



Pacjent w badaniach
klinicznych

PEDIATRYCZNE BADANIA KLINICZNE W LICZBACH



Warszawa, 2025 r.

SPIS TREŚCI

1. WSTĘP

2

2. METODOLOGIA

3

3. BADANIA KLINICZNE NA ŚWIECIE – ZESTAWIENIE OGÓLNE

5

4. PEDIATRYCZNE BADANIA KLINICZNE NA ŚWIECIE – ZESTAWIENIE OGÓLNE

6

5. PEDIATRYCZNE BADANIA KLINICZNE NA ARENIE MIĘDZYNARODOWEJ

7

5.1. STATUS REKRUTACJI

8

5.2. UCZESTNICY ZE WZGLĘDU NA PŁEĆ

9

5.3. FAZY BADAŃ KLINICZNYCH

10

6. SŁOWNICZEK

11

7. PODSUMOWANIE

12

8. SPIS WYKRESÓW, TABEL I RYSUNKÓW

13

9. BIBLIOGRAFIA

14



1. WSTĘP

Postęp medycyny oraz dostęp do skutecznych i innowacyjnych metod leczenia wpływają pozytywnie na jakość życia wszystkich pacjentów. Szczególną grupą wymagającą indywidualizacji farmakoterapii jest populacja pediatryczna. Obejmuje ona osoby, które nie ukończyły 18 roku życia. Występujące u nich różnice m.in. w masie, funkcjonowaniu narządów oraz szlakach metabolicznych i enzymatycznych, powodują znaczne różnice w profilach farmakodynamicznych i farmakokinetycznych leków, a tym samym wpływają na odmienny, niż w populacji dorosłych, dobór substancji leczniczej oraz jej dawki i formy. Określenie odpowiedniego schematu leczenia nowymi produktami leczniczymi możliwe jest dzięki analizie wyników uzyskanych podczas realizacji badań klinicznych.

W celu sprawdzenia skuteczności i bezpieczeństwa nowych metod leczenia dostosowanych do pacjentów poniżej 18 r.ż., przeprowadza się specjalnie zaprojektowane pediatryczne badania kliniczne.



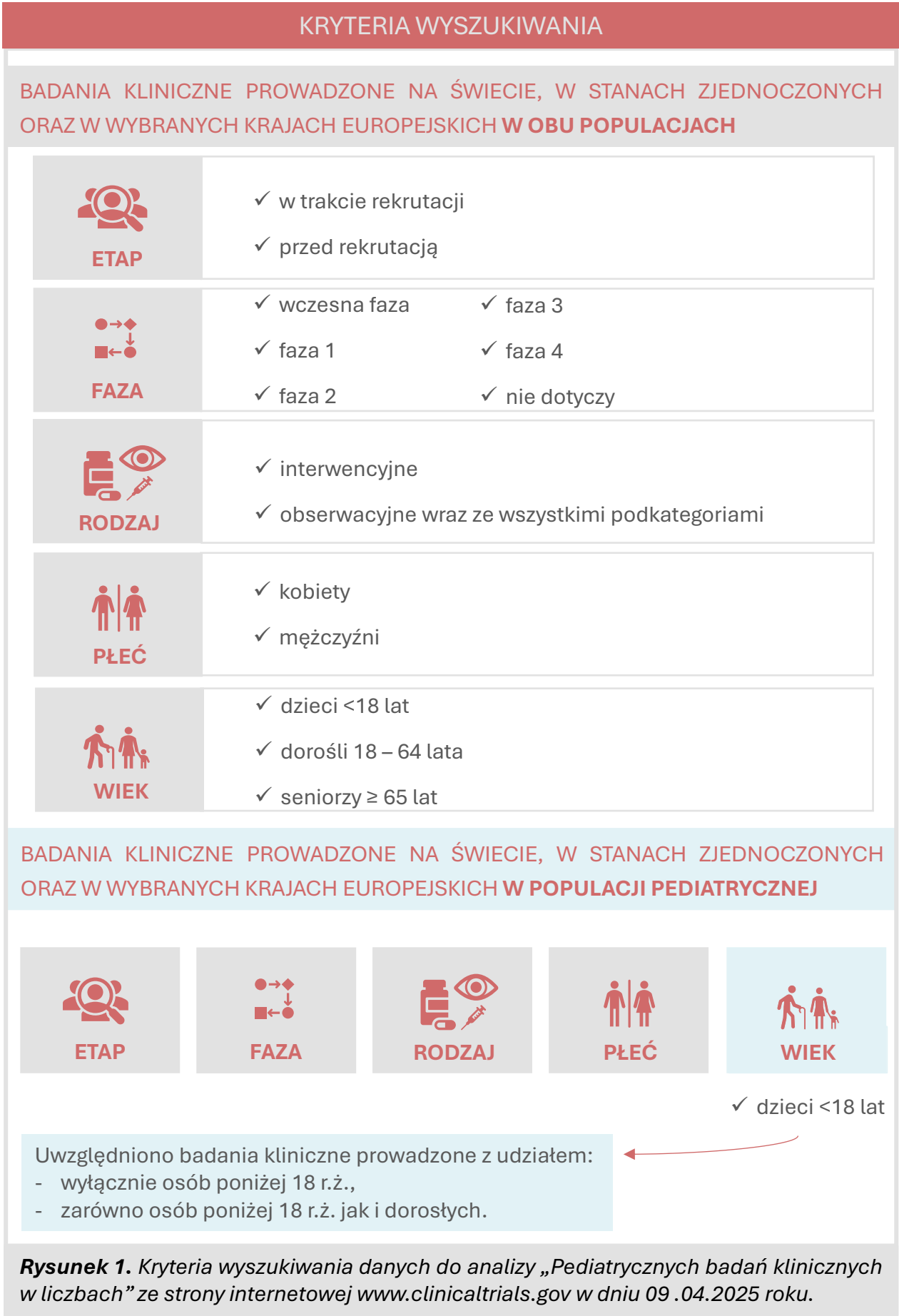
2. METODOLOGIA

W niniejszym zestawieniu przedstawiono wyniki z analizy danych dotyczących aktywnych pediatrycznych badań klinicznych, czyli takich które są w trakcie lub jeszcze nie rozpoczęły rekrutacji pacjentów, prowadzonych na całym świecie. Co więcej, porównano również ich liczbę oraz cechy charakterystyczne badań realizowanych w wybranych krajach europejskich i Stanach Zjednoczonych.

Celem analizy było przybliżenie polskim pacjentom informacji na temat dostępności pediatrycznych badań klinicznych prowadzonych zarówno w Polsce jak i na świecie, a także porównanie krajowego rynku badań klinicznych do innych krajów europejskich i światowego lidera w tej dziedzinie, jakim są Stany Zjednoczone.

Dane wykorzystane w niniejszym opracowaniu zostały pobrane ze strony www.clinicaltrials.gov w dniu 9 kwietnia 2025 roku. Informacje o badaniach klinicznych, dostępne na powyższej stronie internetowej, zostały wyszukane według określonych kryteriów tj. etap, faza i rodzaj badania klinicznego oraz wiek i płeć uczestników. Szczegółowe informacje o kryteriach wyszukiwania i wykorzystanych danych zostały przedstawione na rysunku 1, zamieszczonym na 4. stronie niniejszego zestawienia.

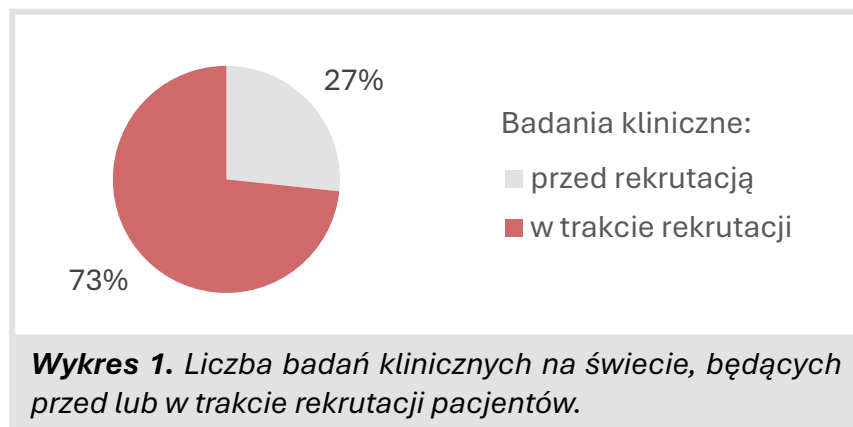




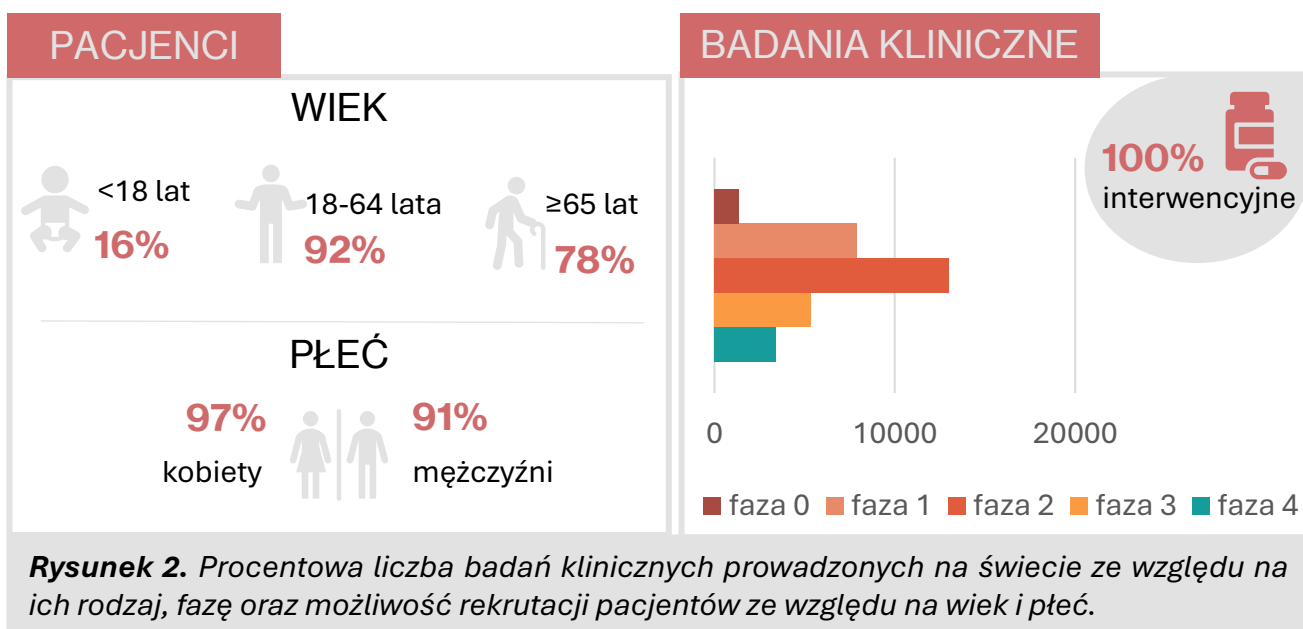


3. BADANIA KLINICZNE NA ŚWIECIE – ZESTAWIENIE OGÓLNE

Obecnie na świecie zarejestrowano ponad 65 tysięcy aktywnych badań klinicznych. Spośród nich, prawie $\frac{3}{4}$ jest w trakcie rekrutacji pacjentów (wyk. 1).



Wszystkie badania kliniczne prowadzone na świecie, które spełniły kryteria metodologiczne niniejszego zestawienia, mają charakter interwencyjny (rys. 2). Oznacza to, że są przeprowadzane w celu określenia skuteczności nowych metod leczenia. Większości z nich jest w fazie 1 lub 2, co oznacza, że testowana jest ich skuteczność i bezpieczeństwo. Na podstawie niniejszej analizy stwierdzono, że uczestnikami badań klinicznych, w podobnym stopniu, mogą być zarówno kobiety jak i mężczyźni. Jedynie 16% ze wszystkich aktywnych badań klinicznych uwzględnia udział pacjentów z populacji pediatrycznej.





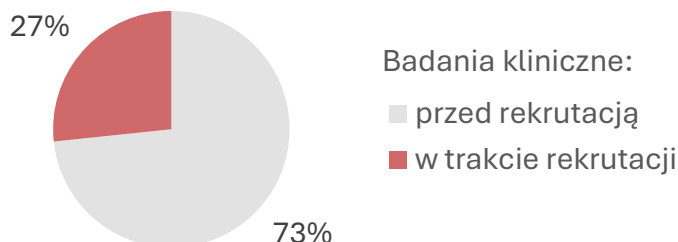
4. PEDIATRYCZNE BADANIA KLINICZNE NA ŚWIECIE – ZESTAWIENIE OGÓLNE

Na świecie blisko 10,5 tysiąca badań klinicznych ma status „aktywnych”. Spośród nich 73% nie rozpoczęło jeszcze rekrutacji, zaś do pozostałych 27% prowadzony jest aktywny nabór uczestników (wyk. 2). Zgodnie ze światowym trendem, w populacji pediatrycznej obserwuje się podobny dostęp do aktywnych badań klinicznych ze względu na płeć pacjentów (rys. 3). Większość aktywnych pediatrycznych badań klinicznych, oprócz tych, dla których nie określono fazy, jest w fazie 2 lub 3.

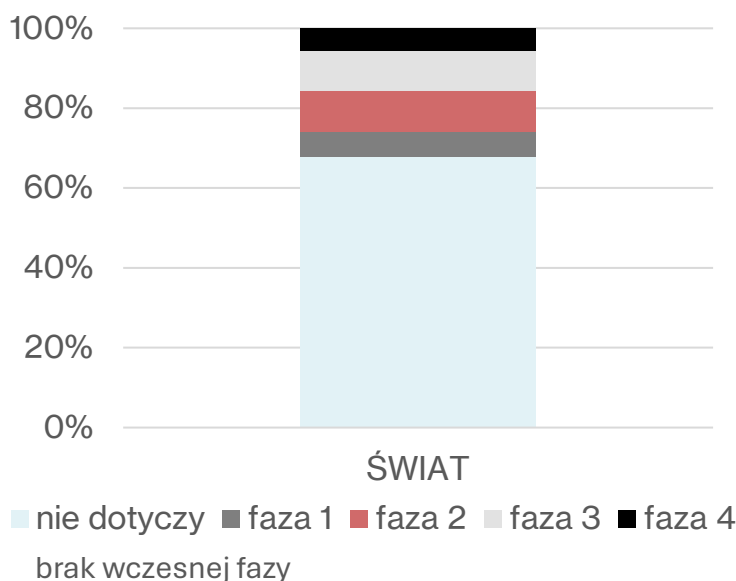


10 498

AKTYWNYCH
pediatrycznych
badań klinicznych



Wykres 2. Liczba pediatrycznych badań klinicznych na świecie, będących przed lub w trakcie rekrutacji pacjentów.



Wykres 3. Procentowy udział pediatrycznych badań klinicznych na świecie w trakcie lub przed rekrutacją pacjentów ze względu na fazę.

PEDIATRYCZNI UCZESTNICY



98%

dziewczęta



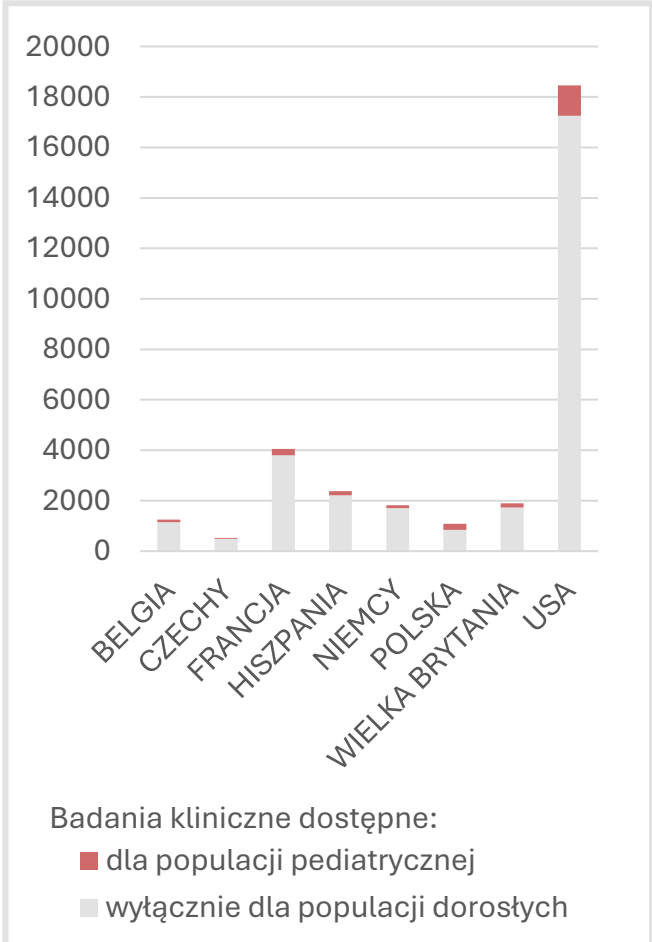
95%

chłopcy

Rysunek 3. Dostępność aktywnych pediatrycznych badań klinicznych na świecie ze względu na płeć uczestników.

5. PEDIATRYCZNE BADANIA KLINICZNE NA ARENIE MIĘDZYNARODOWEJ

Pionierami w prowadzeniu badań klinicznych są Stany Zjednoczone (wyk. 4). Ponad tysiąc z nich uwzględnia udział pacjentów pediatrycznych. W Polsce oraz we Francji liczba aktywnych pediatrycznych badań klinicznych utrzymuje się na podobnym poziomie, wynoszącym odpowiednio 240 oraz 260.



Wykres 4. Liczba aktywnych badań klinicznych dostępnych dla populacji pediatrycznej w stosunku do wszystkich aktywnych badań klinicznych realizowanych na terenie danego kraju.

Tabela 1. Procentowy udział aktywnych pediatrycznych badań klinicznych w wybranych państwach.

KRAJ	UDZIAŁ PEDIATRYCZNYCH BADAŃ KLINICZNYCH
Belgia	7%
Czechy	6%
Francja	6%
Hiszpania	6%
Niemcy	6%
Polska	22%
Wielka Brytania	8%
USA	6%

Jednakże, to w Polsce, obserwuje się najwyższy udział pediatrycznych badań klinicznych będących przed lub w trakcie rekrutacji pacjentów w odniesieniu do wszystkich aktywnych badań klinicznych realizowanych na terenie kraju (tab. 1).

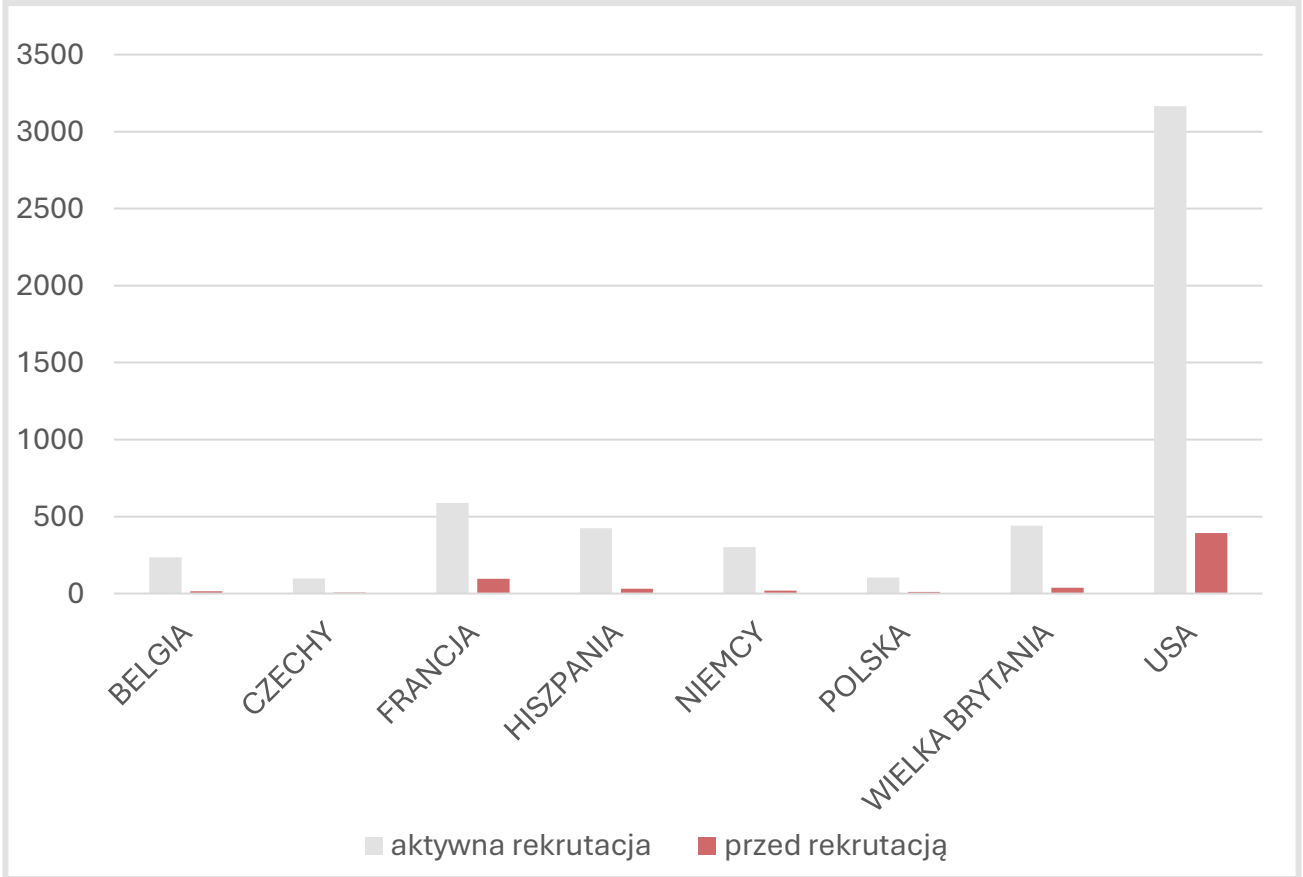


5.1. STATUS REKRUTACJI

Istotną informacją z punktu widzenia pacjenta jest status rekrutacji do badania klinicznego. W większości państw uwzględnionych w niniejszym zestawieniu (z wyjątkiem Stanów Zjednoczonych i Francji), pediatryczne badania kliniczne będące na etapie aktywnego włączania pacjentów stanowią ponad 90% wszystkich badań umożliwiających udział osób poniżej 18 r.ż. Natomiast największy ich odsetek, w których nie rozpoczęto jeszcze rekrutacji, odnotowano we Francji (wyk. 5).

REKRUTACJA PACJENTÓW

- Stanowi kluczowy etap w procesie badania klinicznego.
- Skuteczna rekrutacja (udział określonej liczby osób) umożliwia uzyskanie rzetelnych wyników z badania klinicznego.

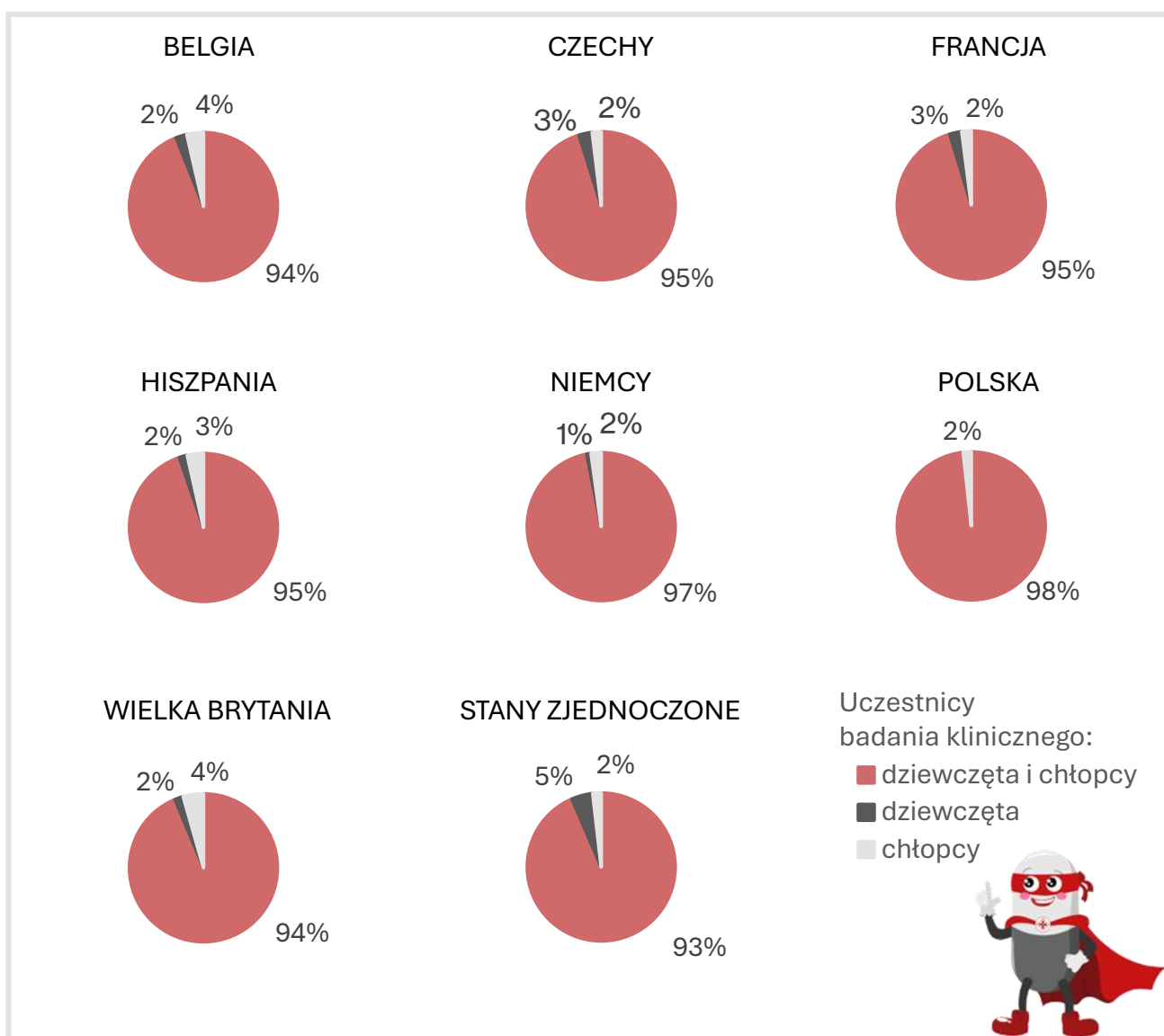


Wykres 5. Procentowy udział pediatrycznych badań klinicznych będących przed lub w trakcie rekrutacji pacjentów.



5.2. UCZESTNICY ZE WZGLĘDU NA PŁEĆ

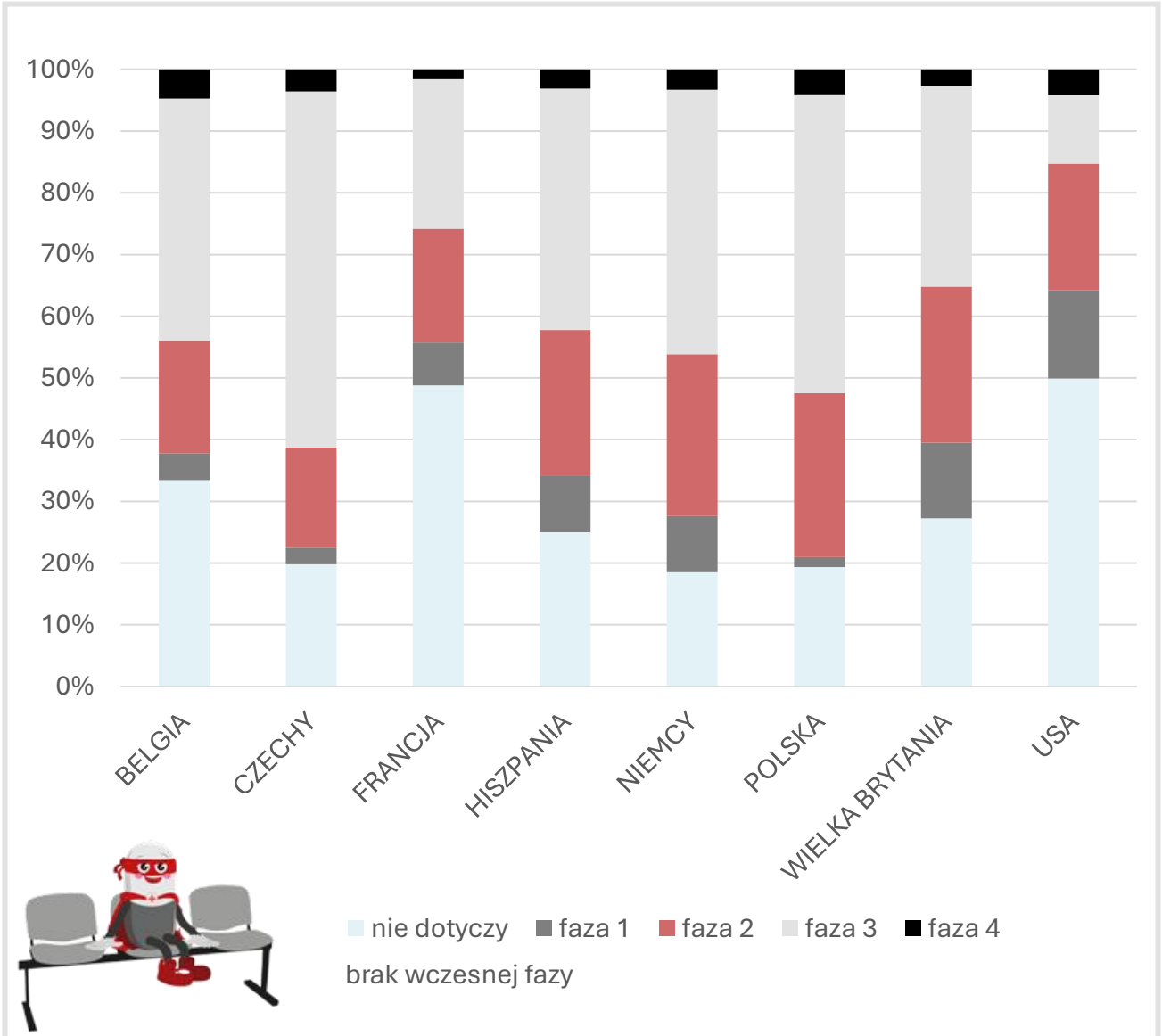
Zarówno w krajach europejskich jak i w Stanach Zjednoczonych dominują badania kliniczne, do których mogą być włączeni pacjenci pediatryczni obu płci. Odsetek badań prowadzonych wyłącznie z udziałem dziewcząt lub chłopców utrzymuje się na podobnym poziomie i oscyluje w przedziale 1%-5% (wyk. 6). Wyjątek stanowi Polska, w której nie stwierdzono aktywnych badań klinicznych prowadzonych z udziałem wyłącznie dziewcząt.



Wykres 6. Procentowy udział pediatrycznych badań klinicznych ze względu na płeć uczestników badania.

5.3. FAZY BADAŃ KLINICZNYCH

Zgodnie ze światowym trendem, zarówno w krajach europejskich włączonych do niniejszej analizy jak i w Stanach Zjednoczonych, obserwuje się dominujący udział aktywnych pediatrycznych badań klinicznych (dla których została określona faza). Spośród nich najwięcej jest w fazie 2 i 3 (wyk. 7).



Wykres 7. Procentowy udział pediatrycznych badań klinicznych będących przed lub w trakcie rekrutacji pacjentów ze względu na fazę.



6. SŁOWNICZEK

BADANIA INTERWENCYJNE – badania polegające na podaniu badanego produktu leczniczego, zmianie schematu leczenia lub metody diagnostycznej, która nie są powszechnie stosowane, w celu określenia ich skuteczności i bezpieczeństwa.

BADANIA OBSERWACYJNE – badania polegające na obserwacji i analizie danych medycznych pochodzących m.in. ze standardowych schematów leczenia, metod diagnostycznych, a także czynników na jakie narażony jest ich uczestnik.

FAZA 0 – inaczej wczesna faza, badania wstępne przeprowadzane w celu uzyskania informacji nt. farmakologii i dystrybucji badanego produktu leczniczego, który podawany jest zdrowym uczestnikom badania w bardzo niskich dawkach. W fazie 0 badań klinicznych prowadzonych w obszarze chorób onkologicznych, badany produkt leczniczy podawany jest wyłącznie chorym uczestnikom.

FAZA I – badania prowadzone w celu określenia bezpieczeństwa i farmakokinetyki badanego produktu leczniczego oraz określenie dawki stosowanej w fazie II i III.

FAZA II – badania prowadzone po zakończeniu fazy I, w celu potwierdzenia skuteczności i określenia dawkowania badanego produktu leczniczego, a także wykazanie stosunku potencjalnego ryzyka do korzyści wynikających z zastosowanego leczenia, koniecznych do realizacji fazy III.

FAZA III – kontynuacja badania fazy II, pozytywne wyniki tej fazy umożliwiają rejestrację i wprowadzenie na rynek badanego produktu leczniczego.

FAZA IV – badania porejestracyjne prowadzone w celu potwierdzenia skuteczności i bezpieczeństwa badanego produktu leczniczego w dłuższej perspektywie czasu, określenie działań niepożądanych oraz interakcji z innymi lekami.

WCZESNA FAZA – patrz FAZA 0.



7. PODSUMOWANIE

1. Obecnie wszystkie aktywne badania kliniczne mają charakter interwencyjny.
2. Światowy trend w prowadzeniu aktywnych badań klinicznych przekłada się na liczbę oraz ich dostępność dla pacjentów pediatrycznych.
3. Polska wyróżnia się jednym z największych odsetków aktywnych badań klinicznych względem wszystkich badań klinicznych z udziałem osób poniżej 18 r.ż., realizowanych na jej terenie.
4. W niniejszym zestawieniu, Polska jest jedynym krajem, w którym nie stwierdzono aktywnych badań klinicznych prowadzonych z udziałem wyłącznie dziewcząt.
5. Zgodnie z trendem światowym, Polska oraz inne kraje europejskie realizują w większości pediatryczne badania kliniczne będące w fazie 2 i 3.



8. SPIS WYKRESÓW, TABEL I RYSUNKÓW

WYKRESY

Wykres 1. Liczba badań klinicznych na świecie, będących przed lub w trakcie rekrutacji pacjentów.

Wykres 2. Liczba pediatrycznych badań klinicznych na świecie, będących przed lub w trakcie rekrutacji pacjentów.

Wykres 3. Procentowy udział pediatrycznych badań klinicznych na świecie w trakcie lub przed rekrutacją pacjentów ze względu na fazę.

Wykres 4. Liczba aktywnych badań klinicznych dostępnych dla populacji pediatrycznej w stosunku do wszystkich aktywnych badań klinicznych realizowanych na terenie danego kraju.

Wykres 5. Procentowy udział pediatrycznych badań klinicznych będących przed lub w trakcie rekrutacji pacjentów.

Wykres 6. Procentowy udział pediatrycznych badań klinicznych ze względu na płeć uczestników badania.

Wykres 7. Procentowy udział pediatrycznych badań klinicznych będących przed lub w trakcie rekrutacji pacjentów ze względu na fazę.

TABELE

Tabela 1. Procentowy udział aktywnych pediatrycznych badań klinicznych w wybranych państwach.

RYSUNKI

Rysunek 1. Kryteria wyszukiwania danych do analizy „Pediatrycznych badań klinicznych w liczbach” ze strony internetowej www.clinicaltrials.gov w dniu 09.04.2025 roku.

Rysunek 2. Procentowa liczba badań klinicznych prowadzonych na świecie ze względu na ich rodzaj, fazę oraz możliwość rekrutacji pacjentów ze względu na wiek i płeć.

Rysunek 3. Dostępność aktywnych pediatrycznych badań klinicznych na świecie ze względu na płeć uczestników.



9. BIBLIOGRAFIA

1. Brniak W., Srebro J., Syty K., Tomasz K., Jachowicz R. 2023. Pediatryczne biofarmaceutyczne systemy klasyfikacji leków (pBCS). *Biofarmacja*, 79, 6, 319-328.
2. Łuczak A., Magiera M., Szalek E. 2018. Badania kliniczne w populacji pediatrycznej *Clinical trials in the paediatric population*. *Farmacja współczesna*, 11: 42-48.
3. Rzepiński Tomasz. 2024. Ekspertyza: Rodzaje badań epidemiologicznych. <https://ruj.uj.edu.pl/handle/item/342855> [dostęp: 23.04.2025 r., 13:10]
4. www.clinicaltrials.gov [dostęp: 09.04.2025 r., 11:20]
5. Fazy badań klinicznych. *Badania kliniczne*. 2017. <https://ebadaniakliniczne.pl/pl/artykuly/fazy-badan-klinicznych> [dostęp: 23.04.2025 r., 12:00]



