

# Pacjenci w badaniach

<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/2536,Rola-badan-klinicznych-w-leczeniu-chorob-rzadkich.html>  
04.05.2024, 04:45

## Rola badań klinicznych w leczeniu chorób rzadkich

Jak podaje Ministerstwo Zdrowia choroby rzadkie to „bardzo rzadko występujące schorzenia uwarunkowane najczęściej genetycznie, o przewlekłym i często ciężkim przebiegu, w około połowie ujawniają się w wieku dziecięcym. Ze względu na rzadkość występowania, trudności w rozpoznawaniu i brak świadomości społecznej, wiedza o tych chorobach była dotychczas niewielka.”

Choroby rzadkie charakteryzują się niską częstością występowania w populacji. Pomimo pojedynczego przypadku może wydawać się, że wpływają one marginalnie na społeczeństwo jako całość, jednak ich znaczenie jest ogromne dla pacjentów oraz ich rodzin. W ostatnich latach wzrosło zainteresowanie badaniami nad tymi schorzeniami, co po części wynika z postępów w technologii genetycznej oraz coraz większej świadomości społecznej na ich temat.

Ze względu na niewielką liczbę chorych pacjentów trudno jest przeprowadzić klasyczne badania kliniczne na dużą skalę. W tym przypadku stosuje się często tzw. [badania kliniczne](#) faz przedklinicznych, które pozwalają na ocenę skuteczności i bezpieczeństwa potencjalnych terapii na mniejszej liczbie pacjentów. Takie badania mogą obejmować testowanie nowych leków, terapii genowych, czy też innowacyjnych metod leczenia, takich jak terapie komórkowe, które polegają na zastosowaniu komórek macierzystych do leczenia chorób, a nie genów organizmu. Komórki macierzyste są używane w terapii komórkowej, ponieważ mogą być źródłem różnych rodzajów wyspecjalizowanych komórek stosowanych do naprawy uszkodzonych tkanek.

Obecnie w Polsce prowadzonych jest ponad 50 badań klinicznych z zakresu chorób rzadkich, więcej informacji na anglojęzycznej stronie, pod linkiem <https://clinicaltrials.gov/search?locStr=Poland&country=Poland&term=Rare%20Diseases&aggFilters=status:rec>.

Badania kliniczne odgrywają kluczową rolę w leczeniu chorób rzadkich, umożliwiając identyfikację nowych terapii oraz ocenę skuteczności istniejących metod leczenia. W kontekście coraz większego zainteresowania społecznego oraz postępów technologicznych można oczekiwać, że rola badań klinicznych w leczeniu chorób rzadkich będzie rosła, co pozwoli na poprawę jakości życia pacjentów oraz zwiększenie szans na skuteczne leczenie tych schorzeń.

*29 lutego Światowym Dniem Chorób Rzadkich* - coroczna inicjatywa mająca na celu zwiększenie świadomości społecznej na temat chorób rzadkich oraz poprawę dostępu do diagnostyki, leczenia i opieki dla osób dotkniętych tymi schorzeniami. Światowy Dzień Chorób Rzadkich jest również okazją do promowania współpracy międzynarodowej w dziedzinie badań naukowych nad chorobami rzadkimi oraz do podkreślenia znaczenia solidarności i wsparcia dla pacjentów i ich rodzin. Więcej informacji na temat tego szczególnego dnia: <https://abm.gov.pl/pl/aktualnosci/786,Swiatowy-Dzien-Chorob-Rzadkich.html>

## Bibliografia:

- <https://www.gov.pl/web/zdrowie/choroby-rzadkie>
- <https://politykazdrowotna.com/artykul/28-lutego-obchodzimy-swiatowy-dzien-chorob-rzadkich/834454>
- <https://www.eurogct.org/pl/czym-jest-terapia-genowa-i-komorkowa>
- <https://clinicaltrials.gov/search?locStr=Poland&country=Poland&term=Rare%20Diseases&aggFilters=status:rec>
- <https://abm.gov.pl/pl/aktualnosci/786,Swiatowy-Dzien-Chorob-Rzadkich.html>

Autorka: Milena Ławrów

[Poprzedni Strona](#)

[Następny Strona](#)