

Agencja Badań Medycznych

<https://abm.gov.pl/pl/aktualnosci/1019,100-milionow-zlotych-na-innowacyjne-projekty-z-obszaru-chorob-rzadkich.html>
17.05.2025, 10:48

100 milionów złotych na innowacyjne projekty z obszaru chorób rzadkich

Ponad 100 milionów złotych zostanie rozdysponowanych przez Agencję Badań Medycznych na realizację 12 projektów związanych z chorobami rzadkimi. Dzięki temu będzie szansa na opracowanie nowych metod leczenia schorzeń, które ze względu na rzadkość ich występowania pozostają trudne w rozpoznaniu i leczeniu.

W ramach zorganizowanego przez Agencję Badań Medycznych konkursu na niekomercyjne badania kliniczne związane z chorobami rzadkimi wpłynęło 39 wniosków. Po wnikliwej analizie każdego z nich, niezależni eksperci wyłonili 12, które w przeciągu najbliższych lat otrzymają finansowanie w łącznej wysokości ok. 102 mln złotych. Lista beneficjentów konkursu została właśnie przedstawiona przez dr. hab. Radosława Sierpińskiego, prezesa Agencji oraz wiceministra Sławomira Gadomskiego z Ministerstwa Zdrowia.

Jak zapewniał dr hab. Radosław Sierpiński, w ciągu najbliższych kilku tygodni zawarte zostaną wszystkie umowy z beneficjentami, co umożliwi transfer pierwszych kwot pozwalających na zakup wyposażenia badawczego.

„Istotą konkursu jest wsparcie niekomercyjnych instytutów naukowych i ośrodków akademickich w odnajdywaniu nowych metod leczenia schorzeń rzadkich z zastosowaniem produktów leczniczych, które już są dostępne na rynku” – mówi prezes Sierpiński. Celem Agencji jest pomoc tym pacjentom, dla których aktualne możliwości leczenia często nie oferują żadnych rozwiązań. W tym aspekcie dużą nadzieję pokładamy w umiędzynarodowieniu prowadzonych badań i nawiązywaniu współpracy z ośrodkami zagranicznymi” – dodał.

Choroby rzadkie, zagrażające życiu lub powodujące przewlekłą niepełnosprawność, występują raz na 2 tys. osób lub rzadziej. Z kolei schorzenia, na które cierpi jeden człowiek na 50 tys. lub mniej, nazywane są ultrarzadkimi. Do tej pory ich ciężkiemu i przewlekłemu przebiegowi towarzyszył również brak świadomości społeczeństwa oraz faktyczne wykluczenie z systemu opieki zdrowotnej, związane z bardzo wysokimi kosztami diagnostyki i opieki medycznej.

Aby poprawić sytuację tej grupy pacjentów, Ministerstwo Zdrowia opracowało Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich. Przewiduje on m.in. stworzenie ośrodków eksperckich, szeroki dostęp do leków czy stworzenie Rejestru Chorób Rzadkich. Dodatkowo, opracowany zostanie paszport dla pacjentów z chorobami rzadkimi, wymagającymi często kompleksowego leczenia oraz interdyscyplinarnej opieki. Jak zapewniał wiceminister Sławomir Gadomski, rząd powinien zaakceptować całość projektu do końca wakacji.

„Agencja Badań Medycznych została utworzona stosunkowo niedawno, ale efekty jej działalności są już imponujące, czego przykładem jest zakończony właśnie konkurs, realizujący cele Narodowego

Planu dla Chorób Rzadkich. Ponad sto milionów złotych dla niekomercyjnych badań klinicznych to kwota olbrzymia i bezprecedensowa. Polska, z kraju jedynie obserwującego światowe przełomy w leczeniu chorób rzadkich, staje się liderem rozwoju innowacyjnych terapii” – podkreślał wiceminister Gadomski.

Zwyczajnie projekty dotyczą obszarów: onkologii, kardiologii, urologii, ginekologii i położnictwa, neurologii klinicznej oraz hematologii. Jak podkreślał prezes ABM, faktycznymi beneficjentami konkursu będą jednak sami pacjenci. Podstawowym celem wszystkich zespołów badawczych jest bowiem opracowanie powszechnie dostępnych i przynoszących wymierne efekty metod leczenia.

„Dotykamy niewielkiej grupy pacjentów, ale w wartościach bezwzględnych mówimy o pomaganiu niemal wszystkim osobom cierpiącym na daną chorobę rzadką. W ciągu najbliższych lat mamy szansę zapewnić im terapię na światowym poziomie, a także uzyskać efekty naukowe prowadzące do dalszych przełomów w medycynie” – zapewniał dr hab. Sierpiński.

Wśród wyróżnionych inicjatyw znalazł się projekt „BramTOR” koordynowany przez dr hab. n. med. Joannę Trubicką – profesor Instytutu „Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka”. Jej zespół zajmuje się problematyką onkologii i neurologii dziecięcej. Nowotwory wieku dziecięcego, choć kwalifikowane jako choroby rzadkie, są drugą najczęstszą przyczyną zgonów najmłodszych pacjentów. Ich powodem jest niekiedy deregulacja szlaku mTOR, powodująca również inne schorzenia, takie jak padaczka lekooporna czy zaburzenia neurorozwojowe ze spektrum autyzmu. Eksperti Instytutu, działający w ramach projektu „BramTOR” mają nadzieję, że poprawę rokowań dla tej grupy pacjentów może przynieść zastosowanie rapamycyny. Finansowanie ABM pozwoli na przeprowadzenie odpowiedniej terapii na 100 pacjentach w wieku od 2 do 18 lat.

Kolejny beneficjent konkursu ABM – projekt „REGBONE”, realizowany w Instytucie Matki i Dziecka (IMiD) w Warszawie, koncentruje się na leczeniu ultraradkich nowotworów pierwotnych kości u dzieci i młodzieży. Około 20 pacjentów rocznie nie odpowiada na leczenie pierwszej linii, a ich rokowania wynoszą od 15 do 20 proc. Jak tłumaczyła prof. Anna Raciborska z IMiD, naukowcy chcą przebadać skuteczność i bezpieczeństwo zastosowania regorafenibu na grupie 30 pacjentów w wieku od drugiego do 21 r.ż.

Naukowcy z Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego (GUMed) otrzymali finansowanie na rozwój projektu „POLPHITT” zajmującego się leczeniem u dzieci i młodzieży ultraradkiego nowotworu wątroby - wątrobiaka zarodkowego oraz raka wątrobowokomórkowego. Około 45 pacjentów poniżej 18 r.ż. ma zostać zbadanych pod kątem skuteczności redukcji leczenia chemioterapeutycznego przy jednoczesnej intensyfikacji użycia nowych, innowacyjnych leków. Jak podkreślał prof. Piotr Czauderna z GUMed, badania te prowadzone będą w skali globalnej, we współpracy z ośrodkami naukowymi w UE, Japonii, USA i Kanadzie.

Źródło: materiały prasowe PAP

