

Pacjenci w badaniach

<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/1994,28-lutego-Swiatowy-Dzien-Chorob-Rzadki.html>
2023-06-04, 13:50

28 lutego - Światowy Dzień Chorób Rzadkich

28 lutego obchodzimy Światowy Dzień Chorób Rzadkich. To wyjątkowy obszar skupiający schorzenia o przewlekłym i ciężkim przebiegu, najczęściej uwarunkowane genetycznie i ujawniające się zwykle już w wieku dziecięcym. Ze względu na rzadkość występowania, trudności w rozpoznawaniu i brak świadomości społecznej, wiedza o tych chorobach była dotychczas niewielka.

Choroby rzadkie stanowią istotne wyzwanie opieki zdrowotnej i społecznej, dotykając 6-8% populacji każdego kraju. W ślad za definicją chorób rzadkich stosowaną w Unii Europejskiej, schorzenie uznaje się w Polsce za chorobę rzadką, jeśli dotyka ona nie więcej niż 1 osobę na 2 tys. Choroby występujące z częstością 1 na 50 tys. lub mniejszą, to choroby ultrarządki. Uwzględniając polskie dane demograficzne okazuje się, że na choroby rzadkie w Polsce cierpi od 2,3 – 3 mln osób.

W Polsce tylko dla 4% spośród 8 tys. znanych chorób rzadkich dostępne są zarejestrowane leki. Ocenia się, że rocznie w Polsce diagnozowanych jest 200 tys. nowych przypadków chorób rzadkich. Pomimo braku rejestracji leków na konkretne wskazanie, pacjentom musi być udzielana pomoc medyczna w postaci tzw. leków off-label (poza wskazaniem), terapii nielekowych, doraźnego leczenia przeciwbólowego i pomocy ambulatoryjnej.

Między innymi z tych powodów Agencja Badań Medycznych (ABM) w 2021 uruchomiła pierwszy w Europie Środkowo-Wschodniej program o wartości 100 mln zł na działalność badawczo-rozwojową, z którego będą mogli skorzystać pacjenci dotknięci chorobą uznaną za rzadką lub ultraradką. W ramach zorganizowanego przez ABM konkursu wpłynęło 39 wniosków. Po wnikliwej analizie każdego z nich, niezależni eksperci wyłonili 12 projektów w obszarach: onkologii, kardiologii, urologii, ginekologii i położnictwa, neurologii klinicznej oraz hematologii, które w przeciągu najbliższych lat otrzymają finansowanie o łącznej wysokości ok. 102 mln złotych.

Uruchomienie przez ABM konkursu poświęconego niekomercyjnym badaniom klinicznym w obszarze chorób rzadkich, było działaniem komplementarnym do prac podejmowanych przez zespół pracujący nad Narodowym Planem dla Chorób Rzadkich (NPCR). Wsparcie tego obszaru przez ABM przyczyni się do poprawy sytuacji pacjentów z chorobami rzadkimi m.in. poprzez udostępnienie nowoczesnych metod diagnostyki i leczenia polskim pacjentom.

Szczegółowe informacje na temat powyższych projektów dostępne są w niedawno uruchomionej wyszukiwarce badań finansowanych przez ABM [\[TUTAJ\]](#).

Autor: Ewa Kowalczyk- specjalista ds. badań klinicznych

[Poprzedni Strona](#)
[Następny Strona](#)