

Listopad 2010

# Badania kliniczne w Polsce – Główne wyzwania



## Spis Treści

|                                                              |    |
|--------------------------------------------------------------|----|
| 1. Streszczenie                                              | 1  |
| 2. Wprowadzenie: Globalna perspektywa                        | 7  |
| 3. Badania kliniczne w Polsce:<br>Charakterystyka rynku      | 25 |
| 4. Korzyści i zagrożenia związane<br>z badaniami klinicznymi | 42 |
| 5. Główne bariery dla rozwoju rynku                          | 55 |
| 6. Wnioski                                                   | 71 |

## Załączniki

|                            |    |
|----------------------------|----|
| 1. Słownik pojęć i skrótów | 83 |
| 2. Zespół PwC              | 86 |

# Rozdział 1

## Streszczenie



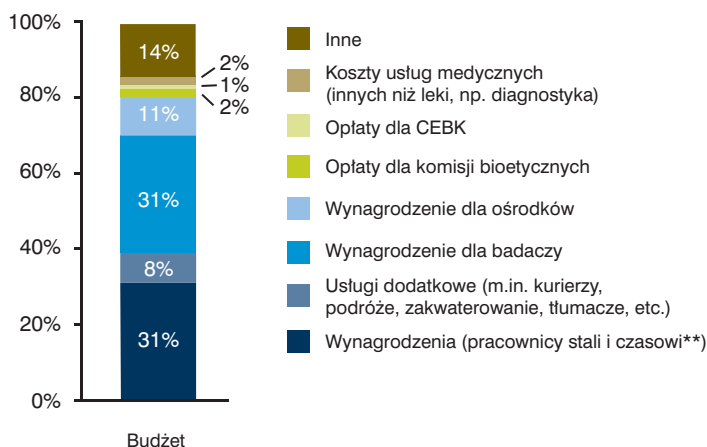
**Kluczowe konkluzje**

- *Badania kliniczne są niezbędne do oceny skuteczności i bezpieczeństwa nowych leków.*
- *Ze względu na zmiany zachodzące w przemyśle farmaceutycznym (np. spodziewane zmniejszenie wydatków na R&D spowodowane między innymi wygaśnięciem ochrony patentowej kluczowych leków i ogólny trend zmierzający do skrócenia czasu pracy nad nowymi lekami), sponsorzy dążą do poprawy efektywności (również kosztowej) oraz wydajności poprzez outsourcing badań klinicznych do wyspecjalizowanych firm usługowych tzw. Contract Research Organizations (CRO), jak również prowadzenie badań na nowych rynkach, np. w krajach Europy Środkowo-Wschodniej.*
- *Polska pozostaje największym rynkiem badań klinicznych w regionie, ale zarówno liczba pacjentów biorących udział w badaniach, jak i liczba ośrodków, w których badania są prowadzone wskazują na istniejący potencjał do dalszego wzrostu.*
- *Szacujemy, że rynek badań klinicznych w Polsce wart jest około 860 mln PLN.*
- *Badania kliniczne wnoszą szereg pozytywnych impulsów, z których korzysta polska gospodarka oraz społeczeństwo. Dotyczy to zarówno korzyści materialnych jak i niematerialnych:*
  - *Zapewnienie pacjentom dostępu do nowoczesnych metod leczenia, wykraczających ponad standardową opiekę medyczną;*
  - *Rozwój kapitału ludzkiego, dostęp do globalnego know-how i większe możliwości rozwoju zawodowego personelu medycznego;*
  - *Dopływ kapitału do polskiej gospodarki: z kwoty 860 mln PLN zdecydowana większość to napływ środków pieniężnych spoza Polski; równocześnie poprzez różnego rodzaju podatki płacone przez sponsorów, firmy CRO, opłaty wnoszone do Centralnej Ewidencji Badań Klinicznych i komisji bioetycznych, wpływy budżetowe wynoszą ok. 240 mln PLN; pamiętać należy także o oszczędnościach kosztów alternatywnych, które są odczuwalne z punktu widzenia publicznych wydatków na ochronę zdrowia.*
- *Zainicjowanie szeregu zmian powinno przyspieszyć rozwój rynku i zmaksymalizować potencjalne korzyści dla gospodarki, o których piszemy wyżej:*
  - *Samo przyspieszenie procedur administracyjnych może zwiększyć liczbę badań klinicznych o 20%-30%;*
  - *Poprawa transparentności, zwłaszcza w zakresie podziału kompetencji między organami regulacyjnymi (np. Centralna Ewidencja Badań Klinicznych i komisje bioetyczne), ale również w odniesieniu do współpracy pomiędzy sponsorem, badaczami oraz ośrodkami;*
  - *Działania administracyjne mające na celu ułatwienie współpracy pomiędzy sponsorami a ośrodkami.*

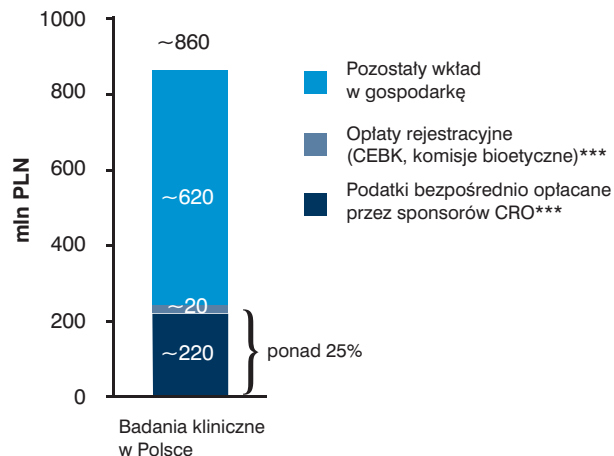


- Badania kliniczne są niezbędne do oceny skuteczności i bezpieczeństwa nowo opracowywanych leków. Jako kluczowy element w procesie tworzenia nowych leków, badania kliniczne są coraz częściej ważnym tematem w dyskusji publicznej.
  - Globalny rynek badań klinicznych wart jest ok. 50-80 mld USD (w zależności od źródeł). W 2009 roku na całym świecie zarejestrowano ponad 17 tysięcy nowych badań klinicznych.
- Ze względu na zmiany zachodzące w przemyśle farmaceutycznym (np. spodziewane zmniejszenie wydatków na R&D spowodowane między innymi wygaśnięciem ochrony patentowej kluczowych leków oraz ogólny trend zmierzający do skrócenia czasu pracy nad nowymi lekami), sponsorzy dążą do poprawy efektywności (również kosztowej) oraz wydajności poprzez outsourcing badań klinicznych do wyspecjalizowanych firm usługowych tzw. Contract Research Organization (CRO\*, Organizacja prowadząca badania kliniczne na zlecenia) jak również prowadzenie badań na nowych rynkach, np. w krajach Europy Środkowo-Wschodniej.
- Polska pozostaje największym rynkiem badań klinicznych w regionie, jednak zarówno liczba pacjentów biorących udział w badaniach jak i liczba ośrodków, w których badania są prowadzone wskazują ciągle na istotny potencjał wzrostowy. Szacujemy, że rynek badań klinicznych w Polsce wart jest obecnie około 860 mln PLN. W 2009 roku w Polsce zarejestrowano 469 nowych badań klinicznych co stanowi ok. 2,5%-3% wszystkich nowych badań zarejestrowanych na świecie. Najwięcej badań klinicznych nadal jest prowadzonych w Stanach Zjednoczonych i Europie Zachodniej.
- Badania kliniczne niosą szereg pozytywnych efektów, z których korzysta polska gospodarka i społeczeństwo. Dotyczy to zarówno korzyści wymiernych jak i niewymiernych:
  - Istotne wpływy do polskiej gospodarki, m.in. poprzez różnego rodzaju podatki płacone przez sponsorów, firmy CRO, oraz opłaty rejestracyjne wnoszone do Centralnej Ewidencji Badań Klinicznych (CEBK) i komisji bioetycznych;
    - > Szacujemy, że w związku z prowadzonymi badaniami klinicznymi bezpośrednie wpływy do budżetu państwa wynoszą około 240 mln PLN rocznie. Kwota ta nie obejmuje jednak podatków płaconych przez osoby i firmy świadczące usługi na rzecz sponsorów i firm CRO (wliczając w to badaczy) oraz podatków będących efektem zwiększonej sprzedaży dóbr konsumpcyjnych i usług.
    - > Również do szpitali i innych ośrodków, gdzie wykonywane są badania, trafia ponad 10% z kwoty stanowiącej całkowitą wartość rynku (czyli ok. 85 mln PLN). Należy pamiętać, że w badania kliniczne zaangażowane są również inne podmioty, takie jak laboratoria, tłumacze, firmy kurierskie oraz wielu innych dostawców usług, które korzystają na rozwoju badań klinicznych w Polsce.

#### Szacowany podział nakładów na badania kliniczne



#### Rynek badań klinicznych w Polsce (2009)



\*W dalszym tekście termin CRO używany jest w rozumieniu organizacji prowadzącej badania kliniczne na zlecenia

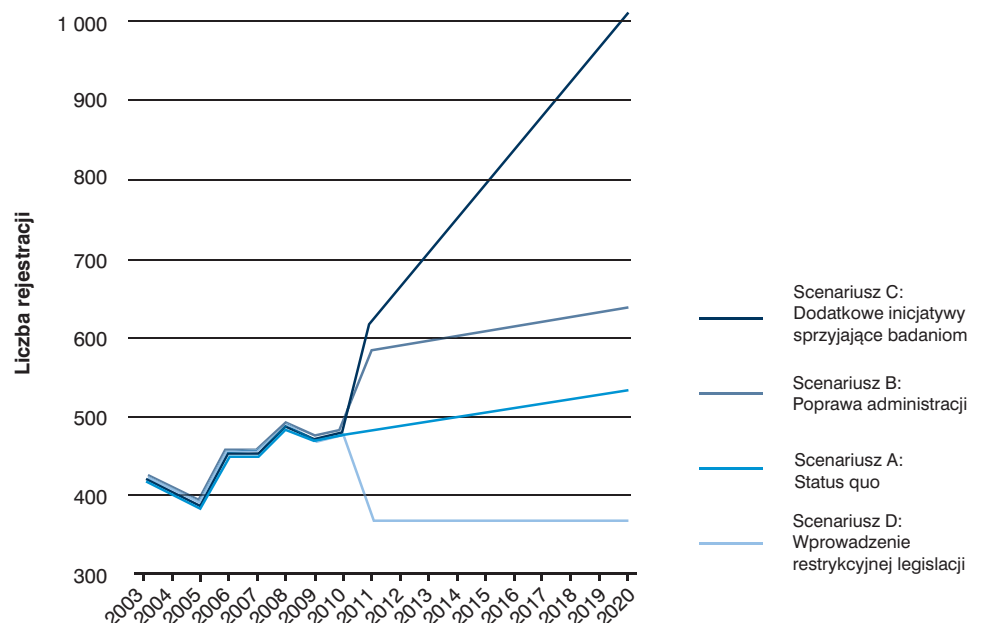
\*\*Dotyczy również pracowników zewnętrznych (tzw. "in-sourcing")

\*\*\*Przepływ środków pieniężnych do budżetu państwa

Źródło: Analiza PwC

- W efekcie prowadzonych badań klinicznych Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ) oszczędza istotne kwoty. Leczenie wielu pacjentów, którzy uczestniczą w badaniach jest współfinansowane przez sponsorów;
  - > Tylko w przypadku onkologii, która stanowi około 1/3 wszystkich wykonywanych badań, oszczędności NFZ w 2009 roku mogły wynieść nawet 130 mln PLN.
  - > Trzeba zwrócić jednak uwagę na fakt, że całkowita wartość świadczeń sfinansowanych przez sponsorów w odniesieniu do onkologii mogła wynieść nawet 0,5 mld PLN (ze względu na ponadstandardowy poziom prowadzonego leczenia). Wydaje się to być bardzo istotną kwotą dodatkowych wydatków na opiekę medyczną w porównaniu do całości wydatków NFZ w tym obszarze (3,4 mld PLN w 2009 roku).
- Badania umożliwiają dostęp do nowoczesnych metod leczenia dla pacjentów, w połączeniu z lepszymi standardami opieki medycznej;
- Badania to również rozwój kapitału ludzkiego, dostęp do globalnego know-how i większe możliwości rozwoju zawodowego personelu medycznego. Wydaje się to być kluczowym zagadnieniem, mając na uwadze odpływ kadr ochrony zdrowia za granicę i związanym z tym obserwowanym obecnie niedoborem lekarzy i innych pracowników medycznych w Polsce.
- Wydaje się, że w wypadku zniwelowania szeregu istniejących barier, rynek badań klinicznych ma istotny potencjał do jeszcze większego wzrostu. Uwolnienie tego potencjału z pewnością będzie miało pozytywny wpływ na gospodarkę.

#### Badania kliniczne w Polsce – możliwe kierunki rozwoju



Nota: Analiza PwC oparta o historyczne dane CEBK i EMA  
 Źródło: Analiza PwC

- W niniejszym raporcie rozpatrujemy cztery scenariusze, na przykładzie których prezentujemy skalę potencjału do rozwoju badań klinicznych w Polsce:
  - Jeżeli urzeczywistniłby się scenariusz C, czyli poprawiłoby się otoczenie administracyjne, jak również wprowadzono by szereg inicjatyw wspierających wzrost liczby badań klinicznych, wpływy do budżetu państwa w ciągu najbliższych pięciu lat mogłyby wzrosnąć o 2/3, czyli o 160 mln PLN rocznie, osiągając poziom ok. 400 mln PLN rocznie;
  - > W przypadku tylko samego usprawnienia otoczenia administracyjnego (scenariusz B), głównie poprzez poprawę procedur administracyjnych (obejmujących między innymi skrócenie okresu rejestracji) liczba badań klinicznych powinna wzrosnąć o 20%-30% i tym samym powiększyć wpływy do budżetu o 45-65 mln PLN rocznie.
  - > Warto nadmienić, że całkowity budżet URPLW MiPB w 2008 roku wynosił 52,5 mln PLN, a jego wpływy do budżetu w tym samym roku dzięki opłatom związanym z rejestracją leków i badań klinicznych wyniosły 108 mln PLN.
  - Z drugiej strony, wprowadzenie regulacji prawnych zbyt restrykcyjnych dla prowadzenia badań klinicznych (scenariusz D) może prowadzić do znacznego spadku wielkości rynku. Przykładowo spadek liczby badań klinicznych o 30%, który odpowiada ok. 200 mln PLN wielkości rynku, spowoduje redukcję wpływów do budżetu państwa o 55 mln PLN rocznie.
- W tym kontekście, aby gospodarka jak i społeczeństwo mogło zmaksymalizować korzyści płynące z badań klinicznych prowadzonych w Polsce, należałoby przedsięwziąć szereg niezbędnych inicjatyw. Obejmowałyby one głównie:
  - Wprowadzenie bardziej sprzyjającego otoczenia regulacyjnego. W tym celu należałoby m.in. poprawić tempo/przejrzystość procedur administracyjnych;
  - Poprawa transparentności, zwłaszcza w zakresie podziału kompetencji między organami regulacyjnymi (np. CEBK i komisje bioetyczne);
  - Należy również zadbać o poprawę przejrzystości we współpracy pomiędzy sponsorami/firmami CRO a badaczami i ośrodkami. Wydaje się, że wprowadzenie umowy trójstronnej jest tutaj dobrym pomysłem;
  - Doprecyzowanie procedur administracyjnych w celu poprawy bieżącej współpracy pomiędzy sponsorami oraz innymi zaangażowanymi stronami. Wprowadzenie wyższych standardów w ośrodkach, jeśli chodzi o zarządzanie badaniami klinicznymi i współpracę ze sponsorami. Wprowadzenie dedykowanych jednostek odpowiedzialnych za sprawy z tym związane, co zrobiły już niektóre szpitale, powinno istotnie poprawić jakość współpracy oraz przejrzystość całego procesu;
  - Ogólnie, obszar badań klinicznych w Polsce wymaga racjonalizacji procedur i otoczenia prawnego. Racjonalizacja ta nie powinna jednak prowadzić do nadmiernego i niepotrzebnego generowania przepisów i ograniczeń, które mogą znacząco ograniczyć skalę opisywanych korzyści. Działania te powinny być podjęte przy udziale wszystkich zainteresowanych stron i być wynikiem dyskusji pomiędzy nimi.

*W naszym badaniu wzięło udział około 80 firm z sektora farmaceutycznego i firm CRO. Ponadto przeprowadziliśmy ponad 30 wywiadów z przedstawicielami wszystkich stron zaangażowanych w badania kliniczne w Polsce*

## Podziękowania i Metodologia

### Podziękowania

- Chcielibyśmy podziękować przedstawicielom wszystkich stron, zaangażowanym w badania kliniczne, którzy poświęcili swój czas na udział w naszym projekcie. W szczególności, podziękowania należą się firmom, które aktywnie wzięły udział w naszym badaniu i poprzez kwestionariusz dostarczyły danych, bez których przeprowadzenie wielu analiz zawartych w tym raporcie byłoby znacznie utrudnione, albo wręcz niemożliwe.
- Pragniemy również wyrazić naszą wdzięczność wobec osób z różnych zespołów PricewaterhouseCoopers, które miały swój wkład w powstanie tego raportu.

### Metodologia

- Analizy zawarte w tym raporcie opierają się na trzech kluczowych źródłach danych:
  - Kwestionariusz PwC: kwestionariusz wysłaliśmy do około 80 firm zaangażowanych w rynek badań klinicznych w Polsce, otrzymaliśmy reprezentatywną próbkę odpowiedzi, na bazie której powstały wybrane analizy;
  - Wywiady PwC: przeprowadziliśmy wywiady z ponad 30 osobami związanymi w różny sposób z badaniami klinicznymi, pamiętając o uwzględnieniu opinii wszystkich stron. Rozmawialiśmy ze sponsorami (firmy farmaceutyczne oraz przedstawiciele ośrodków akademickich), firmami CRO, przedstawicielami ośrodków, badaczami, przedstawicielami odpowiednich władz państwowych (w tym z Urzędem Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych; Centralną Ewidencją Badań Klinicznych, jak i komisjami bioetycznymi), jak również wreszcie organizacjami pacjentów;
  - Publicznie dostępne dane ze źródeł zewnętrznych: wykorzystaliśmy najbardziej istotne dane ze źródeł, do których PricewaterhouseCoopers ma odpowiednie prawa.
- Wykorzystaliśmy wielokrotnie zweryfikowane metody PricewaterhouseCoopers, aby przeprowadzić odpowiednie modelowanie wielkości rynku i pozostałych szacunków na potrzeby tego raportu.



# Rozdział 2

## Wprowadzenie: Globalna perspektywa



**Wprowadzenie: Globalna perspektywa**

- *Badania kliniczne są niezbędne do oceny skuteczności i bezpieczeństwa nowych leków. Proces ten ewoluuje i staje się coraz bardziej zintensyfikowany. Coraz większy nacisk kładzie się na pracę nad rozwojem samej cząsteczki zanim rozpocznie się prowadzenie badań klinicznych.*
- *Sponsorzy badań dążą do poprawy ich efektywności (również kosztowej) oraz wydajności poprzez outsourcing badań klinicznych do wyspecjalizowanych firm CRO, jak również prowadzenie badań na nowych rynkach, np. w krajach Europy Środkowo-Wschodniej.*
- *Polska zajmuje dziesiątą pozycję na świecie i pierwszą wśród rynków wschodzących pod względem liczby prowadzonych badań klinicznych. Struktura polskiego rynku różni się od globalnego z punktu widzenia współczesnych trendów – np. firmy CRO obsługują większość badań (70% pod względem ilości i 53% pod względem ich wartości).*

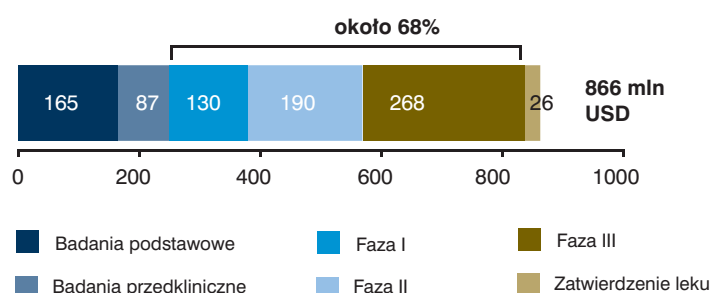
## Czym są badania kliniczne?

### Droga leku na rynek

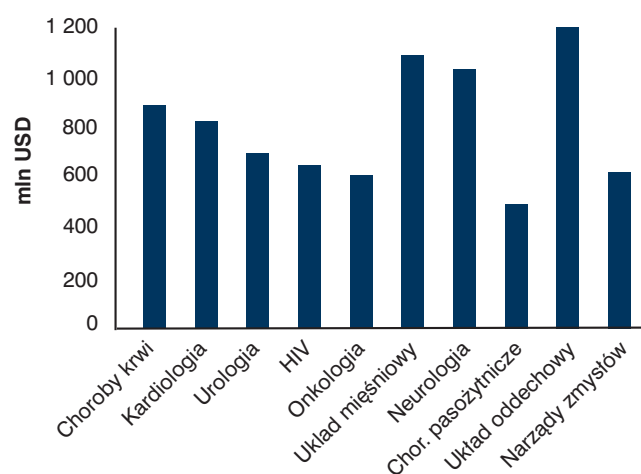
- Głównym celem prowadzenia badań klinicznych jest ocena, czy lek, który trafia na rynek do pacjentów jest bezpieczny i skuteczny.
- Ze względu na swój długofalowy i kosztowny charakter, badania kliniczne stanowią bardzo ważny element procesu rozwijania nowego leku – około dwóch trzecich (tj. ok. 590 mln USD) przeciętnego kosztu pracy nad cząsteczką wydawane jest właśnie na badania kliniczne.
- Firma farmaceutyczna (sponsor) ma prawo do wyłącznej sprzedaży leku w określonym czasie od jego zarejestrowania. Okres ochrony patentowej wynosi zwykle 10-15 lat.
- Po wygaśnięciu ochrony patentowej na rynek mogą być wprowadzone leki generyczne.

*Badania kliniczne są niezbędne do oceny skuteczności i bezpieczeństwa nowego leku. Stanowią największą składową kosztów pracy nad nowym lekiem*

### Średni koszt wprowadzenia cząsteczki na rynek



### Średni koszt wprowadzenia leku (wg dziedzin medycyny)



*Koszt pracy nad cząsteczką wynosi średnio 866 mln USD i różni się istotnie pomiędzy obszarami terapeutycznymi*

Źródło: Federal Trade Commission, Analiza PwC

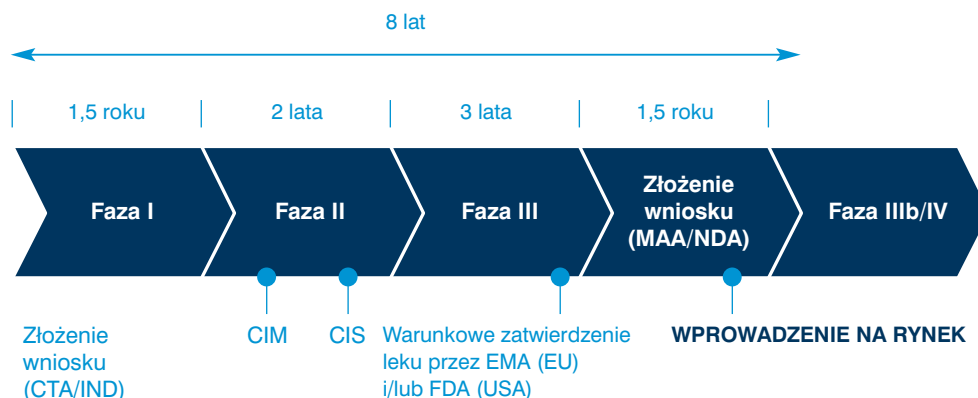
*Warunkiem do wprowadzenia leku na rynek jest zakończenie z sukcesem III fazy badań klinicznych*

*Udostępnienie pacjentom nowoczesnego leku w dotychczasowym modelu prowadzenia badań, z jednej strony uwarunkowane jest zagwarantowaniem bezpieczeństwa, z drugiej zaś powoduje upływ czasu (około 8 lat), co ma istotne przełożenie na koszty*

### Proces prowadzenia badań klinicznych

- Typowy proces obejmuje trzy, a nawet cztery fazy badań klinicznych. W przypadku kiedy rezultaty prac przed-klinicznych okażą się obiecujące, sponsor (zazwyczaj firma farmaceutyczna) prowadzi szereg badań klinicznych zgodnie ze standardami dobrej praktyki klinicznej (GCP).
  - **Faza I:** Wstępne badania nad bezpieczeństwem leku i jego właściwościami farmakologicznymi (między innymi dotyczącymi wchłaniania, metabolizmu, wydalania). Na tym etapie bierze udział zazwyczaj niewielka grupa zdrowych uczestników (średnio 50-100).
  - **Faza II:** Bardziej dokładne testowanie leku odnośnie określenia jego dawki terapeutycznej z jednoczesnym monitorowaniem bezpieczeństwa i skuteczności. W tej fazie przede wszystkim prowadzone są badania porównawcze (stosowanie nowej substancji w porównaniu do standardowego leczenia i placebo). Dwa ważne etapy tej fazy to potwierdzenie efektywności leku (confidence in mechanism „CIM”) oraz jego bezpieczeństwa (confidence in safety „CIS”). Badania muszą zostać przeprowadzone na większej populacji pacjentów z konkretnym typem dolegliwości (średnio 300-600).
  - **Faza III:** Najdłuższy i najkosztowniejszy etap, w którym skuteczność leku musi być ostatecznie potwierdzona. Selekcja i rekrutacja pacjentów jest podobna do tej z fazy drugiej, jednakże liczba pacjentów może wahać się od kilkuset do nawet kilku tysięcy. Pomyślne zakończenie tej fazy pozwala zarejestrować lek i wprowadzić go na rynek.
  - **Faza IIIb/IV:** Dalsze badania kliniczne po rejestracji leku, w celu potwierdzenia jego efektywności w innych zastosowaniach, jak również potwierdzenie ważności wcześniej prowadzonych badań oraz efektywności długoterminowego stosowania leku.

### Proces przeprowadzania badań klinicznych (obecnie)



CTA Clinical Trial Application (UE) – wniosek o rozpoczęcie badania klinicznego

MAA Marketing Authorisation Application (UE) – wniosek o uzyskanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu

NDA New Drug Application (USA) – nowy lek po III fazie badań klinicznych

CIM Confidence in Mechanism – potwierdzenie efektywności leku

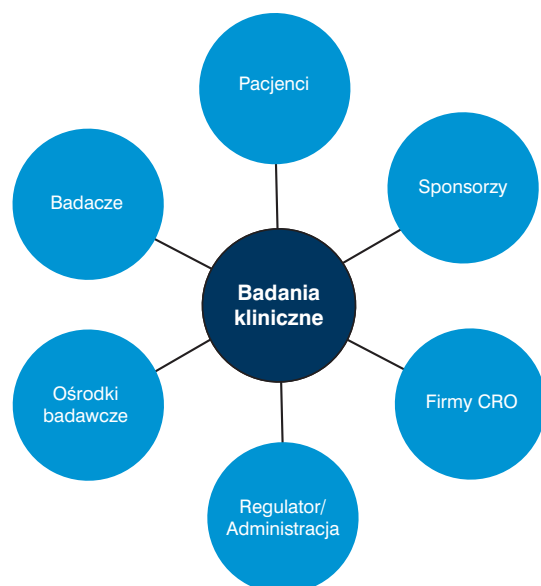
CIS Confidence in Safety – potwierdzenie bezpieczeństwa

IND Investigational New Drug (USA) – badany produkt leczniczy

Źródło: Analiza PwC

## Zaangażowane strony

## Najważniejsze podmioty zaangażowane w badania kliniczne



Źródło: Analiza PwC

- **Sponsorzy:** Sponsorami badań klinicznych najczęściej są firmy farmaceutyczne, jednak niektóre badania finansowane są przez instytucje akademickie i ośrodki badawcze. W pierwszym przypadku, badania kliniczne prowadzone są bezpośrednio przez firmy farmaceutyczne i / lub zlecone niezależnym firmom CRO.
- **CRO (Contract Research Organizations czyli organizacje prowadzące badania kliniczne na zlecenie firm farmaceutycznych):** W przeciwieństwie do firm farmaceutycznych, niezależne wyspecjalizowane firmy CRO są skoncentrowane wyłącznie na organizacji i nadzorowaniu badań klinicznych. Zarówno CRO jak i firmy farmaceutyczne zatrudniają tzw. monitorów (Clinical Research Associate „CRA”) – czyli wykwalifikowany personel odpowiedzialny za monitorowanie procesu i współpracujący bezpośrednio z badaczami.
- **Ośrodki badawcze:** W zależności od charakteru badań i obszaru terapeutycznego, badania kliniczne mogą być prowadzone w warunkach ambulatoryjnych i/lub w szpitalach. Kluczową rolę w tym drugim przypadku pełnią dyrektorzy szpitali.
- **Badacze / Lekarze:** Lekarze mają bezpośredni kontakt z pacjentami, są więc kluczowymi osobami w procesie badań klinicznych. Pracują indywidualnie lub z zespołem asystentów.
- **Pacjenci:** Pacjenci cierpiący na specyficzne dolegliwości dobrowolnie zgadzają się na udział w badaniu klinicznym. Badaniu mogą poddać się zarówno w warunkach ambulatoryjnych jak i szpitalnych.
- **Regulatorzy rynku / Administracja:** Instytucje nadzorujące i komisje bioetyczne opiniują (pozytywnie lub negatywnie) i zatwierdzają/odrzucają rozpoczęcie badania klinicznego. Ich rola to również zapewnienie, że przestrzegane jest prawo oraz wymagania Międzynarodowej Konferencji ds. Harmonizacji (ICH) i Dobrej Praktyki Klinicznej (GCP).

*Jest szereg podmiotów, które mają wpływ na proces badań klinicznych i rozwój nowego leku*

*Badania kliniczne mogą być prowadzone bezpośrednio przez firmy farmaceutyczne i/lub zlecone niezależnym firmom CRO*



*Obecny kształt rynku badań klinicznych jest wypadkową szeregu istotnych zjawisk globalnych...*

*...których wpływ ma wymierne efekty*

## Perspektywa globalna

### Kluczowe czynniki wpływające na rynek

#### Wydatki na badania i rozwój

- Wydatki na badania kliniczne są bezpośrednio związane z budżetami firm farmaceutycznych na badania i rozwój.
- Historycznie, wydatki firm farmaceutycznych i biotechnologicznych na badania i rozwój cechował długoterminowy i stabilny wzrost. Jednakże w ostatnim czasie wielkość tych wydatków spadła.

#### Częstotliwość występowania chorób

- Ze względu na obserwowane trendy związane ze wzrostem zachorowalności na specyficzne choroby istnieje potrzeba poszukiwania nowych metod terapeutycznych, co z kolei wpływa na liczbę prowadzonych badań klinicznych w tych obszarach.
- W tym kontekście, przewiduje się, że największy wzrost liczby badań klinicznych będzie miał miejsce w odniesieniu do kardiologii i onkologii.

#### Wygaśnięcie ochrony patentowej

- W wyniku wygaśnięcia w najbliższych latach ochrony patentowej dla wielu kluczowych leków, ich producenci będą narażeni na spadek przychodów z ich sprzedaży.
- Powoduje to poszukiwanie nowych modeli realizacji badań klinicznych oraz weryfikacji sposobu ich przeprowadzania (np. czy wykonywać badania we własnym zakresie czy zlecić je firmom zewnętrznym).

#### Przyspieszenie prac nad rozwojem nowego leku

- W przyszłości opracowywanie nowych leków ma być procesem bardziej zintensyfikowanym. Większy nacisk będzie kładziony na prace nad cząsteczką w fazie przed-klinicznej.
- Według ekspertów, nieuniknione jest poszukiwanie możliwości obniżenia kosztów badań klinicznych, zwłaszcza w fazie III.

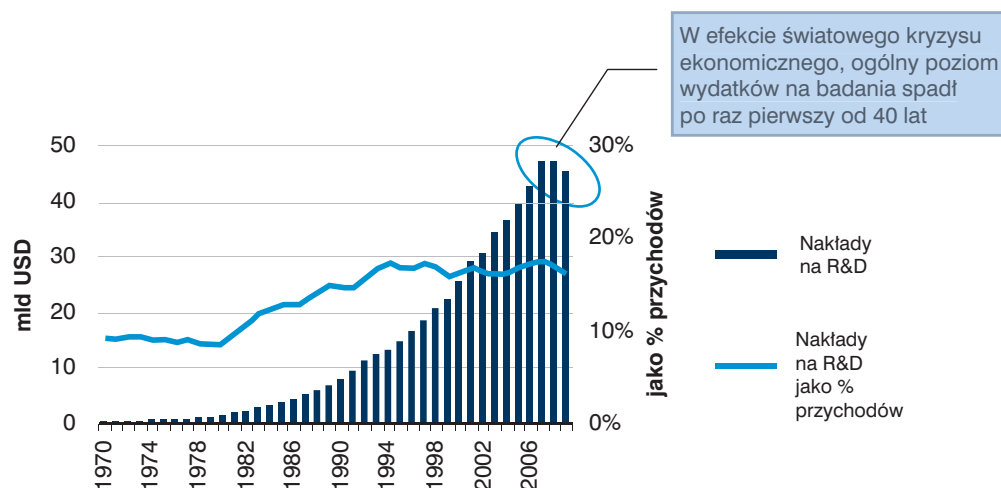
#### Większy nacisk na efektywność procesu

- Sponsorzy dążą do podniesienia skuteczności i wydajności prowadzonych badań, głównie poprzez korzystanie z usług firm CRO i prowadzenie badań na nowych rynkach.
- Obserwuje się proces przenoszenia części badań klinicznych na rynki rozwijające się (kraje CIS\*/Azja), gdzie koszty są niższe, a rekrutacja pacjentów łatwiejsza. Jednak z drugiej strony ważna jest jakość, przewidywalność i zapewnienie określonych standardów. W związku z tym niezmiennie większa część badań prowadzona jest na rynkach rozwiniętych (USA/Europa Zachodnia); również kwestie marketingowe oraz fakt, że są to największe rynki sprzedaży leków innowacyjnych, wpływają na lokalizowanie badań klinicznych na tych rynkach.

\*Kraje CIS – Kraje dawnej Wspólnoty Niepodległych Państw. W dalszej części raportu autorzy posługują się określeniem „kraje CIS”

## Wydatki firm farmaceutycznych na badania i rozwój

## Analiza rozwoju nakładów na R&amp;D



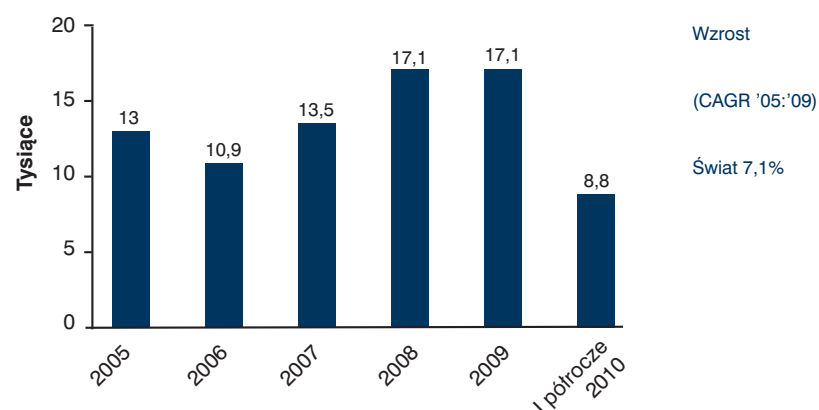
Źródło: FDA/CDER, PhRMA, Analiza PwC

- W zależności od źródła, wartość globalnego rynku badań klinicznych szacuje się na ok. 50-80 mld USD. Pomimo niepewności, co do tempa wzrostu wydatków na badania i rozwój, zwłaszcza wśród dużych firm farmaceutycznych, oczekuje się, że rynek utrzyma pozytywną tendencję wzrostową również w przyszłości.
  - „Biorąc pod uwagę fakt, że zmierzamy w kierunku genetyki opartej na tzw. medycynie spersonalizowanej, badania kliniczne nadal będą kluczowym elementem w procesie pracy nad nowymi lekami.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
  - „Z pewnością światowy rynek będzie rość, pytanie tylko, które kraje przyciągną więcej badań i najwięcej skorzystają na tym trendzie.”  
*CRO, Polska*

Wydatki firm farmaceutycznych na badania i rozwój historycznie wykazywały nieprzerwany wzrost

Globalny rynek badań klinicznych szacowany jest na ok. 50-80 mld USD i stale rośnie. Eksperci oceniają, że trend ten utrzyma się również w przyszłości  
– tempo tego wzrostu jest jednak niepewne

## Liczba zarejestrowanych badań, globalnie

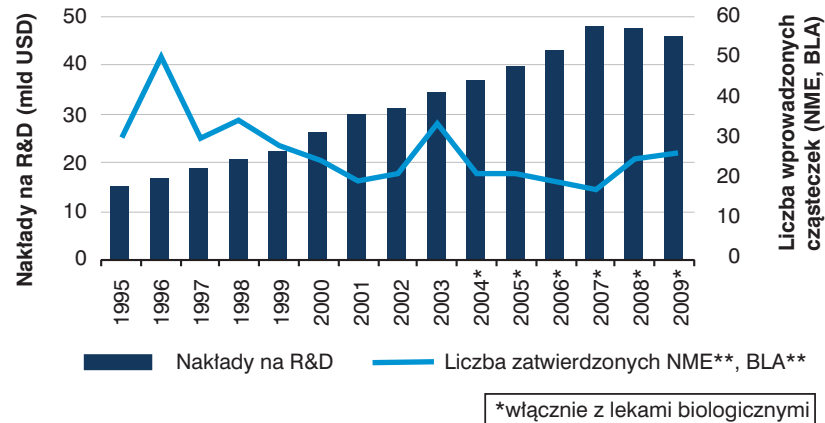


Nota: CAGR – Średnioroczna stopa wzrostu  
Źródło: ClinicalTrials.gov

Wielkość wydatków na badania i rozwój zmniejsza się...

...i ponadto prognozuje się, że wydatki te będą rosły znacznie wolniej niż w przeszłości.

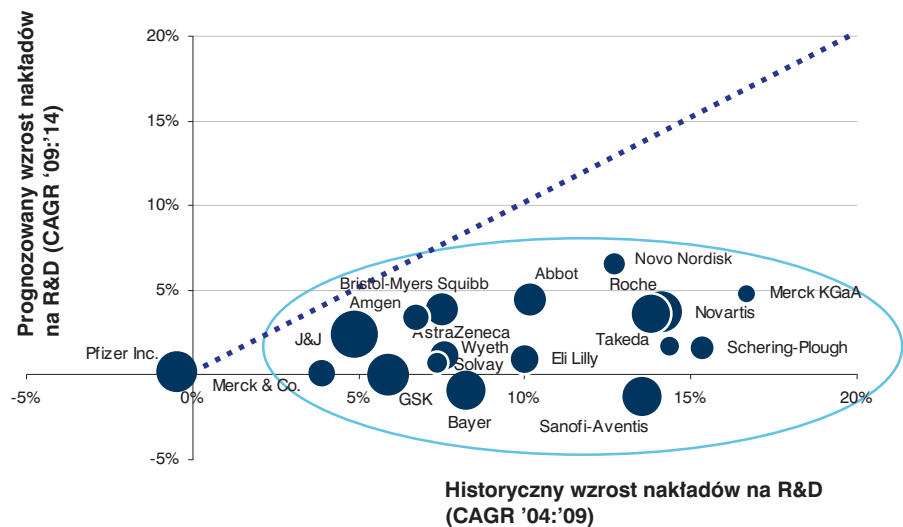
### Produktywność wydatków na R&D w sektorze farmaceutycznym



Nota: \*\*NME (new molecular entity) – zaprojektowana nowa cząsteczka; BLA (biologic license application) – wniosek o wydanie licencji; Nowa lecznicza jednostka, chemiczna lub biologiczna, przepisana przez lekarza. Nie obejmuje szczepionek, antygenów i leków na bazie połączenia znanych cząsteczek, o ile w składzie nie ma przynajmniej jednej nowej substancji czynnej.

Źródło: FDA/CDER, PhRMA, Analiza PwC

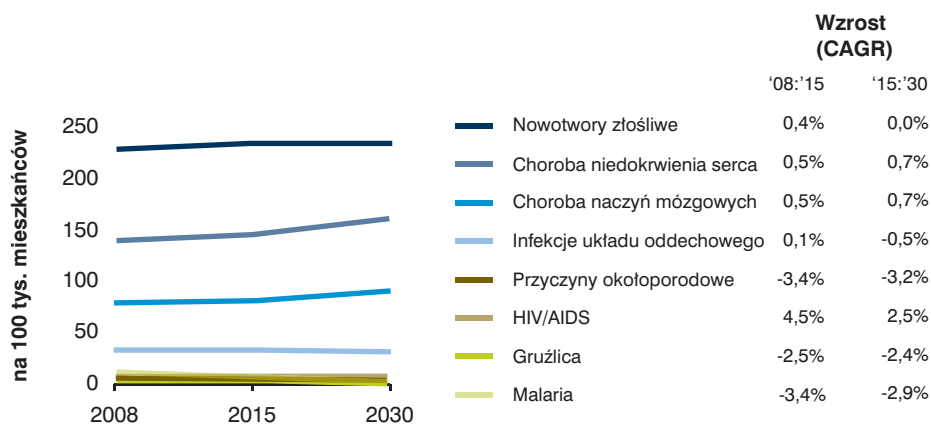
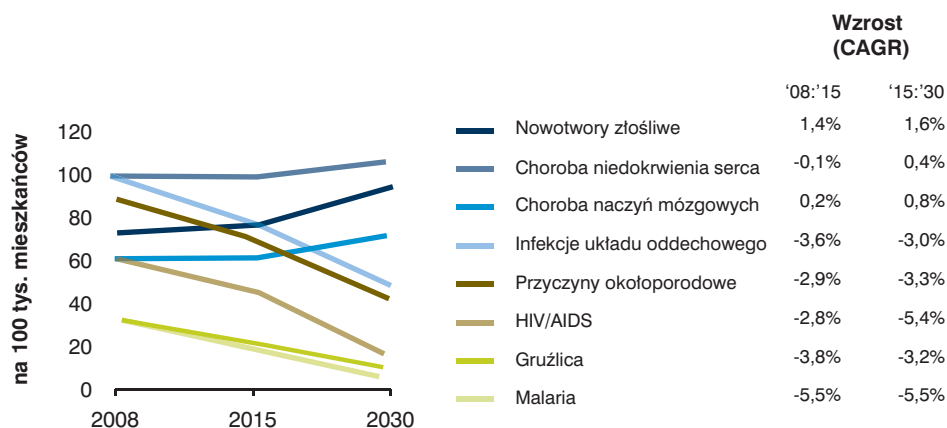
### Największe firmy farmaceutyczne: historyczne i prognozowane wzrosty nakładów na R&D



Nota: Wielkość oznacza wartość wydatków na R&D w 2009 roku; CAGR – Średnioroczna stopa wzrostu  
Źródło: Datamonitor, Analiza PwC

## Częstotliwość występowania specyficznych chorób

- W perspektywie najbliższych 20 lat, Światowa Organizacja Zdrowia (WHO) przewiduje, że w krajach wysoko rozwiniętych, choroby cywilizacyjne, takie jak nowotwory złośliwe i różnego rodzaju schorzenia układu krążenia, pozostaną najczęstszą przyczyną zgonów. Oczekuje się zatem, że popyt na leki w tych obszarach terapeutycznych będzie stale wzrastał.
- Od szeregu lat, w związku z upowszechnieniem się zachodniego modelu życia obserwuje się pewne zmiany w rozkładzie przyczyn śmiertelności w krajach uboższych i stopniowe upodabnianie się ich do przyczyn dominujących w krajach wysoko rozwiniętych.

Kraje o wysokich dochodach,  
prognozowane przyczyny zgonów (na 100 tys. mieszkańców)Kraje o niskich dochodach,  
prognozowane przyczyny zgonów (na 100 tys. mieszkańców)

Nota: CAGR – Średnioroczna stopa wzrostu  
Źródło: WHO

*W krajach rozwiniętych największe wskaźniki śmiertelności wykazują choroby onkologiczne i te związane z układem krążenia. Przewiduje się, że w dłuższej perspektywie trend ten wystąpi również w państwach uboższych*

*Spodziewane tendencje powszechności występowania określonych chorób i przyczyn zgonu, wskazują obszary, gdzie popyt na leki oraz potrzeba badań klinicznych wzrasta*

Szacuje się, że do 2012 roku wiodące firmy farmaceutyczne w wyniku wygaśnięcia ochrony patentowej na swoje kluczowe produkty mogą stracić od 14% do 41% swoich obecnych dochodów

### Wygaśnięcie ochrony patentowej

#### Wygasająca ochrona patentowa wybranych produktów leczniczych

| Firma          |                   | 2010           |                     | 2011                            |                            | 2012                                            | Udział w przychodach (%) |
|----------------|-------------------|----------------|---------------------|---------------------------------|----------------------------|-------------------------------------------------|--------------------------|
| AstraZeneca    | Arimidex          | (2,2 mld USD)* | Seroquel            | (4,7 mld USD)                   | Symbicort                  | (3,7 mld USD)                                   | 38**                     |
| BMS            |                   |                | US Plavix<br>Avapro | (4,8 mld USD)<br>(1,3 mld USD)  | Abilify                    | (2,1 mld USD)                                   | 30                       |
| GSK            | Advair            | (3,8 mld USD)  |                     |                                 | Avandia                    | (2,5 mld USD)                                   | 23                       |
| Eli Lilly      |                   |                | Zyprexa             | (4,8 mld USD)                   |                            |                                                 | 22                       |
| Merck          | Cozaar<br>/Hyzaar | (3,2 mld USD)  |                     |                                 | Singulair                  | (4,5 mld USD)                                   | 22                       |
| Novartis       | Femara            | (1,1 mld USD)  |                     |                                 | Diovan                     | (6 mld USD)                                     | 14                       |
| Pfizer         | Aricept           | (800 mln USD)  | Lipitor<br>Xalatan  | (12,1 mld USD)<br>(1,6 mld USD) | Viagra<br>Detrol<br>Geodon | (1,7 mld USD)<br>(860 mln USD)<br>(1,1 mld USD) | 41                       |
| sanofi-aventis | Taxotere          | (2 mld USD)    | US plavix<br>Avapro | (3,8 mld USD)<br>(2,1 mld USD)  | Lovenox                    | (3,1 mld USD)                                   | 34                       |

Nota: \*Szacowane przychody z globalnej sprzedaży w ciągu 12 miesięcy przed udzieleniem ochrony patentowej;

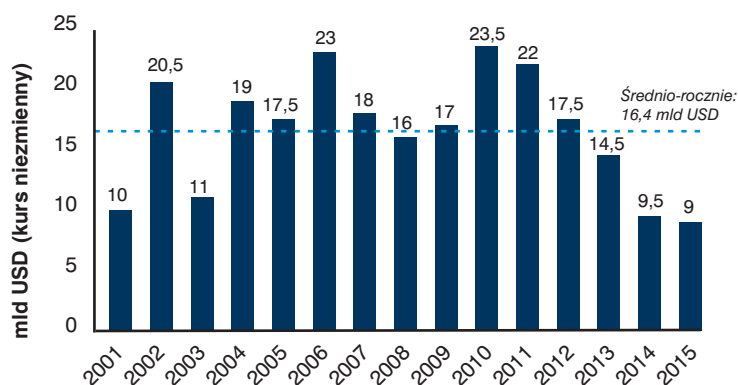
\*\*Wartość produktów tracących ochronę patentową jako % łącznych przychodów firmy za następne pięć lat

Źródło: Analiza PwC, AXA Framlington

- Cięcia kosztów po stronie sponsorów wydają się nieuniknione. W perspektywie czterech-pięciu lat wydatki na badania kliniczne mogą być jednym z obszarów szczególnie dotkniętych przez te oszczędności.
- Z uwagi na postępującą konsolidację w obrębie innowacyjnego rynku farmaceutycznego, mniejsze firmy nastawione na innowację przejmowane są przez większych graczy. W związku z tym, większy nacisk na poprawę efektywności i poszukiwanie synergii może spowodować zmniejszenie wydatków na badania i rozwój.
- Trend ten może być jednak korzystny dla bardziej efektywnych firm CRO (np. tych w Europie Środkowo-Wschodniej), ze względu na fakt, że zlecenie badań na zewnątrz zapewnia większą elastyczność kosztów po stronie sponsorów.

W latach 2010-2015 sprzedaż leków o łącznej wartości 96 mld USD zostanie narażona na konkurencję ze strony leków generycznych

#### Wartość wygasających ochron patentowych 2001-2015

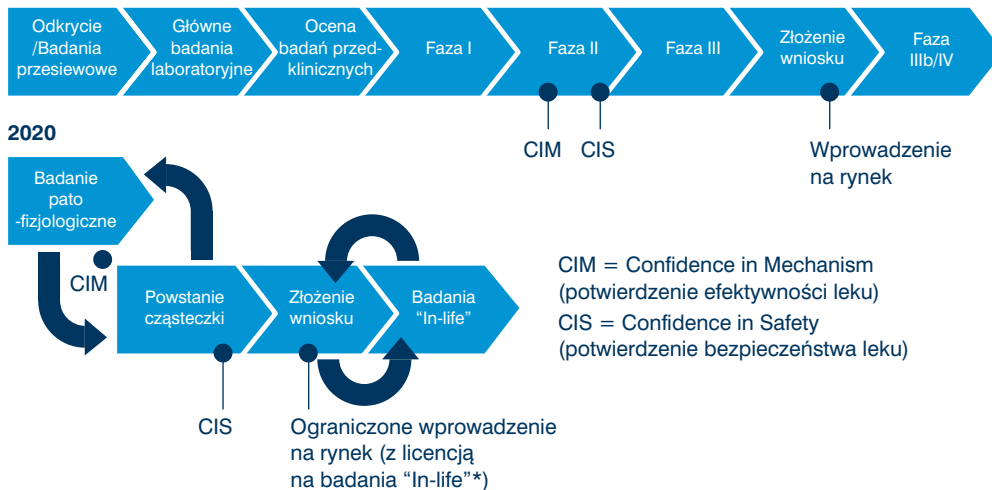


Źródło: IMS Health Midas

### Przyspieszenie prac nad nowymi lekami

#### Proces opracowywania leków – obecnie i w przyszłości

##### Obecnie



Nota: \*Badania "in-life" na wąskiej grupie pacjentów  
Źródło: PwC "Pharma 2020: The Vision" Report

- W dłuższej perspektywie proces opracowywania leków ma być krótszy i mniej kosztowny;
  - „Spodziewamy się skrócenia procesu badań klinicznych, większy nacisk zostanie położony na badania laboratoryjne (badanie cząsteczki), badania kliniczne będą bardziej skupione na określonej grupie pacjentów. Faza III jest bardzo kosztowna i konieczne trzeba obniżyć ten koszt!”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- Twórca leku najpierw zabezpieczy i uruchomi tzw. „in-life testing”, czyli serię małych, ale ściśle ukierunkowanych badań klinicznych. Na podstawie warunkowego zatwierdzenia leku przez agencję regulacyjną, firmie farmaceutycznej wolno będzie go wprowadzić na rynek udostępniając go wstępnie określonej, wąskiej grupie pacjentów.
- W rezultacie doprowadzi to do pełnej integracji badań klinicznych z praktyką kliniczną (jest to już praktykowane np. w leczeniu raka). Jeżeli te przewidywania się spełnią, badania kliniczne staną się częścią normalnej praktyki lekarskiej.
  - Obserwatorzy rynku twierdzą, że tym bardziej istotna jest rola decydentów, aby w większym stopniu wspierali badania i rozwój oraz ułatwili skracanie czasu pracy nad nowym lekiem (a więc w rezultacie ograniczenie kosztów), oczywiście przy zachowaniu odpowiednich środków bezpieczeństwa. Przykładowo, Unia Europejska wprowadziła warunkową zasadę rejestracji dla innowacyjnych produktów leczniczych, która kładzie większy nacisk na badania w fazie przed-klinicznej.
- Oczekuje się, że w rzeczywistości proces zmiany podejścia do pracy nad nowymi lekami potrwa najbliższe dziesięć, a nawet dwadzieścia lat.

*Prace nad nowymi lekami mają być bardziej dopracowane. Większy nacisk zostanie położony na okres przed- kliniczny oraz warunkowe dopuszczenie leku*

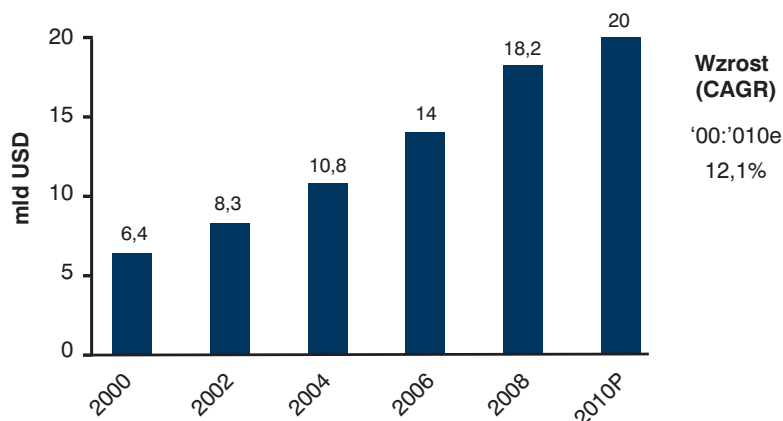
*Eksperci sugerują, iż obniżenie kosztów badań klinicznych, zwłaszcza fazy III jest nieuniknione*



W ciągu ostatnich 10 lat  
globalny rynek CRO  
dynamicznie wzrósł...

### Zwiększenie efektywności – outsourcing

#### Globalny rynek CRO (mld USD)

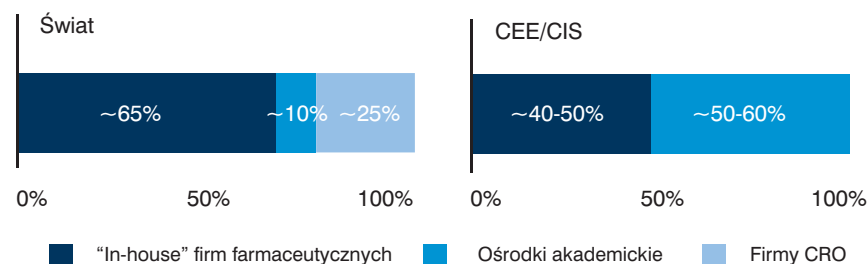


Nota: CAGR – Średnioroczna stopa wzrostu  
Źródło: Business Insights

- Outsourcing badań klinicznych zyskał istotnie na znaczeniu w ciągu ostatniego dziesięciolecia, zwłaszcza na rynkach, na których firmy farmaceutyczne nie decydują się na rozwijanie własnych struktur lub w obszarach gdzie proces badań jest bardziej złożony.
  - „W związku z kryzysem firmy farmaceutyczne jeszcze bardziej zaczęły zwracać uwagę na swoje finanse. Skupiły się na podstawowej działalności, co doprowadziło do outsourcingu w wielu obszarach – to zapewnia im elastyczność kosztów”.  
*CRO, Polska*
  - „Zależy to również od konkretnych celów strategicznych firmy. Czasami w III i IV fazie decydujemy się na wykonanie niektórych badań samodzielnie, między innymi dlatego, że zależy nam na bezpośrednim kontakcie z badaczami, dzięki którym mamy lepsze zrozumienie obecnych trendów w medycynie”.  
*Firma farmaceutyczna, Polska*

...jednakże około  
dwóch trzecich  
wszystkich badań  
klinicznych  
prowadzonych  
jest samodzielnie  
przez firmy  
farmaceutyczne

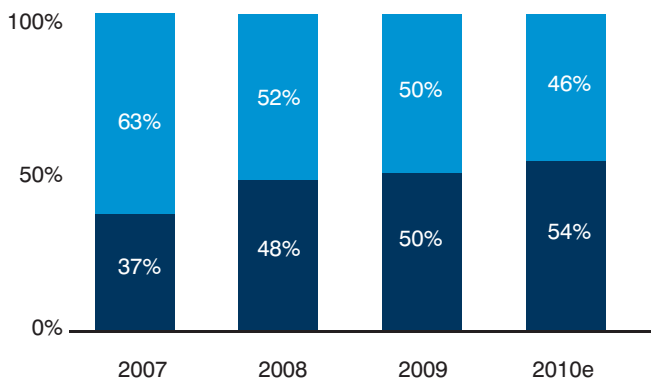
#### Struktura rynku badań klinicznych (wartościowo, dane szacunkowe)



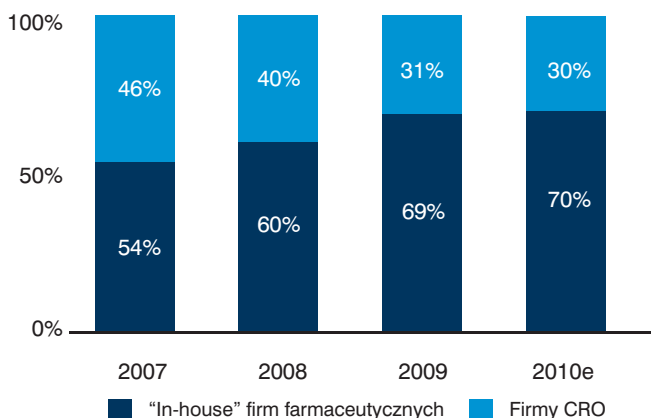
Źródło: Świat: Business Insight, CEE/CIS: Analiza PwC

- Generalnie decyzja odnośnie zlecenia badania określonej firmie CRO zapada w centrali firmy farmaceutycznej:
  - „Pomimo, że jesteśmy niezależni możemy dzielić się naszymi sugestiami odnośnie określonych podwykonawców, w szczególności tych, którzy osiągają najlepsze wyniki na naszym rynku, to w dużych firmach farmaceutycznych ostateczna decyzja jest raczej scentralizowana. Dodatkowo tendencja ta w ostatnich latach zyskała jeszcze na znaczeniu.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- W Europie Środkowo-Wschodniej firmy CRO zdobyły większy udział w rynku w porównaniu do badań prowadzonych samodzielnie przez firmy farmaceutyczne niż ma to miejsce na rynku globalnym.
  - „W Polsce większość badań prowadzona jest przez firmy CRO, ze względu na ograniczoną obecność firm farmaceutycznych. Firmy CRO działające na naszym rynku już całkiem dobrze się tutaj zadomowiły.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- Nasz kwestionariusz potwierdza, że w Polsce liczba badań klinicznych zleconych firmom CRO wzrasta.
  - „Rozwinęliśmy również praktykę ‘in-sourcing’, gdzie wynajmowany jest wysoko wyspecjalizowany personel z firm CRO. Ci ludzie pracują w naszej siedzibie przez określony czas i zwykle są przypisani do konkretnego badania.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*

#### Struktura rynku badań klinicznych w Polsce (wartościowo)



#### Struktura rynku badań klinicznych w Polsce (ilościowo)



W oparciu o nasz kwestionariusz przygotowaliśmy analizę, która potwierdza tendencję wzrostową udziału firm CRO w rynku, zarówno pod kątem ilościowym jak i jakościowym – potwierdza to tezę o rosnącej roli outsourcingu.

Równocześnie faktem jest, że firmy CRO obsługują mniejsze badania.

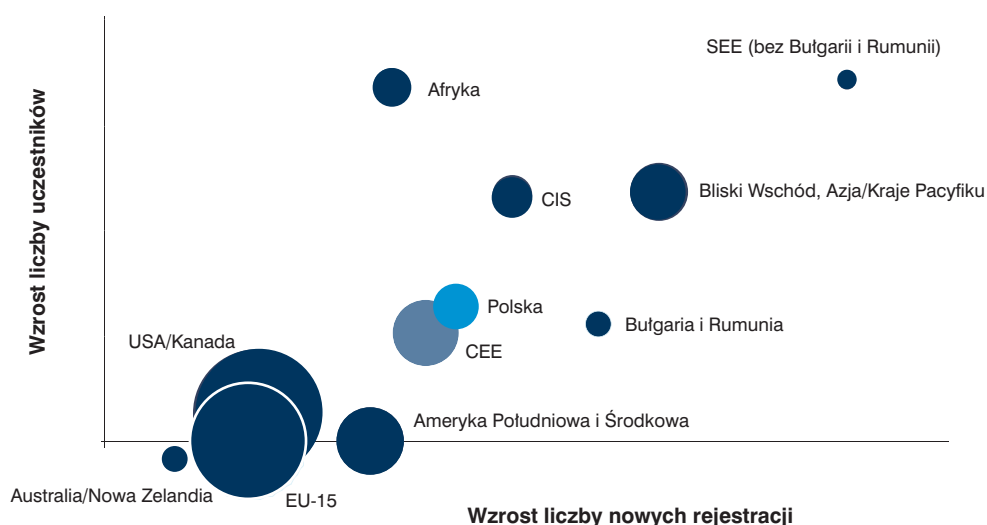
*W Polsce firmy CRO obsługują większość badań i stopniowo zwiększają swoje udziały w rynku*

*Pomimo faktu,  
że coraz więcej badań  
klinicznych prowadzi  
się w krajach  
rozwijających się...*

### Zwiększenie efektywności – nowe rynki

- Ameryka Północna (USA i Kanada) i Europa Zachodnia tradycyjnie są rynkami, na których prowadzi się najwięcej badań klinicznych. W ciągu ostatnich dwóch dziesięcioleci obserwuje się jednak coraz większy zwrot w stronę innych rynków, takich jak Europa Środkowo-Wschodnia, Kraje CIS, ale również Ameryka Środkowa i Południowa czy kraje Bliskiego Wschodu. Główne czynniki przyciągające tutaj sponsorów to niższe koszty oraz łatwiejsza, i szybsza rekrutacja pacjentów.
  - „W rzeczywistości, Europa Środkowo-Wschodnia okazała się atrakcyjniejszą lokalizacją niż np. Kraje CIS, ponieważ stosunek jakości do ceny jest tutaj znacznie wyższy, a wstąpienie do Unii Europejskiej zapewniło większą przewidywalność warunków regulacyjnych, w jakich prowadzone są badania.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- Sponsorzy badań klinicznych planują w przyszłości jeszcze bardziej zwiększyć swoją aktywność na rynkach o dużej populacji i niższych kosztach.
  - „Każdy oczekuje, że Chiny, Indie i Bliski Wschód będą coraz bardziej penetrowane, jednak nadal istnieją pewne przeszkody, które wstrzymują przed bardziej agresywną ekspansją na te rynki – na przykład nie jestem pewien co do jakości systemu ochrony patentowej w Chinach.”  
*CRO, Polska*

### Badania kliniczne zgłoszone i zatwierdzone w EMA



*Nota: \*Analiza poglądowa na bazie wybranej próbki badań klinicznych typu "pivotal", a zatem głównie fazy III, zgłoszonych we wnioskach (MAA) i zatwierdzonych w Europejskiej Agencji Leków (EMA); Wielkość oznacza średnią roczną liczbę uczestników badań w danym kraju w 2005-2008*

*Źródło: EMA*

- Niemniej jednak, tradycyjne rynki pozostają wiodącymi lokalizacjami dla prowadzonych badań.

– „Badania kliniczne faktycznie coraz częściej przenoszone są na Wschód, jednak Ameryka Północna i Europa Zachodnia są nadal kluczowymi rynkami. USA jest rynkiem, na którym trzeba być!”

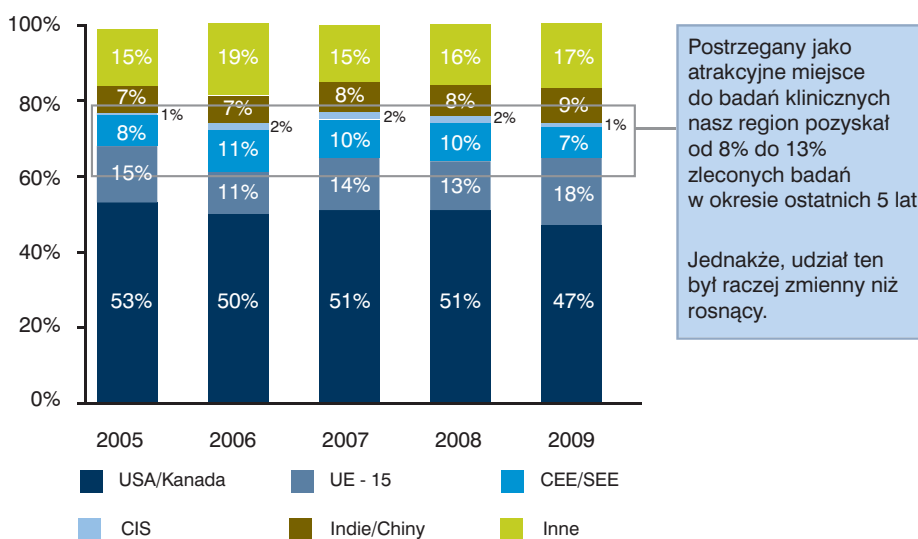
*Firma farmaceutyczna, Polska*

– „Szczególnie w świetle kryzysu, wydaje się, że sponsorzy w szczególny sposób skupiają się na własnych rynkach lokalnych.”

*CRO, Polska*

*...ciągle około dwóch trzecich wszystkich badań na świecie jest prowadzonych w Ameryce Północnej i Europie Zachodniej*

#### Udziały poszczególnych regionów w rejestracji badań



Źródło: ClinicalTrials.gov

- Kraje Europy Środkowo-Wschodniej są ciągle postrzegane jako rynki perspektywiczne dla badań klinicznych i ta tendencja powinna się utrzymać tak długo jak obecne będą czynniki, które czynią je atrakcyjnymi. Ekspertki podkreślają jednak rosnącą rolę alternatywnych lokalizacji, takich jak Ameryka Łacińska i Bliski Wschód.

– „Brazylia, Argentyna i kilka bliskowschodnich krajów wydają się być znaczącą konkurencją, ponieważ wielkość populacji i wydajność rekrutacji pacjentów są atrakcyjnymi czynnikami. Aby pozostać konkurencyjnymi, kraje naszego regionu muszą utrzymać wysoką jakość prowadzonych badań klinicznych oraz znieść istniejące przeszkody.”

*Firma farmaceutyczna, Polska*

*Nasz region pozostaje atrakcyjnym miejscem do prowadzenia badań klinicznych, jednak musi stawiać czoła konkurencji ze strony innych regionów*

*Polska znajduje się na dziesiątym miejscu na świecie i pierwszym wśród rynków wschodzących (licząc również nasz region) pod względem liczby ośrodków, w których prowadzone są badania kliniczne...*

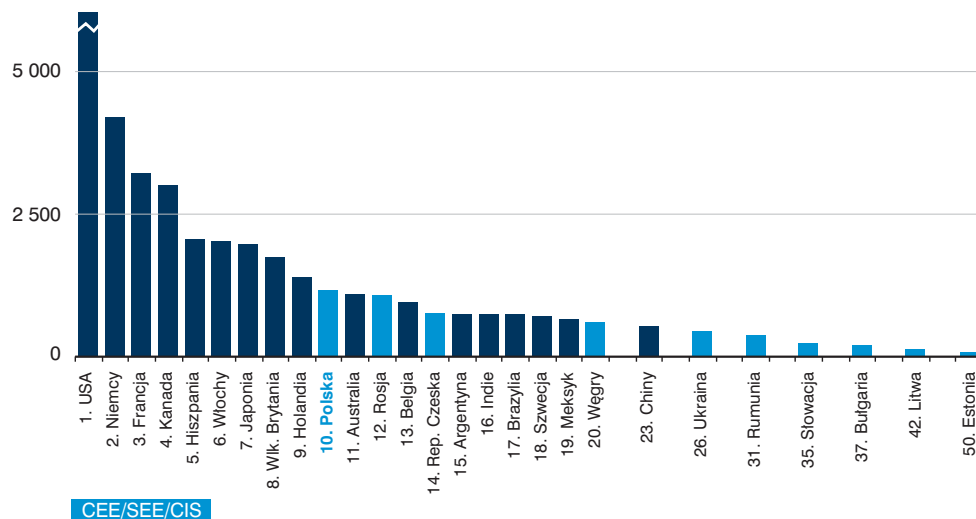
**Pozycja polski w kontekście liczby ośrodków badawczych, 2008**

| Pozycja   | Kraj            | Liczba ośrodków badawczych | Udział ogólnie (%) | Zmiana (%)  | Nasycenie (liczba ośrodków na 1 mln mieszkańców) |
|-----------|-----------------|----------------------------|--------------------|-------------|--------------------------------------------------|
| 1         | USA             | 36 281                     | 48,7               | -6,5        | 117,4                                            |
| 2         | Niemcy          | 4 214                      | 5,7                | 11,7        | 51,5                                             |
| 3         | Francja         | 3 226                      | 4,3                | -4,0        | 49,3                                             |
| 4         | Kanada          | 3 032                      | 4,1                | -12,0       | 89,0                                             |
| 5         | Hiszpania       | 2 076                      | 2,8                | 14,9        | 45,1                                             |
| 6         | Włochy          | 2 039                      | 2,7                | 8,1         | 33,9                                             |
| 7         | Japonia         | 2 002                      | 2,7                | 10,3        | 15,7                                             |
| 8         | Wielka Brytania | 1 753                      | 2,4                | -9,9        | 28,3                                             |
| 9         | Holandia        | 1 394                      | 1,9                | 2,1         | 84,0                                             |
| <b>10</b> | <b>Polska</b>   | <b>1 176</b>               | <b>1,6</b>         | <b>17,2</b> | <b>30,8</b>                                      |
| 11        | Australia       | 1 131                      | 1,5                | 8,1         | 50,9                                             |
| 12        | Rosja           | 1 084                      | 1,5                | 33,0        | 7,6                                              |
| 13        | Belgia          | 986                        | 1,3                | -9,4        | 91,1                                             |
| 14        | Czechy          | 799                        | 1,1                | 24,6        | 76,0                                             |
| 15        | Argentyna       | 757                        | 1,0                | 26,9        | 18,9                                             |
| 16        | Indie           | 757                        | 1,0                | 19,6        | 0,6                                              |
| 17        | Brazylia        | 754                        | 1,0                | 16,0        | 3,9                                              |
| 18        | Szwecja         | 739                        | 1,0                | -8,6        | 79,1                                             |
| 19        | Meksyk          | 683                        | 0,9                | 22,1        | 6,1                                              |
| 20        | Węgry           | 622                        | 0,8                | 22,2        | 62,1                                             |
| 23        | Chiny           | 533                        | 0,7                | 47,0        | 0,4                                              |
| 26        | Ukraina         | 440                        | 0,6                | 31,0        | 9,6                                              |
| 31        | Rumunia         | 354                        | 0,5                | 19,4        | 15,9                                             |
| 35        | Słowacja        | 246                        | 0,3                | 27,7        | 45,7                                             |
| 37        | Bułgaria        | 215                        | 0,3                | 12,7        | 28,4                                             |
| 42        | Litwa           | 146                        | 0,2                | 30,2        | 43,7                                             |
| 50        | Estonia         | 83                         | 0,1                | 34,6        | 61,9                                             |

Źródło: Datamonitor

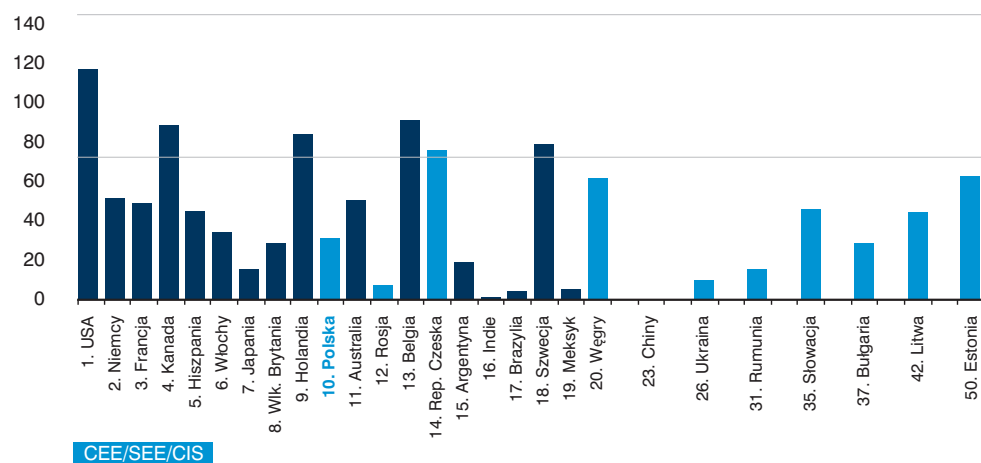
Europa Środkowo-Wschodnia

Liczba ośrodków biorących udział w badaniach klinicznych



...jednakże Czechy i Węgry, pomimo że są znacznie mniejszymi krajami, nie są daleko z tyłu dzięki większemu nasyceniu rynków

Liczba ośrodków biorących udział w badaniach klinicznych (na 1 mln mieszkańców)



Nota: Ranking krajów według całkowitej liczby ośrodków  
Źródło: Datamonitor, ClinicalTrials.gov

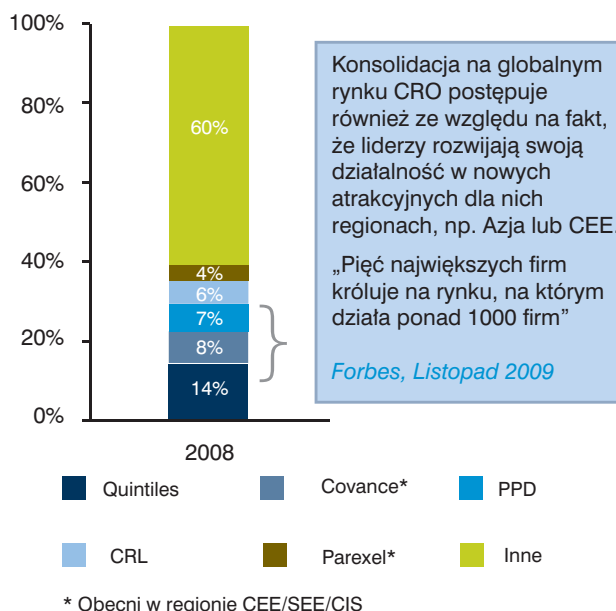


Mimo że rynek konsoliduje się wokół dużych międzynarodowych graczy, wysokie tempo wzrostu stwarza również potencjał dla rozwoju niezależnych firm CRO

Transakcje kapitałowe dokonane w ostatnim czasie potwierdzają konsolidację wokół liderów oraz ich ekspansję na rynkach naszego regionu

### Konsolidacja na rynku CRO

#### Udziały w globalnym rynku CRO (wg. przychodów, 2008)



Źródło: Business Insights, Artykuły prasowe, Analiza PwC

### Transakcje kapitałowe na rynku CRO – od 2007

|                      |                                                                                                                         |
|----------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Sierpień 2009</b> | Millipore Corporation przejmuje BioAnaLab, firmę CRO z Wielkiej Brytanii                                                |
| <b>Luty 2009</b>     | PPD przejmuje AbCRO, bułgarską firmę CRO działającą głównie na rynku rumuńskim i w innych krajach regionu SEE           |
| <b>Czerwiec 2008</b> | Parexel przejmuje ClinPhone, angielską firmę zajmującą się obsługą badań klinicznych (m.in. rekrutacją, analizą danych) |
| <b>Kwiecień 2009</b> | Siro Clinpharm przejmuje Omega Mediation, niemiecką firmę CRO                                                           |
| <b>Luty 2008</b>     | Worldwide Clinical Trials przejmuje MediQuest, firmę CRO z siedzibą w Serbii, działającą na rynkach regionu SEE         |
| <b>Wrzesień 2007</b> | United BioSource Corporation przejmuje ClinResearch, niemiecką firmę CRO                                                |

Nota: Tylko największe transakcje były uwzględnione w tej analizie  
Źródło: Mergermarket

# Rozdział 3

## Badania kliniczne w Polsce: Charakterystyka rynku



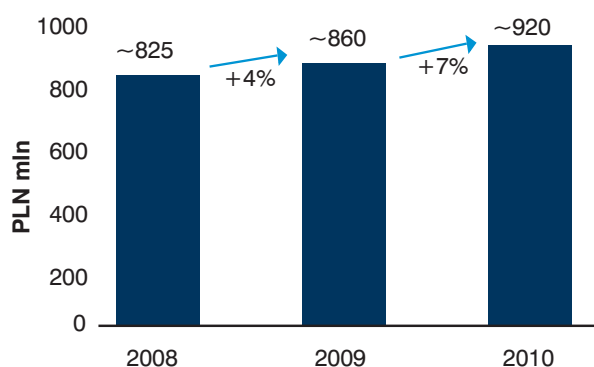
**Badania kliniczne w Polsce: Podstawowa charakterystyka**

- *Polska pozostaje największym rynkiem badań klinicznych w regionie. W naszym kraju przeprowadza się około 20% wszystkich badań klinicznych w regionie (łącznie z krajami CIS). Jednak zarówno liczba pacjentów biorących udział w badaniach, jak i liczba ośrodków, w których badania są prowadzone wskazują na istotny potencjał wzrostu.*
- *Polska jest także jednym z najważniejszych globalnych rynków – ponad połowa firm farmaceutycznych działających na polskim rynku uznała, że badania dotyczące 80% wszystkich leków wprowadzonych na rynek globalny było prowadzone m.in. w Polsce.*
- *Kluczowym motorem rynku badań klinicznych w Polsce jest wielkość populacji, skuteczna rekrutacja pacjentów i wysoka jakość prowadzenia badań. Właśnie rekrutacja pacjentów i jakość personelu medycznego to główne zalety jakie najczęściej wymienia się w kontekście naszego kraju.*

## Polski rynek badań klinicznych – podstawowe wskaźniki

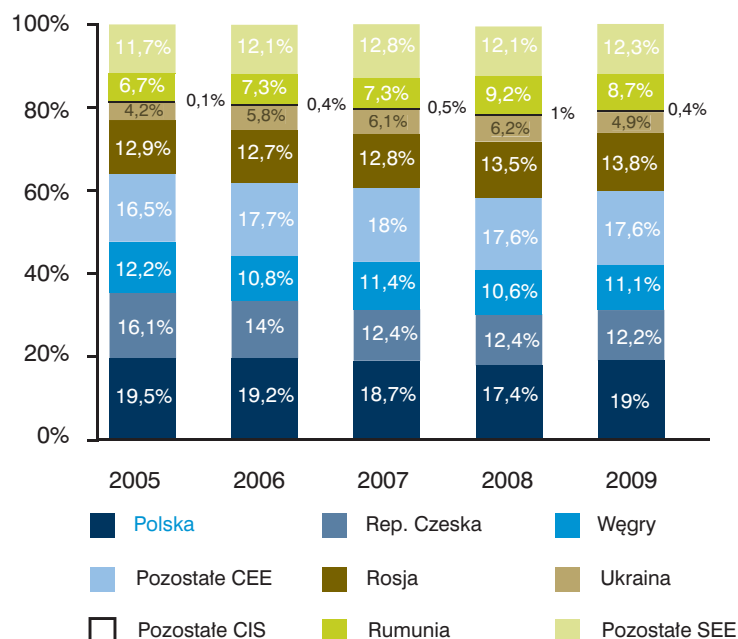
- Na podstawie przeprowadzonej przez PwC analizy, szacujemy całkowitą wielkość rynku badań klinicznych w 2009 roku na ok. 860 mln PLN, z ok. 7% estymowaną szansą wzrostu w 2010 roku.
- Należy jednak pamiętać, że prezentowane wartości rynku nie obejmują niektórych elementów, np. kosztów leków stosowanych w trakcie badań klinicznych, ponieważ koszt ten trudno jest wycenić.
  - Podczas gdy koszt nowo testowanych leków jest trudny do określenia, na podstawie opinii ekspertów szacujemy, że uwzględnienie standardowego leczenia farmakologicznego (w tym np. kosztów leków referencyjnych) stosowanego w ramach badań mógłby zwiększyć wartość oszacowanego rynku badań klinicznych o 50% – 60%.

### Szacowana wielkość rynku badań klinicznych w Polsce



Nota: \*Wielkość rynku w rozumieniu całkowitych nakładów na badania kliniczne  
Źródło: Analiza PwC

### Europa Wschodnia, Liczba rejestracji badań klinicznych



Nota: CEE obejmuje kraje: Polska, Czechy, Węgry, Estonia, Łotwa, Litwa, Słowacja; CIS obejmuje kraje: Rosja, Ukraina, Białoruś, Kazachstan; SEE obejmuje kraje: Rumunia, Albania, BiH, Bułgaria, Chorwacja, Macedonia, Serbia, Słowenia.  
Źródło: WHO (Baza WHO ICTRP zbiera dane z dziesięciu różnych rejestrów badań klinicznych, w tym ClinicalTrials.gov – USA, DRKS – Niemcy, NTR – Holandia and ANZCTR – Australia)

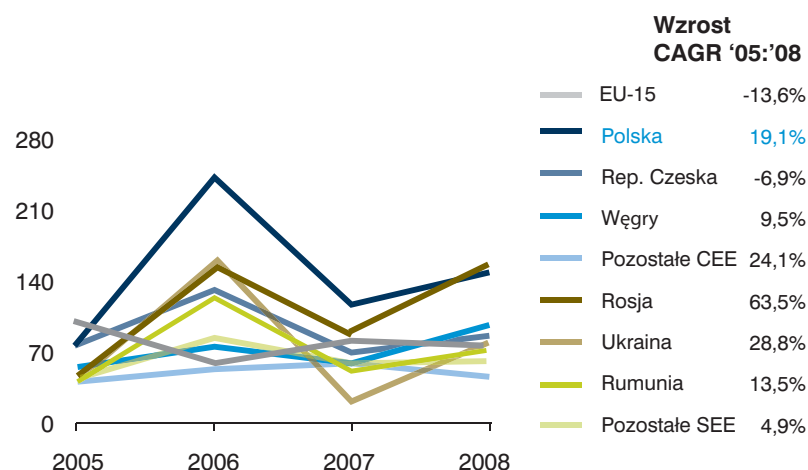
*Polski rynek badań klinicznych wart jest ok. 860 mln PLN – w przeszłości charakteryzował się umiarkowaną jednocyfrową stopą wzrostu*

*Ze względu na liczebność populacji, Polska pozostaje największym rynkiem badań klinicznych w naszym regionie*

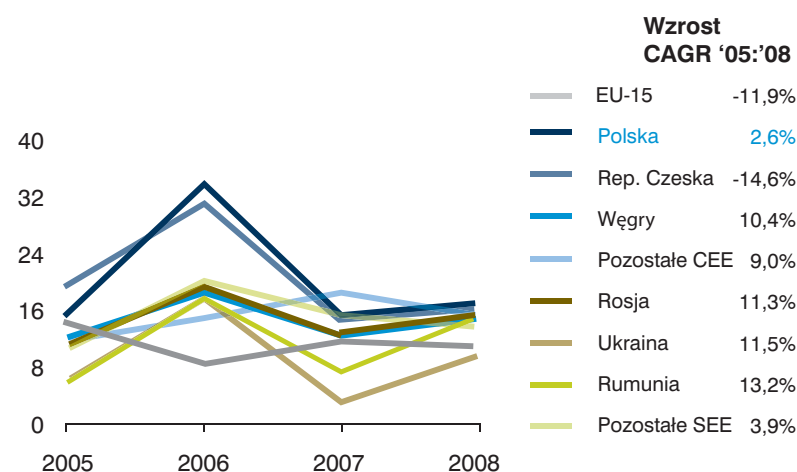
*Polska wciąż charakteryzuje się największą liczbą pacjentów zaangażowanych w jedno badanie. Jednak w porównaniu z innymi krajami, różnica ta maleje*

- Na podstawie WHO International Clinical Trials Registry, w ciągu ostatnich kilku lat Polska zachowała największy udział w naszym regionie pod względem liczby prowadzonych badań. Przede wszystkim dzięki bezwzględnej wielkości naszego kraju pod względem populacji.
- Jednak mniejsze kraje, takie jak np. Czechy i Węgry, wydają się przyciągać więcej badań w ujęciu względnym (np. biorąc pod uwagę liczbę ludności).
- Udział krajów bałkańskich wzrósł z 18,4% w 2005 r. do 21% w 2009 roku. Kraje CIS także stopniowo zyskują na znaczeniu. Ich udział wzrósł z 17,2% w 2005 r. do 19,1% w 2009 roku. Dwa kraje – Rosja i Ukraina odgrywają tutaj kluczową rolę.
- Polska utrzymuje pozycję lidera pod względem liczby pacjentów uczestniczących w jednym badaniu. Jednak od 2006 roku, wg danych EMA, wskaźnik ten zmniejszył się. To samo dotyczy wskaźnika średniej liczby pacjentów biorących udział w badaniach na jeden ośrodek.
- Równocześnie wszystkie główne kraje naszego regionu zbliżają się pod tym względem do wskaźników wykazywanych przez Europejską 15-tkę.
- Najbardziej dynamiczny wzrost omawianych wskaźników ma miejsce w Rosji i na Ukrainie, gdzie cały rynek badań klinicznych również rozwija się najdynamiczniej.

#### Liczba uczestników przypadająca na jedno badanie\*



#### Liczba uczestników przypadająca na jeden ośrodek\*

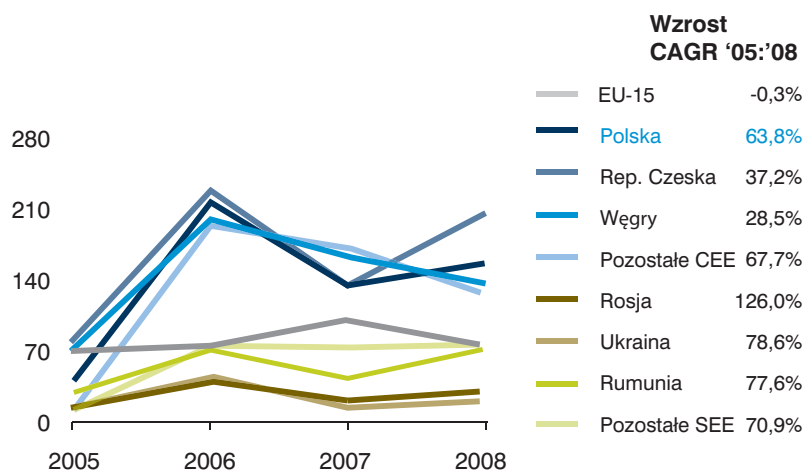


*Nota: \*Dane dotyczą badań klinicznych typu "pivotal", a zatem głównie fazy III, zgłoszonych we wnioskach (MAA) i zatwierdzonych w Europejskiej Agencji Leków (EMA); CAGR – Średnioroczna stopa wzrostu*  
*Źródło: EMA*

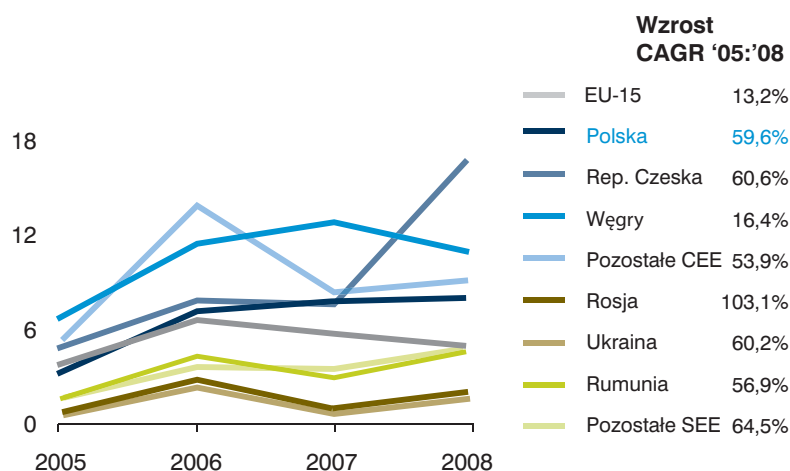
- W latach 2005-2008, w liczbach bezwzględnych, w Polsce zrekrutowano 4,4% wszystkich pacjentów rekrutowanych do kluczowych badań klinicznych w całej Europie (Polska pod tym względem jest druga po Niemczech – 6,3%). Jednakże wskaźnik rekrutowanych pacjentów w odniesieniu do populacji zmniejszył się od 2006 roku i to pomimo wzrostu liczby takich badań w Polsce (321 w 2008 r. w porównaniu do 250 w 2006).
- Przykład Europejskiej 15-tki pokazuje, że wskaźniki uczestnictwa w badaniach mogą spadać wraz z rozwojem gospodarczym, chyba że wprowadzane są nowe zachęty.
- W Polsce istnieje potencjał do wzrostu liczby ośrodków zaangażowanych w badania. Np. w porównaniu do Czech i Węgier, wskaźnik ilości ośrodków w odniesieniu do populacji jest niższy.
- Rosja i Ukraina cechują stosunkowo wysokie stopy wzrostu głównie z powodu niskich wartości wejściowych.

*Zarówno względna liczba pacjentów biorących udział w badaniach jak i liczba ośrodków w odniesieniu do populacji są w Polsce niższe, niż w Czechach i na Węgrzech – wskazuje to na potencjał wzrostu*

#### Liczba uczestników badań na 1 mln mieszkańców\*



#### Liczba ośrodków przypadających na 1 mln mieszkańców\*

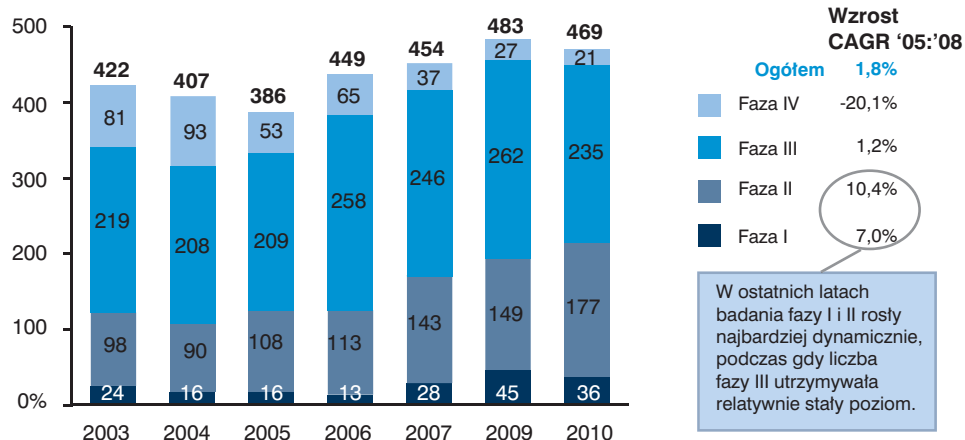


*Nota: \*Dane dotyczą badań klinicznych typu "pivotal", a zatem głównie fazy III, zgłoszonych we wnioskach (MAA) i zatwierdzonych w Europejskiej Agencji Leków (EMA); CAGR – Średnioroczna stopa Wzrostu*

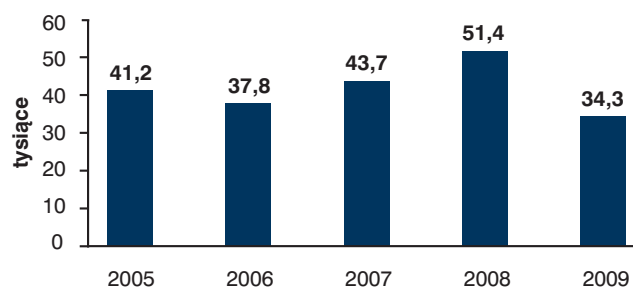
*Źródło: EMA*

W 2009 roku w Polsce zarejestrowano 469 nowych badań klinicznych. Od 2003 roku liczba ta wzrastała średnio o 1,8% rocznie

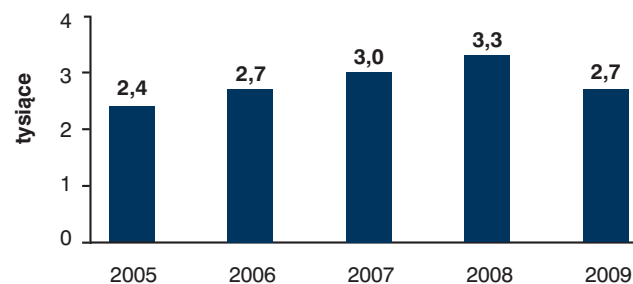
Liczba rejestracji badań klinicznych w Polsce, według fazy



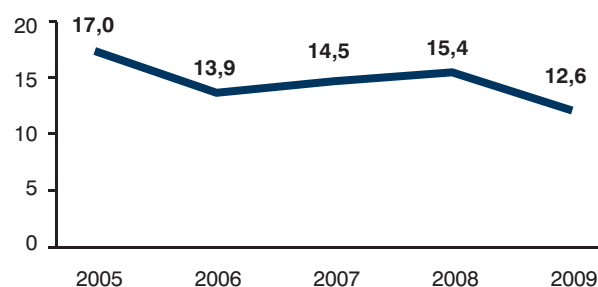
Liczba uczestników badań w Polsce



Liczba głównych badaczy w Polsce



Średnia liczba uczestników przypadająca na jednego badacza w Polsce



Średnia liczba uczestników badania przypadających na jednego badacza zmalała w ostatnich latach;

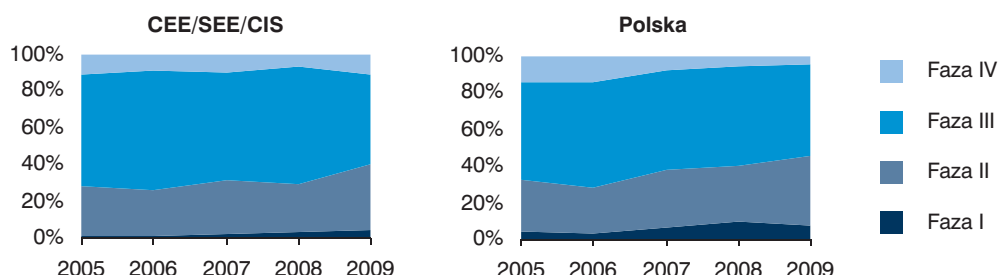
Taki stan rzeczy może sugerować bardziej konkurencyjną rekrutację z uwagi na większą liczbę ośrodków i większą liczbę głównych badaczy angażujących się w badania

Nota: CAGR – Średnioroczna stopa wzrostu  
Źródło: CEBK, Analiza PwC

Wydaje się, że spowolnienie wzrostu zarówno liczby badań, jak i przez to uczestniczących w nich pacjentów i badaczy w 2009 roku było wynikiem spowolnienia gospodarczego i kierowaniem większej liczby badań do USA i Europy Zachodniej



## Liczba rejestracji i badań klinicznych według fazy



Źródło: CEE/CIS: ClinicalTrials.gov; Polska: CEBK

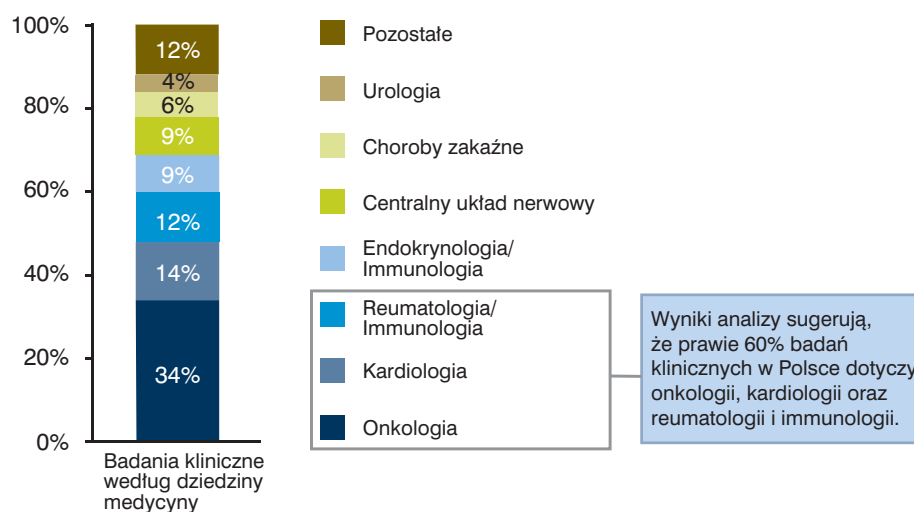
- Eksperti rynkowi uważają, że faza III pozostanie dominującą w Polsce i w całym regionie. W średnim okresie powinien umiarkowanie rosnąć udział fazy II.
- Oczekuje się również, że faza IV badań powinna być coraz częściej przenoszona z dojrzałych rynków (tj. Europa Zachodnia, USA) do naszego regionu. Jednakże do tej pory liczba badań w tej fazie odnotowuje największy spadek.
- Jeśli zaś chodzi o wczesne fazy badań klinicznych, Polski rynek jest postrzegany jako mało rozwinięty, nawet mimo dużej populacji i wydajnej rekrutacji pacjentów. Nieudolność administracyjna, która powoduje opóźnienia, zniechęca sponsorów do angażowania się w tego typu badania na większą skalę.
  - „Wczesne fazy badań klinicznych mogą być postrzegane jako bardziej ryzykowne z punktu widzenia sponsora, który wymaga doświadczonych ośrodków i dostępu do grupy określonych pacjentów. W przypadku takich badań większe szanse mają lokalizacje charakteryzujące się większą przewidywalnością procedur administracyjnych.”  
*CRO, Polska*
- Wyniki naszego badania pokazują, że pomimo iż badania kliniczne we wczesnych fazach wykonywane są w Polsce rzadko, oczekuje się ich szybszego wzrostu, jednak głównie ze względu na niski poziom wartości początkowych.
  - Ponad 60% respondentów uważa, że liczba badań w fazie I i II będzie w Polsce wzrastać. Oczekiwanie takie odnosi się również do innych krajów Europy Środkowo-Wschodniej, jak i całego świata.
  - Polski rynek zdaje się być zdominowany przez badania kliniczne III fazy, 90% respondentów sądzi, że ta tendencja nie ulegnie zmianie.
- Dane CEBK potwierdzają szybki wzrost liczby rejestrowanych badań we wczesnych fazach.

*Większość badań przeprowadzanych w naszym regionie, jak również w Polsce, to badania III fazy. Udział fazy III był raczej stabilny podczas gdy wzrastał udział fazy II*

*Ankietowani respondenci twierdzą, że liczba badań we wcześniejszych fazach będzie rosła – badania w fazie III utrzymają się na stabilnym poziomie*

*Wg naszej ankiety, w Polsce najczęściej przeprowadza się badania z dziedziny onkologii i kardiologii.*

**Badania kliniczne w Polsce, według dziedziny medycyny, 2009**

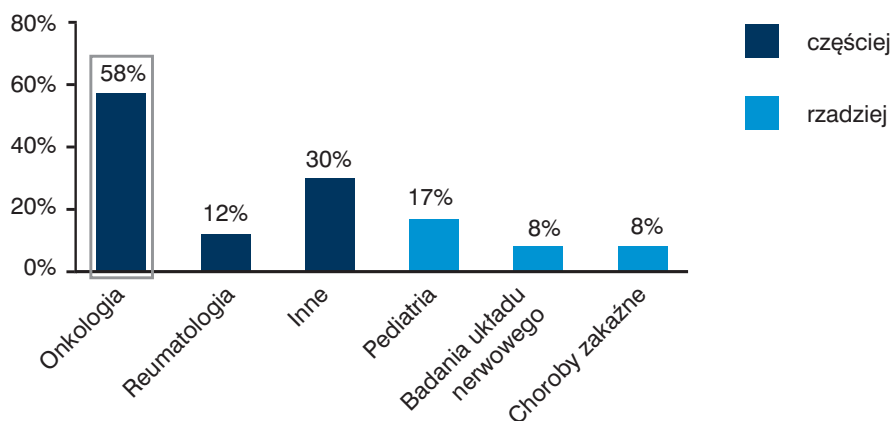


Nota: Struktura oparta na danych zebranych w badaniu PwC  
Źródło: Analiza PwC

- W opinii respondentów, onkologia jest dziedziną, w której badania kliniczne wykonuje się dużo częściej niż w innych krajach Europy Zachodniej (biorąc pod uwagę strukturę badań w podziale na dziedziny medycyny). Wydaje się być to cechą wspólną krajów naszego regionu – 57% respondentów twierdzi, że nie ma tutaj istotnych różnic.
- „W rzeczywistości onkologia jest popularną dziedziną badań klinicznych w Polsce, gdyż stosunkowo łatwo znaleźć tu przypadki pacjentów w późnym stadium choroby, co nie jest takie proste w przypadku krajów Europy Zachodniej.”  
*Lekarz prowadzący badania, Warszawa*

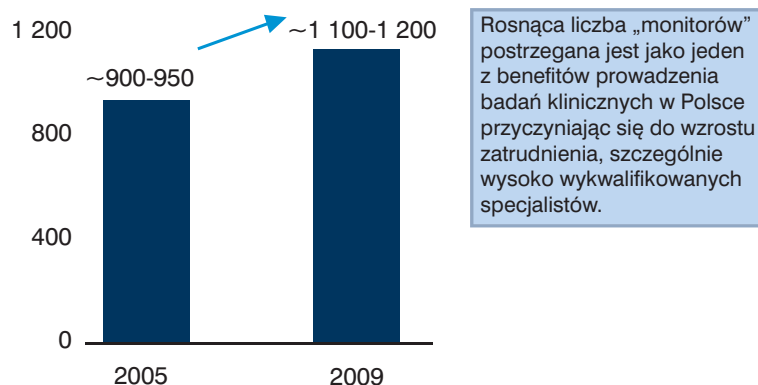
*W porównaniu do Europy Zachodniej, Polska postrzegana jest jako atrakcyjne miejsce do prowadzenia badań z dziedziny onkologii*

**Badanie PwC: „Badania, z których dziedzin medycyny wykonuje się w Polsce częściej/rzadziej w porównaniu z krajami Europy Zachodniej?”**



Źródło: Analiza PwC

## Szacowana liczba monitorów badań (CRA) w Polsce



Źródło: Analiza PwC

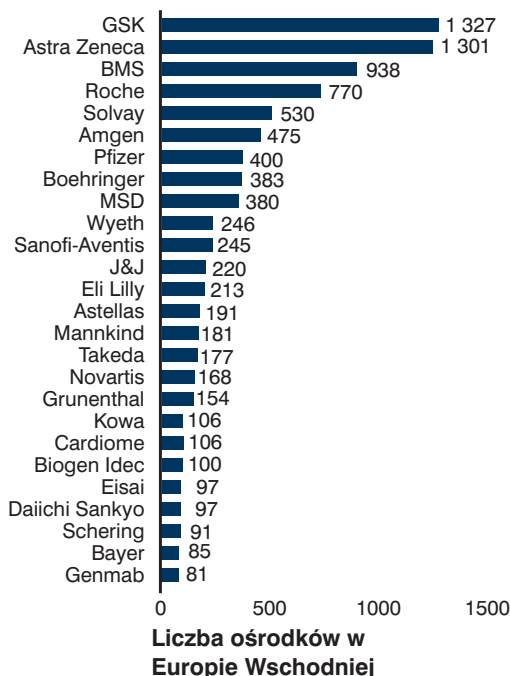
- Mimo że oficjalne statystyki o liczbie „monitorów” (CRA) są niedostępne, wyniki naszej ankiety wskazują, że działa ich w Polsce około 1 200.
  - „Średnio trzech pełnoetatowych ‘monitorów’ zaangażowanych jest w jedno badanie kliniczne prowadzone w Polsce.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- 85% respondentów uważa, że liczba ‘monitorów’ w ostatnich pięciu latach umiarkowanie, ale stale rośnie.
  - „Pomimo, że w ostatnich latach liczba badań klinicznych nie wzrosła znacząco, to złożoność i zawartość niektórych badań napędza popyt na ‘monitorów’ w Polsce.”  
*CRO, Polska*
  - Spotęgowanie złożoności badań klinicznych jest widoczne nie tylko w Polsce, ale na całym świecie. Eksperti twierdzą, że Polska ma dobrą reputację i świetną wydajność (dzięki wysokiej jakości pracy naukowców) w odniesieniu do trudnych badań. Świat współczesnej medycyny wydaje się być coraz bardziej złożony i w związku z tym stawia wysokie wymagania.

*W Polsce może aktywnie działać około 1 200 „monitorów badań” (CRA), liczba ta wzrosła w ostatnich latach*

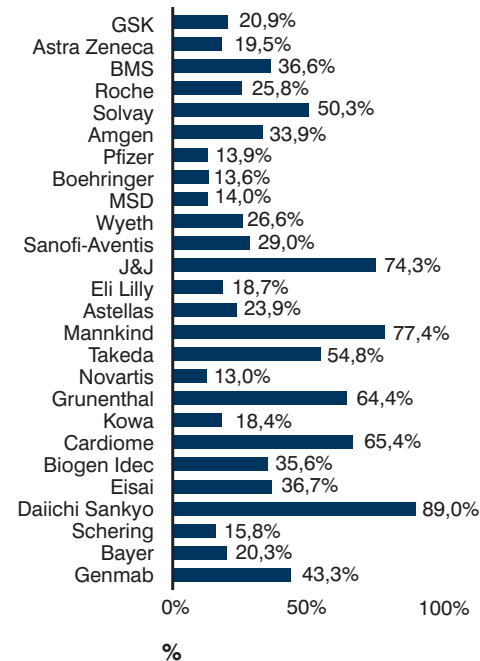
*Rosnąca złożoność badań klinicznych pozytywnie wpływa na liczbę CRA w Polsce i na świecie*

*GSK, AstraZeneca, BMS i Roche wydają się najbardziej aktywnymi sponsorami we Wschodniej Europie pod względem liczby ośrodków, z którymi współpracują*

**Sponsorzy współpracujący z ośrodkami w Europie Wschodniej\***



**Ośrodki w Europie Wschodniej, jako % ośrodków w Europie ogółem**



*Nota: Analiza na bazie danych ClinicalTrials.gov, obejmująca okres osiemnastu miesięcy od maja 2006 do listopada 2007;*

*\*Na potrzeby tej analizy, Europa Wschodnia obejmuje następujące kraje: Bułgaria, Chorwacja, Czechy, Estonia, Węgry, Łotwa, Litwa, Polska, Rumunia, Rosja, Serbia, Słowacja, Turcja oraz Ukraina*

*Źródło: Clinical Trial Magnifier Vol. 1:1 (2008)*

*Jednak nasz region nie odgrywa kluczowej roli dla największych sponsorów*

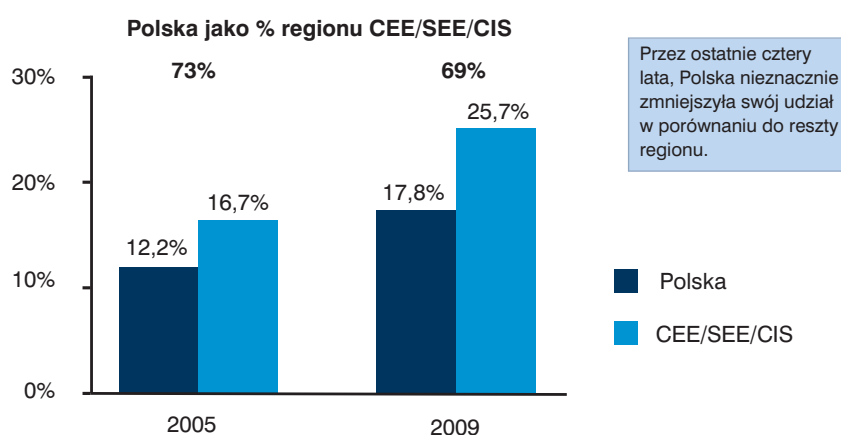
- Wiele międzynarodowych korporacji ma już mocno ugruntowaną pozycję na rynkach Europy Środkowo-Wschodniej, jeśli chodzi o liczbę ośrodków, z którymi współpracują w naszym regionie. (np. GSK, Astra-Zeneca, Bristol-Meyers Squibb).
- Jednocześnie istnieje grupa firm, która kładzie szczególnie duży nacisk na ten region w porównaniu z krajami Europy Zachodniej (J & J, Mannkind, Grünenthal).
  - „Decyzja w jakim stopniu ktoś ma się koncentrować na krajach rozwijających się, zależy od strategii firmy. Choć w ciągu ostatniej dekady zainteresowanie naszym regionem zdecydowanie wzrosło, to sponsorzy nigdy nie będą chcieli stracić świetnych relacji jakie mają z ośrodkami w USA i Europie Zachodniej.”

*Firma farmaceutyczna, Polska*

## Polska jako atrakcyjne miejsce do prowadzenia badań klinicznych

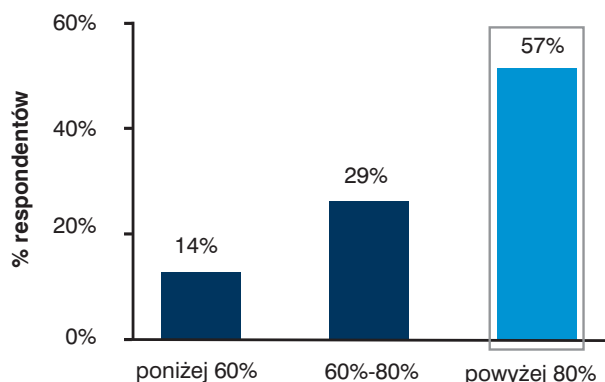
- Można zauważyć rosnący trend w liczbie leków zaaprobowanych do użytku przez amerykańską FDA, badanych wcześniej w Polsce i Europie Wschodniej. Wskaźnik ten dla Polski rośnie nieco wolniej niż dla pozostałych krajów regionu.

### Procent leków wprowadzonych na rynek testowanych w Polsce i w regionie CEE/SEE/CIS



*Nota: \*Leki wprowadzone na rynek obejmują nowe leki po III fazie badań klinicznych (NDA) oraz złożone wnioski o wydanie licencji (BLA) – ogłoszone przez FDA; Analiza obejmuje badania kliniczne wszystkich faz, przeprowadzone w Polsce oraz w krajach regionu CEE/SEE/CIS*  
*Źródło: ClinicalTrials.gov, FDA, Analiza PwC*

### Analiza PwC: „Jaki procent nowych leków wprowadzonych na rynek przez Państwa firmę w ciągu ostatnich 5 lat (globalnie) był testowany w Polsce?”



Źródło: Analiza PwC

*Udział Polski i całego regionu w prowadzonych badaniach systematycznie wzrasta...*

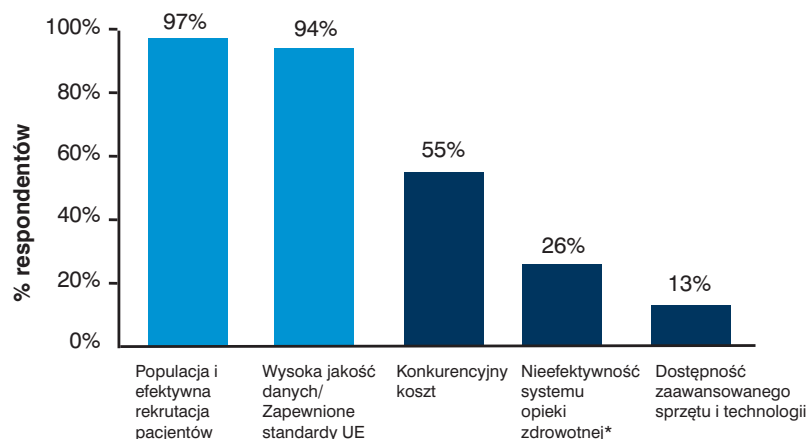
*...co może sugerować, że Polska i inne kraje w tym regionie są atrakcyjnymi rynkami do prowadzenia badań klinicznych*

Nasz kwestionariusz pokazuje, że wielkość populacji i skuteczna rekrutacja pacjentów, jak również wysoka jakość są głównymi atutami Polski. Niższe koszty są czynnikiem drugorzędym

Prowadzenie badań w Polsce wydaje się być dużo efektywniejsze. Inne kraje regionu nie posiadają takich możliwości rekrutacji pacjentów. Jednak w przyszłości można spodziewać się istotnej konkurencji ze strony krajów takich jak Ukraina lub Rosja

### Populacja

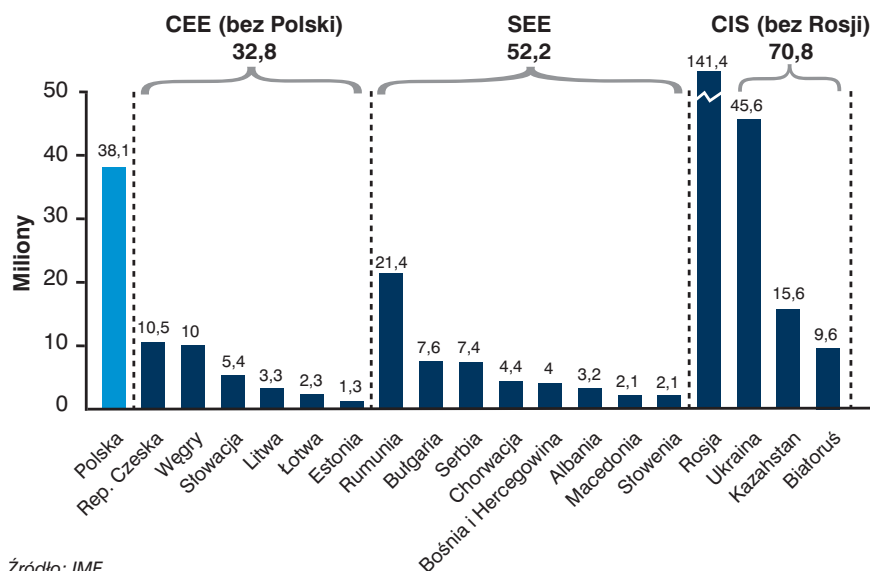
#### Ankieta PwC: „Co najistotniej stymuluje rynek badań klinicznych w Polsce?”



Nota: \*Dot. np. ograniczonej dostępności do niektórych usług;  
Możliwość wielokrotnego wyboru – wyniki nie sumują się do 100%  
Źródło: Analiza PwC

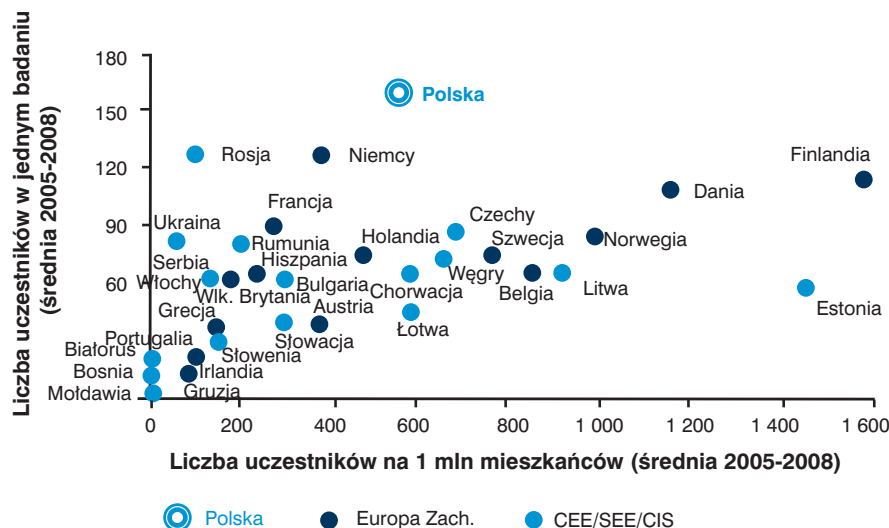
- Tradycyjnie kluczowym czynnikiem, który decyduje o atrakcyjności danej lokalizacji jest rozmiar populacji. Polska jest krajem o największej populacji w naszym regionie (nie licząc Rosji i Ukrainy), co daje duży potencjał jeśli chodzi o dostęp do pacjentów.
- Jednakże wydaje się, że przewaga Polski w odniesieniu do tego czynnika nie jest długotrwała. Kraje takie jak Rosja, Ukraina czy Turcja również mogą skutecznie konkurować z Polską pod względem wielkości populacji.
- Co więcej, czasami organy regulacyjne, takie jak FDA, mogą wymagać, aby badania kliniczne były prowadzone w określonej liczbie krajów. W związku z tym objęcie rekrutacją tylko pacjentów z Polski może nie być możliwe.

### Liczba ludności wg. krajów



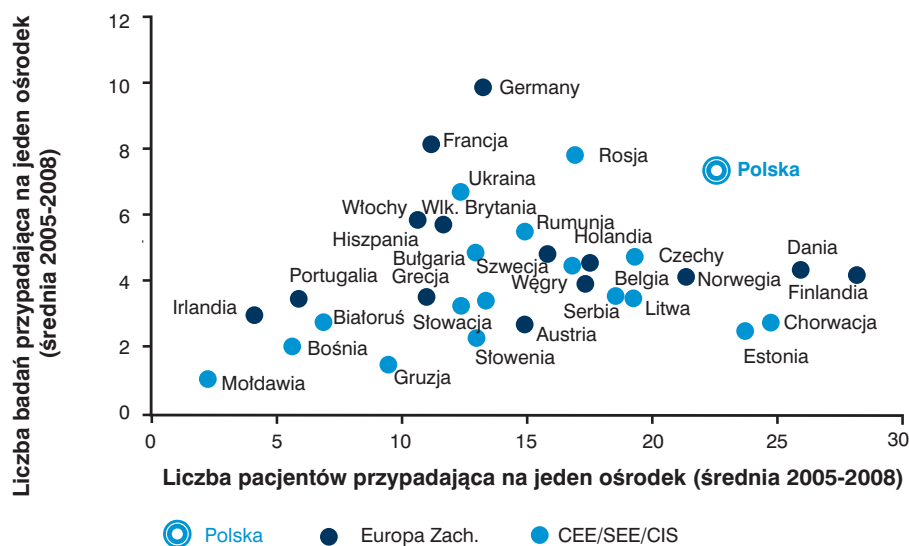
Źródło: IMF

## Średnia wielkość badania wg liczby pacjentów oraz wskaźnik uczestnictwa



Z racji dużej liczby mieszkańców Polska często przyciąga badania wymagające dużej liczby pacjentów

## Średnia wielkość ośrodka: wg liczby badań i liczby pacjentów\*



Średnia liczba pacjentów przypadająca na jeden ośrodek jest również wysoka, co sugeruje, że badania kliniczne w Polsce są skoncentrowane w relatywnie małej ilości większych ośrodków

Nota: \*Dane dotyczą badań klinicznych typu 'pivotal', a zatem głównie fazy III, zgłoszonych we wnioskach (MAA) i zatwierdzonych w Europejskiej Agencji Leków (EMA); CAGR – Średnia roczna stopa wzrostu; Wielkość oznacza średnią roczną liczbę uczestników w danym kraju w 2005-2008  
Źródło: EMA

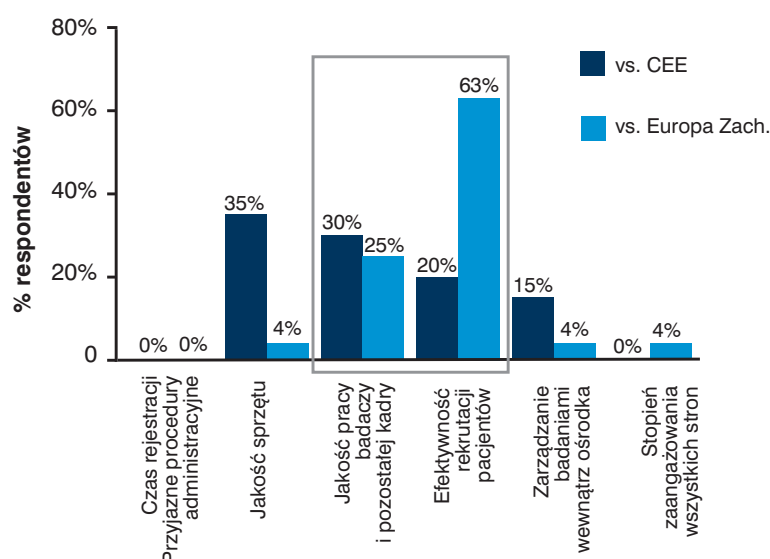


*W porównaniu z Europą Zachodnią największą przewagą Polski jest skuteczna i szybka rekrutacja*

#### Skuteczna rekrutacja pacjentów

- Generalnie uważa się, że rekrutacja w Polsce jest efektywna, głównie ze względu na następujące czynniki:
  - Wspomniany wcześniej czynnik wielkości populacji, zwłaszcza w porównaniu z innymi krajami regionu;
  - Większa motywacja dla pacjenta uczestniczącego w badaniu klinicznym niż ma to miejsce w przypadku rynków dojrzałych. Wynika to z faktu, że uczestnicząc w badaniach pacjenci zazwyczaj mają dostęp do opieki medycznej na wyższym poziomie niż ma to miejsce w przypadku standardowej opieki zdrowotnej.
- Jeśli chodzi o ten ostatni czynnik, pacjenci wydają się być dużo bardziej zmotywowani w Polsce, gdzie poziom standardowej opieki medycznej jest oceniany dużo niżej niż w krajach Europy Zachodniej.
  - Udział w badaniach klinicznych, zwłaszcza w przypadku badań odbywających się w warunkach szpitalnych, bardzo często zapewnia lepszą jakość usług, szybszy dostęp do leczenia, dostępność drogich leków przy zerowym koszcie dla pacjenta, itp. Temat ten jest omówiony szczegółowo w dalszej części niniejszego raportu.
- Część ankietowanych twierdzi również, że sprawną rekrutację pacjentów w Polsce dodatkowo ułatwia gorszy stan zdrowia Polaków w porównaniu do krajów bardziej rozwiniętych.

#### Analiza PwC: „Jakie są główne zalety rynku w Polsce w porównaniu z krajami CEE i Europy Zachodniej?”



Źródło: Analiza PwC

- Większość respondentów naszego badania uważa, że skuteczna rekrutacja pacjentów jest główną zaletą polskiego rynku.
  - Jednakże przewaga ta może zostać zniwelowana w najbliższych kilku latach jeżeli jakość opieki medycznej w Polsce będzie zbliżała się do standardów zachodnich.

### Standardy unijne

- Po przystąpieniu Polski do Unii Europejskiej w maju 2004 roku, podobnie jak w innych krajach członkowskich zaczęły obowiązywać wymogi m.in. odnośnie ram prawnych i administracyjnych.
- Przystąpienie do UE znacząco przyczyniło się do zmiany postrzegania Polski, jako odpowiedniego miejsca do prowadzenia badań klinicznych.
  - „Sponsorzy zdecydowanie częściej wybierają Polskę od Ukrainy, ponieważ ogólne otoczenie regulacyjne jest u nas bardziej przyjazne, niż na terenach, które nie są objęte standardami UE.”  
*CRO, Polska*
- Co więcej, oczekuje się od Polski, że przyjmie i wdroży wszystkie wymogi prawne wynikające z Dyrektyw Europejskich.
  - Jednakże ciągle można mieć pewne zastrzeżenia co do tempa wdrażania niektórych elementów standardów unijnych. Głównie chodzi o harmonizację dokumentacji w procesie zatwierdzania badań, co jest omówione w dalszej części raportu.
- W odniesieniu do zasad dobrej praktyki klinicznej, ICH-GCP, wydaje się, że Polska wdrożyła już te standardy.

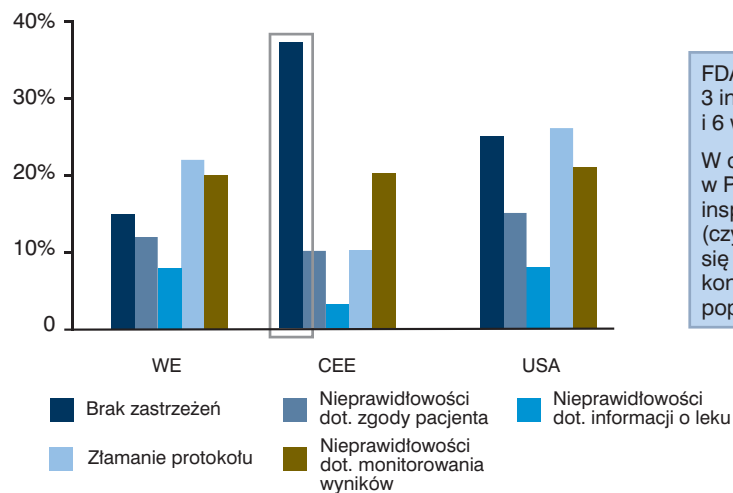
### Know-how

- W opinii ekspertów, Polska jest cenionym miejscem do prowadzenia badań klinicznych, ze względu na badaczy i personel pomocniczy. Posiadają oni bogate doświadczenie w prowadzeniu badań.
  - „Faktycznie, Polska przekonuje do siebie sponsorów tym, że przez 20 lat personel medyczny zdobywał bardzo bogate doświadczenie w prowadzeniu badań. Procentuje to w wysokiej jakości jaką gwarantuje personel medyczny.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
  - „Warto podkreślić, że żaden polski badacz nie jest obecny na „czarnej liście” FDA.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- Docenia się jakość gromadzonych i przetwarzanych danych, a także raportów cząstkowych bądź końcowych, które są wykonane z należytą starannością. Nie zawsze jest to norma na rynkach o niskich kosztach badań.
- Z kontroli FDA wynika, że w zakresie poprawności zachowanych procedur najwyższe wyniki uzyskują firmy prowadzące badania w naszym regionie. Są one nawet wyższe niż te w USA czy w Europie Zachodniej.

*Polska postrzegana jest jako kraj o wysokich standardach stosowanych procedur klinicznych, zwłaszcza w kontekście naszego członkostwa w Unii Europejskiej*

*Standardy prowadzenia badań klinicznych w Europie Środkowo-Wschodniej są wysoko oceniane, co zwiększa zainteresowanie tym regionem*

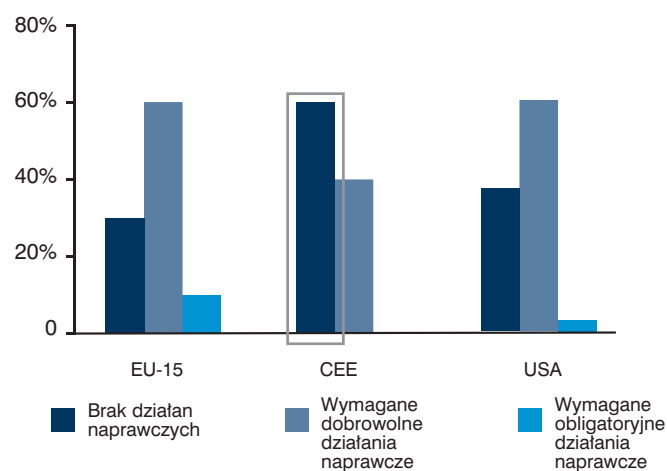
### Obserwacje wynikające z inspekcji FDA (2007)



FDA prowadziła w Polsce 3 inspekcje w 2007 roku i 6 w 2008 roku;

W okresie 1997-2008 w Polsce było łącznie 38 inspekcji z czego 23 (czyli 60%) zakończyło się rezultatem „nie ma konieczności żadnych poprawek”

### Konsekwencja inspekcji FDA (2007)



Źródło: FDA

*Dla badaczy stwarza to większe możliwości pracy naukowej*

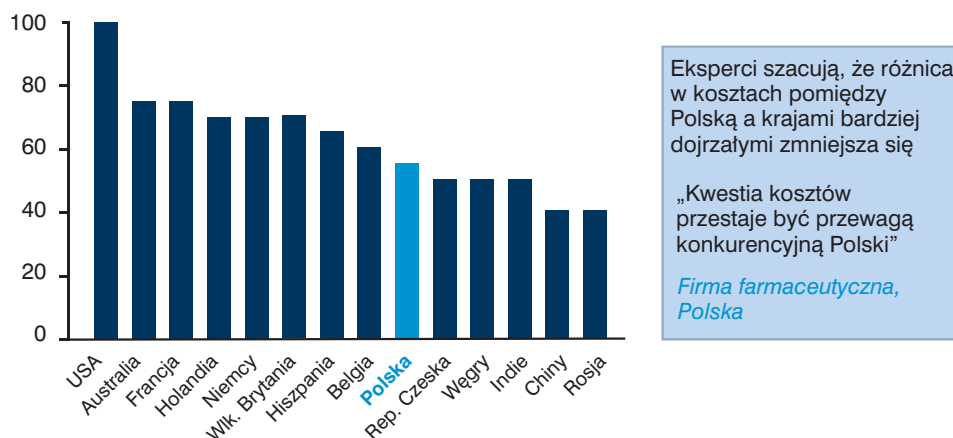
- Warto również zwrócić uwagę, że poza wyłącznie ekonomicznymi bodźcami, badania kliniczne mogą być atrakcyjne dla badaczy, ze względu na możliwość testowania nowych standardów leczenia, wymianę informacji z zagranicznymi ekspertami i możliwość bycia współautorami publikacji w cenionych pismach branżowych.

### Niskie koszty

- W przeszłości różnice w kosztach prowadzenia badań w Europie Środkowo-Wschodniej i Europie Zachodniej były dużo większe. Wraz z rozwojem gospodarczym różnica ta zaczyna się zacierać, jednak pozostajemy ciągle konkurencyjni pod tym względem.
  - „Naszym zdaniem, koszty badań klinicznych w Polsce nadal są niższe o 20%-30% w porównaniu z krajami Europy Zachodniej. Nie zawsze jednak jest to czynnik decydujący, zwłaszcza gdy bierze się pod uwagę czas, przewidywalność i ogólną łatwość prowadzenia badań.”
- Firma farmaceutyczna, Polska*
- W opinii ekspertów, jeżeli koszt byłby najważniejszym kryterium, to sponsorzy masowo przenosiliby badania z tradycyjnych rynków do tańszych lokalizacji (Kraje CIS, Ameryka Południowa, Azja itp.). Jednak trend ten nie jest tak szybki jak pierwotnie oczekiwano.
- Jako potwierdzenie, warto zauważyć, że USA mimo wysokich kosztów, pozostaje największym rynkiem badań klinicznych na świecie.

*Ciągle relatywnie niskie koszty prowadzenia badań nie są kluczowym kryterium przy wyborze naszego regionu przez sponsorów*

### Średni koszt przeprowadzenia badania – analiza porównawcza (USA=100)



Źródło: Analiza PwC

# Rozdział 4

## Korzyści i zagrożenia związane z badaniami klinicznymi



### Korzyści i zagrożenia związane z badaniami klinicznymi

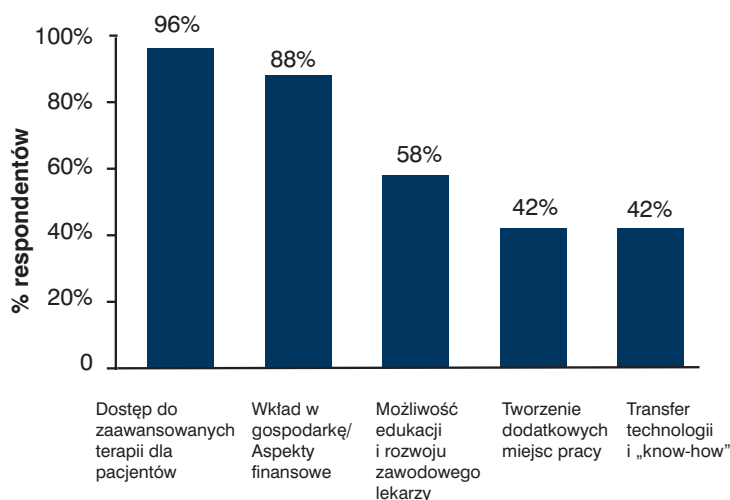
- *Kluczowe korzyści to: dostęp do nowoczesnych metod leczenia dla pacjentów oraz napływ środków pieniężnych do polskiej gospodarki. Dodatkowo badania kliniczne przyczyniają się do rozwoju kapitału ludzkiego poprzez dostęp badaczy do globalnego know-how.*
- *Badania kliniczne to także oszczędności dla publicznego systemu opieki zdrowotnej. Np. w przypadku onkologii, w 2009 roku, dzięki badaniom, zaoszczędzono ok. 130 mln PLN. Jeżeli jednak wziąć pod uwagę podwyższony standard terapii wartość świadczeń zdrowotnych uzyskanych dzięki badaniom klinicznym można oszacować na około 0,5 mld PLN.*

*Badania kliniczne wiążą się z szeregiem korzyści zarówno materialnych jak i niematerialnych*

## Wpływ na gospodarkę

- Badania kliniczne mają oczywisty wpływ na polską gospodarkę i wiążą się z szeregiem korzyści dla podmiotów biorących w nich udział. Są to efekty zarówno czysto wymierne i materialne jak również takie, których wpływu nie da się oszacować. Celem niniejszego rozdziału jest zobrazowanie kluczowych kwestii z tym związanych.
- **Efekty wymierne**
  - Wpływy do budżetu państwa;
  - Oszczędności alternatywne dla systemu opieki zdrowotnej (głównie dla publicznych wydatków na służbę zdrowia);
  - Dodatkowe źródło wynagrodzeń dla badaczy/lekarzy i ośrodków;
  - Wzrost zatrudnienia i popyt na usługi w innych sektorach.
- **Efekty niewymierne**
  - Ułatwiony dostęp do podwyższonych standardów leczenia dla pacjentów;
  - Rozprzestrzenianie się know-how/transfer nowych technologii;
  - Większe szanse dla badaczy/lekarzy (zwłaszcza młodych).
- Nasi respondenci uważają, że główne korzyści wynikające z badań klinicznych prowadzonych w Polsce to dostęp do nowoczesnych terapii dla pacjentów, jak również wymierny wpływ na polską gospodarkę.

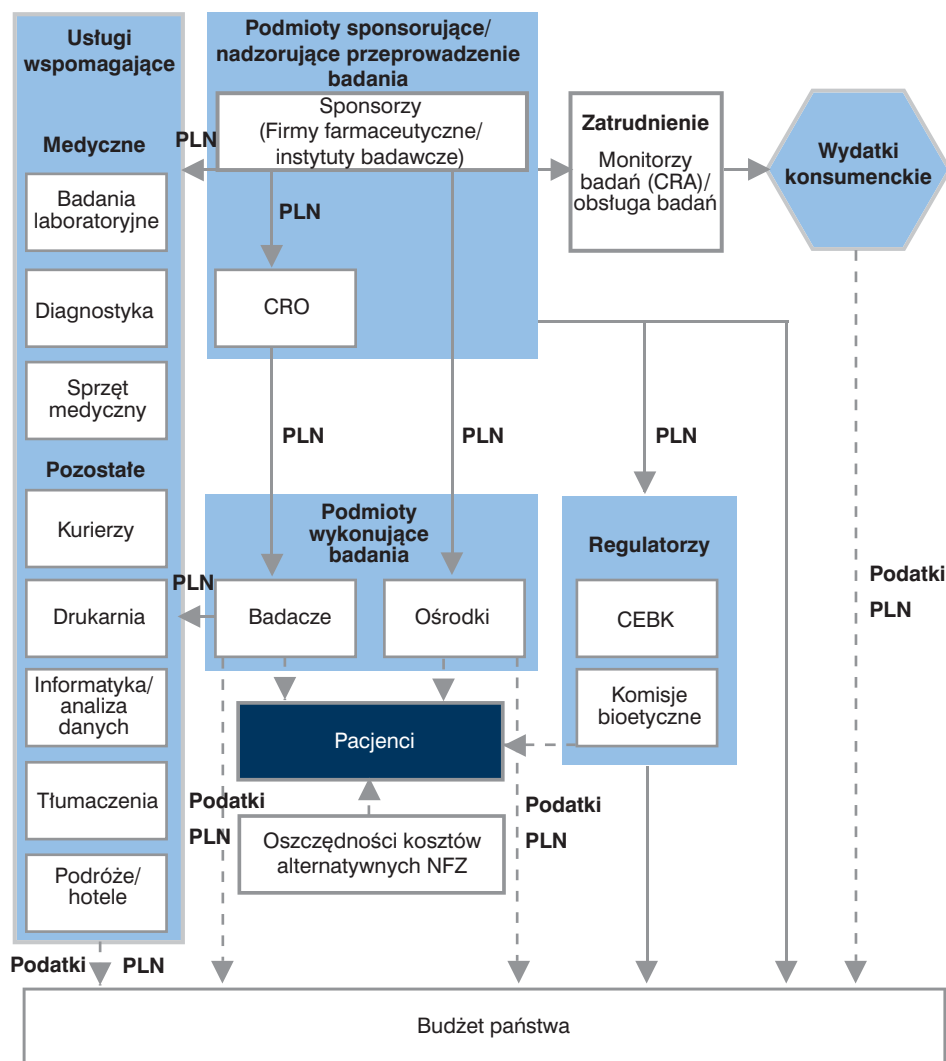
### Ankieta PwC: „Jakie są największe korzyści płynące z prowadzenia badań klinicznych?”



*Nota: Ze względu na możliwość wielu odpowiedzi wyniki nie sumują się do 100%  
Źródło: Analiza PwC*



- Prowadzenie badań klinicznych niezbędne jest do ogólnego rozwoju medycyny. Dzięki nim możliwe staje się wprowadzanie na rynek bardziej zaawansowanych, skuteczniejszych i bezpieczniejszych leków.
- Jednocześnie badania kliniczne mogą wywierać bezpośredni wpływ na gospodarkę (i społeczeństwo) kraju, w którym są prowadzone. Jest to zobrazowane na poniższym schemacie:



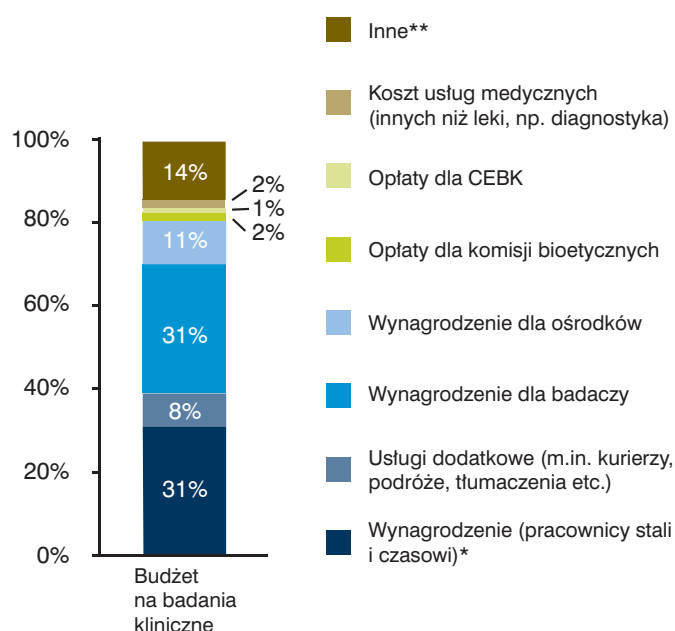
Nota: Symbol „PLN” oznacza przepływy finansowe

*Wiele stron jest beneficjentem badań klinicznych, które generują dodatkowe źródła dochodów*

*Z naszych analiz wynika, że głównymi beneficjentami są badacze oraz personel pracujący przy badaniach. Jednak wydaje się, że ośrodki medyczne też czerpią korzyści*

- Badania kliniczne mają wpływ na różne sektory gospodarki: obejmują zarówno sektor opieki medycznej, ale również wiele innych sektorów powiązanych z rynkiem badań.
- Sponsorami badań klinicznych są bardzo często duże, międzynarodowe firmy. Prowadzenie przez nich badań klinicznych w Polsce przyczynia się zatem do zwiększonego napływu środków pieniężnych do naszej gospodarki.
- Choć przeprowadzenie dogłębnej analizy ekonomicznej wykracza poza zakres niniejszego raportu, dane zgromadzone dzięki kwestionariuszowi dają podstawę do pewnych konkluzji, jak te środki pieniężne są dystrybuowane.

#### Szacowany podział nakładów na badania kliniczne



Note: \*Dotyczy również pracowników zewnętrznych (tzw. „in-sourcing”);

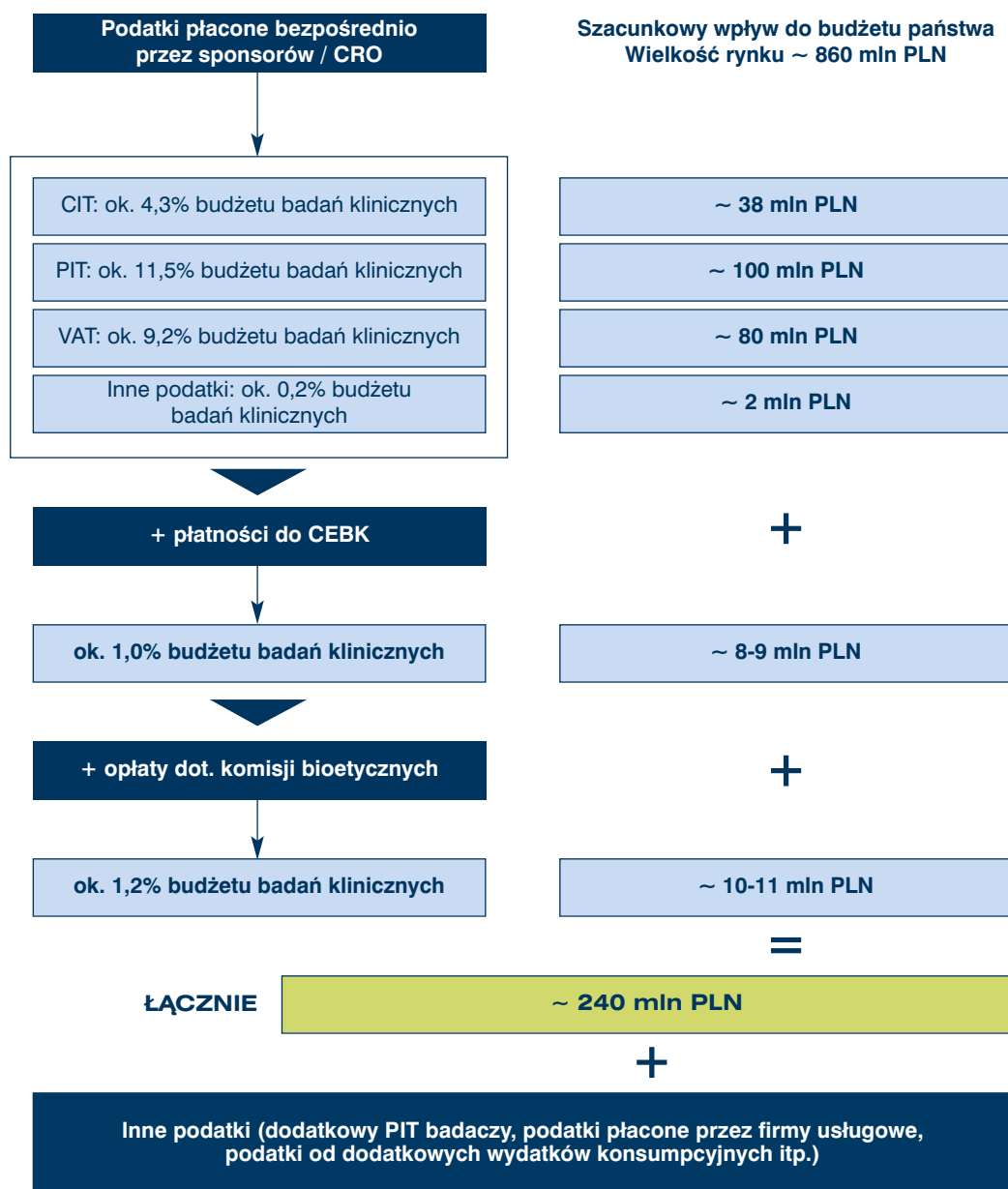
\*\*Inne zawiera wydatki niesklasyfikowane, wymienione przez respondentów

Źródło: Analiza PwC

*Ponad jedna czwarta z całkowitych wydatków na badania kliniczne trafia do budżetu państwa w postaci podatków*

#### Wpływy do budżetu państwa

- W oparciu o uzyskane dane, szacuje się, że ponad 25% całkowitego budżetu na badania kliniczne trafia do budżetu państwa.
- Jeżeli więc oszacowana przez nas wartość rynku wynosi około 860 mln PLN, suma bezpośrednich wpływów do budżetu wynosi 240 mln PLN rocznie, licząc tylko podatki bezpośrednio płacone przez sponsorów i firmy CRO (podatek dochodowy od osób prawnych (CIT), podatek dochodowy od osób fizycznych (PIT), podatek od wartości dodanej (VAT) i inne podatki).
  - Dodatkowo budżet państwa korzysta z opłat na rzecz CEBK, jak również ze wszelkich podatków płaconych przez pozostałe podmioty uczestniczące lub wspierające badania (np.: składki PIT płacone przez badaczy, podatki płacone przez firmy obsługujące badania, np. kurierów, tłumaczy, itp., jak również w ostatecznym rozrachunku podatki wynikające ze zwiększonej sprzedaży dóbr konsumpcyjnych).



Nota: Analiza oparta o dane z badania PwC  
Źródło: Analiza PwC

*Badacze podkreślają, że warunki finansowe związane z badaniami klinicznymi są atrakcyjne, zwracają jednak uwagę na to, że w przyszłości może się to jednak zmienić*

*Badania kliniczne mogą stanowić alternatywę oszczędności, łagodząc publiczny system opieki zdrowotnej*

#### Wynagrodzenie badaczy

- Jak już wspomniano, głównymi czynnikami motywującymi zespoły badawcze do prowadzenia badań są zarówno czynniki ekonomiczne, jak i możliwość uczestniczenia w nowoczesnych projektach naukowych. W ostatnim roku dość szeroko dyskutuje się na ten temat.
- Mimo iż dokładne kwoty nie są publicznie dostępne, to komentarze ekspertów sugerują, że wynagrodzenie lekarzy możliwe do osiągnięcia przy prowadzeniu badań klinicznych, jest znacznie wyższe niż to oferowane przez sektor publicznej opieki medycznej.
  - „Istnieje ryzyko, że wprowadzenie umowy trójstronnej pomiędzy sponsorem/CRO, badaczem a ośrodkiem klinicznym spowoduje obniżenie wynagrodzeń osiąganych przez badaczy.”  
*Badacz, Warszawa*
  - Wysokość wynagrodzeń osiąganych przy prowadzeniu badań klinicznych jest zachętą, zarówno dla doświadczonych jak i młodych lekarzy, do kontynuowania swojej kariery w służbie zdrowia i pozostania w Polsce. Warto zwrócić uwagę, że migracje zagraniczne lekarzy stały się w ostatnich latach przedmiotem gorącej debaty publicznej.

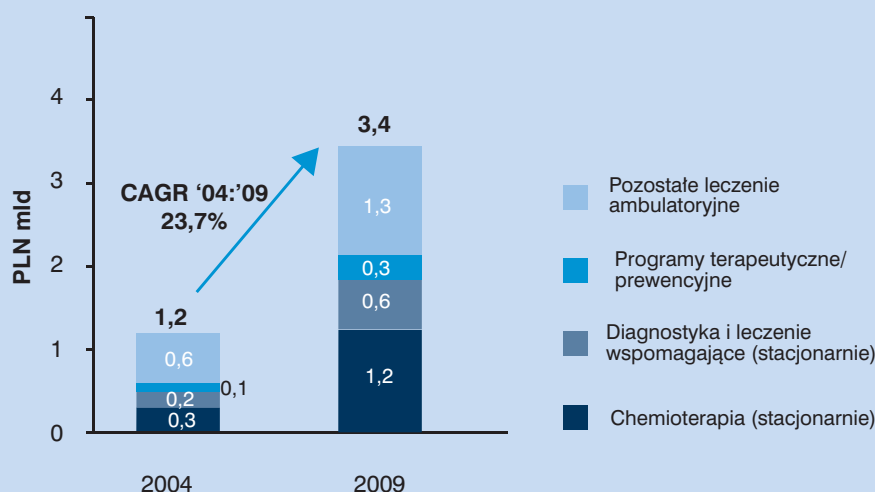
#### Oszczędności alternatywne

- Istnieje zgoda co do faktu, że część publicznych wydatków na opiekę zdrowotną nie jest ponoszona dzięki finansowaniu badań klinicznych przez sponsorów. Sponsorzy bardzo często zapewniają kompleksową opiekę medyczną uczestnikowi badań, również w tej części, która standardowo jest finansowana ze środków publicznych.
- Co więcej, aby utrzymać jednolitość wykonania badania klinicznego, sponsorzy mogą zapewnić opiekę medyczną na poziomie, który istotnie wykracza poza standardy finansowane przez NFZ.
  - „Kiedy brałem udział w badaniu klinicznym, czułem, że jestem traktowany z dużą starannością, np. bardzo często przechodziłem badania diagnostyczne. Jest to zrozumiałe, gdyż w trakcie takiego procesu uczestnicy muszą być monitorowani zgodnie z międzynarodowymi zasadami.”  
*Stowarzyszenie Pacjentów, Warszawa*
- Jednak eksperci twierdzą, że wielkość oszczędności z tym związanych może być niedoszacowana lub zupełnie pominięta przez decydentów.
- Z pewnością wielkość tych oszczędności różni się, w zależności od dziedziny, specyfiki danego badania czy dostępności usług publicznych. Sądzymy, że przykład onkologii ukaże powagę tego zjawiska.

### Przykład: Onkologia

- Analiza wyników naszego badania pokazuje, że około 4% pacjentów cierpiących na różnego rodzaju choroby onkologiczne bierze udział w badaniach klinicznych.
- Dzięki temu, ich leczenie finansują sponsorzy, a nie NFZ, co pozwoliło w 2009 roku NFZ zaoszczędzić 130 mln PLN, nie wliczając w to efektów podniesionej jakości świadczeń.
  - Trzeba jednak podkreślić, że w ciągu ostatnich pięciu lat wydatki publiczne na onkologię znacznie wzrosły.
- Sądzymy przy tym, że nasze szacunki są raczej konserwatywne, ponieważ zaawansowanie terapii jest zazwyczaj znacznie wyższe w trakcie badań klinicznych niż podczas standardowej terapii finansowanej przez NFZ.

### Wydatki NFZ na onkologię, włącznie z kosztami leczenia i leków 2004-2009



Nota: Analiza nie obejmuje leczenia nowotworów na oddziałach innych niż onkologiczne, np. w przypadku chorób płuc, oddziałach chirurgicznych, neurochirurgii, itp.

CAGR: średnioroczna stopa wzrostu

Źródło: NFZ, Ministerstwo Zdrowia, Analiza PwC

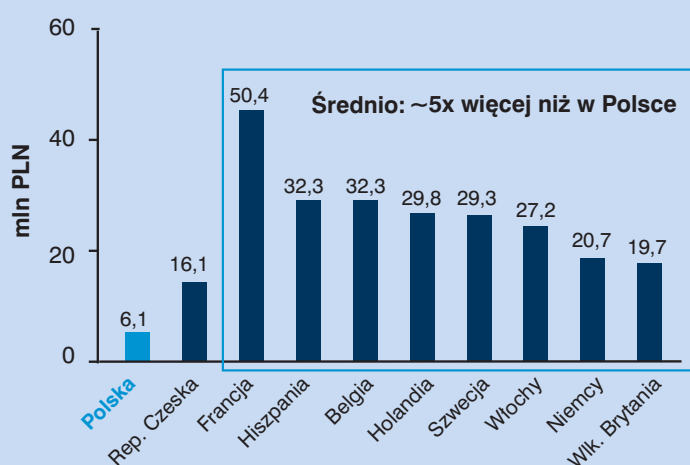
*Przykład z dziedziny onkologii pokazuje, że 4% pacjentów jest objęte leczeniem finansowanym w ramach badań klinicznych. Pozwala to zaoszczędzić nawet 130 mln PLN publicznych środków...*

*Przykład z dziedziny onkologii pokazuje, że 4% pacjentów jest objęte leczeniem finansowanym w ramach badań klinicznych. Pozwala to zaoszczędzić nawet 130 mln PLN publicznych środków...*

*...ponieważ poziom i zaawansowanie terapii w ramach badań klinicznych jest zazwyczaj wyższe niż dostępne standardowe terapie. Zatem rzeczywista wartość takiego leczenia może być cztery razy większa – co odpowiada 15% budżetu NFZ na onkologię*

- Jeżeli do porównań przyjęlibyśmy średni poziom wydatków na leki onkologiczne na pacjenta w krajach rozwiniętych, mogłoby to posłużyć jako dobry wskaźnik do określenia jaka jest faktyczna różnica pomiędzy standardową terapią finansowaną przez NFZ a standardem oferowanym przy prowadzonych badaniach klinicznych.
- Z międzynarodowych porównań wynika, że rzeczywista wartość leczenia w ramach badań klinicznych może być znacznie wyższa niż wspomniane 130 mln PLN.

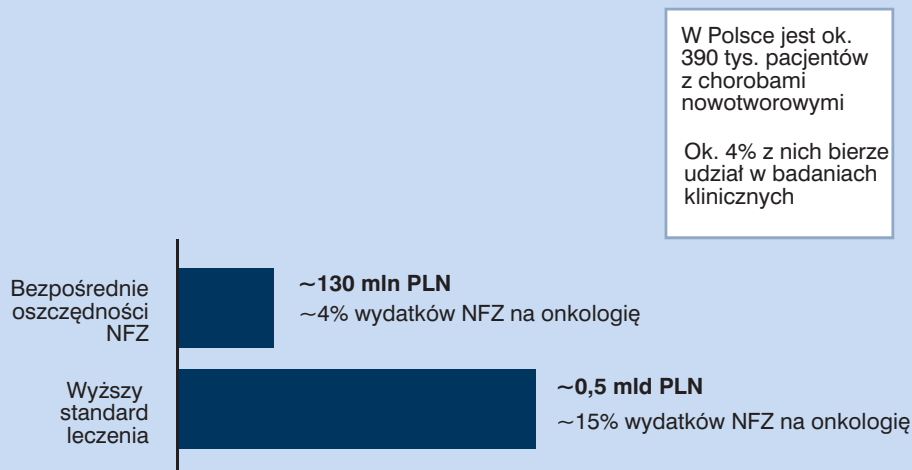
**Szacowane roczne wydatki na leki zwalczające raka (na 100 tys. mieszkańców), mln PLN**



Źródło: Karolinska Institute, 2009, Analiza PwC

- Nasze analizy pokazują, że gdy weźmiemy pod uwagę różnicę w jakości i poziom zaawansowania terapii, faktyczna wartość leczenia finansowanego przez badania kliniczne może wynieść nawet 0,5 mld PLN.
- Jest to kwota, która odpowiada 15% całkowitego budżetu NFZ na onkologię.

### Szacunkowe wartości oszczędności wynikających z kosztów alternatywnych: przykład onkologii



Źródło: Instytut Onkologii, Karolinska Institute, Analiza PwC

- Opinie z przeprowadzonych przez nas wywiadów, wskazują na przykład, że koszty leczenia nowotworów w Warszawskim Instytucie Onkologicznym w 20% są finansowane za pomocą badań klinicznych.
  - „Polska ma bardzo dobrze rozwiniętą sieć ośrodków onkologicznych we wszystkich większych miastach. Moim zdaniem placówki te rozwinęły się poprzez udział w badaniach klinicznych.”  
[Stowarzyszenie Pacjentów, Warszawa](#)
- Onkologia jest szczególnym przykładem. Około 1/3 pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych w Polsce to właśnie przypadki onkologiczne.
  - Należy jednak pamiętać, że większość badań klinicznych w Polsce dotyczy badań prowadzonych w warunkach ambulatoryjnych.
- Niemniej jednak argument oszczędności alternatywnych pozostaje istotny, zwłaszcza przy założeniu jasnych reguł dotyczących współfinansowania prowadzonej terapii.



*Pacjenci uczestniczący w badaniach mają dostęp do najnowocześniejszych standardów leczenia*

*Biorąc pod uwagę naturę prac rozwojowych, badania kliniczne mogą przyczynić się do rozwoju kapitału ludzkiego również w innych dziedzinach służby zdrowia*

*Bodźce ekonomiczne dodatkowo stymulują do rzetelności wykonywania badań przez lekarzy*

## Korzyści niewymierne

### Dostęp pacjentów do terapii o wyższym standardzie

- Z różnych stron pojawiają się opinie o tym, że Polska nadal pozostaje w tyle za bardziej dojrzałymi rynkami pod względem zaawansowania i jakości usług opieki zdrowotnej. Różnica w metodach leczenia między Polską a Europą Zachodnią wynika z faktu, że system opieki zdrowotnej w Polsce ciągle pozostaje niedofinansowany. Uczestnictwo w badaniu klinicznym jest postrzegane jako możliwość dostępu do wyższego poziomu leczenia oraz darmowych i bardziej nowoczesnych leków.
  - Ankietowani zgodnie twierdzą, że zapewnienie poziomu terapii stosowanego w krajach Europy Zachodniej, w polskich warunkach może okazać się bardzo kosztowne lub zupełnie niedostępne.
  - Czynnikiem ten będzie szczególnie ważny podczas leczenia pacjentów w obszarach, gdzie dostępność skutecznych leków jest ograniczona na tym etapie rozwoju medycyny (np.: onkologia czy leczenie po przeszczepach).
- Zdecydowana większość ankietowanych wskazała wyżej wymienione czynniki jako kluczowe zalety prowadzonych badań klinicznych (podsumowanie wyników badania prezentowane jest na stronie 44).

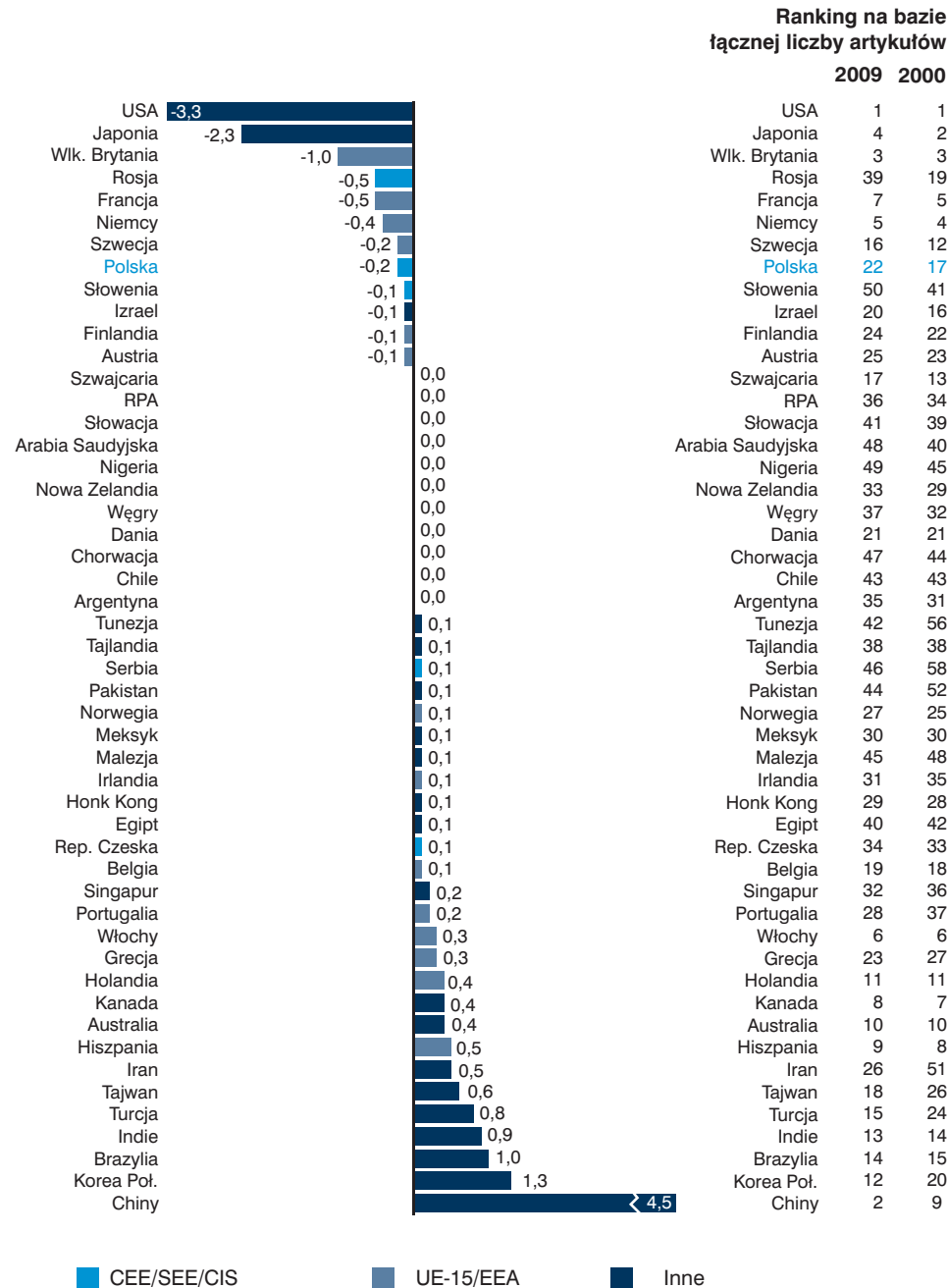
### Know-how

- Badania kliniczne zakładają jednolite i standardowe metody ich prowadzenia, zbierania danych oraz raportowania. Zdobyte dzięki temu umiejętności będą później wykorzystywane w dalszej pracy, co powinno procentować podniesieniem standardów w całej służbie zdrowia.
  - „Pamiętajmy, że dotyczy to nie tylko lekarzy, ale także asystentów, pielęgniarek i personelu pomocniczego.”  
*Ekspert branżowy*
  - W celu koordynacji badań klinicznych pomiędzy różnymi terytoriami, podmioty prowadzące badania bardzo często zapewniają wsparcie w decyzjach diagnostycznych. Jest to istotne wsparcie dla lekarzy, jednak nie wszyscy uważają to za atut.
  - „Standaryzacja procedur medycznych, zwana też „medycyną podręcznikową” ma swoich zwolenników, ale też krytyków. Podczas, gdy pierwsi doceniają jej jednolitość, drudzy narzekają na brak możliwości indywidualnych interpretacji.”  
*Ekspert branżowy*

### Możliwości rozwoju naukowego dla badaczy

- Polscy lekarze wydają się być bardziej skłonni do uczestnictwa w badaniach klinicznych niż lekarze z bardziej rozwiniętych rynków.
- Udział w badaniach klinicznych ułatwia lekarzom możliwość zaangażowania się w pracę naukową, publikowania swoich artykułów w międzynarodowych czasopismach medycznych, korzystając jednocześnie ze środków pochodzących od sponsorów badań klinicznych. Jednakże ten czynnik może wkrótce stracić na znaczeniu.
  - „Pogorszenie klimatu wokół badań klinicznych w Polsce zniechęca lekarzy do brania udziału w takich badaniach.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- Liczba artykułów w specjalistycznych czasopismach medycznych opublikowanych przez polskich lekarzy znacznie spadła, natomiast silny wzrost w tej dziedzinie wykazują kraje azjatyckie, zwłaszcza Chiny.

### Zmiana w udziale we wszystkich artykułach (punkty procentowe) 2000-2009



*Pomiędzy rokiem 2000 a 2009 Chiny, Korea Południowa, Brazylia i Indie były krajami gdzie nastąpił największy wzrost publikacji naukowych*

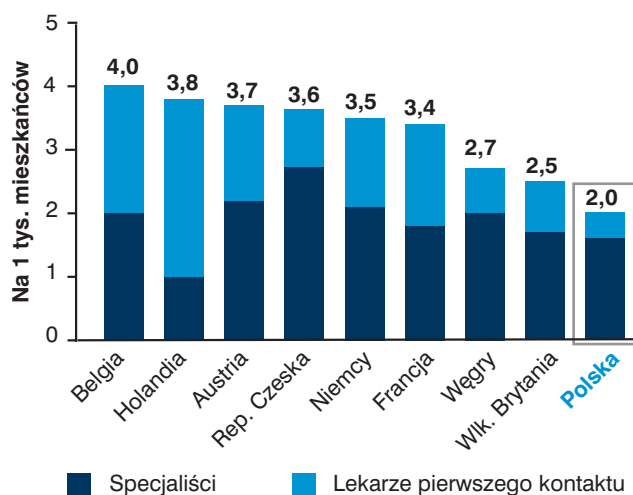
*Spośród krajów naszego regionu, Czechy i Serbia utrzymały dodatni wzrost udziału w publikacjach, podczas, gdy udział publikacji z Polski spadł o 0,2 punktu procentowego*

Nota: W analizie uwzględniono artykuły dostępne poprzez bazę PubMed  
Źródło: Clinical Trial Magnifier Vol. 2:12 (2009)

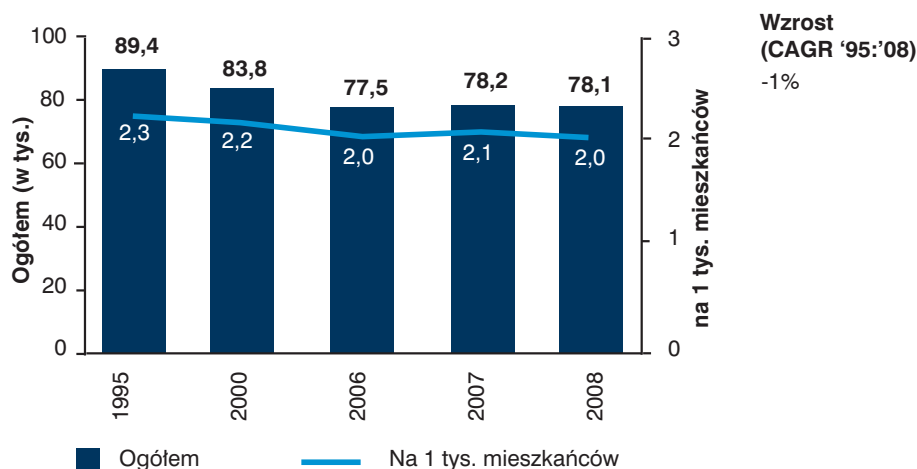
*Udział w badaniach klinicznych może zapewnić rozwój zawodowy dla personelu medycznego*

- Uczestnictwo w projekcie badawczym zapewnia wiele korzyści, zarówno materialnych jak i niematerialnych. Udział w badaniu wydaje się być szczególnie atrakcyjną ofertą dla młodych lekarzy, jednak w ostatnich latach liczba absolwentów medycyny i lekarzy chętnych do wzięcia udziału w badaniach klinicznych w Polsce spada.
  - Korzyści niematerialne to rozwój zawodowy i akademicki, zdobywanie dodatkowych doświadczeń oraz współpraca z międzynarodowym personelem medycznym.
  - „Badania kliniczne mogą zapewnić możliwość doskonalenia standardów codziennej pracy lekarzy, którzy są jeszcze na początku swojej kariery. Jest to korzystne dla całego systemu zwłaszcza, że ostatnie wydanie Health Consumer Index z połowy 2010 roku, pokazuje że poziom usług medycznych w Polsce klasyfikuje się na 24 miejscu w UE.”  
*Badacz, Mazowieckie*

**Liczba lekarzy przypadających na 1 tys. mieszkańców, 2008**



**Liczba lekarzy w Polsce: ogółem i na 1 tys. mieszkańców**



Nota: CAGR – Średnioroczna stopa wzrostu  
Źródło: OECD, GUS

# Rozdział 5

## Główne bariery dla rozwoju rynku



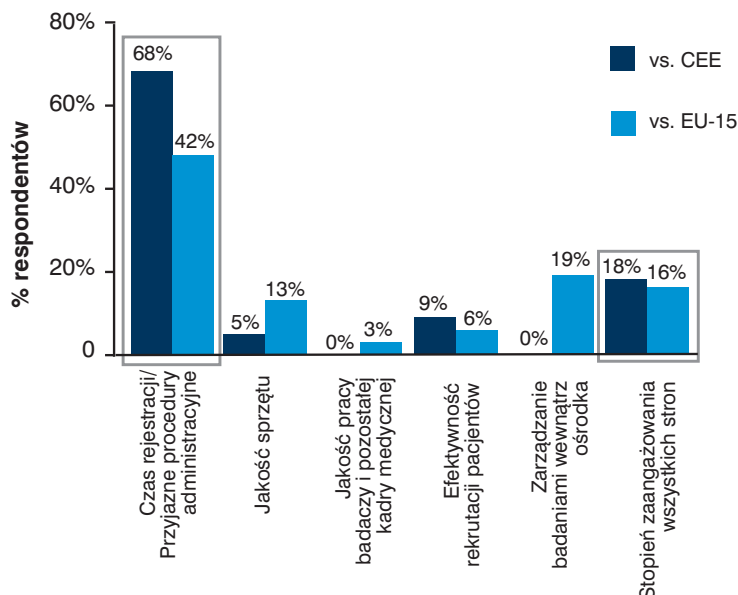
**Główne bariery dla rozwoju rynku**

- Kluczowe wyzwania dla rynku polskiego, w porównaniu do innych krajów regionu oraz Europy Zachodniej, to skrócenie czasu procedur administracyjnych oraz ogólna zmiana nastawienia do badań klinicznych. Jeżeli udałoby się rozwiązać te problemy można oczekiwać zwiększenia wpływów do budżetu państwa o ok. 45-65 mln PLN.
- Dalszy wpływ na rozwój rynku może mieć wprowadzenie większej przejrzystości i ujednolicenie procedur administracyjnych, jak również usprawnienie regulacji prawnych, i uproszczenie procesu rejestracyjnego w CEBK.
- Wprowadzenie jasnych zasad na jakich odbywa się współpraca pomiędzy sponsorami i ośrodkami, np. powołania osoby koordynującej badania w danym ośrodku oraz wprowadzenie standardów, które poprawią efektywność negocjacji kontraktów, powinny także pozytywnie wpłynąć na rynek.
- Ponadto dobra komunikacja, np.: wymiana informacji, kształtowanie świadomości i pozytywnej postawy społeczeństwa zwiększa atrakcyjność Polski jako rynku badań klinicznych.

## Główne bariery dla rozwoju rynku

- Jak już wspomniano, ze względu na wielkość populacji i skuteczną rekrutację pacjenta, Polska plasuje się na czele krajów w Europie Środkowo-Wschodniej jeśli chodzi o wielkość rynku badań klinicznych. Jednakże, inne mniejsze kraje regionu charakteryzują się zdecydowanie większą penetracją rynku dzięki zapewnieniu łatwiejszego procesu prowadzenia badań.
- Szereg negatywnych czynników doprowadził do spowolnienia wzrostu polskiego rynku. Ten rozdział ma na celu identyfikację tych barier, a także przedstawienie opinii różnych zaangażowanych stron, w kontekście możliwych działań w przyszłości.

### Ankieta PwC: „Jakie są główne wady rynku w Polsce w porównaniu z krajami CEE i Europy Zachodniej?”



Nota: Respondenci byli poproszeni o podanie dwóch zalet i dwóch wad  
Źródło: Analiza PwC

- Wyniki analizy wskazują, że 20-30% badań klinicznych nie zostało przeprowadzonych w Polsce, ale zostały skierowane m.in. do innych krajów Europy Środkowo-Wschodniej.
  - 84% respondentów, jako powód wskazało długi czas uzyskiwania pozwoleń na prowadzenie badań klinicznych.
  - 64% z nich stwierdziło, że ten negatywny trend nasilił się w ostatnich latach.
- Sytuacja na polskim rynku mogłaby ulec zmianie, jeżeli przeszkody administracyjne zostałyby wyeliminowane. Rozwiązanie tych problemów pozwoliłoby na szybkie zwiększenie wpływów do budżetu państwa o ok. 45-65 mln PLN.
  - „Jeśli spełnią się nasze przewidywania i czas rejestracji będzie krótszy, w Polsce będzie wykonywane więcej badań klinicznych, co pozwoli również na większe wpływy do budżetu państwa.”

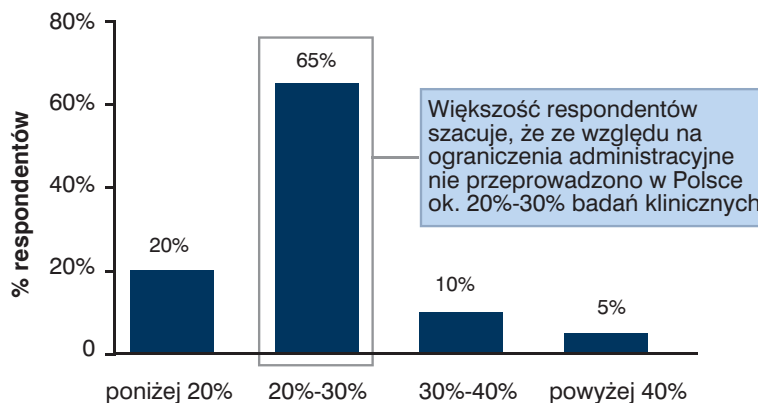
CRO, Polska

*Chociaż Polska jest postrzegana jako atrakcyjny rynek, istnieje szereg czynników, które zagrażają tej opinii*

*Przewlekłe i mało przewidywalne procedury rejestracji oraz nadmierna biurokracja są najbardziej istotnymi barierami dla rozwoju polskiego rynku badań klinicznych*

*Jeśli bariery administracyjne zostałyby usunięte, budżet mógłby zyskać ok. 20%-30%*

**Ankieta PwC: „Ile możliwych badań nie wykonano w Polsce z powodu utrudnień administracyjnych?”**

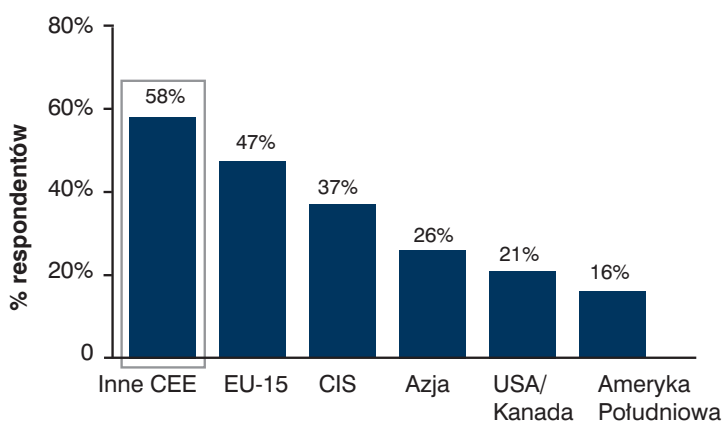


Źródło: Analiza PwC

- Z naszej analizy wynika, że to inne kraje regionu wykorzystały fakt, iż badania kliniczne nie odbyły się w Polsce.
- W trakcie naszych rozmów w URL przyznano, że krótszy czas rejestracji badań miałby pozytywny wpływ na liczbę badań wykonywanych w Polsce, pod warunkiem, że odpowiednie zmiany byłyby wprowadzone przez ustawodawcę.

*Większość respondentów przyznaje, że to inne kraje regionu wykorzystały fakt, że część badań nie została wykonana w Polsce*

**Ankieta PwC: „Które kraje na tym skorzystały, tj. w których krajach przeprowadzono te badania?”**



*Nota: Ze względu na możliwość wyboru wielu odpowiedzi wyniki nie sumują się do 100%*  
Źródło: Analiza PwC

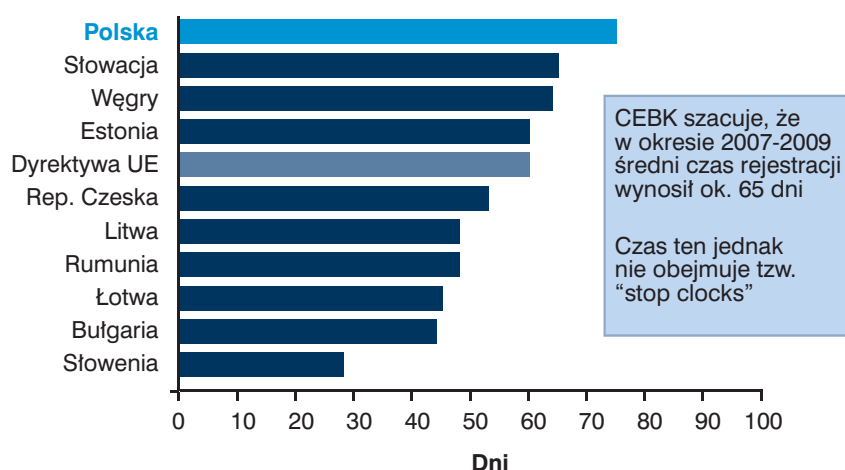


### Długi okres rejestracji

- Podmioty działające na rynku wskazują, że długi czas rejestracji jest najistotniejszą barierą rozwoju badań klinicznych. Polskę cechuje jeden z najdłuższych średnich czasów rejestracji nowego badania w Europie.
  - Jest to szczególnie ważne, ponieważ rekrutacja pacjentów często jest konkurencyjna pomiędzy krajami. W skrajnych przypadkach, zdarza się, że ze względu na długi okres procesu rejestracji, badanie można zainicjować w Polsce w momencie, gdy rekrutacja została już zakończona – co oznacza, że cały proces uzyskania zgody nie przekłada się na faktyczne wykonanie badania.
- Jak wskazano w Dyrektywie, państwa członkowskie UE są zobowiązane przestrzegać maksymalnie 60-dniowego okresu rejestracji badania. Jednak rzeczywisty czas rejestracji w Polsce przekracza średnio 75 dni.
  - „Powodem tego jest przede wszystkim istnienie tzw. „stop clocks”. Kiedy CEBK prosi nas o dodatkowe komentarze lub uzupełnienie wniosku, wówczas czas całego procesu dla urzędu jest wstrzymany aż do uzyskania odpowiedzi z naszej strony.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- Uczestnicy rynku wspominają, że może nawet ważniejsze, niż długa rejestracja, jest brak standaryzacji i przewidywalności procedury rejestracji.
  - „Brak przewidywalnej daty rejestracji badania jest istotną niedogodnością szczególnie dla badań klinicznych, w przypadku których badanie musi zostać uruchomione równocześnie w kilku lokalizacjach geograficznych.”  
*CRO, Polska*
- Podczas rozmowy przedstawiciel URL przyznał, że 60-dniowy termin może czasami być przekroczony, jednak głównie dlatego, że niektóre aplikacje są niekompletne.

*Jak wcześniej wspomniano wyniki naszej ankiety wskazują, że 20%-30% badań klinicznych nie zostało przeprowadzonych w Polsce ze względu na bariery administracyjne, głównie długi czas rejestracji*

### Średni czas rejestracji badania



Źródło: GCPpl

*Powszechnie uważa się, że konieczna jest większa klarowność i przejrzystość otoczenia regulacyjnego...*

- Ekspertki przyznają, że część badań klinicznych, które początkowo planowano zlecić w Polsce zostały przeniesione do innych krajów ze względu na długi czas trwania procedur.
  - W szczególności, Polska wydaje się być niemal całkowicie wyłączona z tak zwanej „ścieżki krytycznej” badań, gdzie czas ma kluczowe znaczenie przy wyborze terytorium.
  - „W takich przypadkach, sponsorzy wykonują badania raczej na innych rynkach naszego regionu, gdzie rekrutacja pacjenta jest równie szybka, ale okres rejestracji zdecydowanie krótszy.”  
*CRO, Polska*

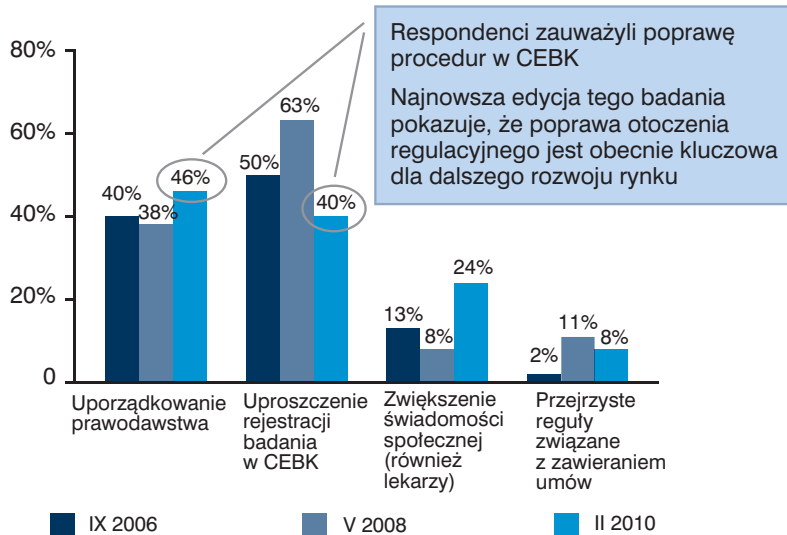
#### Większe opłaty do CEBK

- Respondenci zgodnie stwierdzili, że wzrost opłat rejestracyjnych do CEBK nie powinien mieć negatywnego wpływu na liczbę badań, pod warunkiem, że jest połączony z lepszą jakością obsługi.
  - Ponad 90% ankietowanych przyznaje, że są skłonni zapłacić więcej za wyższy poziom obsługi w CEBK.
  - „Myślę, że wzrost opłat będzie odstraszać sponsorów z Polski. Ważne jest jednak, że sponsorzy będą skłonni zapłacić więcej, pod warunkiem lepszej jakości usług, w tym gwarancji szybszej rejestracji.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*

#### Bariery administracyjne

- Podmioty działające na rynku podkreślają potrzebę przejrzystości w zakresie przepisów prawnych związanych z badaniami klinicznymi i ich egzekwowaniem.
- Ankietowani w szczególności podkreślają powolną realizację dyrektyw UE, np. w odniesieniu do maksymalnego czasu rejestracji badania klinicznego.
- Dotyczy to również kwestii wyraźnego podziału kompetencji. Uczestnicy rynku są zdania, że różne organy zaangażowane w proces zajmują się obszarami, do których w rzeczywistości nie są powołane.
  - U podstaw powołania komisji bioetycznych jest konieczność dostarczenia opinii w sprawie merytorycznych aspektów badania. Przykłady pokazują, że bardzo często tymi kwestiami zajmuje się również CEBK. Zgodnie z dyrektywą UE, CEBK powinien skupiać się wyłącznie na kwestiach administracyjnych. Dlatego na rynku panuje konsensus, że powinno być więcej przejrzystości w tym zakresie.
- Ostatnie zawirowania wokół badań klinicznych doprowadziły do gorącej debaty na temat zasad finansowania badań klinicznych w Polsce. Ekspertki zauważyli, że w związku z tym np. zaistniały pewne nieporozumienia między sponsorami i NFZ o to, kto powinien ponosić koszty leczenia pacjenta.
  - Odnosi się to szczególnie do dodatkowych procedur podczas badania klinicznego i pozostaje jednym z głównych czynników, które mogą negatywnie wpłynąć na ten rynek.
  - Komentatorzy rynku wskazują, że obarczenie sponsora całym kosztem leczenia może spowodować spadek liczby badań klinicznych prowadzonych w Polsce.
- Należy jednak podkreślić, że panuje powszechna opinia w środowisku, że nastąpiła ewidentna poprawa we wzajemnej współpracy między podmiotami i organami regulacyjnymi
  - jednak, jak się podkreśla, ta poprawa ma swoje źródło w złagodzeniu pewnych wymagań proceduralnych.
  - „Możliwość, by złożyć niepodpisany projekt kontraktu pomiędzy sponsorem i ośrodkiem, pozytywnie wpłynęła na proces rejestracyjny i skróciła czas tej procedury.”  
*CRO, Polska*

## Ankieta zewnętrzna: „Kluczowe obszary, które mogłyby zwiększyć liczbę badań klinicznych w Polsce”



Nota: Wielkości próby: 2006 – 82, 2008 – 64, 2010 – 63; Możliwość maksymalnie trzech odpowiedzi  
Źródło: PMR

- Przedstawiciele CEBK przyznają, iż większa niezależność urzędu powinna poprawić jego działanie. Taka niezależność jest standardem stosowanym głównie w krajach Europy Zachodniej. W Polsce żadne kroki w tym kierunku nie zostały jeszcze podjęte.

## Powolne wdrażanie inicjatyw unijnych

- W 2007 roku, szefowie agencji ds. leków (HMA) założyli Clinical Trials Facilitation Group (CTFG), której mandat ma na celu zapewnienie bezpieczeństwa uczestnikom badań klinicznych oraz zapewnić ich wysoką wartość naukową.
- Ma to być osiągnięte głównie poprzez ujednolicenie procedur podejmowanych przez urzędy (National Competent Authorities – NCA) i praktyk odnoszących się do badań klinicznych wykonywanych w więcej niż jednym państwie członkowskim UE. W ten sposób została ustanowiona Dobrowolna Harmonizacja Procedur (VHP) w celu zapewnienia wspólnej oceny aplikacji dotyczących nowych badań klinicznych.
- VHP zapewnia znormalizowaną i regularną wymianę informacji między urzędami – proces ten został uruchomiony po raz pierwszy w styczniu 2009 roku. Podczas, gdy większość państw członkowskich UE wzięła udział w tej inicjatywie (przynajmniej w niektórych jej częściach), tylko Holandia i Polska całkowicie odmówiły przyłączenia się do niej już w pierwszej turze procesu składania wniosków
  - „Postrzegamy tę odmowę jako złą z punktu widzenia sponsorów, zwłaszcza że VHP – choć jest nowym mechanizmem – zapewnia przewidywalność całkowitego okresu rejestracji poniżej 60 dni.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- Wydaje się jednak, że istnieje możliwość zmiany tej decyzji.
  - „Otrzymaliśmy opinie od przedstawicieli URPLW MiPB, że Urząd rozważa udział w VHP od 2011 roku. Nie znamy żadnych dalszych ustaleń w tym zakresie.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*

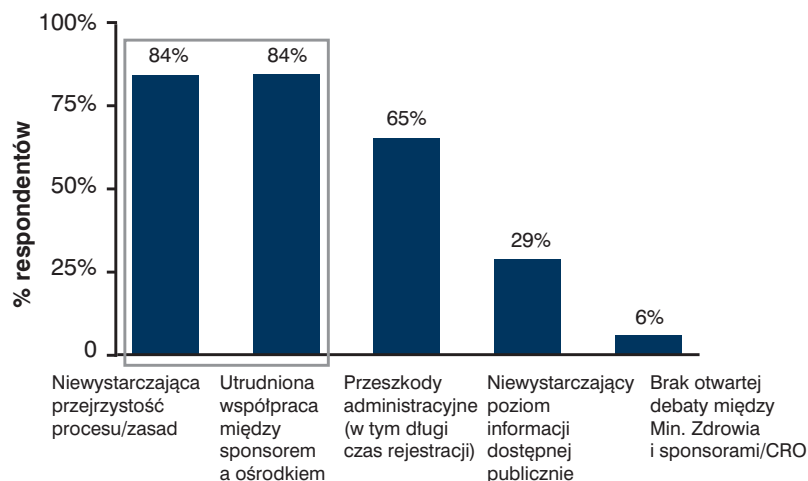
...jednak zauważa się pewną poprawę w tym obszarze

Polska odmówiła udziału w pierwszej turze CTFG/VHP, który okazał się dobrym narzędziem do osiągnięcia przewidywalnego czasu rejestracji. Istnieją jednak szanse, aby decyzja ta została zmieniona w niedalekiej przyszłości

*Brakuje administracyjnego wsparcia, aby poprawić współpracę między sponsorami, ośrodkami i badaczami np. w zakresie standardów kontraktowych*

#### Zarządzanie wewnątrz ośrodka prowadzącego badania

Ankieta PwC: „Jakie są największe przeszkody w prowadzeniu badań w Polsce?”



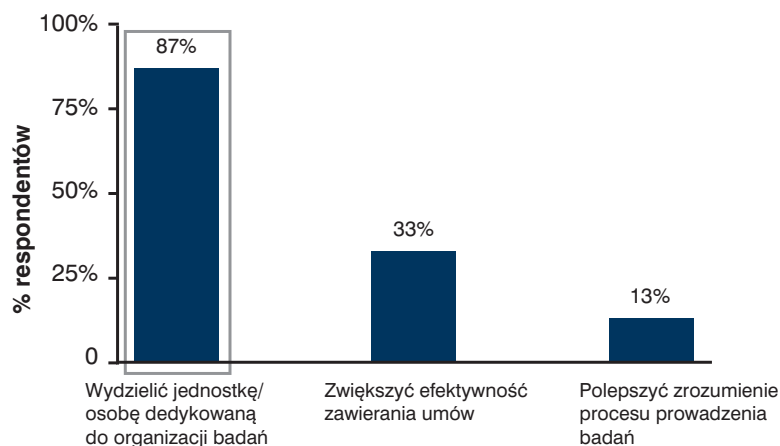
Nota: Ze względu na możliwość udzielenia wielu odpowiedzi wyniki nie sumują się do 100%

Źródło: Analiza PwC

- Mimo, że placówki w Polsce cenione są za wysokiej klasy lekarzy, tylko niewielka ich część ma jednostkę organizacyjną koordynującą procesy administracyjne w zakresie badań klinicznych.
  - Obie strony – sponsorzy i ośrodki badawcze – przyznają, że wzajemna współpraca jest dużo łatwiejsza, jeśli w strukturach ośrodka powołana jest osoba/jednostka odpowiedzialna za badania kliniczne.
  - Istnieją przykłady miejsc, w których jednostki takie funkcjonują i przyniosły wymierne efekty. Jednak wiele szpitali nie zdecydowało się na taką inicjatywę. Jest to przede wszystkim spowodowane trudnościami finansowymi i brakiem doświadczenia w tym zakresie.
  - „Część społeczności medycznej jest dość konserwatywna i nieufna w kontaktach ze sponsorami.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- Sponsorzy przyznają, że procedury administracyjne są szybsze w przypadku współpracy z prywatnymi zakładami opieki zdrowotnej.
  - Ponieważ leczenie w Polsce jest nadal w dużym stopniu publiczne, publiczne placówki prawdopodobnie pozostaną głównymi partnerami, zwłaszcza w przypadku leczenia szpitalnego.
  - Wydaje się, że część ośrodków publicznych jest w stanie w doskonały sposób korzystać z podobnych relacji komercyjnych, pod warunkiem, że wdrażane są najlepsze praktyki w tym zakresie.

- Trudności w zawieraniu umów z ośrodkami badawczymi są istotną przeszkodą.
  - „Negocjowanie umowy jest długie i uciążliwe. Jest tak przede wszystkim ze względu na wady ram legislacyjnych oraz pogorszenie wizerunku badań klinicznych w prasie. Raport, wydany przez Najwyższą Izbę Kontroli, wydaje się jeszcze pogłębiać ten problem.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
- Wyniki naszego badania wskazują, że brak standardów w negocjacjach między sponsorem, ośrodkiem i badaczem może prowadzić do opóźnień w całym procesie. Jest to szczególnie ważne, gdy czas jest bardzo istotnym czynnikiem.
  - Umowa trójstronna jest bardzo dobrym rozwiązaniem, pod warunkiem, że nie opóźnia znacznie negocjacji.
  - „Na początku mogą wystąpić trudności w okresie przejściowym, jednak w dłuższej perspektywie może mieć to pozytywny wpływ, ponieważ umowa będzie angażować ośrodki do zarządzania prowadzonymi tam badaniami.”  
*CRO, Polska*
- „Zasadniczy wniosek jest taki, że finansowanie badań klinicznych wymaga uporządkowania. Należy pamiętać, że badania te niewątpliwie są szansą dla pacjentów na skorzystanie z nowych sposobów leczenia, ale zasady ich finansowania muszą być przejrzyste i należyście zabezpieczać interesy szpitali.”  
*Jacek Jezierski, Prezes NIK, Gazeta Wyborcza, 23/07/2010*

### Ankieta PwC: „Od strony ośrodków, co należałoby poprawić aby polepszyć współpracę ze sponsorami/CRO?”



*Nota: Ze względu na możliwość udzielenia wielu odpowiedzi wyniki nie sumują się do 100%  
Źródło: Analiza PwC*

*Respondenci zauważyli, że ustanowienie w placówce jednostki, która zajmowałaby się badaniami klinicznymi powinno znacznie poprawić wzajemną współpracę*

*Niektórzy uważają, że dostęp do informacji o badaniach klinicznych jest niewystarczający*

*Historycznie, rynek badań klinicznych w Polsce stał przed istotnymi wyzwaniami związanymi z regulacjami podatkowymi...*

*...przede wszystkim ze względu na niejasne przepisy podatkowe lub ich restrykcyjną interpretację stosowaną przez organy podatkowe*

#### Niedostateczna wymiana informacji

- Zakres powszechnie dostępnych informacji na temat badań klinicznych wydaje się być ograniczony.
  - Eksperci sygnalizują, że ośrodki i naukowcy rywalizują o badania kliniczne, dlatego są mniej skłonni do dzielenia się informacjami na temat prowadzonych badań.
  - Pacjenci sugerują, że może to prowadzić do ograniczenia dostępu do badań z punktu widzenia potencjalnego uczestnika.
- Ponadto, wielu respondentów wskazało na negatywne nastawienie części mediów, które pogarszają postrzeganie badań klinicznych w społeczeństwie.
  - „Być może skandalizujące artykuły są bardziej chwytliwe i interesujące dla przeciętnego czytelnika, ale uważamy, że powinno być o wiele więcej obiektywizmu w mediach.”  
*CRO, Polska*

#### Kwestie podatkowe

- Regulacje podatkowe mogą zarówno blokować lub stymulować przepływ inwestycji i innowacji. Jak podano wcześniej, jednym z efektów prowadzonych badań klinicznych są istotne wpływy do budżetu państwa w postaci podatków i innych wpływów publicznych szacowanych na ok. 240 mln PLN. W tym kontekście, badania kliniczne w Polsce, stoją przed poważnymi wyzwaniami, ze względu na niejasne przepisy podatkowe lub restrykcyjną ich wykładnię stosowaną przez organy podatkowe. Komentatorzy podkreślają, że czynniki podatkowe są istotną barierą rozwoju rynku.

#### Historia wpływu regulacji podatkowych na badania kliniczne od 2004 roku

- Podatek VAT od usług monitorowania badań klinicznych od maja 2004 r. powiększał koszt badań prowadzonych w Polsce o 22% w porównaniu do innych krajów, które stosowały inne podejście w tym zakresie. Stanowisko organów podatkowych zmieniło się dopiero w 2009 roku, po czterech latach sporów z podatnikami oraz interwencji Komisji Europejskiej.
- Drugą istotną kwestią był brak zwolnień celnych dotyczących próbek leków wwożonych do Polski związanych z badaniami klinicznymi. Po trzech latach sporów z organami podatkowymi problem został częściowo uregulowany w 2007 roku. Korzystanie ze zwolnienia jest nadal problematyczne, dlatego też wielu sponsorów importuje próbki do badań za pośrednictwem innych krajów UE.

#### Nie rozwiązane problemy podatkowe

- Regulacje dotyczące podatku VAT od usług świadczonych na rzecz sponsorów przez ośrodki medyczne/szpitala, zajmujące się prowadzeniem badań klinicznych są niejasne. Stwarza to istotne ryzyko podatkowe dla szpitali (ostatnio kwestionowane przez NIK), wpływając na proces zawierania nowych umów dotyczących prowadzenia badań klinicznych.
- Istnieje brak jasnego zwolnienia z podatku PIT dla kosztów uczestnictwa w badaniu zwracanych pacjentom. Powoduje to potencjalne wątpliwości pacjentów oraz ryzyko ich sporów z organami podatkowymi. W efekcie ma to negatywny wpływ na proces rekrutacji pacjentów.
- Występuje brak zwolnienia z podatku PIT dla leków zapewnianych pacjentom przez sponsorów/fundacje po zakończeniu badań klinicznych. To zagadnienie bardzo problematyczne dla sponsorów i pacjentów jest ciągle niezauważane przez władze podatkowe.

#### Przykłady innych krajów

- Przykłady innych krajów pokazują, że regulacje podatkowe mogą przyciągnąć napływ innowacyjnych inwestycji, w tym również środków związanych z badaniami klinicznymi (warto tutaj przypomnieć, że globalne wydatki na badania kliniczne wynoszą ok. 50-80 mld USD).
- Wiele krajów stosuje różnorodne instrumenty, mające na celu zwiększenie inwestycji na badania i rozwój. W przypadku badań klinicznych na decyzje o dystrybucji środków mogą mieć wpływ, poza efektywnym otoczeniem administracyjnym (o czym piszemy w innych częściach raportu), ulgi podatkowe preferujące innowacyjne inwestycje.

| Rodzaj regulacji podatkowych przyciągających inwestycje w R&D                  | Natura czynnika motywacyjnego                                                                                                                                                                   | Przykłady krajów                                                                                                |
|--------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Zwolnienia podatkowe                                                           | Podatnik może odliczyć od podstawy opodatkowania określone rodzaje wydatków na R&D                                                                                                              | Austria, Belgia, Czechy, Francja, Irlandia, Wielka Brytania, Australia, Brazylia, Kanada, Chiny, Indie i Turcja |
| Kredyt podatkowy                                                               | Podatnik może obniżyć kwotę podatku zapłaconego                                                                                                                                                 | Austria, Węgry, Włochy, Hiszpania i Stany Zjednoczone                                                           |
| Zachęty podatkowe dotyczące badań naukowych i współpracy z ośrodkami naukowymi | Podatnik korzysta z szeregu zachęt podatkowych (ulgi podatkowej lub potrącenia do pewnego limitu) jeśli współpracuje z uniwersyteciem lub innym ośrodkiem naukowym (przy określonych warunkach) | Belgia, Dania, Węgry, Włochy, Hiszpania, Japonia i Chile                                                        |
| Zwolnienia z podatku PIT                                                       | Ograniczenie ciężaru podatku PIT lub składek na ubezpieczenia społeczne dla naukowców/badaczy lub dla przedsiębiorstw zatrudniających takich pracowników w związku z projektami R&D             | Holandia                                                                                                        |

*Wydaje się, że Polska może uczyć się na przykładach innych krajów, gdzie regulacje podatkowe zostały złagodzone, aby przyciągać inwestycje w R&D*

Źródło: Raport „Projektowanie i ewaluacja zachęt podatkowych dla rozwoju R&D w sektorze przedsiębiorstw”, przygotowany dla Komisji Europejskiej (listopad 2009), Analiza PwC

- Prawidłowo zaprojektowany system zachęt podatkowych dotyczących wydatków na badania i rozwój, może przyciągnąć inwestycje dotyczące badań klinicznych fazy od I do IV z innymi celami, takimi jak:
  - Akademickie projekty naukowo-badawcze;
  - Badania kliniczne inicjowane przez badaczy;
  - Współpraca między ośrodkami naukowymi i przedsiębiorstwami, a następnie wspieranie komercjalizacji wynalazków lub wyników badań;
  - Większe wykorzystanie lokalnej infrastruktury R&D (laboratoriów, uczelni wyższych i ośrodków badawczych);
  - Lokowanie wyników badań w danym kraju (rejestracja patentów, lokalizacja centrów R&D, itp.);
  - Wsparcie tzw. aniołów biznesu inwestujących swój kapitał w projekty badawcze na poziomie start-up.
- Przykłady innych rynków wskazują, że takie systemy zachęt podatkowych powinny być rozwijane w ścisłej kooperacji z przedstawicielami danego sektora, aby uniknąć sytuacji, w której system zachęt będzie nieatrakcyjny dla biznesu lub proces jego administrowania, istniejące ograniczenia i wymogi formalne zablokują jego efektywne wykorzystanie przez podatników.



*Podmioty działające na rynku postrzegają długi i nieprzewidywalny proces rejestracji oraz brak przejrzystości przepisów jako największe bariery administracyjne*

*Oczekują oni znacznego usprawnienia procedur, co powinno być główną siłą napędową dla sektora w przyszłości*

#### Przemysł (firmy farmaceutyczne i CRO)

##### Główne bariery

- Prowadzący badania kliniczne uważają, że długi i nieprzewidywalny okres rejestracji jest najważniejszą przeszkodą dla rozwoju tego rynku.
  - „Wydaje się, że zarówno czas uruchamiania, jak i czas przeprowadzenia całego badania są w Polsce jednymi z najdłuższych w Europie, nawet 1,5-2 razy dłuższe niż w innych krajach.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*
  - Oceny respondentów wskazują, że 20%-30% badań klinicznych w Polsce może zostać utraconych już na samym początku, ze względu na długi czas trwania cyklu.
- Choć podmioty działające w tym sektorze widzą poprawę we współpracy z CEBK i innymi organami, niektóre bariery w tym zakresie ciągle istnieją. Te bariery dotyczą przede wszystkim braku przejrzystości oraz ujednoliconej wykładni przepisów prawnych.
- W przypadku, gdy rekrutacja pacjentów jest konkurencyjna pomiędzy krajami, to wydłużający się proces rejestracji czyni Polskę mało atrakcyjnym rynkiem
  - i to pomimo faktu, że rekrutacja jest postrzegana jako jeden podstawowych atutów naszego kraju.

##### Możliwe działania

- Podstawowe zmiany, zdaniem przedstawicieli sektora, to poprawa wydajności pracy CEBK, co ma wpłynąć na przyspieszenie rejestracji, jak również uczynić ten proces bardziej przejrzystym.
- Chociaż jakość badań prowadzonych przez ośrodki jest ogólnie postrzegana wysoko, kluczowym problemem są kwestie administracyjne, dotyczące zwłaszcza kontaktów z ośrodkiem badawczym.
  - Umowa trójstronna jest powszechnie postrzegana przez sponsorów jako bardzo solidne rozwiązanie i ocenia się, że wpłynie to pozytywnie na proces negocjacji. Jednak niektórzy twierdzą, że może to spowodować pewne opóźnienia w negocjowaniu umowy ze względu na dyskusje pomiędzy badaczami i ośrodkami dotyczącymi podziału wynagrodzenia.
  - „W 2009 roku, proces negocjacji umowy ze szpitalem jeszcze się wydłużył. Mile widziane byłoby powołanie przez ośrodki jednostki albo tylko jednej osoby odpowiedzialnej za administrowanie badaniami klinicznymi. Niektóre już to zrobiły i zaobserwowaliśmy bardzo pozytywny efekt.”  
*Firma farmaceutyczna, Polska*

## Organy Regulujące (CEBK, komisje bioetyczne)

## Kluczowe bariery

- Na podstawie naszej rozmowy z URPLW MiPB można potwierdzić, że pewne aspekty administracyjne dotyczące badań klinicznych, mogłyby być bardziej efektywne, lepiej zintegrowane z podejściem UE.
- Przedstawiciele Urzędu przyznają, że krótszy okres rejestracji mógłby faktycznie zwiększyć liczbę badań klinicznych przeprowadzanych w Polsce (jako przykład podaje się Belgię, Austrię czy kraje bałtyckie). Jednakże bardzo mocno podkreślają rolę jakości i dokładności przy analizowaniu składanych aplikacji, co może być czasochłonne.
- Przedstawiciele komisji bioetycznych, z którymi rozmawialiśmy, uważają, że proponowane zmiany prawne powinny obejmować większą przejrzystość w podziale kompetencji. Podkreślono również istotę zagadnień związanych z dostępem pacjentów do informacji dotyczących badań oraz kwestie ubezpieczenia pacjentów.
  - „Uważamy, że całkowite ubezpieczenie pacjentów uczestniczących w badaniu jest niezwykle istotne. W naszej opinii jest to kluczowa kwestia do wyjaśnienia i wdrożenia w najbliższej przyszłości.”

*Komisja bioetyczna, Pomorskie*

## Możliwe działania

- Wydaje się, że większa niezależność CEBK jest dobrym rozwiązaniem z punktu widzenia urzędników zajmujących się kwestią badań klinicznych. Ewolucja z obecnej struktury organizacyjnej – gdzie Urząd jest bezpośrednio związany z Ministerstwem Zdrowia – w kierunku bardziej niezależnego organu („urzędu centralnego” lub „agencji rządowej”) może poprawić skuteczność, tak jak to pokazują przykłady krajów zachodnich (np. status NICE w Wielkiej Brytanii).
- Respondenci z komisji bioetycznych podkreślają, że zwiększeniu przejrzystości służyłaby lepsza i pełniejsza realizacja prawodawstwa europejskiego w tym zakresie.
  - „UE określiła jasne zasady dotyczące funkcjonowania komisji. W Polsce musimy wdrożyć te rozwiązania. Obecnie, poziom wiedzy na temat tego co taka komisja może a czego nie powinna robić, różni się pomiędzy poszczególnymi jednostkami.”

*Komisja bioetyczna, Łódzkie*

– „Potrzebujemy większej dostępności informacji na temat badań. Taka informacja powinna być publicznie dostępna, zwłaszcza dla pacjentów. Np. w USA badacze składają coroczne deklaracje dotyczące ich niezależności... być może aplikacja tej idei w Polsce spowoduje lepszy klimat wokół badań klinicznych?”

*Komisja bioetyczna, Mazowieckie*

*Pomimo iż organy regulacyjne podkreślają, że ich rola polega na nadzorowaniu, a nie komentowaniu otoczenia, zgadzają się, że niektóre obszary w organizacji procesów administracyjnych można poprawić*

*Te obszary to przede wszystkim większa niezależność CEBK lub całego URPLW MiPB, oraz jaśniejsze określenie roli komisji bioetycznych*

## Ośrodki badawcze

*Zarządzający szpitalami postrzegają brak precyzyjnych wytycznych prawnych i określenia odpowiedzialności, jako kluczową przeszkodę przy prowadzeniu badań klinicznych*

*Wprowadzenie obowiązkowych umów trójstronnych, szczegółowych wytycznych dla szpitala, jak również lepsze administrowanie badaniami w obrębie szpitala są wymieniane jako kluczowe działania w celu poprawienia sytuacji*

## Kluczowe bariery

- Z naszych wywiadów wynika, że dyrektorzy szpitali uważają, iż poziom płatności otrzymywanych przez szpital w związku z prowadzonymi badaniami jest niewystarczający. Dyrektorzy są zdania, że ośrodki otrzymują nieproporcjonalnie małe wpływy w porównaniu do kosztów ponoszonych w trakcie badań klinicznych.
- Niektórzy ankietowani uważają, że w wyniku kontroli NIK, dyrektorzy ośrodków mają większą świadomość tego, że mogą być rozliczani za przyjmowanie nieopłacalnych kontraktów. Zwiększa to niechęć do prowadzenia badań.
- Ponadto niektórzy podkreślają, że sponsorzy powinni być bardziej elastyczni w negocjacjach umowy z ośrodkiem.
  - „Rozumiemy, że sponsorzy płacą za badanie i są tymi, którzy ponoszą związane z nim ryzyko, więc oczekują, że wszystko będzie funkcjonowało tak jak oni chcą. Ale należy również pamiętać, że ośrodek jest kluczowym elementem w badaniu klinicznym, ponieważ jest to miejsce, w którym pacjenci są rekrutowani.”

*Szpital Publiczny, Śląskie*

## Możliwe działania

- Również z perspektywy ośrodków umowa trójstronna wydaje się być dobrym rozwiązaniem. Potwierdzają to przedstawiciele ośrodków, które stosują już takie rozwiązania. Wierzą, że taki sposób kontraktowania zapewnia pełną przejrzystość i ułatwia kompromis.
- Istnieje powszechna opinia, że nowe ramy prawne powinny przynieść bardziej przejrzyste zasady zarządzania badaniami klinicznymi w ośrodkach niż ma to obecnie miejsce. Jednocześnie, wiele szpitali wydało już samodzielnie własne wytyczne dotyczące sposobu administrowania badaniami klinicznymi.
  - „W wyniku ostatnich kontrowersji, stworzyliśmy zestaw wytycznych, które powinny być przestrzegane przez wszystkie podmioty, w tym sponsorów i badaczy. Znajdują się tam również kalkulacje opłat dla szpitala.”
- Wyraźne przyporządkowanie odpowiedzialności za badania kliniczne w obrębie ośrodka, wydaje się również ułatwiać proces prowadzenia badań.
  - „Muszę przyznać, że nie zawsze było jasne, kto jest u nas odpowiedzialny za badania, ale to się zmienia. Jest osoba, której zostały jasno przydzielone określone obowiązki w zakresie badań klinicznych. W naszym szpitalu jest to jeden z zastępców dyrektora.”

*Szpital Publiczny, Śląskie*

### Badacze (Lekarze)

#### Kluczowe bariery

- W trakcie prowadzonych przez nas rozmów, badacze zgodzili się, że nadmierne wymogi administracyjne negatywnie wpływają na proces rejestracji i realizacji badań klinicznych.
- Atrakcyjne wynagrodzenie jest oczywiście ważnym bodźcem dla lekarzy do prowadzenia badań klinicznych. Jednak spodziewany jest ich spadek głównie w wyniku interwencji prawodawcy.
- W ostatnim czasie na skutek zamieszania wokół badań obserwuje się trudności z rekrutacją pacjentów.
  - „Skrajne, a czasem przesadne historie, które można przeczytać w prasie mogą odstraszać pacjentów od udziału w badaniu klinicznym. Trudno znaleźć wiarygodne i powszechnie dostępne informacje w tym zakresie.”  
*Badacz, Warszawa*

*Lekarze zdają sobie sprawę, że czynniki motywujące zarówno badaczy jak i pacjentów do udziału w badaniach klinicznych mogą z czasem słabnąć*

#### Możliwe działania

- Tak jak w przypadku krajów Europy Zachodniej, należy i u nas położyć większy nacisk na współpracę pomiędzy firmami farmaceutycznymi, ośrodkami badawczo-rozwojowymi oraz instytucjami medycznymi.
  - „Wierzimy, że wzrost znaczenia roli centrów badawczo-rozwojowych w procesie badań klinicznych spowoduje przyciągnięcie ciekawszych badań, które mogą przyczynić się do globalnych postępów medycyny.”  
*Badacz, Warszawa*
- Precyzyjne przyporządkowanie kompetencji jest równie ważne. Nasi rozmówcy potwierdzają, że przepisy ustawy o komisji bioetycznej nie są jednoznaczne.
  - „Komisja bioetyczna powinna wydać opinię o aspektach medycznych, a CEBK powinien troszczyć się o zagadnienia formalne – teraz wszystko jest pomieszane.”  
*Badacz, Wrocław*
- Umowy trójstronne jako takie są ciekawym pomysłem z punktu widzenia lekarzy, ponieważ spodziewają się dzięki nim bardziej przejrzystych negocjacji z pozostałymi stronami. Z drugiej strony niektórzy respondenci są dość ostrożni w tej kwestii. Przewidują oni, że taki obowiązek może sprawić, że angażowanie się w badania kliniczne będzie po prostu dla lekarzy mniej atrakcyjne.

*Twierdzą oni także, że dodatkowy nacisk należy położyć na wstępną selekcję badań, z punktu widzenia ich wartości naukowej*

*Zdaniem organizacji pacjentów, należy położyć większy nacisk na edukację i zwiększanie świadomości pacjentów*

## Pacjenci

### Kluczowe bariery

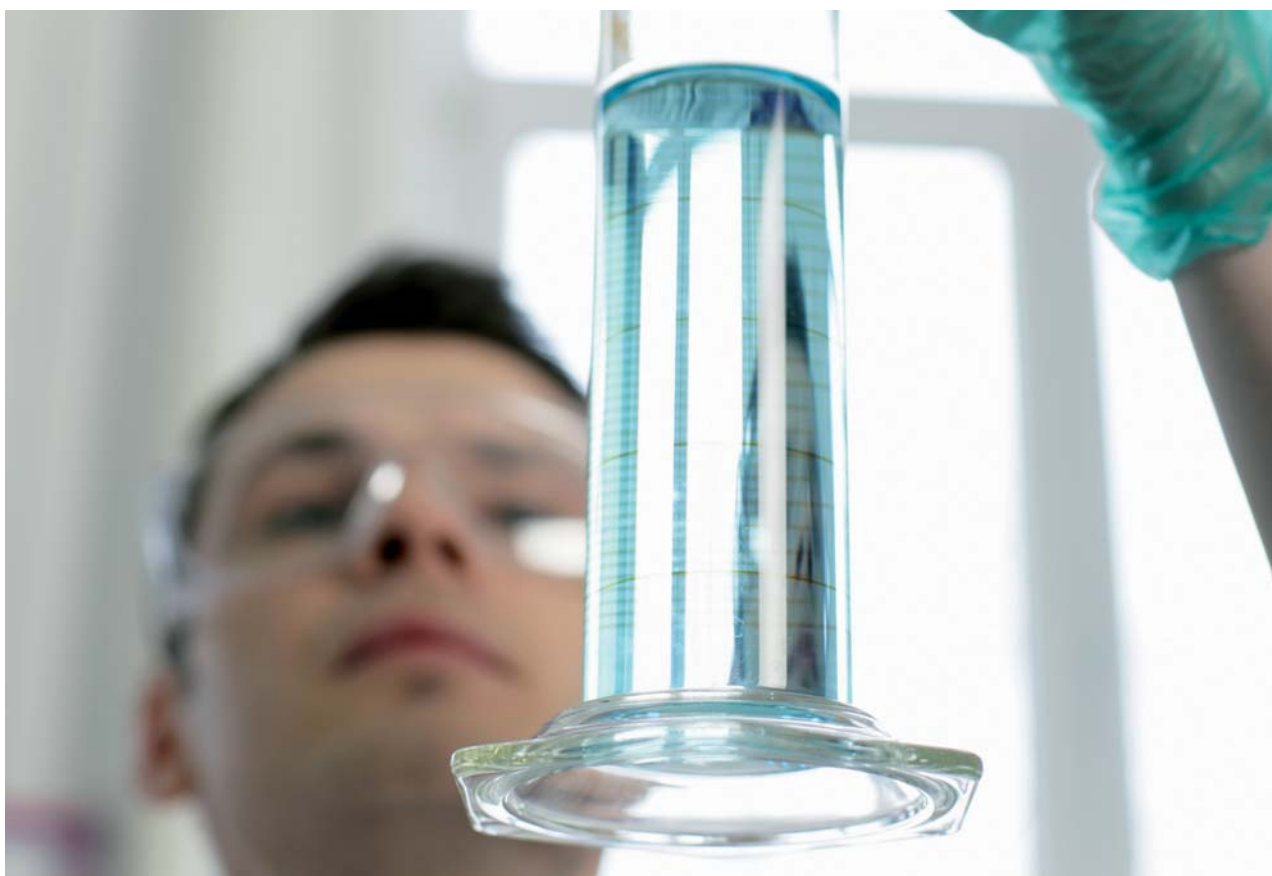
- Opinie jakie otrzymaliśmy od stowarzyszeń pacjentów wskazują, że poziom informacji udostępnianych pacjentom jest niewystarczający. Dodatkowo, istnieje potrzeba edukacji i poprawy świadomości wśród pacjentów.
  - Respondenci szczególnie podkreślali, że należałoby większy nacisk położyć na informowanie o korzyściach i ryzyku badań klinicznych, jak również o aspektach technicznych, takich jak świadoma zgoda, opcje ubezpieczeniowe, itp.
  - „Poinformowany i przez to wyedukowany pacjent może być bardziej świadomym uczestnikiem badań klinicznych. Rekrutacja takiego pacjenta może być dużo szybsza, co jest korzyścią dla badacza i sponsora.”  
*Stowarzyszenie pacjentów, Mazowieckie*
- Jak pokazują przykłady, czasami dostęp pacjentów do badań klinicznych jest bardzo ograniczony, głównie ze względu na brak wymiany informacji pomiędzy badaczami.
  - „Czasami wydaje się, że ośrodki, lub badacze konkurują o badania kliniczne. W konsekwencji informacje na temat badań, które są prowadzone, nie są rozpowszechniane, a więc też niedostępne dla pacjenta.”  
*Stowarzyszenie pacjentów, Mazowieckie*

### Możliwe działania

- Według stowarzyszeń, ostatnio uruchomiona inicjatywa Wspólnoty, jest bardzo obiecująca
  - UE uruchomiła projekt CORDIS FP7, który ma być zakończony pod koniec 2010 roku. Koncentruje się on głównie na propagowaniu punktu widzenia pacjentów w obszarze badań klinicznych. Unia Europejska przyjęła podejście bardzo „pro-pacjenckie”. Wspomniana już CTFG/VHP ma również na celu ochronę uczestników badań.
  - Istnieje ogólne przekonanie, że takie podejście będzie miało długofalowy, a nie tylko doraźny efekt. Część respondentów przyznała równocześnie, że efekty takich inicjatyw są trudne do określenia na chwilę obecną.
- Równocześnie podkreśla się duże znaczenie działań oddolnych.
  - „Wydajemy biuletyny, próbujemy być obecni i czynni w budowaniu tej świadomości. W końcu – jako stowarzyszenie pacjentów - jesteśmy tymi, którzy muszą zrobić pierwszy krok. Ale wsparcie z innych stron jest także niezbędne.”  
*Stowarzyszenie pacjentów, Wielkopolskie*

# Rozdział 6

## Wnioski



**Wnioski**

- *Polska pozostaje największym rynkiem badań klinicznych w regionie i ma istotny potencjał wzrostu.*
- *Badania kliniczne wiążą się z szeregiem korzyści dla Polski. Obejmują one zarówno istotny wkład w rozwój społeczeństwa, jak również i samej gospodarki.*
- *W celu utrzymania konkurencyjnego tempa rozwoju rynku, Polska powinna uruchomić szereg inicjatyw, w tym poprawę otoczenia administracyjnego.*
- *Przyspieszenie wzrostu liczby badań klinicznych i co za tym idzie, zwiększanie potencjalnych korzyści dla gospodarki, jest możliwe pod warunkiem, że będą rozwiązane problemy administracyjne, poprawi się przejrzystość procesów i nastąpi racjonalizacja otoczenia regulacyjnego.*



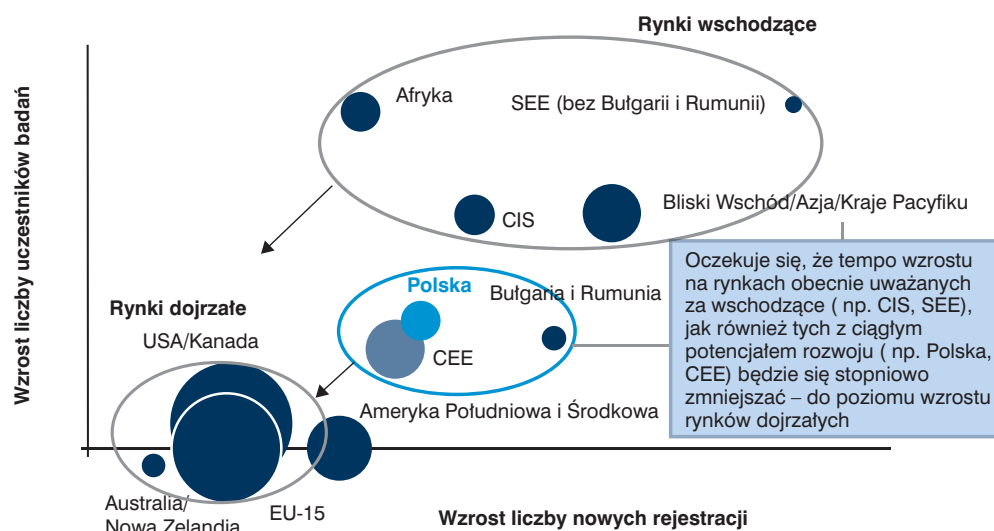
## Wnioski

### Niepewna przyszłość

- Globalny rynek badań klinicznych ma tendencję przesuwania się na wschód, do regionów rozwijających się. Głównym motorem tego trendu są niższe koszty oraz łatwiejsza rekrutacja pacjentów. W związku z tym można oczekiwać, że tempo wzrostu rynku w Polsce i całym regionie będzie spadać i zbliży się do tempa wzrostu np. USA i Europy Zachodniej. Proces ten związany jest z dojrzewaniem rynku.
- Aktualnie, regionami charakteryzującymi się wysokim wzrostem są kraje azjatyckie, kraje CIS oraz region Bliskiego Wschodu. Wydaje się jednak, że tak wysoka stopa wzrostu wynika głównie z niskich wartości początkowych i nie musi być trwała w długim okresie, ponieważ sponsorzy szukają krajów, gdzie otoczenie badań klinicznych jest bardziej przewidywalne (np. bardziej rygorystyczne zasady ochrony patentowej oraz przyjazne i stabilne ramy prawne).
- Jako że czynniki motywujące do udziału w badaniach klinicznych słabną wraz z dojrzewaniem rynku, kraje rozwinięte podjęły szereg działań aby utrzymać pozytywny wzrost i utrzymać liczbę prowadzonych badań u siebie. Działania te obejmują ułatwienia administracyjne, krótszy czas rejestracji i przejrzyste normy zawierania umów. Polska i inne kraje regionu muszą rozważyć wdrożenie podobnych inicjatyw, jeżeli chcą skutecznie rywalizować z szybciej rozwijającymi się rynkami.

*Żeby utrzymać konkurencyjne tempo wzrostu, Polska powinna uruchomić kilka inicjatyw, tak jak miało to miejsce w krajach bardziej rozwiniętych...*

### Badania kliniczne\* zgłoszone i zatwierdzone w EMA



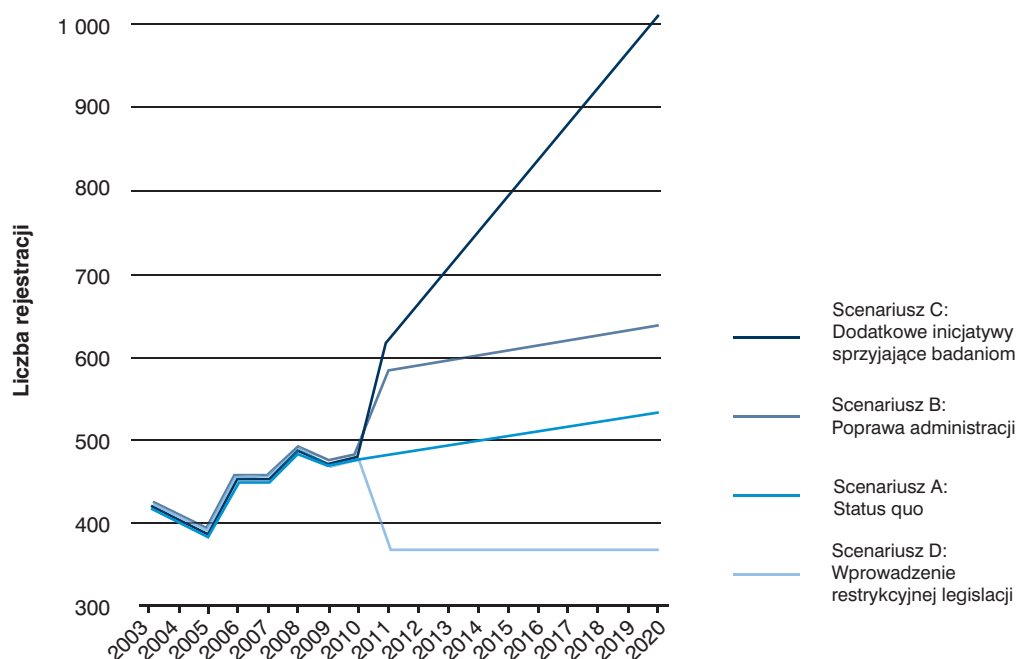
*Nota: \*Analiza poglądowa na bazie wybranej próbki badań klinicznych typu "pivotal", a zatem głównie fazy III, zgłoszonych we wnioskach (MAA) i zatwierdzonych w Europejskiej Agencji Leków (EMA); Wielkość oznacza średnią roczną liczbę uczestników badań w danym kraju w 2005-2008*

*Źródło: EMA*

*Poprawa barier administracyjnych oraz wprowadzenie innych inicjatyw pobudzających rynek wydają się kluczowe, aby utrzymać szybki wzrost liczby badań klinicznych w Polsce...*

- W oparciu o założenia wynikające z danych CEBK i analizy PwC opracowaliśmy cztery scenariusze, które naszym zdaniem pokazują potencjalny kierunek dalszego rozwoju badań klinicznych w Polsce.
- Okazuje się, że sama tylko poprawa otoczenia administracyjnego jak również ram prawnych, może wywołać znaczący efekt, który powinien zniwelować trend konwergencji stopy wzrostu do poziomów obserwowanych w Europie Zachodniej i USA. To powinno przede wszystkim pomóc w utrzymaniu pozycji konkurencyjnej Polski wobec innych, szybko rozwijających się rynków.

#### Badania kliniczne w Polsce – możliwe kierunki rozwoju



*Nota: Prognozy mają charakter szacunkowy i nie uwzględniają potencjalnych zmian w globalnej strukturze rynku badań klinicznych, takich jak np. wpływ skrócenia procesu prac nad nowym lekiem czy konsekwencje spadku wydatków na R&D*

*Źródło: CEBK, EMA, Analiza PwC*

| Trend                                                                | Założenia                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     |
|----------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Scenariusz A:<br/>Status Quo</b>                                  | <ul style="list-style-type: none"> <li>Brak istotnych zmian w otoczeniu prawnym i administracyjnym</li> <li>W ciągu następnych 10 lat, tempo wzrostu w Polsce spada i zbliża się do tempa w krajach zachodnich – historyczna stopa wzrostu (ok. 2% CAGR '03:'09) stopniowo słabnie do osiągnięcia umiarkowanego poziomu tych krajów</li> </ul>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |
| <b>Scenariusz B:<br/>Poprawa<br/>otoczenia<br/>administracyjnego</b> | <ul style="list-style-type: none"> <li>Założony wzrost pochodzi głównie z faktu, że skrócony został czas niezbędny do rozpoczęcia badań klinicznych (licząc okres rejestracji, zawierania umów, aprobatę komisji bioetycznych, itp.)</li> <li>Znacząca poprawa warunków administracyjnych powinna skutkować ~20% wzrostem (założono, że widocznym już w 2011 roku)</li> <li>Wzrost poziomu liczby badań jest możliwy do osiągnięcia, jako że czas rejestracji jest kluczowy dla sponsorów. Możliwe wprowadzenie w Polsce np. badań z tzw. „ścieżki krytycznej” (Analiza PwC)</li> </ul>                                                                                                                                                                                                                       |
| <b>Scenariusz C:<br/>Dodatkowe<br/>inicjatywy<br/>pobudzające</b>    | <ul style="list-style-type: none"> <li>Inicjatywy mają wspierać czynniki, które są podstawą silnej pozycji Polski na globalnym rynku. Powinno się również wdrożyć najlepsze praktyki stosowane w innych krajach</li> <li>Polska może skutecznie rywalizować zarówno z dojrzałymi rynkami (bazując na skutecznej rekrutacji, ale też ciągle niższych kosztach), jak również z rynkami rozwijającymi się (bazując na jakości prowadzenia badań oraz stabilnych ramach prawnych i normach branżowych)</li> <li>Wydaje nam się, że ten scenariusz jest konserwatywny: wprowadzenie dodatkowych inicjatyw ma szansę spowodować wzrost historycznej stopy wzrostu (do ok. 4%). Ze względu na duży potencjał rynku polskiego stopa tego wzrostu może być dużo wyższa w zależności od przyjętych rozwiązań</li> </ul> |
| <b>Scenariusz D:<br/>Restrykcyjna<br/>legislacja</b>                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>Potencjalne wprowadzenie nadmiernie restrykcyjnych regulacji ma negatywny wpływ na liczbę prowadzonych badań klinicznych w Polsce – w efekcie następuje gwałtowny spadek</li> <li>Ten scenariusz zakłada, że znacząca liczba badań klinicznych będzie przeniesiona do innych krajów z bardziej sprzyjającym otoczeniem prawnym</li> <li>Subiektywnie założyliśmy 30% spadek rynku, jednakże rzeczywisty wpływ jest trudny do oszacowania i zależy od skali ograniczeń prawnych – założyliśmy też brak wzrostu przez cały analizowany okres.</li> </ul>                                                                                                                                                                                                                 |

*...wzrost ten ma sprzyjać wszystkim zaangażowanym stronom*

*Wzrost dochodów do budżetu państwa wydaje się być istotną korzyścią dla gospodarki*

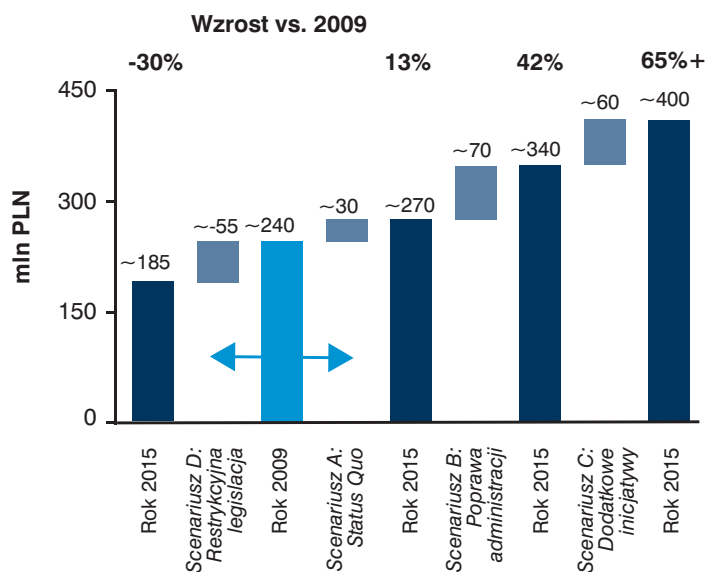
#### Korzyści wynikające ze wzrostu

- Zakładając poziom dochodów budżetowych od sektora badań klinicznych, przedstawiony wcześniej w raporcie oraz potencjalne prognozy liczby badań klinicznych przy czterech scenariuszach, dochodzimy do wniosku, że są strony, które istotnie korzystają na rozwoju badań klinicznych, jeżeli zostałyby wprowadzone inicjatywy przyciągające badania kliniczne do Polski.

#### Wpływy do budżetu państwa

- Według naszych prognoz, wprowadzenie odpowiednich zachęt dla sponsorów może spowodować znaczący wzrost wpływów do budżetu (lub spowodować ich zmniejszenie, jeżeli zmaterializuje się negatywny Scenariusz D).
- W perspektywie pięciu lat, wpływy do budżetu mogłyby wzrosnąć o 160 mln PLN jeżeli udałooby się poprawić otoczenie administracyjne, a także wprowadzone zostałyby dodatkowe inicjatywy, takie jak np. zwiększenie przejrzystości prowadzenia badań klinicznych w Polsce.
  - Wydaje nam się, że jest to raczej konserwatywne podejście, gdyż dokładny zysk będzie zależał od faktycznego pakietu wprowadzonych inicjatyw.

#### Możliwe wpływy środków do budżetu państwa generowane przez rynek badań klinicznych (wzrost 2015 vs. 2009)



Źródło: Analiza PwC

### Oszczędności kosztów alternatywnych

- Na przykładzie onkologii przeanalizowaliśmy, jakie mogą być szacunkowe oszczędności alternatywne dla publicznego systemu ochrony zdrowia. Wyniki sugerują, że leczenie ok. 4% pacjentów jest finansowane poprzez uczestnictwo w badaniach klinicznych. Szacujemy, że z tego tytułu oszczędności dla NFZ sięgają ok. 130 mln PLN.
- Jednak biorąc pod uwagę fakt, że uczestnikom badań klinicznych w rzeczywistości zapewniany jest dużo wyższy poziom leczenia, szacujemy, że faktyczna wartość świadczeń zapewnianych dzięki badaniom może wynosić nawet 0,5 mld PLN i to tylko w przypadku samej onkologii, co stanowi ok. 15% środków jakie NFZ wydaje na tą dziedzinę.
- W zależności od przyszłego rozwoju wydatków publicznych na ochronę zdrowia, udział oszczędności alternatywnych w stosunku do całkowitych wydatków publicznych może ewoluować. Jednak ze względu na zakładany rozwój badań klinicznych, wartość bezwzględna tych oszczędności również będzie wzrastać. W konsekwencji, leczenie coraz większej liczby pacjentów będzie faktycznie współfinansowane przez sponsorów, a nie tylko ze środków NFZ.
- Jeżeli jednak zostaną wprowadzone zbyt restrykcyjne przepisy, oznacza to mniejszą liczbę badań klinicznych, a w konsekwencji negatywny wpływ na skalę oszczędności alternatywnych. Na przykładzie onkologii można oczekiwać spadku o ok. 30 mln PLN faktycznych oszczędności dla NFZ i ok. 150 mln PLN spadku wartości świadczeń uwzględniając podwyższony standard leczenia.
- Należy pamiętać, że mechanizm ten ma również zastosowanie do wielu innych dziedzin medycyny. Łączne oszczędności alternatywne wynikające z potencjalnego wzrostu liczby badań klinicznych mogą być istotnym elementem częściowego odciążenia niedofinansowanego systemu publicznej opieki zdrowotnej w Polsce, pod warunkiem ustalenia jasnych przepisów współfinansowania terapii pomiędzy sponsorami i NFZ.

### Bodźce i szanse dla badaczy

- Badacze są motywowani do udziału w badaniach klinicznych na dwa sposoby, poprzez czynnik finansowy oraz poprzez możliwości związane z rozwojem zawodowym. Długotrwałe istnienie tych czynników wydaje się być istotne również w szerszym kontekście.
- Po pierwsze, poziom wynagrodzenia wydaje się być skutecznym czynnikiem wpływającym na decyzje odnośnie zagranicznej migracji personelu medycznego. Możliwość przeprowadzenia badań i konkurencyjne wynagrodzenie, powodują, że najlepsi specjaliści chcą pozostać w kraju. Większe możliwości rozwoju zawodowego również mają swoje znaczenie.
- Po drugie, budowanie relacji i doświadczenie uzyskane w ramach współpracy międzynarodowej ma już widoczny pozytywny wpływ na rozwój młodych lekarzy. Nasilenie tej tendencji w przyszłości pomoże zintegrować Polskę ze środowiskiem międzynarodowym i otworzyć nasz kraj na osiągnięcia nowoczesnej medycyny.

### Ułatwiony dostęp do lepszych standardów leczenia

- Polska wydaje się nadal pozostawać w tyle za bardziej rozwiniętymi krajami jeśli chodzi o standardy opieki zdrowotnej, zwłaszcza w zakresie dostępności nowoczesnych metod terapeutycznych. Można zauważyć, że badania kliniczne zazwyczaj wykorzystują najbardziej zaawansowane i kosztowne terapie dostępne na świecie. Okazuje się, że nawet najbardziej zaawansowane pod tym względem kraje borykają się z możliwością sfinansowania najnowocześniejszych osiągnięć medycyny.
- Można więc stwierdzić, że badania kliniczne wspierają większą obecność zaawansowanych terapii medycznych, również w dłuższej perspektywie, kiedy Polska będzie zbliżała się do standardów bardziej rozwiniętych krajów.

*Zwiększenie wymiaru oszczędności kosztów alternatywnych jest bardzo korzystnym efektem rozwoju badań klinicznych ze względu na skalę niedofinansowania systemu opieki zdrowotnej w Polsce. Powinno to być połączone z przejrzystymi przepisami dotyczącymi współfinansowania*

*Personel medyczny powinien być motywowany zarówno finansowo, jak i pod względem możliwości rozwoju zawodowego*

*Okazuje się, że najważniejsi uczestnicy systemu opieki zdrowotnej, pacjenci, są żywo zainteresowani korzyściami wynikającymi ze zwiększonej liczby badań klinicznych w Polsce*

*Otoczenie badań klinicznych w Polsce wymaga sprawnej racjonalizacji. To jednak nie może prowadzić do nadmiernej regulacji, która może ograniczać przyszły rozwój i istotnie ograniczyć spodziewane korzyści*

#### Know-how

- Badania kliniczne przyczyniają się do ogólnego upowszechniania się nowoczesnej wiedzy w społeczności lekarskiej, co sprzyja rozwojowi powszechnej opieki zdrowotnej.
- Wiedza ta wraz z zapewnieniem właściwego finansowania, ma być kluczowa z punktu widzenia satysfakcji pacjenta. Wzrost liczby badań klinicznych ma przyczynić się do szerszego upowszechniania się nowoczesnej wiedzy medycznej i większej możliwości korzystania z niej, by w efekcie poprawić ogólne standardy opieki zdrowotnej z odczuwalną korzyścią wynikającą dla pacjentów.

#### Możliwe działania

- Mając na uwadze zidentyfikowane korzyści wynikające ze wzrostu sektora badań klinicznych dla gospodarki, należy wskazać pewne kierunki, które mogłyby prowadzić do ich realizacji.

#### Poprawa uwarunkowań prawnych – Racjonalizacja, a nie nadmierna regulacja

- **Rozważne wdrażanie nowych przepisów prawnych:** Wydaje się, że obecne rozwiązania legislacyjne wymagają poprawy w kontekście ich przyjazności dla sektora. Jednak ustawodawca powinien wdrażać wszelkie zmiany w sposób rozważny. Wymagania regulacyjne mają poprawić i zrationalizować ogólne funkcjonowanie badań klinicznych w Polsce, nie mogą jednak działać jako niepotrzebne przeszkody.
  - Wszelkie pozytywne i negatywne skutki, jak również konsekwencje nowych aktów prawnych powinny być należycie przeanalizowane przed wdrożeniem.
  - Dla dobra wszystkich zaangażowanych stron, powinna być zorganizowana dyskusja wspólnie z udziałem sponsorów, firm CRO, kierownikami ośrodków badawczych, przedstawicielami badaczy, ale przede wszystkim z zapewnieniem poszanowania interesu pacjentów. Dostrzega się, że skuteczność obecnych mechanizmów konsultacji społecznych może być usprawniona, aby przynosiły one lepsze wyniki.
  - Ponadto, celem decydentów powinna być zasada odbiurokratyzowania życia społecznego. Dobrym pomysłem może być wprowadzenie księgi skarg.
- **Dostęp do informacji:** Zwiększenie jawności i dostępności informacji wydaje się być oczywiste, jednakże tylko w obszarach, które są kluczowe dla poprawy skuteczności działania rynku.
  - Wydaje się, że wprowadzenie publicznej platformy wymiany informacji byłoby korzystne dla wszystkich zainteresowanych grup:
    - > Sponsorzy, aby przeciwdziałać tzw. negatywnemu PR-owi, mieliby możliwość przekazania rzetelnej informacji na temat badań;
    - > Badacze i ośrodki, poprzez poprawę współpracy między nimi;
    - > Pacjenci, przez możliwość ułatwienia dostępu do procesu rekrutacji i budowania świadomości zarówno korzyści, jak i ryzyka uczestnictwa w badaniach.
  - W szczególności ważne jest, aby publicznie dostępne były informacje o dziedzinie i celu badań klinicznych. Powinny one obejmować zarówno informacje o badaczach i ośrodkach zaangażowanych w badanie, sposobie i warunkach rekrutacji pacjentów oraz wiarygodne informacje na temat korzyści i ryzyka uczestnictwa w tym konkretnym badaniu.

### Usunięcie przeszkód administracyjnych

- Istnieje szereg niedociągnięć administracyjnych, których usunięcie będzie miało znaczący pozytywny wpływ na rozwój badań klinicznych w Polsce w przyszłości.
- Skrócenie czasu rejestracji:** Uczestnicy tego rynku wyraźnie podkreślają, że wprowadzenie krótszych okresów rejestracji będzie miało bezpośredni wpływ na liczbę badań klinicznych prowadzonych w Polsce.
  - Obecnie Polska jest niemal całkowicie wyłączona z tzw. „ścieżki krytycznej” badań, w których czas trwania badania klinicznego jest absolutnym wyznacznikiem tego w jakim kraju może zostać zrealizowane. Jak szacują eksperci, rozwiązanie tej kwestii może doprowadzić do 20%-30% zwiększenia ilości badań w Polsce.
  - Teoretycznie, zgodnie z wymaganiami UE, maksymalny okres rejestracji został skrócony do 60 dni. Rzeczywisty średni czas rejestracji okazuje się być dłuższy. Ten dłuższy okres jest przede wszystkim wynikiem tzw. "stop clocks" stosowanym przez CEBK, czyli zawieszenia postępowania do czasu otrzymania od wnioskodawcy odpowiedzi na szczegółowe uwagi CEBK.
- Poprawa skuteczności działania:** Mimo iż sponsorzy i firmy CRO doceniają fakt poprawy współpracy z organami regulacyjnymi w ciągu ostatniej dekady, widzą ciągle możliwość poprawy zwłaszcza w obszarze standaryzacji i przewidywalności procesu administracyjnego.
  - Przewidywalność jest tak samo kluczowa jak czas trwania procesu. Szereg respondentów skarży się na niepewność procesu oceny wniosku: na jego horyzont czasowy, brak jednolitych kryteriów oceny oraz różny stopień rygorystyczności zgłaszanych uwag oraz wreszcie na to czy charakter uwag jest zgodny z faktycznymi kompetencjami danej instytucji.
- Wyższe opłaty za lepsze usługi:** ankietowani wspólnie zgodzili się, że wzrost opłat na CEBK i komisje bioetyczne nie miałby znaczącego wpływu na liczbę wykonanych badań, pod warunkiem że zapewni się dzięki temu lepszą jakość obsługi.
  - Np. wielokrotnie powtarzanym pomysłem jest wprowadzenie wyższej stawki za tzw. szybką ścieżkę rejestracji.
  - Co więcej, wydaje się, że ze środków pozyskanych dzięki większym opłatom, można by sfinansować poprawę efektywności operacyjnej (np. wzrost liczby pracowników i lepszy system przetwarzania danych, itp.) i byłoby to z korzyścią dla wszystkich zainteresowanych, licząc również większe wpływy do budżetu państwa.
- Szybsze wdrożenia dyrektywy UE:** Mimo iż generalnie Polska postrzegana jest jako kraj o wysokich, stabilnych standardach proceduralnych, eksperci przyznają, że niektóre elementy prawa wspólnotowego powinny być staranniejsze egzekwowane.
  - Na przykład, jak na razie Polska jest jednym z dwóch krajów w UE, które odmówiły udziału w CTFG VHP, czyli inicjatywach mających na celu zapewnienie ujednoliconej i regularnej wymiany informacji między krajowymi organami regulacyjnymi. Wydaje się, że ta decyzja zostanie zmieniona i Polska przystąpi do VHP w 2011, ewentualnie niedługo później.

*Oprócz tego, kwestie kluczowe do rozwiązania obejmują sferę administracyjną...*



*...i poprawę  
przejrzystości***Zwiększenie przejrzystości**

- Jednym z najważniejszych obszarów, które wymagają poprawy jest przejrzystość otoczenia w jakim odbywają się badania kliniczne. Poprawę można tutaj osiągnąć przede wszystkim poprzez stworzenie czytelnego zestawu zasad dotyczących funkcjonowania podmiotów związanych z badaniami klinicznymi.
- **Jasny podział kompetencji:** w sferze regulacji, jednym z głównych problemów jest brak wyraźnego podziału kompetencji pomiędzy różnymi organami, np. pomiędzy CEBK i komisjami bioetycznymi.
  - Cele do jakich powołane są CEBK i komisje bioetyczne wydają się w tej chwili pokrywać.
  - Przejrzysta komunikacja ze strony decydentów, przez ściśle wytyczne powinna zapewnić wystarczającą przejrzystość procedur. Taki komunikat powinien być wcześniej przedmiotem wspólnej dyskusji z uczestnikami tego rynku (oraz innymi zainteresowanymi stronami).
  - Jest to również kwestia związana z już wspomnianą standaryzacją i ujednoliceniem kryteriów stosowanych przez CEBK do każdego weryfikowanego wniosku. Wydaje się, że wprowadzenie kompleksowego zestawu zasad byłoby korzystne dla sponsorów, ułatwiając współpracę z organem regulacyjnym, jak również dla samego CEBK i zapewniłoby wsparcie dla pracy urzędników.
- **Powiązania między sponsorem, badaczem i ośrodkiem:** współpraca wszystkich trzech grup jest warunkiem wstępnym, aby badania kliniczne mogły być wykonywane sprawnie i zgodnie z wymaganymi procedurami. Umowa trójstronna jest dobrym narzędziem aby taką współpracę zapewnić.
  - Generalnie, większość ankietowanych poparła pomysł wprowadzenia umowy trójstronnej. Ankietowani uważają, że umowa skutecznie wyeliminowała by wszelkie konflikty interesów, zwłaszcza w przypadku badaczy. Jednak niektórzy z nich wskazali na ryzyko, że może to w rezultacie doprowadzić do przedłużających się negocjacji między stronami.
- **Zarządzanie ośrodkiem badawczym:** Ośrodki, które stworzyły specjalne jednostki odpowiedzialne za sprawy związane z badaniami klinicznymi są bardzo wysoko cenione w branży. Zarządzający tymi szpitalami przyznają, że znacznie poprawił się przepływ informacji między dyrektorami, badaczami i sponsorami.
  - Np. znaczna część ośrodków onkologicznych, w tym Centrum Onkologii w Warszawie, stworzyła takie jednostki organizacyjne, których celem jest zarządzanie badaniami klinicznymi.
  - Stworzenie specjalnej jednostki może m.in. oznaczać wskazanie konkretnej osoby kontaktowej, która ma koordynować współpracę np. z lokalnym radcą prawnym i w ten sposób uczynić cały proces bardziej skutecznym.
  - Dobre przykłady zarządzania badaniami mogą owocować w zwiększonej liczbie nowych ośrodków zachęconych do wzięcia udziału w badaniach klinicznych. Należy pamiętać, że Polska wykazuje raczej niski współczynnik penetracji pod tym względem w porównaniu do innych, mniejszych krajów regionu (np. Czechy, Węgry).
- **Jasne zasady współfinansowania leczenia pacjenta:** niektóre strony podkreślają potrzebę wprowadzenia przejrzystych zasad dotyczących współfinansowania leczenia pomiędzy sponsorem a NFZ.
  - Obecnie różnica między kosztami leczenia standardowego i niestandardowego, nie zawsze jest jasno sprecyzowana. Wprowadzenie jasnych regulacji przyczyni się do bardziej efektywnej współpracy między sponsorem (operatorem) a ośrodkiem.

## Przykłady z innych krajów

| Kraj                               | Działanie / Charakterystyka                                                                                                                                                                            | Efekt                                                                                                                                                | Wpływ na rynek                                                                       |
|------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------|
| Kilka krajów UE                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>Przyjęcie procedury VHP w 2010 r., Polska początkowo odmówiła przystąpienia do tego programu – obecnie jest szansa na ponowne rozważenie tej decyzji</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>Możliwość opiniowania wniosku wspólnie dla kilku krajów</li> </ul>                                            |    |
| Wielka Brytania                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>Powołanie National Institute for Health Research jako platformy wymiany najlepszych praktyk w badaniach klinicznych</li> </ul>                                  | <ul style="list-style-type: none"> <li>Łatwiejszy dostęp do informacji dla wszystkich zainteresowanych stron.</li> <li>Szybsza rekrutacja</li> </ul> |    |
| Wielka Brytania                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>Jednolity szablon umowy trójstronnej</li> </ul>                                                                                                                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>Krótszy i łagodniejszy przebieg negocjacji</li> </ul>                                                         |    |
| Wielka Brytania / Belgia           | <ul style="list-style-type: none"> <li>Wspieranie współpracy między sponsorami oraz ośrodkami badawczo-rozwojowymi (konferencje, wspólne debaty, itp.)</li> </ul>                                      | <ul style="list-style-type: none"> <li>Poprawa wizerunku badań klinicznych w społeczeństwie</li> </ul>                                               |  |
| Wielka Brytania / Belgia / Austria | <ul style="list-style-type: none"> <li>Urząd regulujący skraca maksymalny czas rejestracji do 30 dni</li> </ul>                                                                                        | <ul style="list-style-type: none"> <li>Krótszy okres rozpoczęcia badania i wzrost liczby badań</li> </ul>                                            |  |
| Bułgaria / Malta                   | <ul style="list-style-type: none"> <li>Łatwiejszy dostęp do danych o pacjentach w szpitalach (statystyki na temat wskaźników epidemiologicznych)</li> </ul>                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>Szybsze rekrutacje</li> </ul>                                                                                 |  |
| Rumunia                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>Szybsze reagowanie władz na problemy</li> </ul>                                                                                                                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>Odbiurokratyzowanie procedur</li> </ul>                                                                       |  |
| Kraje Bałtyckie                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>Urząd regulujący skraca maksymalny czas rejestracji</li> </ul>                                                                                                  | <ul style="list-style-type: none"> <li>Krótszy okres rozpoczęcia badania i wzrost liczby badań</li> </ul>                                            |  |
| Estonia                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>Istotne informacje o badaniach są publikowane zarówno w języku estońskim jak i angielskim</li> </ul>                                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>Łatwiejszy dostęp do informacji dla zagranicznych podmiotów</li> </ul>                                        |  |
| Kanada                             | <ul style="list-style-type: none"> <li>Zachęty podatkowe dla firm wykonujących badania kliniczne</li> </ul>                                                                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>Szybszy wzrost badań klinicznych (w porównaniu np. z USA)</li> </ul>                                          |  |

pozytywny



negatywny

*Międzynarodowe doświadczenia mogą wskazywać, które praktyki są najlepsze z punktu widzenia zapewnienia rozwoju rynku w Polsce*

*Międzynarodowe doświadczenia mogą wskazywać, które praktyki są najlepsze z punktu widzenia zapewnienia rozwoju rynku w Polsce*

| Kraj                     | Działanie / Charakterystyka                                                                                                                                               | Efekt                                                                                                                                    | Wpływ na rynek                                                                        |
|--------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------|
| USA                      | <ul style="list-style-type: none"> <li>Wprowadzenie rocznej deklaracji dotyczącej potencjalnego konfliktu interesów</li> </ul>                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>Większa przejrzystość w środowisku naukowców/lepsze postrzeganie przez odbiorców badań</li> </ul> |    |
| Węgry                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>Współpraca między urzędem regulacyjnym i agencją ds. inwestycji dot. promocji badań klinicznych (broszury, prezentacje)</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>Wymiana informacji/ Promocja Węgier jako obszaru przyjaznego badaniom klinicznym</li> </ul>       |    |
| Czechy                   | <ul style="list-style-type: none"> <li>Agencja regulacyjna przyjęła bardziej przyjazne podejście do wnioskodawców</li> </ul>                                              | <ul style="list-style-type: none"> <li>Krótszy okres rozpoczęcia badań</li> </ul>                                                        |    |
| Wielka Brytania / Belgia | <ul style="list-style-type: none"> <li>Ułatwienie procedur administracyjnych w odpowiedzi na rosnącą konkurencję ze strony krajów Europy Środkowo-Wschodniej</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>Część badań klinicznych została zatrzymana w kraju</li> </ul>                                     |    |
| Rosja                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>Urząd regulacyjny wprowadza dodatkowe certyfikaty dla badaczy wydawane centralnie</li> </ul>                                       | <ul style="list-style-type: none"> <li>Większa biurokracja i ograniczony dostęp dla badaczy zwłaszcza w odległych rejonach</li> </ul>    |  |
| Rosja                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>Obowiązkowe tłumaczenie wszystkich dokumentów dotyczących badania na rosyjski</li> </ul>                                           | <ul style="list-style-type: none"> <li>Spadek liczby wniosków o nowe badania</li> </ul>                                                  |  |
| Rosja                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>Zakaz wywozu próbek krwi z Rosji (obowiązywał tylko miesiąc)</li> </ul>                                                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>Brak zaufania do organu regulacyjnego</li> </ul>                                                  |  |
| Chorwacja                | <ul style="list-style-type: none"> <li>Wprowadzenie wymogu kwalifikacji dla „monitorów” (2-letnie doświadczenie i tylko Chorwaci)</li> </ul>                              | <ul style="list-style-type: none"> <li>Paraliż na rynku ze względu na brak specjalistów</li> </ul>                                       |  |
| Turcja                   | <ul style="list-style-type: none"> <li>Kontrakty mogą podpisać wyłącznie ośrodki (badacze są tylko podwykonawcami)</li> </ul>                                             | <ul style="list-style-type: none"> <li>Znaczący spadek poziomu rekrutacji</li> </ul>                                                     |  |

pozytywny    negatywny

# Załącznik 1

## Słownik pojęć i skrótów



## Słownik pojęć i skrótów

| Skrót            | Definicja                                                                                                                                              |
|------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| ANZCTR           | Australijski Rejestr Badań Klinicznych<br>(Australian New Zealand Clinical Trials Registry)                                                            |
| BLA              | Wniosek o wydanie licencji (Biologic license application)                                                                                              |
| c.               | Circa                                                                                                                                                  |
| CAGR             | Średnia roczna stopa wzrostu (Compound annual growth rate)                                                                                             |
| CDER             | Centrum Oceny Badań nad Lekami<br>(Center for Drug Evaluation and Research)                                                                            |
| CEBK             | Centralna Ewidencja Badań Klinicznych                                                                                                                  |
| CEE              | Europa Środkowo-Wschodnia (Central and Eastern Europe).<br>W tym raporcie region ten obejmuje: Polskę, Czechy, Słowację, Węgry, Estonię, Litwę i Łotwę |
| CIM              | Potwierdzenie efektywności leku (Confidence in Mechanism)                                                                                              |
| CIS <sup>1</sup> | Region byłej Wspólnoty Niepodległych Państw. W tym raporcie region ten obejmuje: Rosję, Ukrainę, Białoruś i Kazachstan                                 |
| CIS <sup>2</sup> | Potwierdzenie bezpieczeństwa leku (Confidence in Safety)                                                                                               |
| CIT              | Podatek dochodowy od osób prawnych (Corporate Income Tax)                                                                                              |
| CORDIS           | Wspólnotowy Serwis Informacyjny Badań i Rozwoju<br>(Community Research and Development Information Service)                                            |
| CRA              | Monitor badań klinicznych (Clinical Research Associate)                                                                                                |
| CRO              | Contract Research Organization – wyspecjalizowana firma usługowa nadzorująca proces prowadzenia badań klinicznych na zlecenie firmy farmaceutycznej    |
| CTA              | Wniosek o rozpoczęcie badania klinicznego<br>(Clinical trial application)                                                                              |
| CTFG             | Grupa ułatwiania przeprowadzenia badania klinicznego<br>(Clinical Trial Facilitation Group), grupa robocza w strukturach UE                            |
| DRKS             | Niemiecki rejestr badań klinicznych                                                                                                                    |
| EMA              | Europejska Agencja Leków (European Medicines Agency)                                                                                                   |
| FDA              | Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków<br>(Food and drug administration)                                                                             |
| GCP              | Dobra praktyka kliniczna (Good clinical practice)                                                                                                      |
| GUS              | Główny Urząd Statystyczny                                                                                                                              |
| HMA              | Szefowie europejskich agencji leków (Heads of Medicines Agencies)                                                                                      |
| ICH              | Międzynarodowa Konferencja na rzecz Harmonizacji<br>(International Conference on Harmonization)                                                        |
| ICTRP WHO        | Platforma rejestrów badań klinicznych Światowej Organizacji Zdrowia (WHO International Clinical Trials Registry Platform)                              |
| IMF              | Międzynarodowy Fundusz Walutowy<br>(International Monetary Fund)                                                                                       |

| Term      | Definition                                                                                                                                |
|-----------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| IND       | Badany produkt leczniczy (Investigational New Drug)                                                                                       |
| itp.      | i tym podobne                                                                                                                             |
| mld       | miliardy                                                                                                                                  |
| mln       | miliony                                                                                                                                   |
| MAA       | Wniosek o udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu (Marketing Authorization Application)                                           |
| NCA       | Krajowy organ odpowiedzialny (National Competent Authority)                                                                               |
| NDA       | Wniosek o uzyskanie statusu nowego leku, dotyczy nowych leków po III fazie badań klinicznych (New Drug Application)                       |
| NFZ       | Narodowy Fundusz Zdrowia                                                                                                                  |
| NICE      | Brytyjski Narodowy Instytut Zdrowia i Doskonałości Klinicznej (National Institute for Health and Clinical Excellence)                     |
| NIK       | Naczelna Izba Kontroli                                                                                                                    |
| NME       | Zaprojektowana nowa cząsteczka (New Molecular Entity)                                                                                     |
| NTR       | Holenderski rejestr badań klinicznych (Netherlands Trials Registry)                                                                       |
| NZOZ      | Niepubliczny zakład ochrony zdrowia                                                                                                       |
| OECD      | Organizacja Współpracy Gospodarczej i Rozwoju (Organization for Economic Cooperation and Development)                                     |
| PhRMA     | Amerykański związek producentów leków (Pharmaceutical Research and Manufacturers Association)                                             |
| PIT       | Podatek dochowy od osób fizycznych (Personal Income Tax)                                                                                  |
| PLN       | Polski nowy złoty                                                                                                                         |
| PMR       | PMR Consulting                                                                                                                            |
| R&D       | Badania i rozwój (Research and development)                                                                                               |
| SEE       | Europa Południowo-Wschodnia. W tym raporcie region ten obejmuje: Rumunię, Albanie, BiH, Bułgarię, Chorwację, Macedonię, Serbię i Słowenię |
| tys.      | tysiące                                                                                                                                   |
| UE        | Unia Europejska                                                                                                                           |
| URPLWMiPB | Urząd Rejestracji Leków, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych                                                                       |
| USA       | Stany Zjednoczone Ameryki                                                                                                                 |
| USD       | Dolar amerykański                                                                                                                         |
| VAT       | Podatek od towarów i usług (Value Added Tax)                                                                                              |
| VHP       | Dobrowolna procedura harmonizująca                                                                                                        |
| UE-15     | Kraje „piętnastki”. Wszystkie kraje należące do UE przed majem 2004 r.                                                                    |
| WHO       | Światowa Organizacja Zdrowia                                                                                                              |

## Zespół ds. Sektora Ochrony Zdrowia PwC



**Mariusz Ignatowicz, Partner**

[mariusz.ignatowicz@pl.pwc.com](mailto:mariusz.ignatowicz@pl.pwc.com)

Tel.: +48 22 523 48 12

Mariusz jest liderem Zespołu ds. Sektora Ochrony Zdrowia PwC w regionie CEE. Ma 15-letnie doświadczenie w obsłudze klientów branży farmaceutycznej i ochrony zdrowia. Obecnie odpowiada za ponad 25 klientów prowadzących działalność w Polsce, doradzając im m.in. w kwestiach związanych z optymalizacją finansowania przy mechanizmach kontroli cen, optymalizacją prawno-podatkową jak również strukturą nadzoru nad badaniami klinicznymi.



**Tomasz Jędorowicz, Starszy Menedżer**

[tomasz.jedorowicz@pl.pwc.com](mailto:tomasz.jedorowicz@pl.pwc.com)

Tel.: +48 22 523 48 54

Tomasz ma 11-letnie doświadczenie w pracy dla klientów z szerokiego sektora farmaceutycznego i ochrony zdrowia w Polsce i Europie Środkowo-Wschodniej. Jego głównymi obszarami ekspertyzy są: zmiany w systemie ochrony zdrowia, badania kliniczne, refundacja leków oraz kontrola cen, zarządzanie ryzykiem na rynku regulowanym, polityka marketingowa oraz reklama leków. Tomasz zajmuje się również tematyką współpracy między podmiotami publicznymi i prywatnymi w sektorze ochrony zdrowia.



**Jacek Ostrowski, Starszy Menedżer**

[jacek.ostrowski@pl.pwc.com](mailto:jacek.ostrowski@pl.pwc.com)

Tel.: +48 22 523 41 84

Jacek pracuje w zespole doradztwa strategicznego PwC w regionie CEE. Podczas ponad dziesięciu lat pracy w branży konsultingowej, Jacek zdobył duże doświadczenie w analizach rynkowych, przeglądach typu "commercial due diligence" oraz doradztwie strategicznym. Wiele jego projektów dotyczyło szeroko pojętego sektora ochrony zdrowia w różnych krajach Europy Środkowo-Wschodniej. Klientami Jacka są głównie fundusze Private Equity.



**Bartosz Wiśniewski, Starszy Konsultant**

[bartosz.wisniewski@pl.pwc.com](mailto:bartosz.wisniewski@pl.pwc.com)

Tel.: +48 22 523 48 95

Bartosz pracuje w zespole doradztwa strategicznego PwC w regionie CEE. Ma ponad 3-letnie doświadczenie w pracy nad analizami rynkowymi oraz przeglądami typu "commercial due diligence" ze szczególnym naciskiem na branżę farmaceutyczną i ochrony zdrowia. Bartosz ukończył Uniwersytet Bocconi w Mediolanie z tytułem BA oraz Uniwersytet Erazma w Rotterdamie z tytułem MSc.





[www.pwc.com/pl](http://www.pwc.com/pl)

© 2010 PricewaterhouseCoopers. Nazwa „PricewaterhouseCoopers” odnosi się do firm wchodzących w skład sieci PricewaterhouseCoopers International Limited, z których każda stanowi odrębny i niezależny podmiot prawny. Wszelkie prawa zastrzeżone.