dotacja podmiotowa 300 000,00 zł

Wskaźniki monitorowania

- ➔ Liczba pacjentów włączonych do analizy
- ➔ Raport z wykonanej analizy opisujący uzyskane rezultaty

3.4. Nowe inicjatywy w Agencji Badań Medycznych

3.4.1. Powstanie Centrali Medycyny Cyfrowej

Zgodnie z regulaminem konkursu nr ABM/2023/2 „Tworzenie i Rozwój Regionalnych Centrów Medycyny Cyfrowej”⁴⁴, utworzona w ramach działalności Agencji Centrala Medycyny Cyfrowej stanie się przekaźnikiem i centrum analitycznym danych dla Regionalnych Centrów Medycyny Cyfrowej (RCMC) zrzeszonych w Sieć Centrów Medycyny Cyfrowej z nadrzędną rolą Agencji. Dane zbierane przez RCMC będą służyły zarówno analizie w czasie rzeczywistym, wsparciu badań klinicznych i opieki szpitalnej w obszarze rozwiązań cyfrowych, jak i analizie retrospektywnej. Rodzaj gromadzonych danych będzie obejmował, m.in. dane dotyczące zdrowia (np. rozpoznania), dane omiczne pozyskane z próbek poddawanych biobankowaniu, dane omiczne z wcześniejszych projektów badawczych Agencji, jak i dane pochodzące z badań klinicznych (m. in. dane obrazowe, dane dotyczące wykonywanych procedur).

Dane będą zbierane zgodnie z istniejącymi standardami jakości, zapewniając ich przydatność do analiz, zachowując jednocześnie gwarancję bezpieczeństwa udostępniania

⁴⁴ [REGULAMIN KONKURSU NR ABM/2023/2 TWORZENIE I ROZWÓJ REGIONALNYCH CENTRÓW MEDYCZYNY CYFROWEJ](#)

i przechowywania. RCMC będą odpowiedzialne za zbiór danych medycznych (ang. *data management*) zawierający m.in. dane opisowe, farmaceutyczne, obrazowe, wyniki badań pochodzące zarówno ze szpitalnych systemów informacyjnych (ang. *Hospital Information Systems - HIS*), jak i z elektronicznych Kart Informacji Klinicznej (ang. *Electronic Case Report Form – eCRF*) oraz innych źródeł. W dokumentacji konkursowej rekomendowano również zbieranie danych z wyników badań omicznych (metabolomicznych, proteomicznych, transkryptomicznych).

RCMC będzie również przysyłać dane zgodnie z żądaniami Centrali CMC celem analiz big data związanych z analizą genomu populacji polskiej, co jest zgodne z unijnym programem cyfrowej transformacji zdrowia, rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2021/522 z dnia 24 marca 2021 r. w sprawie ustanowienia Programu działań Unii w dziedzinie zdrowia („Program UE dla zdrowia”) na lata 2021–2027. Założenia dotyczące Sieci Centrów Medycyny Cyfrowej pozostają również w zgodzie z Europejską przestrzenią danych dotyczących zdrowia (The European Health Data Space - EHDS)⁴⁵, a zatem również ze strategią European Health Union⁴⁶ oraz europejską strategią dla danych (European strategy for data)⁴⁷.

Ukierunkowanie działań Agencji, jako jednostki centralnego repozytorium danych ma służyć usprawnieniu procesów prewencyjnych, diagnostycznych i leczniczych poprzez powstanie funkcjonalności umożliwiającej gromadzenie i analizowanie danych z badań klinicznych, danych pozyskiwanych z NFZ i danych genetycznych populacji polskiej. Wnioskowanie o zależności pomiędzy profilem genetycznym a ryzykiem rozwoju choroby czy odpowiedzią na leczenie, którego wynikiem będą szeroko zakrojone analizy pozwoli na wdrożenie działań zmierzających do optymalizacji procesu diagnostyczno-terapeutycznego pacjenta w systemie ochrony zdrowia oraz przyczyni się do kreowania efektywnej ścieżki pacjenta.

W ramach utworzenia CMC planowany jest zakup infrastruktury:

- Analityczny system wysokiej dostępności zgodny z Rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z dnia 27 kwietnia 2016 r. Infrastruktura oparta o system klastrowy lub chmurowy - dająca możliwości skalowania i rozbudowy. Wykorzystujący technologie wieloprocessorowe i macierzowe dla analizy danych sekwencyjnych. Umożliwiający gromadzenie i przetwarzanie dużych wolumenów danych (do 3 PB).
- Serwery wyposażone w wyspecjalizowane procesory do wsparcia sprawnej i precyzyjnej analizy danych i kontroli jakości dla danych genomicznych.
- Infrastruktura sieciowa adekwatna do wolumenu przetwarzanych danych.
- System kopii zapasowych.

⁴⁵ [European Health Data Space - European Commission \(europa.eu\)](https://european-council.europa.eu/media/en/press-operations/infographic-117336.pdf)

⁴⁶ [European Health Union - European Commission \(europa.eu\)](https://european-council.europa.eu/media/en/press-operations/infographic-117336.pdf)

⁴⁷ [A European strategy for data | Shaping Europe’s digital future \(europa.eu\)](https://european-council.europa.eu/media/en/press-operations/infographic-117336.pdf)

➔ System archiwizacji/ hurtownia danych archiwalnych.

Centrala Medycyny Cyfrowej zostanie zaadaptowana do realizacji szeregu zadań. Jednym z pierwszych działań do którego zostanie wykorzystana CMC są analizy dotyczące poszukiwania nowych celów terapeutycznych i diagnostycznych w populacji pacjentów z chorobami rzadkimi.

Cel Wzmocnienie medycyny translacyjnej w chorobach rzadkich. Stworzenie ogólnopolskiego środowiska do szybkiego poszukiwania celów diagnostycznych/ terapeutycznych w oparciu o zaawansowane analizy multiomiczne próbek pacjentów jako odpowiedź na niezaspokojone potrzeby medyczne pacjentów z chorobami rzadkimi.

Opis problemu Około 80% rzadkich chorób ma podłoże genetyczne, a prawie 70% z nich ujawnia się w dzieciństwie, przy czym średni czas oczekiwania na prawidłową diagnozę wynosi 4,8 roku⁴⁸. Badania genomu zmieniają obraz diagnostyki chorób rzadkich zarówno w kontekście kosztów, czasu potrzebnego do postawienia diagnozy, jak i jej trafności⁴⁹. Sekwencjonowanie całego genomu i eksomu zwiększyło prawdopodobieństwo identyfikacji wariantów patogennych w porównaniu z analizami pojedynczych genu, jednak zintegrowana analiza multiomiczna może dodatkowo zwiększyć wydajność diagnostyczną. Ponadto analiza multiomiczna może pomóc w wyjaśnieniu heterogeniczności genotypowej i fenotypowej, która może przedkładać się zarówno za obraz choroby, jak i na odpowiedź na leczenie⁵⁰. Obecnie, pomimo postępu w diagnostyce około 95% chorób rzadkich nie ma zatwierdzonych metod leczenia.⁵¹

Udowodniono, że integracja podejścia multiomicznego z ultraszybkim sekwencjonowaniem całego genomu poprawia diagnostykę u niemowląt i dzieci w stanie krytycznym cierpiących na rzadkie choroby i może być z powodzeniem stosowana w skali całego kraju⁵². Wykorzystanie „omiki” ma duży potencjał, aby sprostać obecnym potrzebom w zakresie ulepszonej diagnostyki, zrozumienia procesów patofizjologicznych stojących za

⁴⁸ The Lancet Global Health. The landscape for rare diseases in 2024. *Lancet Glob Health*. 2024;12(3):e341. doi:10.1016/S2214-109X(24)00056-1

⁴⁹ Lunke S, Bouffler SE, Patel CV, et al. Integrated multi-omics for rapid rare disease diagnosis on a national scale. *Nat Med*. 2023;29(7):1681-1691. doi:10.1038/s41591-023-02401-9

⁵⁰ Kerr K, McAneney H, Smyth LJ, Bailie C, McKee S, McKnight AJ. A scoping review and proposed workflow for multi-omic rare disease research. *Orphanet J Rare Dis*. 2020;15(1):107. Published 2020 Apr 28. doi:10.1186/s13023-020-01376-x

⁵¹ The Lancet Global Health. The landscape for rare diseases in 2024. *Lancet Glob Health*. 2024;12(3):e341. doi:10.1016/S2214-109X(24)00056-1

⁵² Multi-omics for better and faster rare disease diagnosis. *Nat Med*. 2023;29(7):1615-1616. doi:10.1038/s41591-023-02417-1

rozwojem i progresem chorób rzadkich oraz pomóc w typowaniu celów terapeutycznych⁵³. Wykonywane analizy multiomiczne muszą być jednak wystandaryzowane, a liczba pozyskanych próbek wystarczająca do typowania nowych celów diagnostycznych i terapeutycznych.

W ramach konkursu na Tworzenie i Rozwój Regionalnych Centrów Medycyny Cyfrowe⁵⁴ zaplanowano utworzenie Centrali Medycyny, która może zostać zaadaptowana do centralnych analiz multiomicznych. W ramach badania własnego planowane jest utworzenie kompleksowego, otwartego środowiska naukowego, które ma szansę przetożyć się na lepsze zrozumienie chorób rzadkich oraz dostarczyć dowodów naukowych, potrzebnych do opracowywania nowych metod leczenia.

Rezultaty Stworzenie dedykowanej platformy OmiRare360 w ramach Centrali Medycyny Cyfrowej ABM do holistycznych analiz multiomicznych dedykowanych chorobom rzadkim, docelowo dostępnej dla badaczy, w tym sieci Centrów Medycyny Cyfrowej (i zasilanej wynikami z CMC), zgodnie z polityką otwartej nauki UE, celem zwiększenia zasięgu badań multiomicznych nad chorobami rzadkimi. Uzyskanie multiomicznego obrazu pacjentów, celem przyspieszenia prac nad poszukiwaniem biomarkerów terapeutycznych. Możliwość wykonywania analiz omicznych w kontekście stosowanego leczenia, celem lepszego doboru terapii.

Termin realizacji działania styczeń 2025 r.– grudzień 2028 r.

Indykatoryjne źródła finansowania Fundusz rezerwowy
15 000 000,00 zł

Wskaźniki monitorowania

- ➔ Stworzenie dedykowanej platformy OmiRare360 w ramach Centrali Medycyny Cyfrowej ABM do holistycznych analiz multiomicznych dedykowanych chorobom rzadkim
- ➔ liczba osób, ze stwierdzoną chorobą rzadką u której wykonano analizy multiomiczne
- ➔ Liczba wykonanych analiz multiomicznych

⁵³ Crowther LM, Poms M, Plecko B. Multiomics tools for the diagnosis and treatment of rare neurological disease. *J Inherit Metab Dis.* 2018;41(3):425-434. doi:10.1007/s10545-018-0154-7

⁵⁴ [Tworzenie i rozwój Regionalnych Centrów Medycyny Cyfrowej - 2023 - Agencja Badań Medycznych \(abm.gov.pl\)](https://abm.gov.pl)

- Liczba obszarów konkursowych premiowanych w oparciu o wyniki wykonywanych analiz
- Liczba udostępnionych wyników badań

3.4.2. Działania związane z inicjatywą 1+MG

Wdrożenie medycyny genomicznej do systemu ochrony zdrowia wiąże się z poważnymi wyzwaniem, takimi jak m.in. stworzenie lub ujednoczenie infrastruktury technicznej do gromadzenia, analizy i interpretacji danych genomicznych, stworzenie podwalin informacyjnych budujących zaufanie i zaangażowanie społeczeństwa oraz opracowanie polityki gwarantującej równy dostęp do danych. Zachodzi zatem potrzeba zarządzania złożonym i wzajemnie powiązaniem ekosystemem oraz konieczność opracowania procesów niezbędnych do zapewnienia wydajnej diagnostyki, leczenia i profilaktyki w oparciu o genomikę⁵⁵. Plan działania dotyczący wykorzystania genomiki w opiece zdrowotnej opiera się w pierwszej kolejności na określeniu poziomu dojrzałości według matrycy B1MG (ang. Maturity Level Model - MLM).⁵⁶ W ramach realizacji założeń 1+MG konieczne będzie również stworzenie do 2027 roku narodowego węzła oraz usankcjonowania krajowej grupy interesariuszy (National Node oraz National Mirror Group) oraz docelowo opracowanie spójnego Narodowego Planu Genomicznego. Działania te będą wspierane przez grupę roboczą B1MG nr WG1 *National coordination* odpowiedzialną na przygotowanie wytycznych dla NMG (zuniifikowane wytyczne dla całej UE). National Mirror Group (NMG) są kluczowym instrumentem wdrażania wytycznych i zaleceń opracowywanych na poziomie UE, to jest poprzez inicjatywę 1+MG i dostosowywania ich do realiów krajowych. Stworzenie NMG we wszystkich krajach jest oczekiwane do 2027 roku⁵⁷. Oczekuje się również, że każda z grup będzie w stanie pracować nad wdrażaniem wytycznych opracowywanych przez 1+MG. Kolejnym z wyzwań które powinno być osiągnięte do 2027 roku to posiadanie gotowych danych genomicznych, zgodnych z wytycznymi opracowanymi przez jedną z grup roboczych inicjatywy. Polska podjęła działania w tym zakresie – Agencja ogłosiła konkurs na Regionalne Centra Medycyny Cyfrowej, które mają wypracować, zgodnie z europejskimi wytycznymi sposób dzielenia się danymi, w tym genomicznymi.

W ramach opisanych działań Agencja podjęte zostaną następujące działania:

- Formalne dołączenie do inicjatywy 1+MG (Polska jest od kilku lat obserwatorem)
- Powołanie zespołu i ocena poziomu dojrzałości implementacji genomiki w system ochrony zdrowia według matrycy B1MG (ang. Maturity Level Model - MLM)
- Opracowanie planu działalności „roadmap” na lata 2025-2027
- Identyfikacja interesariuszy

⁵⁵ [202305 B1MG D5.2 - Roadmap and guidance tool for countries \(1\).pdf](#)

⁵⁶ [The Beyond 1 Million Genomes \(B1MG\) Maturity Level Model \(MLM\) \(b1mg-project.eu\)](#)

⁵⁷ The European 1+ Million Genomes Initiative Roadmap 2023-2027

- Opracowanie założeń dotyczących krajowego węzła (National Node) i krajowych grup interesariuszy (National Nodes)
- Rozpoczęcie prac nad utworzeniem krajowego węzła i krajowych grup interesariuszy.

3.5. Kontrole finansowanych projektów

W ramach Rocznego Planu Kontroli (RPK) Agencja będzie przeprowadzać kontrole projektów finansowanych z Krajowego Planu Odbudowy – KPO (nie mniej niż 10% projektów finansowanych w ramach ogłaszanych przez Agencję konkursów w roku 2024). W ramach RPK przeprowadzane będą również kontrole niekomercyjnych badań klinicznych / eksperymentów badawczych, projektów utworzenia Centrów Wsparcia Badań Klinicznych i Regionalnych Centrów Medycyny Cyfrowej oraz projektów komercyjnych, które do tej pory uzyskały finansowanie Agencji. Dla usprawnienia procesu kontroli przewiduje się wdrożenie nowych procedur, których głównym zadaniem będzie zwiększenie zasięgu typowania projektów do kontroli. W ramach pierwszych działań kontrolnych do beneficjentów projektów zostanie wysłana ankieta kontrolna, której wyniki będą brane pod uwagę przy podejmowaniu decyzji o przeprowadzeniu kontroli w formie zdalnej i/lub stacjonarnej. W ten sposób poszerzona zostanie grupa projektów, w której wykonane zostaną wstępne czynności kontrolne. Niezależnie od wytypowanej do rutynowej kontroli liczby projektów Agencja będzie przeprowadzać kontrole doraźne na dotychczasowych zasadach opisanych procedurami.

3.6. Ewaluacje finansowanych projektów, badań naukowych oraz prac rozwojowych

Agencja systematycznie prowadzi ewaluacje finansowanych projektów. W ramach tego procesu prowadzone są ewaluacje:

- formatywne
- naukowe
- finansowe.

Ewaluacja formatywna (on-going) przeprowadzana jest w trakcie realizacji projektu. Jej celem jest analiza procesów realizacji oraz diagnozowanie problemów, jakie napotykają Beneficjenci od momentu złożenia wniosku o dofinansowanie. Służy wsparciu procesu realizacji projektu i ewentualnej korekcie działań projektowych w oparciu o bieżącą analizę danych i dotychczas uzyskane efekty projektu. Proces ewaluacji formatywnej podzielony jest na trzy etapy:

- I. wstępna analiza danych posiadanych na temat realizowanych projektów (podstawą są wnioski o dofinansowanie i raporty okresowe)
- II. część badawcza ewaluacji – wywiady jakościowe oraz ankiety internetowe z osobami zaangażowanymi w realizację projektów
- III. końcowa analiza danych i podsumowanie wyników – wynikiem jest raport z ewaluacji.

Ewaluacja naukowa prowadzona jest pod koniec realizacji / po zakończeniu projektu. Pozwala na ocenę wartości naukowej projektu oraz możliwości zastosowania jego wyników w systemie ochrony zdrowia. Ewaluacja naukowa projektów przeprowadzana jest metodą ekspercką – w ramach dyskusji panelowej, po której eksperci wypełniają szczegółowe ankiety oceniające wartość naukową projektów, ich aplikacyjność oraz zastosowane podejście badawcze. W oparciu o zebrane informacje przygotowane są zbiorcze raporty wraz z wnioskami i rekomendacjami.

Ewaluacja finansowa przeprowadzana jest w trakcie trwania lub po jego zakończeniu (w okresie trwałości). Jej celem jest określenie korzyści finansowych dla budżetu państwa z wprowadzenia rozwiązań wypracowanych w projekcie do praktyki systemu ochrony zdrowia.

W 2025 roku Agencja przeprowadzi:

1. ewaluację formatywną projektów rozpoczętych w 2022 roku w ramach konkursu na niekomercyjne badania kliniczne (13 projektów w fazie realizacji)
2. II ewaluację formatywną projektów rozpoczętych w 2020 roku w ramach konkursu na niekomercyjne badania kliniczne (29 projektów w fazie realizacji)
3. ewaluację naukową projektów (ostateczna lista ewaluowanych projektów zostanie opracowana w 2025 roku na podstawie zaktualizowanych informacji od beneficjentów o postępach w realizacji projektów i publikacji uzyskanych wyników)
4. ewaluację finansową projektów (ostateczna lista ewaluowanych projektów zostanie opracowana w 2025 roku na podstawie zaktualizowanych informacji od beneficjentów o postępach w realizacji projektów i publikacji uzyskanych wyników).

3.7. Wydawanie opinii i ekspertyz na rzecz organów administracji publicznej

W ramach swojej działalności (art. 2 ust. 2 Ustawy), Agencja wydaje opinie i przygotowuje ekspertyzy w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu na rzecz organów administracji publicznej lub innych podmiotów w wyniku realizacji zawartych umów. Działalność ta nie jest planowana i zależy od rodzaju zleceń.

3.8. Inicjowanie i rozwijanie współpracy międzynarodowej

Budowanie relacji opartych na wiedzy i wymianie doświadczenia jest kluczowym elementem międzynarodowej współpracy naukowej poprzez nawiązywanie kontaktów i inicjowanie wspólnych projektów jak również dostęp do unikalnych kompetencji poza granicami naszego kraju. Wymiana know how daje szanse nie tylko badaczom, ale również instytucjom odpowiedzialnym za kreowanie danego obszaru, umożliwiając rozwój na poziomie ponadnarodowym. Ponadto realizowanie wspólnych projektów pozwala na publikowanie wyników badań w najbardziej prestiżowych czasopismach naukowych zwiększając rozpoznawalności polskich naukowców. Współpraca międzynarodowa to nie tylko rozwój nauki, ale również wzrost innowacyjności który ma bezpośredni wpływ na rozwój gospodarki.

W ramach współpracy międzynarodowej Agencja podejmie następujące aktywności:

- organizacja warsztatów Cancer Week 2025 (NIO, ASCO, FDA, EMA)
- budowanie współpracy europejskiej: kraje CEE, Szwajcaria i Dania w obszarze biomedycznym

3.8.1. Cancer WEEK 2025- warsztaty współorganizowane przez ASCO, FDA, EMA i NIO

W ramach planowanego wydarzenia pt. Cancer week 2025 zostaną zorganizowane warsztaty we współpracy z Amerykańskim Towarzystwem Onkologii Klinicznej (ASCO), Amerykańską Agencją ds. Żywności i Leków (FDA) i Europejską Agencją Leków (EMA) których głównymi odbiorcami będą klinici z Polski i krajów Europy Środkowo-Wschodniej (CEE). Warsztaty te są nowatorską inicjatywą, której celem jest wymiana wiedzy i doświadczenia w zakresie najlepszych praktyk z obszaru badań klinicznych oraz zapewnienie dostępu do doświadczonych badaczy klinicznych z różnych instytucji z Europy i świata.

Warsztaty z wybitnymi ekspertami z FDA, EMA i ASSCO w obszarze badań klinicznych w onkologii są dedykowane dla klinicystów i badaczy klinicznych zarówno bardziej doświadczonych jak i osób rozpoczynających karierę we wszystkich specjalnościach onkologicznych. Warsztaty te umożliwią także nawiązanie współpracy międzynarodowej, podczas której polscy/europejscy i amerykańscy badacze i klinicyści będą mogli zarówno wymieniać się wiedzą i doświadczeniem. Innowatorski koncept polega na zaangażowaniu kluczowych instytucji kreujących sektor opieki zdrowotnej w obszarze badań klinicznych.

Warsztaty stworzą dla FDA, ASCO okazję do zapoznania się z polskim sektorem biomedycznym i poznania polskich badaczy jak również instytucji tworzących silny sektor biomedyczny.

Udział pozostałych krajów z regionu CEE stworzy dla FDA i ASCO doskonałą okazję do zrozumienia specyfiki systemów opieki zdrowotnej w tych krajach i ich potrzeb klinicznych. Umożliwi to również nawiązanie współpracy w celu włączenia ośrodków z regionu CEE do badań klinicznych produktów farmaceutycznych i wyrobów medycznych.

Zakres warsztatów:

- dyskusje dotyczące różnic w przepisach, wytycznych i dobrych praktykach w badaniach klinicznych w Europie i USA;
- wymiana wiedzy i doświadczenia w kwestiach zasad etyki i integralności danych w badaniach klinicznych;
- wyjaśnienie oczekiwań FDA w odniesieniu do komercyjnych badań klinicznych;
- opis roli i obowiązków badacza klinicznego;
- przedstawienie roli FDA w regulacji badań z analizą studium przypadku;
- wymiana wiedzy i doświadczeń badaczy, personelu badań klinicznych, ekspertów FDA, ASCO, MRA i NIO.

3.8.2. Program edukacyjny The Polish Clinical Scholars Research Training (P-CSRT)

W ramach wykonywania zadań ustawowych Agencja realizuje zamówienia na przeprowadzenie programu szkoleniowego organizowanego przez Harvard Medical School Postgraduate Medical Education, dla polskich badaczy i naukowców realizujących badania naukowe, w szczególności badania kliniczne lub eksperymenty medyczne. Realizacja kursu została zawarta w Strategii Edukacyjnej Agencji Badań Medycznych na lata 2023 – 2027, pozytywnie zaopiniowanej przez Radę Agencji w uchwale nr 6/2023 Rady Agencji Badań Medycznych z dnia 5 maja 2023 r.

Celem programu edukacyjnego The Polish Clinical Scholars Research Training (P-CSRT), zaprojektowanego i realizowanego przez Harvard Medical School Postgraduate Medical Education dla Agencji, jest przeprowadzenie programu szkoleniowego z zakresu przygotowywania i publikowania artykułów naukowych oraz projektowania badań.

Przeszkolenie 100 polskich badaczy i naukowców, w każdej edycji programu z zakresu:

- ➔ projektowania i prowadzenia obserwacyjnych i eksperymentalnych badań naukowych;
- ➔ analizowania, interpretowania i prezentowania danych z badań klinicznych;
- ➔ tworzenia wysokiej jakości publikacji.

Dzięki udziałowi w programie uczestnicy poszerzą swoje kompetencje w obszarze badań klinicznych oraz pisania i publikowania prac naukowych w renomowanych czasopismach.

W roku 2025 realizowana jest II edycja P-CSRT;

- ➔ Rozpoczęcie rekrutacji - Q IV 2024
- ➔ Start – Q IV 2025
- ➔ Realizacja 2025 – 2026
- ➔ Liczba uczestników – 100
- ➔ i III edycja P-CSRT
- ➔ Realizacja II edycji P-CSRT
- ➔ Start Q IV 2024
- ➔ Realizacja 2024 – 2025
- ➔ Liczba uczestników – 100

Oczekiwane rezultaty:

- ➔ Wzrost liczby i jakości publikacji polskich naukowców
- ➔ Wzrost cytowań polskich naukowców
- ➔ Wzrost atrakcyjności Polski na arenie międzynarodowej w kontekście badań klinicznych tj. prowadzenia badań klinicznych w polskich ośrodkach
- ➔ Zwiększenie zakresu współpracy polskich naukowców

3.8.3. Udział w inicjatywach europejskich

2 sierpnia 2024 r. Agencja otrzymała z Ministerstwa Zdrowia nominacje do wspólnych działań w ramach Programu Unii Europejskiej w dziedzinie Zdrowia na lata 2021-2027 (EU4Health Programme) dla dwóch obszarów:

- EU4H-2024-JA-IBA-04 - Direct grants to Member States' authorities: Cancers caused by infections, vaccine-preventable cancers and addressing communicable diseases (HIV/AIDS, Tuberculosis, Hepatitis) (DP/CR-g-24-28) - EUR 20 000 000 EU co-funding
- EU4H-2024-JA-IBA-05 - Direct grants to Member States' authorities: Personalised Cancer Medicine (CR-g-24-41) - EUR 27 900 000 EU co-funding.

W ramach pierwszego obszaru Agencja przeprowadzi analizę systemową, której celem będzie ocena wpływu zakażeń wirusowych i bakteryjnych w połączeniu z innymi czynnikami współistniejącymi na procesy nowotworzenia. W analizie zostaną wykorzystane dane pochodzące z rejestrów zakażeń szpitalnych i czynników alarmowych, dane Narodowego Instytutu Zdrowia Publicznego PZH - Państwowego Instytutu Badawczego, dane z systemu P1 (CeZ). Czynności związane z analizą będą prowadzone etapowo:

- Etap 1. Ustalenie skali zjawiska dotyczącego rozpoznania typów nowotworów po uprzednim rozpoznaniu infekcji wywołanej wybranymi bakteriami i wirusami potencjalnie uważanymi za kancerogenne (zgodnie z danymi literaturowymi) oraz do tej pory nie powiązanych z procesami kancerogenezy.
- Etap 2. Ustalenie dodatkowych czynników predysponujących do rozwoju nowotworu (w tym chorób współistniejących).
- Etap 3. Opracowanie raportu zawierającego kompleksową analizę ryzyk w populacji Polskiej i stanowiącego podstawę do rozszerzenia założeń merytorycznych konkursu na niekomercyjne badania kliniczne w obszarze onkologii.

W ramach drugiego obszaru Agencja przeprowadzi badanie własne we współpracy z Narodowym Instytutem Onkologii – Państwowym Instytutem Badawczym, którego głównym celem będzie poszukiwanie biomarkerów predykcyjnych i diagnostycznych do wybranych typów nowotworów na podstawie danych genomicznych. W ramach badania planuje się utworzenie narzędzia Precision Cancer Analytics (PCA), które pozwoli na kompilację informacji genomicznej i klinicznej (pochodzącej z Krajowego Rejestru Nowotworów).

W ramach działań określonych przez Europejski Urząd ds. gotowości i reagowania na wypadek stanu zagrożenia zdrowia - HERA (ang. *European Health Emergency Preparedness and Response Authority* – HERA), Agencja przeprowadzi analizę systemową bezpieczeństwa w obszarze ochrony zdrowia mającej na celu:

- ustalenie zapotrzebowania na określone procedury w okresie pandemicznym,

- ustalenie aktualnego buforu procedur medycznych, produktów leczniczych mających potencjalne zastosowanie w pandemii,
- cenę bezpieczeństwa medycznego, rozumianego jako pokrycie zapotrzebowania na procedury i produkty lecznicze
- ocenę konieczności stymulacji określonych obszarów badawczo-rozwojowych.

Agencja będzie również wspierać działania Europejskiego Sojuszu na rzecz Badań nad Rzadkimi Chorobami – ERDERA (ang. *The European Rare Diseases Research Alliance - ERDERA*). W ramach działań na rzecz poprawy zdrowia i dobrostanu osób żyjących z chorobami rzadkimi w Europie, Agencja wykona analizę systemową chorób rzadkich zidentyfikowanych u polskich pacjentów. W ramach analizy zostanie wykonana ocena wielochorobowości, wielolekowości i zapotrzebowania na procedury medyczne, ze szczególnym uwzględnieniem identyfikacji obszarów, w których diagnostyka jest niedoszacowana finansowo. Działania Agencji będą miały na celu:

- ustalenie skali zjawiska dotyczącego chorób rzadkich i zapotrzebowania na określone procedury medyczne i produkty lecznicze,
- ustalenie dodatkowych czynników wpływających na proces leczenia (w tym chorób współistniejących),
- ocenę bezpieczeństwa medycznego, rozumianego jako pokrycie zapotrzebowania na procedury medyczne i produkty lecznicze,
- ocenę konieczności stymulacji (w tym finansowej) określonych obszarów badawczo-rozwojowych.

Wszystkie opisane kroki pozwolą na pracowanie raportu zawierającego kompleksową analizę problematyki w populacji polskiej i będą mogły stać się wytycznymi dla dalszych działań w skali krajowej, w tym również wspomogą działania Rejestru Chorób Rzadkich.

Opisane działania Agencji w ramach inicjatyw europejskich będą realizowane po akceptacji Ministerstwa Zdrowia oraz po pozyskaniu finansowania.

3.8.4. Współpraca międzynarodowa w realizacji projektów naukowych w ramach sieci ECRIN-ERIC

Priorytetem Agencji jest wspieranie działalności innowacyjnej w ochronie zdrowia, ze szczególnym uwzględnieniem rozwoju niekomercyjnych badań klinicznych i eksperymentów badawczych.

ECRIN-ERIC (European Clinical Research Infrastructure Network - European Research Infrastructure Consortium) jest wiodącą europejską siecią wspierającą rozwój, planowanie i realizację międzynarodowych badań klinicznych. Uczestnictwo w ECRIN-ERIC umożliwia dostęp do zaawansowanych narzędzi, zasobów oraz ekspertyzy niezbędnej do prowadzenia wysokiej jakości badań klinicznych na poziomie międzynarodowym. Współpraca z ECRIN-ERIC otwiera możliwość nawiązywania kontaktów z innymi ośrodkami badawczymi,

co sprzyja transferowi wiedzy oraz innowacjom w medycynie. Jako uczestnik ECRIN-ERIC, instytucja zyskuje dostęp do europejskiej infrastruktury badawczej, co obejmuje zarówno dostęp do wiedzy eksperckiej, jak i technologii oraz platform badawczych. ECRIN-ERIC wspiera kompleksową organizację badań klinicznych, od fazy projektowania przez realizację, aż po analizę danych. Dodatkowo, dzięki sieci ECRIN-ERIC możliwe jest korzystanie z centralnych usług, takich jak zarządzanie danymi, kwestie regulacyjne czy etyczne, co znacznie upraszcza proces prowadzenia badań klinicznych.

Uczestnictwo w sieci ECRIN-ERIC przyczynia się do zwiększenia międzynarodowej widoczności i konkurencyjności instytucji badawczej. Umożliwia także dostęp do partnerstw w ramach europejskich projektów badawczych, co może przynieść dodatkowe finansowanie oraz wspierać rozwój badań w obszarach o wysokim priorytecie. Dzięki udziałowi w ECRIN-ERIC, instytucja staje się częścią elitarniej grupy jednostek naukowych, które odgrywają kluczową rolę w kształtowaniu przyszłości badań klinicznych w Europie. Dzięki współpracy z ECRIN-ERIC, badacze i pracownicy instytucji mają okazję do rozwoju swoich umiejętności i kompetencji w zakresie międzynarodowych badań klinicznych. Uczestnictwo w sieci umożliwia dostęp do szkoleń, warsztatów oraz konferencji, które są prowadzone przez czołowych ekspertów w dziedzinie badań klinicznych. To bezpośrednio przekłada się na podniesienie jakości prowadzonych badań oraz na rozwój profesjonalny pracowników. Współpraca z ECRIN-ERIC zapewnia zgodność prowadzonych badań klinicznych z najwyższymi europejskimi standardami jakości, etyki i regulacji. Sieć wspiera badaczy w spełnianiu wymogów prawnych oraz w procesach certyfikacji, co jest kluczowe dla uzyskania wyników badań o międzynarodowym znaczeniu. Dzięki temu, instytucja może oferować swoim partnerom badania na najwyższym poziomie, co zwiększa jej reputację i wiarygodność w środowisku naukowym.

W związku z powyższym Agencja wzmacnia współpracę pomiędzy ośrodkami a ECRIN-ERIC, promuje sieć wśród badaczy oraz motywuje ośrodki do włączenia się w strukturę. Agencja, wspiera również realizację międzynarodowych badań klinicznych poprzez zaangażowanie w proces start-up, budżetowanie, kontraktowanie czy nadzór nad badaniem.

Oczekiwane rezultaty:

- ➔ Zwiększenie udziału polskich ośrodków, ze szczególnym uwzględnieniem CWBK, w działalności ECRIN.
- ➔ Wzrost świadomości na temat możliwości realizacji międzynarodowych badań niekomercyjnych wśród kadry CWBK.
- ➔ Wzrost liczby międzynarodowych niekomercyjnych badań klinicznych prowadzonych w Polsce.

3.9. Działania o charakterze edukacyjnym i szkoleniowym

3.9.1. Szkolenie „Badania kliniczne w populacji osób narażonych na wykluczenie”

Badania kliniczne w populacji osób narażonych na wykluczenie mają na celu zapewnienie równego dostępu do innowacyjnych terapii i postępów medycznych osób wykluczonych z powodów społecznych (grupy etniczne), ekonomicznych, cyfrowych oraz tzw. „populacji specjalnych”, do których należą pacjenci z upośledzonym wydalaniem, osoby w podeszłym wieku, kobiety ciężarne i karmiące piersią oraz dzieci. Potrzebę prowadzenia badań dla grup wykluczonych Agencja widzi jako kluczową dla tworzenia bardziej sprawiedliwego i równego systemu opieki zdrowotnej, który uwzględnia potrzeby wszystkich grup społecznych.

Populacje wykluczone i specjalne to podgrupy pacjentów wymagające w badaniach klinicznych wyjątkowego traktowania, dlatego planowanie, projektowanie oraz realizacja badań z udziałem takich grup wymaga szczególnej wiedzy, przygotowania i doświadczenia.

Szkolenie będzie obejmowało min. informacje na temat standardów etycznych, sposobów informowania pacjentów i/lub opiekunów o celu, procedurach, ryzykach i korzyściach związanych z badaniem, dostosowanie metod rekrutacji i zbierania danych.

Uwzględnianie i minimalizacja potencjalnych ryzyk oraz zapewnienie niezbędnych udogodnień i wsparcia minimalizującego poczucie zagrożenia i ułatwiającego udział pacjentów.

Szkolenia w kontekście badań klinicznych z udziałem populacji wykluczonych oraz innych grup specjalnych są kluczowe dla etycznego, skutecznego i bezpiecznego prowadzenia badań. Przygotowanie badaczy poprzez odpowiednie programy szkoleniowe gwarantuje, że będą oni dysponować niezbędną wiedzą, umiejętnościami i świadomością, aby sprostać wyzwaniom związanym z badaniami w tych szczególnych populacjach.

Cele szkolenia:

- ➔ wsparcie badaczy w projektowaniu badań klinicznych uwzględniających populacji szczególnie narażone na wykluczenie
- ➔ zwiększenie świadomości badaczy w zakresie zasadności uwzględniania populacji szczególnie narażone na wykluczenie w badaniu klinicznym

3.9.2. Szkolenie „Badania przedkliniczne i kliniczne produktów biologicznych, biopodobnych, ATMP”

Organizacja szkolenia na temat nowych, zaawansowanych terapii medycznych (ATMP), w tym terapii genowych i komórkowych, jest kluczowa ze względu na ich potencjał w leczeniu pacjentów, dla których obecne metody są niewystarczające. ATMP obejmują szeroką gamę innowacyjnych leków, które mogą znacząco poprawić wyniki leczenia u pacjentów z ciężkimi

chorobami, dla których dostępne terapie są ograniczone. Mimo dynamicznego rozwoju naukowo-badawczego, szeroki dostęp do tych terapii jest utrudniony przez wyzwania regulacyjne i produkcyjne. Szkolenie w zakresie regulacji ATMP, w tym pełnej ścieżki rejestracyjnej, jest zatem niezbędne dla umożliwienia skutecznego wdrożenia tych terapii w Polsce.

Ponadto, rozwój rynku leków biopodobnych, wspierany przez Agencję jest równie istotny dla zwiększenia dostępności terapii oraz obniżenia kosztów leczenia. Szkolenie w tej dziedzinie może przyczynić się do lepszego zrozumienia i efektywnego wdrożenia biotechnologii, co jest kluczowe dla rozwoju innowacyjnych rozwiązań medycznych, w tym leków celowanych, personalizowanych i nowych form farmaceutycznych.

Edukacja w tych obszarach jest niezbędna, aby sprostać rosnącemu zapotrzebowaniu na nowoczesne i skuteczne terapie, które mogą znacząco poprawić jakość życia pacjentów. W kontekście dynamicznie rozwijającego się sektora biomedycznego, takie szkolenie pomoże w identyfikacji priorytetowych obszarów wymagających wsparcia Agencji na drodze dyskusji z prelegentami i słuchaczami.

Cele szkolenia:

- ➔ Przedstawienie ścieżki certyfikacji dla produktu terapii zaawansowanej w niekomercyjnym badaniu klinicznym
- ➔ Ocena danych produktowych, przedklinicznych, klinicznych dla ATMP
- ➔ Wymagania oraz dokumenty konieczne do uruchomienia wytwarzania produktów leczniczych zawierających ATMP
- ➔ Przedstawienie ścieżki rozwoju leków biologicznych i biopodobnych w kontekście europejskich wymagań legislacyjnych

3.9.3. Rozwój kompetencji specjalistów ochrony zdrowia z zakresu realizacji badań naukowych (Program Fundusze Europejskie dla Rozwoju Społecznego 2021-2027 FERS)

Agencja wspiera działalność innowacyjną w ochronie zdrowia, ze szczególnym uwzględnieniem rozwoju niekomercyjnych badań klinicznych i eksperymentów badawczych, m.in. poprzez zwiększenie zaangażowania w badania kliniczne jednostek naukowych posiadających zdolności wdrożeniowe.

Celem szkoleń realizowanych w ramach projektu FERS jest poprawa funkcjonowania systemu ochrony zdrowia poprzez wzrost kompetencji przedstawicieli zawodów związanych z ochroną zdrowia, w tym kadr organizacyjnych, administracyjnych i zarządzających. Możliwość podnoszenia i zmiany kwalifikacji z uwzględnieniem umiejętności w zakresie przedsiębiorczości i kompetencji cyfrowych, lepsze przewidywanie zmian i zapotrzebowania na nowe umiejętności na podstawie potrzeb rynku pracy, ułatwianie zmian ścieżki kariery zawodowej i wspieranie mobilności zawodowej. Projekt będzie realizowany w latach 2024 – 2027. W ramach projektu przewiduje się po trzy edycje każdego typu kursu:

- „Dane w ochronie zdrowia – jak wytwarzać dane wysokiej jakości w badaniach klinicznych?” – przeszkolenie 90 specjalistów i specjalistek ochrony zdrowia związanych z realizacją badań klinicznych w zakresie zarządzania danymi w badaniach klinicznych.
- „Akademia Lidera – planowanie i zarządzanie w projektach badań klinicznych” - przeszkolenie 75 specjalistów i specjalistek ochrony zdrowia związanych z realizacją badań klinicznych w zakresie planowania i zarządzania projektami.
- „Biomedyczne badania naukowe – jak zacząć?” - przeszkolenie 75 specjalistów i specjalistek ochrony zdrowia związanych z realizacją badań klinicznych w zakresie metodologii badań naukowych.
- „Produkt badany – wytwarzanie, pozyskiwanie, zarządzanie w ośrodku” - przeszkolenie 90 specjalistów i specjalistek ochrony zdrowia związanych z realizacją badań klinicznych w zakresie zarządzania produktem w badaniu klinicznym.

3.9.4. Wzrost kompetencji kadry Centrum Wsparcia Badań Klinicznych (CWBK) i Członków Zespołów Badawczych oraz budowanie świadomości pacjentów nt. badań klinicznych

Obszar badań klinicznych podlega ciągłym zmianom w wyniku wprowadzania nowych regulacji, wytycznych oraz zaleceń. Dostawcy usług związanych z realizacją badań klinicznych powinni na bieżąco monitorować zmiany oraz zwiększać swoje kompetencje.

W związku ze zidentyfikowaną potrzebą, Agencja przeprowadzi działania edukacyjne, mające na celu wsparcie członków zespołów badawczych w podnoszeniu swoich kompetencji z zakresu prawidłowego zarządzania i koordynowania badań klinicznych, tworzenia i prowadzenia dokumentacji badawczej, współpracy z pacjentami, a tym samym zapewnienia wysokiej jakości świadczonych usług.

W ramach zadań realizowanych w 2025 r. znajdą się:

- ➔ Szkolenia realizowane w ramach cyklu „Akademia CWBK” oraz w ramach cyklu „Dzielimy się wiedzą”
- ➔ Spotkania informacyjne dla Pacjentów
- ➔ Spotkania informacyjne dla studentów kierunków medycznych

Oczekiwane rezultaty:

- ➔ Skrócenie czasu opracowywania oraz wzrost jakości wniosków o rozpoczęcie badania klinicznego składanych do Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych;
- ➔ Skrócenie czasu procedowania umów na komercyjne badania kliniczne;
- ➔ Wzrost liczby niekomercyjnych badań realizowanych w Polsce.
- ➔ Aktywizacja organizacji pacjenckich do współpracy z CWBK.
- ➔ Poprawa rekrutacji w badaniach klinicznych prowadzonych w CWBK.
- ➔ Wzrost zaangażowania środowiska akademickiego/naukowego w projekty badawcze.
- ➔ Wzrost zainteresowania absolwentów uczelni medycznych budowaniem kariery w obszarze badań klinicznych

Wskaźniki:

- ➔ Liczba szkoleń zrealizowanych w ramach „Akademii CWBK”: **4**
- ➔ Liczba szkoleń zrealizowanych w ramach cyklu „Dzielimy się wiedzą”: **4**
- ➔ Łączna liczba pracowników CWBK oraz Członków Zespołów Badawczych objętych wsparciem: **100**
- ➔ Liczba spotkań informacyjnych dla Pacjentów: **4**
- ➔ Łączna liczba Pacjentów objętych wsparciem informacyjnym podczas spotkań: **100**
- ➔ Liczba zorganizowanych spotkań informacyjnych na uniwersytetach medycznych: **4**
- ➔ Łączna liczba studentów objętych wsparciem informacyjnym podczas spotkań: **100**

3.10. Wsparcie działalności Krajowego Centrum Bioetyki

Krajowe Centrum Bioetyki to struktura zajmująca się edukacją, analizą, tworzeniem wytycznych oraz współpracą międzynarodową w kwestiach związanych z bioetyką, czyli z etycznymi problemami wynikającymi z postępu w naukach biomedycznych.

Główne zadania Krajowego Centrum Bioetyki w 2025 roku będą obejmowały:

- wypracowywanie we współpracy z Naczelną Komisją Bioetyczną do spraw Badań Klinicznych, członkami komisji bioetycznych, środowiskiem naukowym i interesariuszami społecznymi zaleceń, wytycznych i rekomendacji dotyczących standardów i dobrych praktyk w zakresie opiniowania etycznego badań klinicznych;
- współpraca z Prezesem Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych w zakresie oceny etycznej badania klinicznego;
- nawiązywanie kontaktów i współpraca ze wszystkimi interesariuszami rynku badań klinicznych: pacjentami, badaczami, sponsorami, firmami CRO w celu promowania odpowiedzialnych praktyk etycznych w obszarze badań klinicznych;
- organizowanie szkoleń, warsztatów i seminariów dla członków komisji bioetycznych z zakresu bioetyki i metodologii badań naukowych z udziałem ludzi lub z użyciem ludzkiego materiału biologicznego, dla osób zapewniających obsługę komisji bioetycznych, naukowców, studentów i innych zainteresowanych, aby zwiększać świadomość etyczną i promować najlepsze praktyki etyczne w dziedzinie badań naukowych.
- współpraca międzynarodowa, nawiązywanie kontaktów z innymi instytucjami bioetycznymi na świecie, aby wymieniać doświadczenia i wspólnie podejmować działania w odpowiedzi na globalne wyzwania bioetyczne dotyczące badań naukowych.

3.11. Upowszechnianie efektów zrealizowanych zadań

Zgodnie z celami ustawowymi, Agencja podejmuje działania służące upowszechnianiu informacji o planowanych konkursach oraz efektach już zrealizowanych projektów. Ponadto, w związku z dynamicznym rozwojem Agencji, nowymi aktywnościami, a także wysokim zróżnicowaniem ich odbiorców, a także w odpowiedzi na potrzebę dopasowania tworzonych treści w zależności od grupy docelowej, strona Agencji zostanie przebudowana, a zamieszczane na niej informacje zostaną podzielone na odpowiednie kategorie grup użytkowników.

W ramach strategii komunikacji, przy współpracy z jednostkami organizacyjnymi Agencji oraz zewnętrznymi podmiotami – szeroko rozumianymi uczestnikami rynku badań klinicznych w Polsce będą kontynuowane dotychczasowe działania w celu, m.in.:

- zwiększenia świadomości na temat badań klinicznych w Polsce i roli Agencji Badań Medycznych;
- promocji badań klinicznych i konkursów organizowanych przez Agencję Badań Medycznych;
- promocji efektów zrealizowanych badań i ich wpływu na rynek badań klinicznych w Polsce w ujęciu społecznym, naukowym i gospodarczym,

Kontynuowane będą działania wspierające komunikację wewnętrzną Agencji, poprzez m.in. rozsyłany pocztą elektroniczną do pracowników periodyk informacyjny *ABM Insider*,

zawierający krótkie treści dotyczące wydarzeń oraz opisujący postęp w realizacji planowanych działań.

3.12. Wspieranie przedsiębiorstw w prowadzeniu i rozwijaniu działalności innowacyjnej

Obszar innowacji i postęp technologiczny są ważne dla rozwoju społeczeństwa i dobrobytu gospodarczego. Innowacje są efektem rozwoju nauki i prowadzonych badań naukowych. Agencja wspiera rozwój badań naukowych w obszarze nauk medycznych i nauk o zdrowiu poprzez udzielanie wsparcia finansowego na prowadzenie badań w celu opracowywania nowych produktów i technologii w Polsce.

Agencja promuje działalność innowacyjną przyczyniając się do rozwoju polskich przedsiębiorstw. Wsparcie udzielone przedsiębiorcom m.in. z sektora farmaceutycznego, wyrobów medycznych czy biotechnologii na prowadzenie prac badawczo-rozwojowych jest inwestycją, która może wpłynąć na zapewnienie bezpieczeństwa zdrowotnego obywateli i podniesienie stopnia innowacyjności polskich przedsiębiorstw z obszaru biomedycznego. W ramach Krajowego Planu Odbudowy i Zwiększenia Odporności (KPO), Agencja odpowiada za przeprowadzenie konkursów dla przedsiębiorców na projekty mające na celu m.in. stworzenie warunków do rozwoju innowacji farmaceutycznych i technologii medycznych.

W 2025 r. Agencja będzie monitorować postępy realizacji prac wyróżnionych w konkursie projektów.

3.12.1. Warsaw Health Innovation Hub

Warsaw Health Innovation Hub jest platformą do współpracy z biznesem, członkami (fundacje, towarzystwa, itp.) oraz z sektorem publicznym w obszarze ochrony zdrowia. WHIH umożliwi wymianę wiedzy, doświadczenia, przepływu pomysłów oraz nawiązywania i kształtowania właściwych relacji poprzez realizację wspólnych projektów w ramach kreowania przyjaznego ekosystemu stworzonego z myślą o wdrażaniu innowacyjnych rozwiązań dla poprawy zdrowia pacjenta.

Misją WHIH jest tworzenie międzysektorowej i interdyscyplinarnej platformy z udziałem kluczowych interesariuszy systemu ochrony zdrowia tak aby stać się liderem innowacji w Regionie CEE w badaniach biomedycznych i stymulować regionalny wzrost ekonomiczny w tym obszarze.

Aktywności WHIH w 2025 r.:

1. Monitoring Projekty Partnerów WHIH - monitoring postępów projektów prowadzony będzie cyklicznie w ciągu roku; uzyskane wyniki, obserwacje i podsumowania prezentowane są zarówno na Radzie WHIH jak i wydarzeniach organizowanych przez Partnerów WHIH oraz indywidualnych spotkaniach zespołów projektowych;
2. HHI Network - dalsza rozbudowa i kolejne inicjatywy;

Celem HIH Network jest stworzenie europejskiej platformy wymiany myśli, współpracy i projektów skupionych na poprawie efektywności systemów opieki zdrowotnej w regionie CEE.

Działania obejmują również przyłączenie kolejnych krajów do inicjatywy (obecnie MoU podpisane jest przez Chorwację i Łotwę) i opracowanie wspólnych planów aktywności w obszarze medycyny, farmacji i biotechnologii, rozwój B+R, współpracy opartej na partnerstwie publiczno-prywatnym, wspólne pozyskiwanie funduszy europejskich na rzecz rozwoju inicjatyw w regionie CEE, wzmocnienie rozwoju badań klinicznych w regionie CEE.

3. Programy edukacyjne WHIH

- Kurs farmakokinetyka - kierowany jest do pracowników dydaktycznych i badawczo-dydaktycznych nauczających przedmiotu farmakokinetyki na wydziałach farmaceutycznych uczelni wyższych w Polsce. Głównym jego celem jest poszerzenie wiedzy kadry akademickiej w zakresie uwarunkowań stosowań farmakokinetyki w przemyśle farmaceutycznym i badaniach klinicznych w związku ze specyfiką regulatorową. edycja kursu(II) planowana jest na jesień.
- Kurs biotechnologii praktycznej - Kurs biotechnologii praktycznej skierowany do absolwentów i studentów kierunków m.in. lekarskich, farmaceutycznych i biotechnologicznych. Jego celem będzie edukacja i pogłębienie wiedzy, a także przedstawienie uczestnikom struktury, złożoności i wielowymiarowości przemysłu biotechnologicznego w ujęciu praktycznym. II edycja kursu planowana jest na jesień 2025 r. i obejmuje jeden tydzień wykładów i zajęć w formie zdalnej i stacjonarnej.
- Tematyczne grupy robocze - cykliczne spotkania tematyczne, które wspierają tworzenie sieci pomiędzy Partnerami WHIH, Członkami WHIH, uczelniami, przedsiębiorcami i instytucjami publicznymi. Celem jest spotkań jest wymiany wiedzy, doświadczeń i najlepszych praktyk, przyczyniając się do pobudzenia współpracy i generowania nowych pomysłów na rzecz rozwoju systemu ochrony zdrowia w Polsce. Spotkania będą odbywały się kwartalnie:
 - Dane w ochronie zdrowia
 - Badania kliniczne
 - Wyroby medyczne

4. Autorskie programy WHIH:

- **Platforma Mentoringowa WHIH - II edycja** - program doradczo-rozwojowy. Celem programu jest wsparcie realizowanych projektów naukowych poprzez umożliwienie akademickim zespołom badawczym korzystania z mentoringu w obszarze biznesowym, technologicznym, klinicznym i regulacyjnym. II edycja realizowana będzie na przełomie października i listopada.
- **Career development in the healthcare** -program stażowy realizowany we współpracy z MSD Polska z udziałem Dziekanów Wydziałów Farmaceutycznych

uczelni wyższych w Polsce; program docelowo ma wesprzeć rozwój 10 wybitnych studentów kierunku farmacja.

- **Kobiety w ochronie zdrowia** – jednodniowe wydarzenie z liderkami w ochronie zdrowia – spotkania będą prowadzone 1 raz w roku w formie otwartego panelu dyskusyjnym. Spotkanie skierowane do studentek uczelni medycznych i prowadzone przez kobiety.
- **Liderzy w ochronie zdrowia**- cykliczne spotkania dla studentów uczelni medycznych z przedstawicielami sektora publicznego i prywatnego. Spotkania będą prowadzone 4 razy w roku w formie otwartej dyskusji.
- 5. Przyłączenie nowych podmiotów do WHIH – dalsze budowanie sieci współpracy
 - Partnerzy WHIH – przedsiębiorstwa
 - Członkowie WHIH – Towarzystwach Naukowe i organizacjach pozarządowych / fundacjach w obszarze: nauki i zdrowia
- 6. Współpraca z Towarzystwami Naukowymi
 - a. Wykorzystanie bazy ekspertów.
 - b. Dialog z Towarzystwami w obszarze wypracowania tematów do potencjalnych projektów realizowanych w ramach WHIH. W ten sposób Partnerzy WHIH oraz Członkowie WHIH mogliby wspólnie w ramach konsorcjum realizować projekty na rzecz rozwoju systemu opieki zdrowotnej odpowiadając na potrzeby sektora i uwzględniając trendy i najnowsze doniesienia naukowe.
 - c. Towarzystwa wchodzi w skład zespołów w Projektach Partnerów WHIH i Członków WHIH
- 7. Nowe wnioski projektowe – weryfikacja fiszek, spotkania z Partnerami WHIH, warsztaty projektowe.
- 8. „Śniadanie z WHIH” - porozmawiajmy o innowacjach i współpracy PPP- planowane są 3 spotkania mające na celu przedstawienie realizowanych w ramach WHIH projektów oraz wypracowanych wzorcach współpracy opartej na partnerstwie publiczno-prywatnym
 - d. Spotkania z mediami
- 9. Marketing i promocja WHIH
 - e. Strona WHIH - Współpraca z Działem promocji i współpracy międzynarodowej
 - f. Udział w wydarzeniach krajowych i międzynarodowych – np. Cancer Week

WHIH dla naukowców i uczelni:

1. **Udział w warsztatach WHIH :**
 - Warsztaty otwarte dla kadry naukowej jak i studentów uczelni wyższych w Polsce (głównie kierunek lekarski, farmacja, biotechnologia)

- Warsztaty mają na celu zainicjowanie innowacyjnych projektów lub wypracowania nowych rozwiązań wspólnych dla sektora prywatnego i publicznego w obszarze biomedycznym

2. Mentoring

- Prowadzony przez ekspertów z sektora publicznego i prywatnego działających w obszarze medycznym. To wszechstronny, dopasowany do indywidualnych potrzeb program wsparcia;
- Spotkania mentoringowe dotyczące wyzwań komercjalizacyjnych będą organizowane cyklicznie (2 razy w roku) i otwarte będą dla kadry naukowej i studentów uczelni wyższych w Polsce (głównie kierunek lekarski, farmacja, biotechnologia);
- Inna forma mentoringu to Platforma Mentoringowa – z udziałem Centrum Transferu Technologii - CTT Uczelni Medycznych i partnerów businessowych, mająca na celu wyłonienie na zasadzie konkursu innowacyjnych projektów naukowych wymagających dalszych konsultacji w celu rozwoju projektu w kierunku wdrożeniowym.

3. Współpraca z Samorządami Studenckimi

- Spotkania cykliczne organizowane (dwa razy w roku) z przedstawicielem Samorządów Studenckich uczelni wyższych w Polsce (głównie kierunek lekarski, farmacja, biotechnologia);
- Spotkania mają na celu zbliżenia młodego środowiska naukowego i umożliwienie bezpośredniego przedstawienia jego potrzeb i oczekiwań;
- Spotkania dążą do wypracowania wspólnego projektu pod auspicjami WHIH (Akademia- Przedsiębiorstwo-Strona Publiczna);
- Spotkania mają na celu wyodrębnienie nowych trendów i rodzących się rozwiązań w młodym środowisku;
- Spotkania organizowane przez WHIH pomiędzy Partnerami WHIH i Członkami WHIH a Samorządem Studenckim;

4. Staże i praktyki zawodowe

- WHIH ułatwia znalezienie partnera prywatnego dla tych programów
- Inna forma – to Work Placement – czyli odbycie praktyk zawodowych w przedsiębiorstwie lub w sektorze publicznym;
- Promowanie doskonałości naukowej- staże dla wybitnych studentów.

4. Pozostała aktywność

4.1. Polish Clinical Trials Network/Polska Sieć Badań Klinicznych

Rozwój Polskiej Sieci Badań Klinicznych (PSBK) w 2025 roku stanowi kluczowy element strategii umacniania pozycji Polski jako jednego z wiodących ekosystemów badań klinicznych w Europie. PSBK jako kompleksowa sieć współpracujących ze sobą publicznych ośrodków

badawczych, tj. szpitali, instytutów badawczych oraz jednostek akademickich, odgrywa istotną rolę w procesie poszukiwania i badania nowych technologii medycznych – zgodnie z zebranymi danymi w 2023 r. członkowie PSBK realizowali ponad 1 700 badań klinicznych (zarówno komercyjnych jak i niekomercyjnych) oraz ponad 150 eksperymentów badawczych.

Rosnące wyzwania zdrowotne, takie jak starzejąca się populacja, wzrost liczby chorób przewlekłych oraz globalne zagrożenia epidemiologiczne, rozwój PSBK nabiera szczególnego znaczenia. Skuteczna współpraca w ramach PSBK pozwala na efektywne wykorzystanie zasobów, wymianę wiedzy oraz doświadczeń pomiędzy ośrodkami badawczymi, co przekłada się na wyższą jakość i innowacyjność prowadzonych badań klinicznych, co konieczne jest nie tylko dla ochrony zdrowia publicznego, ale również dla zwiększenia konkurencyjności Polski na globalnym rynku.

Inwestycje w rozwój infrastruktury teleinformatycznej, wzrost kompetencji kadry badawczej oraz promocja polskich ośrodków na arenie międzynarodowej są niezbędne dla zapewnienia, że Polska będzie w stanie skutecznie konkurować z innymi krajami. Co kluczowe, wzrost liczby badań klinicznych w Polsce przekłada się bezpośrednio na zapewnienie pacjentom dostępu do najnowszych i najbardziej zaawansowanych terapii. Ponadto, realizacja tych celów przyczyni się do wzrostu zaufania społecznego do badań klinicznych, co jest kluczowe dla zwiększenia liczby uczestników badań. Osiągnięcie tych celów wymaga skoordynowanych działań na wielu płaszczyznach. Kluczowe znaczenie mają tutaj zarówno inwestycje w infrastrukturę IT, jak i rozwój kompetencji oraz zasobów ludzkich. Wzmocnienie potencjału badawczego poprzez opracowanie i wdrożenie wytycznych oraz standardów badawczych, zgodnych z międzynarodowymi normami, jest niezbędne dla zapewnienia najwyższej jakości realizowanych badań. Promocja PSBK na arenie krajowej i międzynarodowej umożliwi natomiast budowę silnej marki, która przyciągnie do Polski nowych sponsorów komercyjnych oraz zagranicznych badaczy.

4.1.1. Rozbudowa infrastruktury teleinformatycznej oraz wzrost poziomu cyfryzacji Polskiej Sieci Badań Klinicznych

Dynamiczny rozwój technologii, rozbudowa infrastruktury teleinformatycznej oraz wzrost poziomu cyfryzacji PSBK są nieodzowne dla optymalizacji procesów badawczych. Inwestycje w systemy IT umożliwią efektywne zarządzanie danymi, ich szybkie przetwarzanie oraz bezpieczne przechowywanie. Nowoczesne rozwiązania cyfrowe pozwolą na automatyzację procesów administracyjnych i badawczych, co przełoży się na oszczędność zasobów ludzkich i finansowych. Zaawansowane narzędzia analityczne umożliwią precyzyjne analizy danych, co zwiększy wiarygodność wyników badań, a także przyczyni się do przyspieszenia wprowadzania innowacyjnych terapii na rynek.

Kluczowym zadaniem w ramach realizacji celu na 2025 rok jest rozwój elektronicznej Karty Obserwacji Klinicznej (eCRF), która umożliwi efektywne zarządzanie danymi z badań klinicznych. System, uruchomiony w IV kwartale 2023 roku, został zaprojektowany do

realizacji niekomercyjnych badań klinicznych, które otrzymały dofinansowanie w ramach konkursów organizowanych przez Agencję. Od momentu wdrożenia systemu, w trakcie bieżącej administracji zidentyfikowano obszary wymagające usprawnień oraz potencjalne możliwości rozbudowy.

Oczekiwane rezultaty:

- Efektywne zarządzanie danymi z badań klinicznych – implementacja i rozwój elektronicznej Karty Obserwacji Klinicznej (eCRF) pozwolą na centralizację i usprawnienie zarządzania danymi z badań klinicznych, co znacząco przyspieszy ich przetwarzanie i analizę;
- Zwiększenie bezpieczeństwa danych – wdrożenie nowoczesnych systemów informatycznych zapewni wyższy poziom ochrony danych pacjentów i wyników badań, minimalizując ryzyko nieautoryzowanego dostępu i utraty danych;
- Automatyzacja procesów administracyjnych – nowoczesne rozwiązania cyfrowe pozwolą na automatyzację wielu procesów administracyjnych, co przełoży się na oszczędność zasobów ludzkich oraz zwiększenie efektywności operacyjnej;
- Zwiększenie dokładności i przejrzystości danych – system eCRF ABM zwiększy dokładność i przejrzystość zbieranych danych, co przyczyni się do wyższej jakości i wiarygodności wyników badań klinicznych;
- Poprawa jakości zarządzania projektami badawczymi – rozbudowa modułu validapp w eCRF ABM umożliwi lepsze monitorowanie i kontrolowanie postępów projektów badawczych, co pozwoli na szybsze identyfikowanie i rozwiązywanie problemów oraz optymalizację zasobów.

Wskaźniki:

- Liczba projektów niekomercyjnych badań klinicznych wykorzystujących eCRF ABM: **30**

4.1.2. Wzmocnienie potencjału i rozwój zasobów Polskiej Sieci Badań Klinicznych

Wzmocnienie potencjału i rozwój zasobów PSBK są kluczowe dla zapewnienia najwyższej jakości realizowanych badań klinicznych. Kluczowym elementem jest opracowanie i wdrożenie wytycznych oraz standardów, które będą zgodne z międzynarodowymi normami. Stworzenie wytycznych obejmujących wszystkie etapy procesu badawczego, od projektowania badań po analizę wyników, pozwoli na zapewnienie spójności i rzetelności realizowanych projektów. Kontrola jakości prowadzona na każdym etapie badań zagwarantuje ich wysoką jakość i zgodność z obowiązującymi standardami.

W 2025 r. działalność sieci skupi się na opracowywaniu wytycznych i instrukcji, które będą kompleksowo regulować wszystkie aspekty procesu badawczego w sieci. W szczególności, priorytetem będzie stworzenie szczegółowych dokumentów, które uwzględnią proces rozliczania badań klinicznych przez ośrodek badaczy z płatnikiem publicznym tj. Narodowym

Funduszem Zdrowia a sponsorami komercyjnymi. Dodatkowo, w 2025 r. PSBK będzie kontynuować swoje działania związane z rozwojem i rozszerzeniem, aby zapewnić jeszcze większy zasięg i efektywność realizowanych badań klinicznych. Planowane jest systematyczne powiększanie sieci o nowe ośrodki, zarówno te o ugruntowanej pozycji i doświadczeniu w zakresie badań klinicznych, jak i te, które dopiero zaczynają swoją działalność w tej dziedzinie. W sposób ciągły będą organizowane Zgromadzenia Ogólne, spotkania Grup Roboczych oraz posiedzenia Rady Sieci i Rady Biznesu PSBK.

Oczekiwane rezultaty:

- ➔ Rozwój i ekspansja sieci badawczej – Powiększenie sieci o nowe publiczne ośrodki, zarówno doświadczone, jak i nowe w dziedzinie badań klinicznych, zwiększy zasięg i efektywność realizowanych badań oraz umożliwi lepsze wykorzystanie zasobów badawczych.
- ➔ Wzrost jakości zarządzania badaniami – Systematyczne organizowanie Zgromadzeń Ogólnych, spotkań Grup Roboczych oraz posiedzeń Rady Sieci i Rady Biznesu PSBK wpłynie na poprawę koordynacji działań i wymianę wiedzy, co przełoży się na wyższą jakość realizowanych badań.

Wskaźniki:

- ➔ Liczba nowych ośrodków o statusie Obserwatora w PSBK: 2
- ➔ Liczba nowych Partnerów PSBK: 5

4.1.3. Promocja Polskiej Sieci Badań Klinicznych na arenie krajowej i międzynarodowej

Promocja PSBK na arenie krajowej i międzynarodowej jest kluczowa dla zwiększenia rozpoznawalności polskich ośrodków realizujących badania kliniczne. Aktywne uczestnictwo w międzynarodowych konferencjach, publikowanie wyników badań w prestiżowych czasopismach oraz współpraca z mediami pozwolą na zbudowanie pozytywnego wizerunku PSBK. Promocja przyciągnie nowych partnerów do współpracy, zwiększy zainteresowanie polskimi osiągnięciami w dziedzinie badań klinicznych oraz wzmocni pozycję Polski jako lidera w tej dziedzinie.

Celem na 2025 r. jest zwiększenie aktywności PSBK na krajowych i międzynarodowych wydarzeniach branżowych, częstsze uczestnictwo jako wystawca oraz udział przedstawicieli i członków PSBK w panelach na konferencjach i eventach. W 2025 r. zaplanowano wzmocnienie aktywności w mediach społecznościowych, aby budować świadomość społeczną na temat badań klinicznych oraz krajowej struktury wspierającej ich rozwój.

Oczekiwane rezultaty:

- ➔ Budowa pozytywnego wizerunku – aktywna promocja działalności PSBK w mediach społecznościowych przyczyni się do zbudowania pozytywnego wizerunku i reputacji PSBK.
- ➔ Przyciągnięcie nowych partnerów – skuteczna promocja na arenie krajowej zwiększy zainteresowanie współpracą z PSBK, co może prowadzić do nawiązywania nowych partnerstw oraz współpracy z fundacjami oraz organizacjami pacjenckimi.

Wskaźniki:

- ➔ Liczba wydarzeń branżowych, w których PSBK uczestniczyła jako wystawca: **1**
- ➔ Liczba wydarzeń branżowych, w których przedstawiciel PSBK uczestniczył jako panelista: **2**

4.2. Utworzenie bazy ośrodków realizujących badania kliniczne

Utworzenie i wdrożenie publicznie dostępnej bazy danych zawierającej informacje o ośrodkach prowadzących badania kliniczne, ułatwi różnym podmiotom, w tym sponsorom badań klinicznych, poszukiwanie jednostek, z którymi mogą wspólnie realizować projekty naukowe.

Wsparcie w wyszukiwaniu ośrodków prowadzących badanie kliniczne zostało określone przez Sponsorów jako działanie, które ułatwi realizację badań klinicznych w Polsce. Pomimo posiadania własnych zasobów danych i wewnętrznych procedur związanych z wyborem ośrodków, centralna baza mogłaby funkcjonować jako dodatkowe źródło informacji dla globalnych Sponsorów z doświadczeniem na polskim rynku, w szczególności w nowych, dla danego Sponsora, wskazaniach. Dla mniejszych Sponsorów lub nieprowadzących do tej pory badań na terenie Polski, byłoby to podstawowe narzędzie identyfikujące konkretne jednostki. Dodatkowo baza będzie służyć jako potencjalne miejsce promocji dla nowych ośrodków, rozpoczynających świadczenie usług w danych wskazaniach, w tym w chorobach rzadkich. Dużym atutem będzie możliwość identyfikowania zakresu usług, w tym potencjału technicznego (np. zamrażarki, sprzęt laboratoryjny), infrastrukturalnego (np. laboratorium szpitalne, apteka, pracownia inżynierii genetycznej, biobank) oraz kadrowego (np. liczba i doświadczenie koordynatorów, badaczy, pielęgniarek), stosowanych procedur, możliwości diagnostycznych, aktualnie prowadzonych badań, terminów dotyczących kontraktowania, doświadczenia w prowadzeniu badań w danym wskazaniu (np. choroby rzadkie).

Otwarta, dostępna dla wszystkich baza była wskazywana przez sponsorów badań klinicznych jako narzędzie preferowane w stosunku do pojedynczego punktu kontaktowego odpowiadającego na wpływające od Sponsorów lub innych zainteresowanych stron zapytania.

Wychodząc naprzeciw oczekiwaniom interesariuszy rynku, zasadnym jest uruchomienie narzędzia ułatwiającego dostęp do informacji na temat ośrodków badawczych, prowadzących badania kliniczne w Polsce. W tym celu wykorzystać można istniejącą infrastrukturę

informatyczną (Platforma komunikacyjna PSBK), poszerzając dostępne informacje na temat ośrodków tworzących PSBK o dane w zakresie m.in:

- zasobów infrastrukturalnych, technicznych, kadrowych;
- przewidywanych terminów odpowiedzi na zapytanie dot. wykonalności badania, kontraktowania;
- doświadczenia w wybranych obszarach terapeutycznych.

W drugim etapie baza może zostać powiększona o ośrodki nie należące do PSBK, w tym podmioty prywatne.

Zasadne będzie wprowadzenie mechanizmu weryfikacji aktualności danych i ich aktualizacji. Stosowny mechanizm może zostać wprowadzony w oparciu o narzędzie raportujące, umożliwiające potencjalnemu Sponsorowi przesłanie alertu do Agencji o nieaktualnych informacjach.

Główne etapy realizowane w 2025 r. to:

- Analiza i opracowanie szczegółowego i jednolitego zakresu zbieranych danych.
- Opracowanie wizualnego i technicznego sposobu przedstawienia danych w systemie teleinformatycznym należącym do Agencji.
- Zbieranie danych, w początkowej fazie od ośrodków należących do PSBK, następnie pozostałych ośrodków publicznych a kończąc na ośrodkach prywatnych.
- Uruchomienie bazy w wersji testowej.
- Analiza stabilności i poszukiwanie błędów.
- Uruchomienie systemu w wersji produkcyjnej.

Oczekiwane rezultaty:

- Wzrost zaangażowania ośrodków w realizację badań klinicznych.
- Wzrost liczby ośrodków, w których Sponsorzy realizują badania na terenie Polski.
- Przyspieszenie procesu kontraktowania.
- Wzrost efektywności procesu start-up badania.

4.3. Rozwój krajowego systemu umożliwiającego ocenę możliwości realizacji badania klinicznego

Określenie potencjału rekrutacyjnego w danym wskazaniu i na określonym obszarze stanowi wyzwanie dla większości Sponsorów. Pomimo posiadania własnych baz i ścisłej współpracy z ośrodkami w zakresie identyfikowania odpowiednich kohort, wystandaryzowana baza stworzona na podstawie rzetelnych danych ułatwi oraz skróci proces decyzyjny na etapie wyboru kraju/regionu i liczby/lokalizacji ośrodków. Kluczowe funkcjonalności to mapowanie pacjentów w danym regionie/ośrodku, występowanie chorób współistniejących, przyjmowane leki i stosowane terapie. Zaznaczono, że z perspektywy Sponsora, dane mogłyby być w pełni anonimowe, bez możliwości identyfikacji konkretnych pacjentów. Baza

byłaby szczególnie przydatna przy realizacji badań w specyficznych wskazaniach, w tym w chorobach rzadkich.

Bazując na dostępnych informacjach, można domniemywać, że stworzenie narzędzia ułatwiającego identyfikację kohort pacjentów przypuszczalnie usprawniłoby proces projektowania i planowania badań klinicznych w Polsce. Kluczowy jest dostęp do usystematyzowanych, bogatych i dotyczących odpowiedniej części społeczeństwa (optymalnie 100%) baz danych. W przypadku polskiego systemu ochrony zdrowia narzędzie potencjalnie mogłoby wykorzystać dane pochodzące z RCMC (lokalne bazy danych) lub NFZ i Centrum e – Zdrowia (centralna baza danych). Zidentyfikowane kluczowe informacje gwarantujące użyteczność narzędzia to:

- rozproszenie pacjentów (regiony, ośrodki) w danym wskazaniu;
- wiek, płeć;
- choroby współistniejące;
- przyjmowane leki i stosowane terapie.

Drugi etap, będzie stanowić rozbudowa systemu o kolejne komponenty i poszerzenie funkcjonalności, w tym umożliwienie bezpośredniego kontaktu z wybranymi pacjentami i ich rekrutację.

W roku 2025 planowana jest realizacja następujących etapów:

- Zawiązanie współpracy z Centrum e-Zdrowia w celu współdzielenia się danymi statystycznymi.
- W oparciu o analizę uzyskanych danych określenie założeń systemu.
- Przygotowanie wzoru dokumentacji przetargowej.

4.4. Działania komunikacyjne i promocyjne

4.4.1. Serwis „Pacjent w Badaniach Klinicznych”

Pacjent w Badaniach Klinicznych (<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl> i <https://www.facebook.com/pacjentwbadaniach>) to serwis informacyjno-edukacyjny, skierowany do pacjentów oraz ich rodzin, mający na celu dostarczenie wiedzy z obszaru badań klinicznych, dotyczącej udziału pacjenta w badaniach, statystyk czy norm prawnych. Informacje zawarte w serwisie są przekazywane w sposób przystępny dla osób, które nie posiadają wykształcenia medycznego, nie są związane z branżą medyczną lub chcą poszerzyć swoje kompetencje z tego obszaru. Pacjenci, lekarze oraz organizacje pozarządowe działające na rzecz ochrony zdrowia korzystając z serwisu mają możliwość zapoznać się ze szczegółowymi informacjami na temat obowiązujących standardów, procedur i wymagań dotyczących procesu prowadzenia badań klinicznych, wskazówkami dotyczącymi przystąpienia do badań klinicznych, historiami pacjentów oraz odpowiedziami na najczęściej zadawane pytania. Celem serwisu jest zwiększenie świadomości potencjalnych uczestników

badzeń klinicznych oraz poprawa wiedzy na temat badań klinicznych i zmiana negatywnego nastawienia związanego z potencjalnym uczestnictwem w badaniach klinicznych.

Wskaźniki:

- ➔ Liczba postów na Facebooku Serwis „Pacjent w Badaniach Klinicznych”: **100**
- ➔ Wzrost liczby osób obserwujących na Facebooku Serwis „Pacjent w Badaniach Klinicznych”: **100**
- ➔ Liczba poprowadzonych paneli dyskusyjnych/organizacji stoisk wystawienniczych podczas wydarzeń krajowych i międzynarodowych: **2**

5. Plany organizacyjne

5.1. Plan finansowy na rok budżetowy 2025

PROJEKT PLANU FINANSOWEGO AGENCJI BADAŃ MEDYCZNYCH NA 2025 r.

Lp.	Wyszczególnienie	Projekt Planu na 2025 r. w tys. zł
1	2	3
I	STAN NA POCZĄTEK ROKU:	x
1	Środki obrotowe, w tym:	278.658
1.1	Środki pieniężne	278.658
1.2	Należności krótkoterminowe:	0
2	Należności długoterminowe:	0
3	Zobowiązania:	0
II	PRZYCHODY OGÓŁEM	854.947
1	Przychody z prowadzonej działalności, z tego:	519.524
1.1	Przychody z odpisu NFZ	519.524
1.1.1	- odpis NFZ	519.524
2	Dotacje i subwencje z budżetu państwa	279.981
3	Środki od innych jednostek sektora finansów publicznych	893
4	Pozostałe przychody, w tym:	54.549
4.1	Odsetki (np. z tytułu udzielonych pożyczek), w tym:	35.000
4.1.1	Odsetki od depozytów u Ministra Finansów lub z tytułu skarbowych papierów wartościowych	35.000
4.2	Środki otrzymane od jednostek spoza sektora finansów publicznych	16.962
4.3	Równowartość odpisów amortyzacyjnych	2.587
III	KOSZTY OGÓŁEM	819.947
1	Koszty funkcjonowania	74.853
1.1	Amortyzacja	2.587
1.2	Materiały i energia	878
1.3	Usługi obce	21.595
1.4	Wynagrodzenia, z tego:	35.523
1.4.1	osobowe	24.806
1.4.2	bezosobowe	10.717
1.5	Świadczenia na rzecz osób fizycznych	48
1.6	Składki, z tego na:	7.123
1.6.1	ubezpieczenie społeczne	6.151
1.6.2	Fundusz Pracy oraz Fundusz Solidarnościowy	837
1.6.3	Fundusz Emerytur Pomostowych	0
1.6.4	Wpłaty na pracownicze plany kapitałowe	135
1.7	Podatki i opłaty, w tym:	25
1.7.1	opłaty na rzecz budżetu państwa	12
1.7.2	podatek CIT	0
1.8	Pozostałe koszty funkcjonowania	7.074
2	Koszty realizacji zadań, w tym:	745.094
2.1	- środki przekazane innym podmiotom	739.105
2.2	- środki przekazane na Fundusz Kompensacyjny Badań Klinicznych	5.989
IV	WYNIK BRUTTO (poz. II - III)	35.000
V	OBOWIĄZKOWE OBCIĄŻENIA WYNIKU FINANSOWEGO	0

VI	WYNIK NETTO (poz. IV - V)	35.000
VII	DOTACJE I SUBWENCJE Z BUDŻETU PAŃSTWA	x
1	Dotacje i subwencje ogółem, z tego:	279.981
1.1	- podmiotowa	49.341
1.2	- przedmiotowa	0
1.3	- celowa	230.640
1.4	- celowa na finansowanie projektów z udziałem środków UE - bieżące	0
1.4.1	w tym: na współfinansowanie	0
1.5	- celowa na finansowanie projektów z udziałem środków UE - majątkowe	0
1.5.1	w tym: na współfinansowanie	0
1.6	- subwencje	0
1.7	- na inwestycje i zakupy inwestycyjne	0
VIII	ŚRODKI NA WYDATKI MAJĄTKOWE (nakłady na rzeczowe aktywa trwałe i wartości niematerialne i prawne)	7.770
1	Środki na wydatki majątkowe, w tym:	7.770
1.1	Własne środki finansowe - Fundusz rezerwowy	7.770
IX	ŚRODKI PRYZNANE INNYM PODMIOTOM	1.510.819
X	STAN NA KONIEC ROKU:	x
1	Środki obrotowe, w tym:	313.658
1.1	Środki pieniężne	313.658
1.2	Należności krótkoterminowe:	0
2	Należności długoterminowe:	0
3	Zobowiązania:	0

Dane uzupełniające

Lp.	Wyszczególnienie	Projekt Planu na 2025 r. w tys. zł
1	2	3
1	Wolne środki finansowe przekazane w zarządzanie lub depozyt u Ministra Finansów	305.888
1.1	- depozyty overnight (O/N)	270.888
1.2	- depozyty terminowe	35.000

5.2. Planowane zatrudnienie

Łączna liczba planowanego zatrudnienia: **145 etatów**, w tym odpowiednio źródło finansowania:

- Dotacja podmiotowa – 140 etatów,
- Opłaty Sponsorów badania klinicznego wnoszone na rachunek Agencji Badań Medycznych prowadzony dla Naczelnej Komisji Bioetycznej – 5 etatów.

5.3. Planowane inwestycje w zasoby techniczne

Planowana wysokość środków finansowych na wydatki majątkowe, w tym: Własne środki finansowe - Fundusz rezerwowy wynosi **7 770 tys. zł** z przeznaczeniem na:

Nazwa asortymentu planowanego do zakupu	Kwota planowana
➔ System teleinformatyczny Agencji Badań Medycznych (administrowanie).	3.000.000,00
➔ Sprzęt komputerowy wraz z oprogramowaniem i serwisem gwarancyjnym.	70.000,00
➔ Usługi projektowe i wdrożeniowe dla oprogramowania Multi eCRF ABM.	2.500.000,00
➔ Clinical Trial Management System (CTMS) ABM.	1.500.000,00
➔ Portal informacyjny dla Pacjentów i Badaczy - projekty naukowo- badawcze (z wyszukiwarką).	600.000,00
➔ Wymiana eksploatowanych od 2019 roku przetłączników sieciowych nie objętych gwarancją lub wsparciem producenta.	100.000,00