

Klinické studie: Miniprůvodce pro HAE pacienty

Pro hereditární angioedém je – ve srovnání s dalšími vzácnými onemocněními – specifické to, jak velký počet vědců a výzkumníků bádá po nových terapiích a lécích. Mezinárodní sdružení HAEi eviduje již 8 schválených terapií a mnoho dalších klinických studií cílených na léčbu HAE v různé fázi pokročilosti. Velmi důležitou roli ve vývoji nových léčiv hrají pacienti z celého světa, kteří se dobrovolně hlásí do klinických studií.

Tento miniprůvodce shrnuje základní informace pro pacienty s HAE na téma klinických studií (klinické hodnocení).

Klinické studie spočívají v systematickém testování potenciálních nových léčivých přípravků a zahrnují jejich ověřování, prokazování účinnosti a bezpečnosti v léčbě různých onemocnění. Klinické studie jsou tak nedílnou součástí cesty nových léků z výzkumných laboratoří k pacientům.

Vývoj nového léku obvykle zahrnuje několik fází:

- Preklinické testování (laboratorní testování), které podle FDA¹ trvá v průměru 18 měsíců
- Tři fáze klinického hodnocení (testování na dobrovolnících), která podle FDA může trvat 2 až 10 let
- Registrace nového léku (posuzování a rozhodování lékové/lékových agentur), která může trvat 1 až 3 roky

Po ukončení všech povinných fází mohou někteří sponzoři studií (obvykle se jedná o farmaceutické firmy) nabídnout účastníkům dobrovolné pokračování v léčbě pro účely sledování dlouhodobé účinnosti a bezpečnosti medikamentu. Po registraci nového léčiva mohou také sledovat další klinické studie s cílem rozšíření terapeutické indikace (např. pro pediatrické pacienty apod.).

Aby mohla jakákoliv klinická studie proběhnout, je nutné, aby sponzor požádal o její **registraci u lékové agentury** na území, kde by studie měla probíhat. V rámci posuzování žádostí o registraci se také zapojí **Etická komise** dané lékové agentury, jejíž povinností je „přispívat k ochraně práv, bezpečnosti a zdraví subjektů hodnocení a veřejnému zdraví jako celku.“²

Informace o klinických hodnoceních jsou následně publikovány ve veřejných databázích spravovaných danými lékovými agenturami, jako například:

¹ FDA (Food & Drug Agency) je státní léková agentura ze Spojených států.

² Zdroj: <https://www.sukl.cz/sukl/dalsi-informace/eticka-komise-sukl>

- [Databáze lékové agentury FDA z USA](#)
- [Databáze Evropské agentury pro léčivé přípravky EMA](#)
- [Databáze českého Státního úřadu pro kontrolu léčiv SÚKL](#)

Pro vyhledávání registrovaných klinických studií pro HAE je možné zadávat ve výše jmenovaných databázích název onemocnění v políčku diagnóza (*hereditární angioedém* v češtině nebo *hereditary angioedema* v angličtině). Výsledek vyhledávání obvykle nabízí základní informace ke každému evidovanému klinickému hodnocení, včetně toho, kdo se může studie zúčastnit, datum zahájení studie a odborné pracoviště, kde hodnocení probíhá a kam se mohou zájemci obrátit pro více informací. Obvykle mají pacienti možnost se poradit o vhodném klinickém hodnocení přímo se svým lékařem.

Dalším užitečným zdrojem informací k probíhajícím klinickým hodnocením pro HAE ve světě je pravidelně aktualizovaný seznam vedený Mezinárodní patientskou organizací HAEi (k dispozici v angličtině [zde](#)).

Účast pacienta v klinických studiích předpokládá jak různé **benefity, tak i rizika**. Nejčastější přínosy mohou být dřívější přístup k nové nadějně terapii zdarma, komplexní a pravidelné vyšetření v rámci studie, možnost se jednoduše a kdykoliv ze studie odhlásit, nepřímá pomoc širší patientské komunitě a vědeckému pokroku, finanční náhrada za náklady spojené s účastí atd. Možnými riziky spojenými s účastí v klinickém hodnocení jsou nedostačující účinnost hodnocené léčby a/nebo možný výskyt nežádoucích účinků.

Sponzor klinické studie je povinen řádně shrnout veškeré důležité informace o průběhu studie, podmínky účasti a o známých rizicích ve formuláři **informovaného souhlasu**, s jejichž obsahem se musí seznámit a souhlasit každý zájemce ještě před nástupem do hodnocení. Dohled na ochranu pacienta v průběhu studie mají Státní ústav pro kontrolu léčiv a etická komise. Navíc, pro omezení dopadů možných rizik platná legislativa vyžaduje, aby sponzor sjednal **pojištění** pro účastníky svých klinických studií.

Další edukační video materiály pro zájemce o klinické studie jsou k dispozici pro členy HAE Junior na portále Patientského hubu, který na začátku října 2022 uspořádal celodenní [Seminář o klinických studiích pro pacienty](#).

HAE Junior z.s.

Pacientská organizace pro kvalitnější život dětí a mládeže s diagnózou HAE
Wichterlova 2372/8
180 00 Praha 8

e-mail: info@haejunior.cz
web: www.haejunior.cz