

Grudzień 2015

Badania kliniczne w Polsce

Streszczenie



Raport wykonany przez:



Na zlecenie:



GCP*pl*

POLCR

Raport zlecony i sfinansowany przez:

Związek Pracodawców Innowacyjnych

Firm Farmaceutycznych INFARMA

ul. Puławska 182, 02-670 Warszawa

tel.: +48 22 417 01 70

www.infarma.pl

Stowarzyszenie na Rzecz Dobrej Praktyki

Badań Klinicznych GCPpl

ul. Postępu 18

02-676 Warszawa

tel.: +48 22 572 59 40

www.gcpl.org.pl

Polski Związek Pracodawców Firm Prowadzących

Badania Kliniczne na Zlecenie POLCRO

ul. Żwirki i Wigury 18a

02-092 Warszawa

tel.: +48 731 223 450

www.palcro.pl

Raport sporządziła firma:

PwC

al. Armii Ludowej 14

00-638 Warszawa

tel.: +48 22 746 40 00

www.pwc.pl

Projekt zakończono w listopadzie 2015 r.

Raport chroniony jest prawem autorskim.

Słowo wstępne

Oddajemy w Państwa ręce raport na temat aktualnego stanu badań klinicznych w Polsce, przygotowany przez firmę PwC na zlecenie i we współpracy ze Związkiem Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA, Stowarzyszeniem na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych GCPpl oraz Polskim Związkiem Pracodawców Firm Prowadzących Badania Kliniczne na Zlecenie POLCRO.

Badania kliniczne stanowią fundament współczesnej medycyny, są warunkiem dostępu pacjentów do nowoczesnych terapii i wpływają znacząco na poszerzenie zawodowej wiedzy lekarzy. Obecnie Wspólnota Europejska przygotowuje się do wdrożenia Rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi. Postanowienia tego rozporządzenia będą obowiązywały najprawdopodobniej od marca 2017 roku i w znaczący sposób zmienią funkcjonujące do tej pory zasady uzyskiwania pozwolenia na prowadzenie badań klinicznych. Kraje Unii Europejskiej prezentują różny stopień przygotowania legislacyjno-administracyjnego do jego przyjęcia. Te różnice będą wpływały na rozmieszczenie badań klinicznych w krajach Unii. Dlatego w interesie Polski jest jak najlepsze przygotowanie się pod względem legislacyjnym i administracyjnym do nadchodzących zmian w stosunkowo krótkim czasie.

W niniejszym raporcie znajdują Państwo analizę aktualnej sytuacji w obszarze badań klinicznych w Polsce oraz trzech potencjalnych scenariuszy, jakie mogą się wydarzyć. Realizacja scenariusza, w którym aktywność Polski ograniczyłaby się wyłącznie do rozpoczęcia stosowania rozporządzenia nr 536/2014 z pominięciem działań dostosowawczych w obszarach nieuregulowanych bezpośrednio przez legislację unijną, doprowadziłaby do załamania się rynku badań klinicznych w naszym kraju. Negatywne konsekwencje takiego rozwoju wypadków ponieśli by nie tylko pacjenci, ale także lekarze i placówki służby zdrowia. Widoczny byłby również jego negatywny wpływ na budżet państwa i innowacyjność gospodarki.

W bardziej optymistycznych scenariuszach, w których częściowo lub całkowicie zlikwidowano by główne bariery administracyjne i legislacyjne, rynek badań klinicznych w Polsce miałby szansę utrzymać się na obecnym poziomie lub znacząco rozwinąć. Ten wariant przyniósłby największe korzyści pacjentom, a przecież ich dobro jest najważniejsze. Były także korzystny dla lekarzy, placówek służby zdrowia i budżetu państwa.

Dziękujemy wszystkim osobom zaangażowanym w przygotowanie raportu. Wierzymy, że stanie się on podstawą do prowadzenia merytorycznego dialogu na temat rozwoju komercyjnego i niekomercyjnego rynku badań klinicznych w naszym kraju.

Paweł Sztwiertnia

Dyrektor Generalny Związku Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA

Teresa Brodniewicz

Prezes Zarządu Stowarzyszenia na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych w Polsce

Wojciech Masełbas

Prezes Zarządu Polskiego Związku Pracodawców Firm Prowadzących Badania Kliniczne na Zlecenie POLCRO

Streszczenie

W dobie wielu chorób cywilizacyjnych oraz zagrożeń dla zdrowia i życia ludzkiego pacjenci na całym świecie oczekują nowych, skutecznych, a zarazem bezpiecznych terapii

W dobie wielu chorób cywilizacyjnych oraz zagrożeń dla zdrowia i życia ludzkiego pacjenci na całym świecie oczekują nowych, skutecznych, a zarazem bezpiecznych terapii. Dostęp do nowoczesnych leków nie byłby jednak możliwy, gdyby nie badania kliniczne, które są niezbędnym elementem procesu dopuszczenia leku do obrotu.

W niniejszym raporcie podjęliśmy próbę kompleksowej analizy obszaru badań klinicznych uwzględniającej aspekty regulacyjne oraz rynkowe. Publikacja została przygotowana na zlecenie trzech organizacji (INFARMA, GCPpl oraz POLCRO) przez PwC i stanowi kontynuację raportu „Badania kliniczne w Polsce – Główne wyzwania”, opublikowanego w listopadzie 2010 r. We wspomnianym raporcie rozpatrywano cztery scenariusze rozwoju polskiego rynku badań klinicznych w kolejnych latach (od najbardziej pesymistycznego – po najbardziej optymistyczny, uwzględniający nie tylko poprawę otoczenia administracyjnego, ale także wdrożenie dodatkowych inicjatyw sprzyjających badaniom klinicznym). Ustalenie, który z tych scenariuszy został w rzeczywistości zrealizowany, stało się punktem wyjścia do analizy i oceny obecnego kształtu rynku badań klinicznych.

Przeprowadzone przez nas analizy wskazały, że w Polsce w latach 2011-2014 nie wykorzystano potencjału istniejącego w obszarze badań klinicznych. Co więcej, w ostatnim czasie można zaobserwować powolne kurczenie się tego rynku.

Badania kliniczne stanowią wielką szansę dla pacjentów, w szczególności tych cierpiących z powodu ciężkich chorób, w leczeniu których wszystkie standardowo dostępne terapie zawiodły.

- Pacjenci uczestniczący w badaniach klinicznych bezpłatnie korzystają z najnowocześniejszych terapii oraz opieki medycznej o podwyższonym standardzie.
- Badania kliniczne są czasami jedyną szansą na dostęp do leku mogącego zapewnić poprawę stanu zdrowia w przypadku chorób terminalnych.
- Sam fakt wzięcia udziału w procesie kwalifikacji do badania klinicznego daje szansę na odbycie bezpłatnych badań przesiewowych, które często pozwalają na wczesną diagnozę innych niebezpiecznych schorzeń.

Wybór Polski jako miejsca prowadzenia badań klinicznych przyczynia się do wymiernych oszczędności w budżecie państwa oraz Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ).

- W samym 2014 r. do budżetu państwa wpłynęło ponad 300 mln PLN z tytułu podatków i opłat odprowadzonych w związku z prowadzonymi w Polsce badaniami klinicznymi.
- W przypadku jednego tylko obszaru terapeutycznego, tj. onkologii, w tym samym okresie NFZ mógł zaoszczędzić nawet 600 mln PLN.

Badania kliniczne to działalność ściśle innowacyjna, która przyczynia się do budowania bardziej nowoczesnej rzeczywistości w obszarze polskiej medycyny.

- Badacze oraz naukowcy wykonujący czynności związane z prowadzeniem badań klinicznych zyskują możliwość zdobycia unikatowej wiedzy i gromadzenia doświadczenia w danej dziedzinie medycyny poprzez dostęp do nowych terapii, zwiększoną możliwość wykorzystania nowoczesnej aparatury medycznej (np. diagnostyki PET), łatwiejszą wymianę wiedzy w ramach sieci specjalistów i badaczy, a także dostęp do dodatkowych materiałów i szkoleń.

- Ostatecznym beneficjentem jest pacjent, który może korzystać z opieki wysoko wykwalifikowanego personelu.

Polska nadal postrzegana jest jako kraj z dużym potencjałem w zakresie możliwości prowadzenia badań klinicznych. Przemawia za tym duża populacja pacjentów, dobrze wykwalifikowani specjaliści oraz stosunkowo niskie koszty.

Pomimo oczywistych korzyści oraz dużego potencjału wzrostowego liczba badań klinicznych prowadzonych w Polsce spada. Podczas gdy w 2009 r. w Polsce zarejestrowanych było 469 badań, w 2014 r. tylko 396. Zmalała również liczba uczestników badań klinicznych. Niepokoić powinien także fakt, iż wskaźniki dotyczące liczby prowadzonych badań w stosunku do liczby mieszkańców są istotnie gorsze w Polsce niż w innych porównywalnych krajach europejskich, takich jak Czechy czy Węgry.

Przyczyn obecnego stanu rzeczy upatrywać należy przede wszystkim w barierach o charakterze prawno-administracyjnym.

- Rozpoczęcie prowadzenia badania klinicznego wymaga od sponsora spełnienia wielu formalności. Jednym z najbardziej uciążliwych wymogów jest obowiązek dostarczenia umów pomiędzy sponsorem a badaczem i/lub ośrodkiem badawczym wraz z wnioskiem o rozpoczęcie badania klinicznego.
- Prowadząc badania kliniczne w Polsce, trudno jest oszacować ostateczny koszt poszczególnych projektów. Powodem tego jest niejasny podział obowiązków sponsora i NFZ w zakresie finansowania świadczeń opieki zdrowotnej.
- Nie bez znaczenia pozostaje także niski poziom wiedzy społeczeństwa na temat badań klinicznych. Obecnie brakuje platformy, za pomocą której pacjent mógłby uzyskać pełną informację o badaniach klinicznych prowadzonych w Polsce, co wynika z ograniczeń prawnych.

Spadająca na przestrzeni lat atrakcyjność krajów europejskich jako miejsca prowadzenia badań stała się punktem wyjścia do wydania rozporządzenia nr 536/2014, które zastąpi dotychczas obowiązującą i krytykowaną przez środowisko dyrektywę 2001/20. Nowe regulacje, które będą obowiązywać bezpośrednio we wszystkich krajach UE, przewidują szereg ułatwień i usprawnień w procesie rejestracji oraz prowadzenia badań na terenie UE.

Oczekując na rozpoczęcie stosowania rozporządzenia nr 536/2014, Polska stoi u progu zmian.

Wykorzystanie potencjału nowych regulacji zależy głównie od działań podjętych na szczeblu krajowym. Rozporządzenie nie ingeruje bowiem w najbardziej problematyczne kwestie dotyczące praktyki urzędniczej, systemu oceny etycznej, systemu ubezpieczeń oraz finansowania badań klinicznych.

Podobnie jak w 2010 r., bazując na przeprowadzonych przez nas badaniach i analizach, opisaliśmy w raporcie trzy alternatywne scenariusze rozwoju sytuacji badań klinicznych w Polsce:

- **Bierne wdrożenie rozporządzenia nr 536/2014.** W przypadku braku proaktywnego podejścia w kwestii zniwelowania obecnie istniejących barier oraz ograniczenia się do biernego stosowania regulacji unijnych Polska może stać się krajem jeszcze mniej atrakcyjnym dla podmiotów prowadzących badania kliniczne.
- **Eliminacja oczywistych barier.** Podjęcie działań ukierunkowanych na zniesienie barier w obszarze badań klinicznych wraz z rozpoczęciem stosowania rozporządzenia nr 536/2014 może sprawić, że Polska stanie się krajem o warunkach porównywalnych do innych krajów UE.
- **Aktywna promocja Polski jako kraju przyjaznego badaniom klinicznym.** Dopiero likwidacja barier administracyjnych, zmiana polskich regulacji w kierunku maksymalnego wykorzystania potencjału rozporządzenia nr 536/2014 oraz podjęcie dodatkowych działań mających na celu zwiększenie atrakcyjności obszaru badań klinicznych w Polsce mogą doprowadzić do sytuacji, w której Polska osiągnie najszybszy wzrost w regionie i umocni swoją pozycję największego rynku badań klinicznych Europy Środkowo-Wschodniej.

Realizacja optymistycznych prognoz zależy od wielu czynników. Do najważniejszych z nich należy położenie nacisku na zmiany w zakresie regulacji prawnych, praktyk urzędniczych i świadomości społecznej. Zmiany o kluczowym charakterze powinny obejmować w szczególności:

- wyłączenie z procesu rejestracji badania klinicznego obowiązku przedłożenia do oceny umów z badaczami i/lub ośrodkami badawczymi – ta kosmetyczna zmiana znacznie przyczyni się do skrócenia czasu potrzebnego na rozpoczęcie badania klinicznego, dzięki czemu Polska stanie się bardziej atrakcyjnym miejscem do prowadzenia tego rodzaju działalności;
- zapewnienie pacjentowi dostępu do leku po zakończeniu badania klinicznego, co oznacza możliwość kontynuacji skutecznej terapii;
- wprowadzenie procedury *compassionate use* – polegającej na dopuszczeniu wybranych kategorii leków do indywidualnego stosowania w odniesieniu do pacjentów znajdujących się w szczególnie ciężkiej sytuacji chorobowej i takich, którzy nie mogą być pomyślnie leczeni przez dopuszczony produkt leczniczy;
- ustalenie jasnych zasad udzielania uczestnikom badań klinicznych rekompensat i gratyfikacji, wprowadzenie możliwości dokonywania gratyfikacji za uczestnictwo w badaniu dla chorych i zdrowych pacjentów, którzy nie odnoszą korzyści terapeutycznej (badania I fazy, badania biorównoważności);
- ułatwienie pacjentowi dostępu do wiedzy na temat innowacyjnych terapii i zasad prowadzenia badań klinicznych poprzez stworzenie publicznej, niezależnej platformy informacyjnej na temat prowadzonych w Polsce badań klinicznych – takie rozwiązanie mogłoby stanowić narzędzie do wstępnego kwalifikowania pacjentów do poszczególnych programów – obecnie takie rozwiązanie nie jest możliwe;
- usprawnienie funkcjonowania systemu oceny etycznej poprzez utworzenie sprawnie działającej struktury komisji bioetycznych, co umożliwi wydawanie opinii o badaniu klinicznym w terminach określonych rozporządzeniem nr 536/2014;
- zapewnienie pacjentowi realnej możliwości uzyskania odszkodowania za szkody poniesione w związku z przeprowadzonym badaniem poprzez wprowadzenie odpowiedzialności sponsora na zasadzie winy i ryzyka oraz utworzenie specjalnego funduszu ubezpieczeniowego – w obecnym stanie prawnym dochodzenie odszkodowania za szkody wyrządzone w związku z prowadzonym badaniem klinicznym wiąże się z wieloma trudnościami;
- zwiększenie przejrzystości zasad podziału obowiązków sponsora i płatnika publicznego w zakresie finansowania świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych w związku z prowadzonym badaniem klinicznym – w obecnym stanie prawnym wszelkie niejasności doprowadzają do sytuacji, w której ciężar finansowania świadczeń zdrowotnych gwarantowanych ze środków publicznych jest przerzucany z płatnika publicznego na sponsora;
- wspieranie badań niekomercyjnych poprzez redukcję obciążeń finansowych związanych z ich rozpoczęciem (kwestia opłat urzędowych oraz ubezpieczenia), a także zapewnienie wsparcia merytorycznego w zakresie organizacji tego rodzaju działalności;
- wprowadzenie rozwiązań prawno-podatkowych i inwestycyjnych, które zachęcą sponsorów do prowadzenia badań klinicznych w Polsce – za przykładem innych krajów mogą to być ulgi podatkowe na działalność badawczo-rozwojową czy programy grantowe.

Słownik pojęć i skrótów

Skrót	Definicja
CARG	Średnia roczna stopa wzrostu (<i>Compound Annual Growth Rate</i>)
CEE	Europa Środkowo-Wschodnia (<i>Central and Eastern Europe</i>), w tym raporcie region ten obejmuje: Polskę, Czechy, Słowację, Węgry, Estonię, Litwę i Łotwę
CIT	Podatek dochodowy od osób prawnych (<i>Corporate Income Tax</i>)
CRA	Monitor badań klinicznych (<i>Clinical Research Associate</i>)
CRO	Wyspecjalizowana firma usługowa nadzorująca proces prowadzenia badań klinicznych na zlecenie firmy farmaceutycznej (<i>Contract Research Organization</i>)
DiA	Dane-i-Analizy.pl Sp. z o.o.
Dyrektywa 2001/20	Dyrektywa 2001/20/WE Parlamentu Europejskiego i Rady UE z dnia 4 kwietnia 2001 roku w sprawie zbliżenia przepisów ustawowych, wykonawczych i administracyjnych Państw Członkowskich, odnoszących się do wdrożenia zasady dobrej praktyki klinicznej w prowadzeniu badań klinicznych produktów leczniczych, przeznaczonych do stosowania przez człowieka (Dz.U.U.E.L.2001.121.34)
Dyrektywa 2005/28	Dyrektywa Komisji Europejskiej 2005/28/WE z dnia 8 kwietnia 2005 r. ustalająca zasady oraz szczegółowe wytyczne dobrej praktyki klinicznej w odniesieniu do badanych produktów leczniczych przeznaczonych do stosowania u ludzi, a także wymogi zatwierdzania produkcji oraz przywozu takich produktów (Tekst mający znaczenie dla EOG) (Dz.U.U.E.L.2005.91.13)
EUPATI	Platforma Akademii Pacjentów (<i>European Patients' Academy on Therapeutic Innovation</i>)
GCP	Dobra Praktyka Kliniczna (<i>Good Clinical Practice</i>)
GUS	Główny Urząd Statystyczny
HMA	Szefowie Agencji Leków (<i>Heads of Medicines Agencies</i>)
ICH	Międzynarodowa Konferencja na rzecz Harmonizacji (<i>International Conference on Harmonization</i>)
INFARMA	Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA
MHRA	Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych i Wyrobów Medycznych w Wielkiej Brytanii (<i>Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency</i>)
mld	miliardy
mln	miliony

Słownik pojęć i skrótów

Skrót	Definicja
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NCBiR	Narodowe Centrum Badań i Rozwoju
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NIHR	Instytucja państwowa wspierająca rozwój badań klinicznych w Wielkiej Brytanii (<i>National Institute for Health Research</i>)
PET	Pozytonowa tomografia emisyjna
PIT	Podatek dochodowy od osób fizycznych (<i>Personal Income Tax</i>)
PLN	Polski nowy złoty
Prawo farmaceutyczne	Ustawa z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2008 r. nr 45, poz. 271 z późn. zm.)
PwC	PricewaterhouseCoopers Sp. z o.o.
Rozporządzenie nr 536/2014	Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady UE nr 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r. w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylecia dyrektywy 2001/20/WE (Dz.U.UE.L.2014.158.1)
SUSAR	Niespodziewane ciężkie niepożądane działanie produktu leczniczego (<i>Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction</i>)
tys.	tysiące
UE, Unia Europejska	Unia Europejska – gospodarczo-polityczny związek demokratycznych państw europejskich
UE-15	Kraje „piętnastki”, wszystkie kraje należące do UE przed majem 2004
URPL	Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych
VAT	Podatek od towarów i usług (<i>Value Added Tax</i>)
VHP	Dobrowolna procedura wspólnej oceny dokumentacji badań klinicznych produk- tów leczniczych (<i>Voluntary Harmonisation Procedure</i>)
ZOZ	Zakład Opieki Zdrowotnej



Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA

reprezentuje 28 wiodących firm sektora farmaceutycznego, prowadzących działalność badawczo-rozwojową i produkujących leki innowacyjne. INFARMA jest członkiem międzynarodowej organizacji zrzeszającej innowacyjną branżę farmaceutyczną – Europejskiej Federacji Przemysłu i Stowarzyszeń Farmaceutycznych (EFPIA), a także Pracodawców RP oraz Krajowej Izby Gospodarczej.



Stowarzyszenie Na Rzecz Dobrej Praktyki Badań klinicznych w Polsce (GCPpl)

powstało w 1997 roku. Od początku działania misją GCPpl było tworzenie i wspieranie inicjatyw sprzyjających wprowadzaniu w życie zasad etycznego i rzetelnego prowadzenia badań klinicznych. Stowarzyszenie odgrywa istotną rolę w środowisku badań klinicznych w Polsce. Prowadzi działalność edukacyjno-szkoleniową, tworzy i propaguje standardy, bierze udział w konsultacjach społecznych dotyczących nowych regulacji prawnych oraz wspiera pozytywny wizerunek badań klinicznych w oczach opinii publicznej. Dzięki społecznej pracy swoich członków GCPpl skutecznie integruje działania całego środowiska i działa na rzecz rozwoju badań klinicznych w Polsce.



Polski Związek Pracodawców Firm Prowadzących Badania Kliniczne na Zlecenie (POLCRO)

powstał we wrześniu 2012 roku. Powołanie Związku było podyktowane potrzebą stworzenia spójnej, a zwłaszcza umocowanej prawnie, reprezentacji interesów branży badań klinicznych w Polsce. Obecnie status członkowski ma 15 firm typu CRO (*Clinical Research Organizations*). W ramach POLCRO działają 3 grupy robocze – legislacyjna, szkoleniowa oraz jakości i standardów, w skład których wchodzi pracownicy firm członkowskich oraz niezależni doradcy współpracujący ze Związkiem.



PwC

jest globalną organizacją, działającą na świecie od ponad 150 lat, a w Polsce od 1990 roku. Korzystając z wiedzy i kwalifikacji ponad 208 tysięcy pracowników w 157 krajach, świadczy profesjonalne usługi w zakresie audytu, doradztwa biznesowego, podatkowego i prawnego. W Polsce PwC zatrudnia zespół ponad 2 tysięcy specjalistów i kadry wspierającej w siedmiu miastach: w Gdańsku, Katowicach, Krakowie, Łodzi, Poznaniu, Wrocławiu i Warszawie. Oferta firmy jest kierowana do podmiotów działających we wszystkich sektorach gospodarki – zarówno do największych koncernów, jak i lokalnych przedsiębiorstw rodzinnych.

