



KLINICKÉ STUDIE

v oblasti vzácných onemocnění

ata Čečtková, PhD

# KLINICKÉ STUDIE U VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ



- Provádění klinických studií (klinických hodnocení, KH) v oblasti vzácných onemocnění patří mezi odborně, personálně, technicky, logisticky i finančně nejnáročnější výzkumné činnosti
- Finanční návratnost těchto KH je diskutabilní a velmi nejistá
- Limitovaný počet zadavatelů (sponsorů) je ochotno tuto investici podstoupit a KH realizovat
- Limitovaný počet lékařů a ZZ je ochotno a schopno se takto náročným studiím věnovat
- Pro limitovaný počet pacientů je účast v KH mnohdy jedinou možností léčby

# KLINICKÉ STUDIE U VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ



- ❑ Realizace KH u vzácných onemocnění je zejména v raných fázích možná pouze ve **specializovaných centrech**, která by měly být materiálně a personálně vybavena i pro provádění KH.
- ❑ Pro vlastní provedení KH u tohoto typu onemocnění je zcela klíčová **spolupráce s patientskými organizacemi** a skupinami pacientů, a to napříč regionem.
- ❑ Existence **veřejně dostupných dat a patientských registrů** zvyšuje možnost zařadit potřebný počet pacientů a tím i možnost zařadit danou krajinu či centrum do KH

**AIFP – Asociace inovativního farmaceutického průmyslu**  
*reprezentuje společnosti, které se věnují výzkumu a vývoji  
inovativních léčiv v ČR.*

- ▶ 33 členů
- ▶ 27 členů realizuje klinické studie v ČR
- ▶ 18 společností aktivně participuje na průzkumech KH

## PROVÁDĚNÉ KLINICKÉ STUDIE

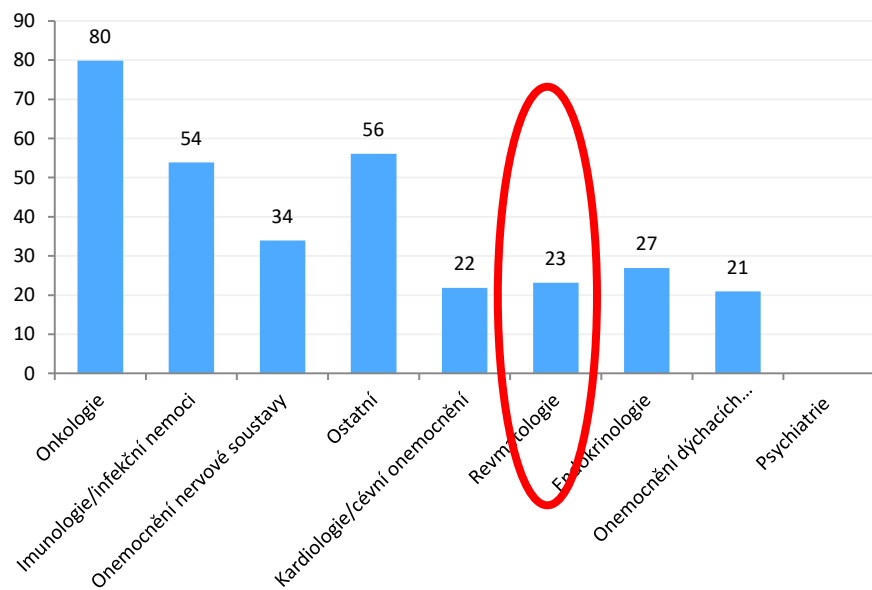


# PROVÁDĚNÉ KLINICKÉ STUDIE

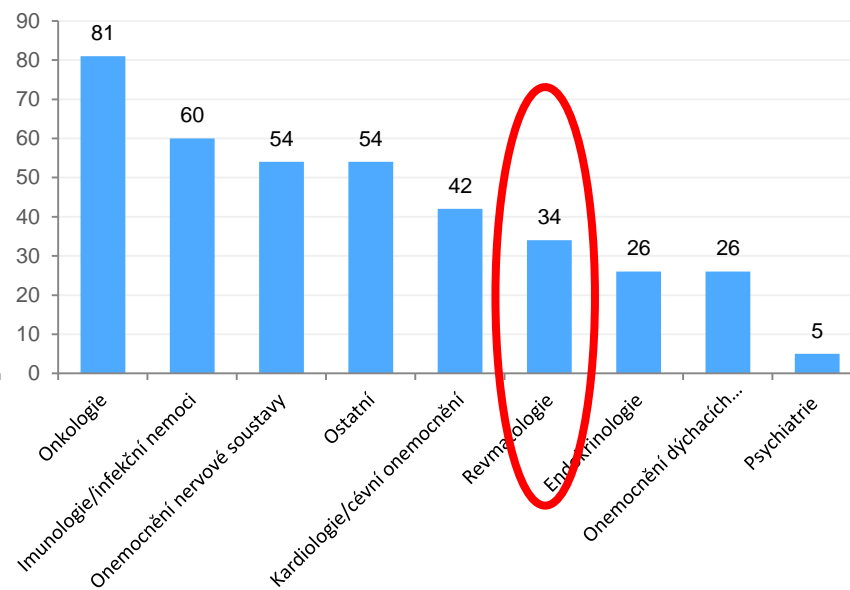
Mezi lety **2013 a 2015** byl zaznamenán nárůst v počtu studií prováděných inovativními společnostmi, především v oborech **revmatologie a neurologie**.



Celkem prováděných **317 studií v roce 2013**



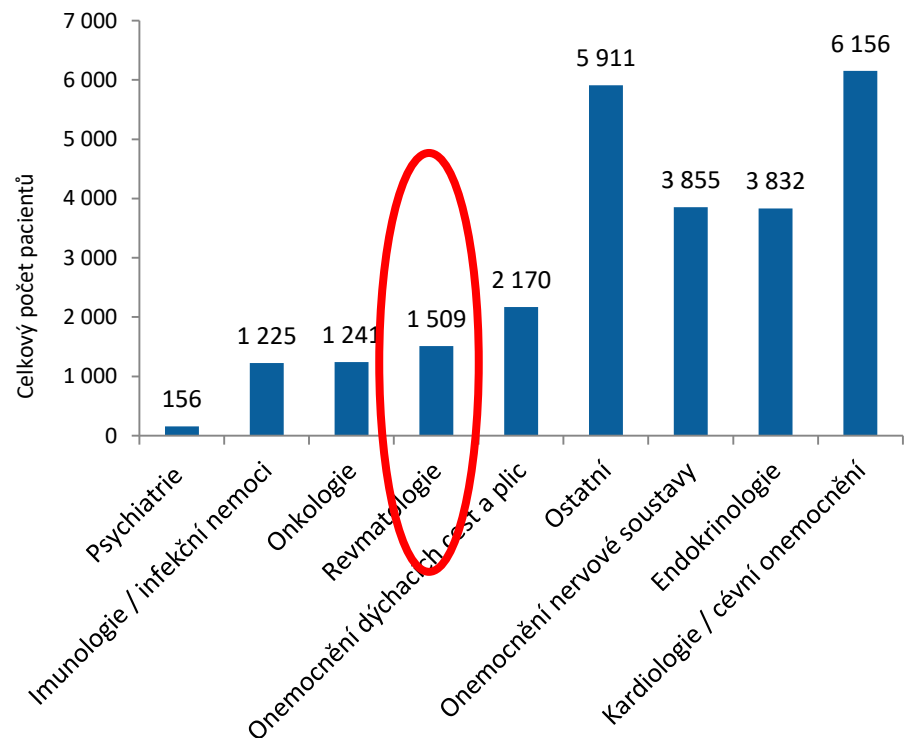
Celkem prováděných **382 studií v roce 2015**



# POČET ZAŘAZENÝCH PACIENTŮ

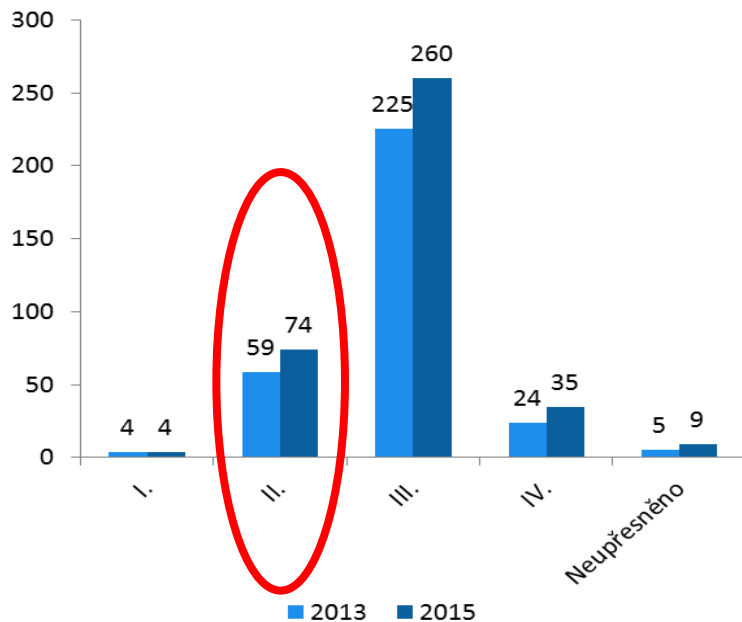
- Celkově do KH zapojeno více než 26tis. pacientů (2015).
- Počet nově zařazených i celkový počet zařazených pacientů postupně klesá.
- V roce 2015 bylo nově zařazeno 6 812 pacientů, v roce 2013 téměř 9tis.
- Největší pokles zaznamenala onkologie, kde počet zapojených pacientů klesl z 4 500 v roce 2011 na méně než 1 500 pacientů v roce 2015.

Počet a struktura celkově zařazených pacientů do klinických studií podle oboru (2015)

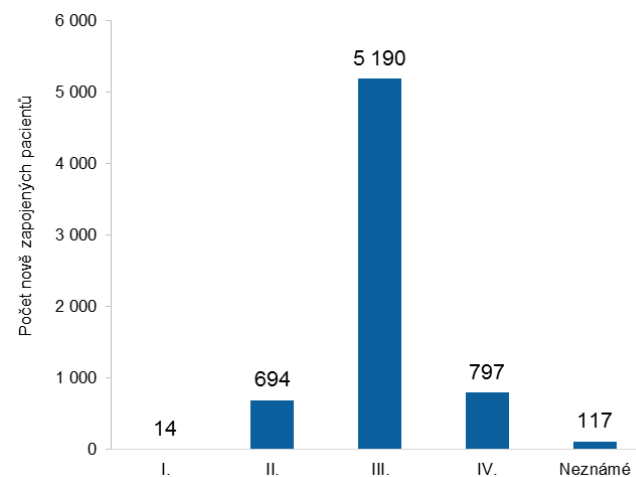


# POČET KH DLE FÁZE KLINICKÝCH STUDIÍ

Fáze prováděných studií v roce  
2013 a 2015



Počet nově zařazených pacientů do  
klinických studií podle fáze



# TRENDY I.



Roste finanční náročnost klinických studií.

---

Realizace klinických studií se přesouvá na farmaceutické rozvojové trhy, především do východní Asie.

Roste konkurence okolních evropských států.

---

Za účelem efektivnějšího vývoje léčiv jsou uplatňovány nové formy spolupráce v rámci veřejného, akademického a soukromého sektoru.

---



# TRENDY II.



- V budoucnu lze očekávat pokles v počtu prováděných klinických studií díky **poklesu podaných žádostí na provádění studií.**
- S rostoucím významem personalizované medicíny lze očekávat větší zaměření na rané fáze klinických studií
- Nezbytný je **rozvoj Center excellence** - specializovaných ZZ, materiálně a personálně vybavených pro provádění KH
- Pro KH u vzácných onemocnění je **výběr lokalit realizace klinických studií podle regionálních charakteristik** namísto národních zcela klíčový

# VÝZVY PRO KH U VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ

---

## PRO PACIENTA

- Identifikace vhodných KH
- Úzká spolupráce s ošetřujícím lékařem
- Dostupnost spec. center
- **Informace prostřednictvím patientských skupin a organizací**

## PRO LÉKAŘE

- **Dostupnost materiálního a zejména personálního zabezpečení KH**
- Identifikace a dostupnost vhodných pacientů
- Kontakt se zadavateli , participace na studiích proveditelnosti (feasibility)
- Zkušenosti a spolehlivost

## PRO ZADAVATELE

- Identifikace počtu potenciálních pacientů během feasibility
- Smlouvy se ZZ
- **Nábor pacientů ve specializovaných centrech**
- Zabezpečení následné léčby

# SHRNUTÍ

---

- Pro udržení pozitivních dopadů klinických hodnocení je zejména u vzácných onemocnění **klíčová spolupráce** všech zúčastněných subjektů zadavatelů, lékařů – výzkumníků, zdravotnických zařízení, pacientů, patientských organizací i regulátorů (MZ, úřady, EC)
- Pro zabezpečení dostupnosti těchto KH pro české pacienty je nutné dále podporovat **rozvoj specializovaných center** a zajistit jejich **mezinárodní rozpoznatelnost**, srovnatelnou s okolními státy
  - Pro KH obecně je třeba vytvořit lepší a kvalitnější **administrativněprávní prostředí**, zajistit **informovanost** o KH u odborné i patientské veřejnosti a posilovat spolupráci akademické a průmyslové obce



**DĚKUJEME ZA POZORNOST**

