


 Medexpress, 2021-02-11 10:45

# ABM sfinansuje badania nad chorobami rzadkimi



Choroby rzadkie to ciężkie, często zagrażające życiu schorzenia, na które zapada 6 do 8% populacji. Oznacza to, że w Polsce żyje około 3 milionów osób z chorobą rzadką.

Leczenie ich wymaga interdyscyplinarnego, wielopłaszczyznowego i skoordynowanego podejścia, wyrównującego szansę pacjentów cierpiących na choroby rzadkie. W odpowiedzi na to zapotrzebowanie Agencja Badań Medycznych uruchomiła 100 mln zł grantu dedykowanemu badaniom nad najrzadszymi schorzeniami.

*- Niestety, część pacjentów ma to wielkie nieszczęście, że choruje na choroby rzadkie lub ultraradkie, które ze względów biznesowych nie są przedmiotem zainteresowania gigantów farmaceutycznych. W związku z tym musimy wypełnić tę niszę, aby pacjentom z takimi właśnie chorobami zapewnić dostęp do nowoczesnych, skutecznych terapii - komentuje prezes ABM dr n. med. Radosław Sierpiński.*

Dotychczas, choroby rzadkie nie znajdowały się wśród priorytetowych programów ani w Polsce, ani w wielu krajach Europy. To podejście zmienia się jednak wraz z podjęciem różnych wielopłaszczyznowych działań podejmowanych zarówno w kraju, jak i zagranicą. Obecnie problem ten doczekał się kompleksowego podejścia w między innymi opracowywanym przez Ministerstwo Zdrowia „Narodowym Planie dla Chorób Rzadkich”.

Uzupełnieniem działań podejmowanych przez Ministerstwo Zdrowia są konkursy dofinansowane przez Agencję Badań Medycznych dedykowane niekomercyjnym badaniom klinicznym. Do tej pory w ramach dwóch edycji konkursów w tym zakresie, ABM przekazało łącznie 130 milionów złotych realizację 10 projektów związanych z chorobami rzadkimi.

W 2021 roku Agencja Badań Medycznych uruchomiła także 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. Celem konkursu jest przede wszystkim zwiększenie dostępności do diagnostyki i terapii lekowych w chorobach rzadkich.

*- Dla wielu chorych, zwłaszcza na choroby rzadkie badania kliniczne są szansą na innowacyjne leczenie i poprawę zdrowia. Wiąże się to z możliwością wykonania nowoczesnych badań diagnostycznych, a wielu przypadkach z ostatnią dostępną opcją zwiększenia komfortu i czasu przeżycia - podkreśla lek. Aneta Sitarska-Haber wiceprezes Polskiego Stowarzyszenia na Rzecz Dobrej Praktyki Badań Klinicznych (GCPpl)*

*- Bardzo się cieszę, że Agencja Badań Medycznych realizuje programy, które mają służyć poprawie diagnostyki w chorobach rzadkich. To jest niezwykle istotny problem. Oczywiście mamy świadomość, że w chorobach rzadkich nie doganiamy tempa opracowywania nowych terapii, dostępnego dla pacjentów z częstszymi schorzeniami, ale wyjściową kwestią jest problem diagnostyczny, który zdarza się że w przypadku chorych na choroby rzadkie trwa latami - komentuje prof. Katarzyna Kotulska-Jóźwiak z Kliniki Neurologii i Epileptologii Instytutu - Pomnika Centrum Zdrowia Dziecka.*

Krótko- i długoterminowe rezultaty wynikające z udziału jednostek naukowych i pacjentów w proponowanym przez Agencję konkursie, to wyjście naprzeciw oczekiwaniom społecznym związanym

ze wsparciem diagnostyki chorób rzadkich, poprzez wykorzystanie nowoczesnych wysokospecjalistycznych badań genetycznych, wypracowanie standardów i procedur dotyczących nowoczesnych podejść diagnostycznych. To także szansa dla pacjentów na wdrożenie leczenia i zwiększenia dostępności do innowacyjnych terapii lekowych.

*Źródło: AMB*