

Przykłady niekomercyjnych badań finansowanych przez Agencję Badań Medycznych

1. Projekt: *Childhood ALL w Polsce (CALL-POL): Harmonizacja diagnostyki i leczenia ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci*

Beneficjent: Uniwersytet Medyczny w Łodzi, badanie o charakterze ogólnopolskim

Główny Badacz: prof. dr hab. Wojciech Młynarski

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Dzięki realizacji projektu **wszystkie dzieci w Polsce (dotychczas w liczbie 555) z nowo rozpoznaną ALL mogą mieć dostęp do innowacyjnej terapii** (nowoczesnymi lekami blinatumobab, bortesomib, ruksolitinib) oraz zaawansowanej diagnostyki molekularnej całego genomu.

Ostra białaczka limfoblastyczna (ALL) jest najczęstszym nowotworem złośliwym w populacji pediatrycznej, z chorobowością wynoszącą 47 na milion rocznie wśród dzieci poniżej 15 lat.

Realizacja projektu od 23.06.2020 do 21.06.2026

Dotychczasowe efekty:

Aktualnie liczba pacjentów zrekrutowanych pacjentów w ramach projektu CALL-POL wynosi 555. W zależności od badania pozwala to na zastosowanie nowoczesnych leków (blinatumobab, bortesomib, ruksolitinib), których działanie jest molekularnie ukierunkowane i dopasowane do każdego pacjenta w sposób indywidualny. Wśród pacjentów włączonych do badania dominowało rozpoznanie ostrej białaczki limfoblastycznej wywodzącej się z limfocytów B (ALL-B). Aktualnie w badaniu mediana czasu obserwacji wynosi 13,2 miesiąca. W populacji objętej badaniem odnotowano 3,5% zgonów i jedynie 1,6% nawrotów choroby, oznacza to, że **nadal 96,5% pacjentów żyje**.

2. Projekt: *Immunoterapia z zastosowaniem dinutuksymabu beta skojarzona z chemioterapią w leczeniu pacjentów z neuroblastoma pierwotnie oporną na leczenie standardowe oraz ze wznową lub progresją choroby*

Beneficjent: Uniwersytet Jagielloński z udziałem ośrodków onkologii/hematologii dziecięcej z całej Polski

Główny Badacz: prof. dr hab. n. med. Walentyna Balwierz

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Terapia przedłużająca życie pacjentów pediatrycznych z **neuroblastomą, dla których wyczerpały się standardowe metody leczenia. Około 15% pacjentów źle odpowiada** na chemioterapie indukcyjne i nie kwalifikuje się do dalszych etapów leczenia. Ponadto w trakcie immunoterapii lub po jej zakończeniu u **około 25% dzieci stwierdza się wznowy choroby**. Ten projekt wypełnia lukę w zakresie leczenia pacjentów z NBL opornym na wstępne leczenie lub ze wznową choroby dając im szansę na dodatkową linię leczenia.

Nerwiak zarodkowy współczulny (neuroblastoma, NBL) jest jednym z najczęstszych złośliwych guzów litych u dzieci. Nowotwór ten pojawia się u 6-11 na 1 000 000 dzieci rocznie (60–70 nowych zachorowań

w Polsce), w tym **u około 1/3 pacjentów stwierdza się chorobę wysokiego ryzyka niepowodzenia leczenia (HR-NBL)**. Pomimo standardowego skojarzonego leczenia i znacznej poprawy wyników terapii po włączeniu immunoterapii w pierwszej linii, prognoza dla pacjentów z HR-NBL jest nadal niezadowolająca.

Realizacja projektu od 2021-01-01 do 2026-12-31

Badaną grupą są pacjenci z NBL pierwotnie opornym na leczenie standardowe i ze wznową lub progresją NBL, dla których brak jest aktualnie standardów postępowania, a stosowane dotychczas metody leczenia nie dają szansy na uzyskanie trwałej remisji choroby

Dotychczasowe efekty:

- Dotychczasowe wyniki wskazują, że chemoimmunoterapia na obecnym etapie badania daje szansę na poprawę rokowania w grupie pacjentów z chorobą oporną na leczenie standardowe.
- Do badania włączono wszystkich pierwotnie zaplanowanych pacjentów (tj. 20) skierowanych z 11 ośrodków onkologii i hematologii dziecięcej w Polsce.
- Uzyskane wstępne wyniki leczenia są obiecujące, a obserwowane zdarzenia niepożądane akceptowalne.

3. Projekt: Optimalizacja postępowania oraz leczenia małych pacjentów z rozrostami z komórek histiocytarnych – pierwsze polskie niekomercyjne badanie kliniczne POL HISTIO

Beneficjent: Instytut Matki i Dziecka w Warszawie, **projekt o charakterze ogólnopolskim**

Główny Badacz: prof. dr hab. Anna Raciborska

Jaki problem rozwiązuje?

Wdrożenie niedostępnego dotychczas, spersonalizowanego leczenia dzieci z chorobą rzadką – rozrostami z komórek histiocytarnych

Projekt zakłada przeprowadzanie **badania genetycznych guz z komórek histiocytarnych tak, aby było możliwe dobranie celowanej metody leczenia i wystandaryzowanie terapii w ujęciu krajowym.**

Przed realizacją badania jedynie 14% polskich pacjentów z rozrostami z komórek histiocytarnych miało wykonywane badania genetyczne, a jedynie kilku było leczonych na podstawie tego wyniku, co świadczy o niskim stopniu podejmowania prób leczenia celowanego.

Projekt swoim zasięgiem ma objąć pacjentów z całej Polski. Niekomercyjne badania kliniczne prowadzone w ramach tego projektu mają szansę stać się kamieniem milowym w opracowaniu innowacyjnych i skutecznych terapii celowanych w leczeniu rozrostów histiocytarnych, których brakuje zarówno w Polsce, jak i na świecie. Potencjał naukowy projektu jest ogromny i wynika z potrzeby opracowania skutecznych terapii celowanych i spersonalizowanych, których projektowanie wymaga poznania molekularnego profilu rozrostów histiocytarnych. Obecnie projektowanie takich terapii jest ograniczone.

Realizacja projektu od 23.06.2020 do 23.06.2026

Dotychczasowe efekty:

- Badanie jest w trakcie realizacji, dotychczas włączono 87 pacjentów.

- **Włączenie leczenia celowanego w najgorzej rokującej grupie pacjentów, pozwoliło na osiągnięcie odpowiedzi klinicznej u 100% pacjentów** (ustąpienie objawów klinicznych). Reasumując wszyscy pacjenci odpowiedzieli na leczenie. **Wcześniej tego typu leczenie było dostępne tylko dla pojedynczych pacjentów w Polsce.**
- Dzięki efektywnej organizacji procesów leczniczych **udało się zredukować koszty leczenia dzieci, nie pozostawiając żadnego pacjenta bez opieki** i poczucia zagrożenia, że terapia lub lek nie jest finansowana przez szpital.

4. Projekt: Wpływ nieodwracalnej elektroporacji wapniowej, elektrochemioterapii oraz elektroporacji na jakość życia oraz przeżycie wolne od progresji u chorych na raka trzustki.

Beneficjent: Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu

Główny Badacz: prof. dr hab. med. Wojciech Kielan.

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Elektrochemioterapia w nowotworach trzustki - innowacyjna metoda leczenia w najbardziej śmiertelnym nowotworze. Według danych epidemiologicznych Krajowego Rejestru Nowotworów rocznie na raka gruczołowego trzustki zachorowało w Polsce 3486 osób. Na ten rodzaj nowotworu brak jest skutecznych metod terapeutycznych. W ostatnich latach obserwuje się wzrost zachorowalności na nowotwory trzustki. **Zabieg resekcyjny jest jedyną szansą całkowitego wyleczenia, niestety możliwy jest jedynie u 20- 30 % chorych (stadium I, II, niektóre przypadki III).** Ogółem 5-letnie przeżycie raka trzustki to około 7%.

Realizacja projektu od 01.07.2021 do 30.06.2027

Opis projektu:

Celem badania jest zastosowanie innowacyjnej terapii w leczeniu raka trzustki, która poprawi wyniki leczenia pacjentów i przyniesie wymierne korzyści. Ta innowacyjna metoda łączy podejście nefarmakologiczne (elektroporację) z podaniem jonów wapnia lub bleomycyny w nieresekcyjnym raku trzustki, w sposób wykraczający poza specyfikację leku w terapii przeciwnowotworowej u pacjentów z nowo zdiagnozowanym nowotworem, jak również u pacjentów, u których standardowe metody leczenia nie przynoszą poprawy.

5. Projekt: Leczenie dzieci w wieku 6 – 18 lat z przewlekłym wirusowym zapaleniem wątroby typu C przy użyciu pangenotypowego leku o bezpośrednim działaniu przeciwwirusowym sofosbuwir/welpataswir -PANDAA-PED

Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny

Główny Badacz: prof. dr hab. n. med. Maria Pokorska-Śpiewak

Jaki problem projekt rozwiązuje?

Realizacja projektu pozwoliła na zastosowanie w populacji dziecięcej leku o działaniu pangenotypowym (aktywnego wobec wszystkich genotypów HCV): sofosbuwiru/welpataswiru (SOF/VEL), którego skuteczność udowodniono u osób dorosłych, zakażonych genotypami 1 – 6 HCV

oraz wyeliminowanie wirusa HCV z organizmu dziecka zapobiegając powikłaniom choroby (marskość wątroby, rak wątrobowokomórkowy), prowadzącym do przedwczesnej śmierci pacjenta.

Wyniki badań potwierdzające skuteczność terapii przeciw HCV również wśród dzieci. Uzasadnienie dla zmiany dotychczasowego programu lekowego.

Realizacja projektu od 01.07.2020 do 31.12.2024

Dotychczasowe efekty:

- Wyleczono 50 dzieci z przewlekłym WZW C przy użyciu terapii SOF/VEL. Wszyscy pacjenci włączeni do badania zostali wyleczeni (osiągnęli całkowitą eliminację HCV) – tym samym, jako pacjenci zdrowi, bez obciążeń medycznych, wejdą w dorosłość.
- Wykazano 100% skuteczności oraz wysoki profil bezpieczeństwa leczenia SOF/VEL u dzieci w wieku 6-18 lat, jak również korzystny wpływ leczenia na niektóre obszary jakości życia dzieci.
- Jest to jedyna (poza badaniem przedrejestracyjnym) opisana na świecie grupa dzieci z przewlekłym WZW C leczonych SOF/VEL, co dowodzi nowatorskiego charakteru badania.

6. Projekt: *Badanie bez radioterapii w początkowym leczeniu wczesnego, niemasywnego chłoniaka Hoodgkina o dobrym rokowaniu, definiowanego na podstawie niskiej objętości nowotworu metabolicznego i ujemnego tymczasowego badania PET po 2 cyklach chemioterapii - RAFTING-2019*

Beneficjent: Gdański Uniwersytet Medyczny

Główny Badacz: prof. dr hab. n. med. Jan Maciej Zaucha

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Unikalna spersonalizowana terapia dostosowana specjalnie do pacjentów z wczesną postacią chłoniaka Hodgkina

Realizacja projektu od 03.07.2020 do 15.06.2027

Opis projektu:

- Dodatkowym celem badania jest prospektywna ocena częstości nawrotów eHL u pacjentów niskiego ryzyka, które można by leczyć za pomocą radioterapii „na żądanie”, z następowym leczeniem podtrzymującym Niwolumabem.
- Ważnym celem badania jest również **określenie roli nowego biomarkera** (pozakomórkowy nowotworowy DNA – cfDNA w przewidywaniu nawrotu u pacjentów niskiego ryzyka).

Dotychczasowe efekty:

- Większość pacjentów należących do grupy wysokiego ryzyka eHL charakteryzuje się wysoką objętością metaboliczną guza;
- Niwolumab jest bezpieczny i dobrze tolerowany (brak zdarzeń niepożądanych).
- Prowadzone badania potwierdzają przyjęty w projekcie system leczenia spersonalizowanego, a wdrażana metoda wykorzystania biomarkera cfDNA jest bardzo czuła.

7. Projekt: *Otwarte badanie fazy 2 mające na celu ocenę bezpieczeństwa i aktywności klinicznej balstilimabu w monoterapii u pacjentów z zaawansowanym / przerzutowym rakiem skóry niebędącym czerniakiem (AGENONMELA)*

Beneficjent: Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie Państwowy Instytut Badawczy w Warszawie

Główny Badacz: Prof. dr hab. n. med. Iwona Ługowska

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Poprawa dostępności do leczenia nieoperacyjnego raka skóry. Wyniki analizy farmakoekonomicznej wskazują, że na mocy decyzji o refundacji leków sprowadzanych na warunkach i w trybie art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. - Prawo farmaceutyczne ze środków NFZ, **finansowanie leczenia 80 chorych lekami z grupy antyPD1 przez średnio rok kosztowałoby ok. 23 mln zł. Koszt badania AGENONMELA wynosi ok. 8 mln** i dodatkowo efektem wymiernym jest jego wartość naukowo-poznawcza.

Realizacja projektu od 01.07.2020 do 31.12.2025

Opis projektu:

Niemelanocytowe nowotwory skóry (NMSC) występują głównie u osób w podeszłym wieku, a w stadium nieoperacyjnym/rozszanym obserwuje się je stosunkowo rzadko (ok. 80-100 chorych w Polsce rocznie). **Problemem klinicznym i społecznym dla chorych i ich rodzin/opiekunów jest postępująca znaczna destrukcja tkanek skóry głowy, karku, czy tułowia, a rozległe rany z owrzodzeniami skutkują cierpieniem i bardzo niską jakością życia chorych.**

Realizacja przedmiotowego badania zatem przyczynia się z jednej strony do zwiększenia dostępności do leczenia nieoperacyjnego raka skóry osób w podeszłym wieku a z drugiej prowadzi do wymiernych oszczędności NFZ.

8. Projekt: *Opracowanie optymalnej strategii wytwarzania i podawania limfocytów CAR-T u dorosłych i dzieci chorych na chłoniaki nieziarnicze z komórek B i ostrą białaczkę limfoblastyczną*

Beneficjent: Uniwersytet Medyczny im. Powstańców Śląskich we Wrocławiu

Główny Badacz: prof. dr hab. Tomasz Wróbel

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Zaawansowana terapia CAR-T szansą na wyleczenie chorych na chłoniaki nieziarnicze i ostrą białaczkę. Terapia za pomocą modyfikowanych genetycznie limfocytów T z chimerycznym receptorem antygenowym (CAR) stała się przełomem w immunoterapii nowotworów i nosi miano terapii ratunkowej. Terapia ta nadal jest bardzo droga, co skutkuje ograniczonym dostępem, z powodu ograniczeń płatnika publicznego. Celem badania jest wdrożenie krajowej produkcji komórek CAR-T, co umożliwi dostęp do tej terapii szerszej grupie pacjentów

Realizacja projektu od 29.03.2021 do 28.03.2027

Przewidywane efekty:

- Konsorcjant, wytwórnia Regionalne Centra Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa (RCKiK), uzyskał zezwolenie Głównego Inspektora Farmaceutycznego na wytwarzanie badanego produktu leczniczego terapii zaawansowanej – modyfikowanych limfocytów T. Wytwórca posiada gotowość technologiczną do produkcji badanych produktów leczniczych ATMP.
- **proponowane badanie pozwoli wdrożyć produkcję komórek modyfikowanych CAR-T w celu stworzenia Polskiej terapii CAR- T oraz zoptymalizować sposób ich podawania, przy względnie niższych kosztach w porównaniu z kosztami leczenia produktami komercyjnymi.**
- można przypuszczać, że dzięki proponowanemu badaniu opracowany zostanie model leczenia, który umożliwi dostęp do tej innowacyjnej terapii komórkowej już w pierwszej linii leczenia ratunkowego w wybranej grupie chorych na chłoniaki agresywne i dzieci chorych na B-ALL ze szczególnie niepomyślnym rokowaniem.

9. Projekt: Ocena skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania naksytamabu u pacjentów z opornym na leczenie mięsakiem Ewinga (BUTTERFLY)

Beneficjent: Instytut Matki i Dziecka

Główny Badacz: Prof. dr hab. n. med. Anna Raciborska.

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Przełomowy krok w walce z rzadkimi nowotworami kości u dzieci. Mięsak Ewinga (ES) jest drugim co do częstości pierwotnym złośliwym nowotworem kości u dzieci. Występuje z częstością od 1,6 do 2,9 nowych zachorowań na 1 milion dzieci na rok. Niestety, aż u ok. 40% chorych momencie rozpoznania stwierdza się rozsiew choroby. Najczęstszą lokalizacją przerzutów są płuca. Leczenie II linii jest niewystandaryzowane i często zależy od doświadczenia ośrodka, wiedzy i możliwości terapeutycznych. W związku z powyższym, obecnie poszukuje się zarówno metod leczniczych, jak i diagnostycznych, które mogłyby poprawić przeżycie w tej grupie pacjentów. Dane z piśmiennictwa dowodzą, że **sama intensyfikacja chemioterapii wraz z radioterapią i chirurgią nie poprawia znacząco rokowania** Potrzebne są inne dodatkowe metody terapeutyczne lub diagnostyczne pozwalające na indywidualizację leczenia i zwiększenie odsetka przeżyć

Realizacja projektu od 1.08.2022 do 31.07.2028

Dotychczasowy efekt:

- Projekt to jedna z pierwszych immunoterapii w guzach kości i prawdopodobnie pierwsza terapia naksytamabem w mięsaku Ewinga na świecie

10. Projekt: Skuteczność i bezpieczeństwo leczenia nawrotu u chorych na chłoniaka DLBCL/HGBCL rozpoznanego w oparciu o monitorowanie krążącego nowotworowego DNA - badanie 2 fazy

Beneficjent: Instytut Hematologii i Transfuzjologii, o charakterze ogólnopolskim

Główny Badacz: prof. dr hab. n. med. Ewa Lech-Marańda

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Definiuje nowe, przełomowe biomarkery w rozpoznaniu i monitorowaniu chłoniaków

Chłoniaki rozlane z dużych komórek B (DLBCL, Diffuse Large B-cell lymphoma) są najczęstszymi chłoniakami nie-Hodgkina. U podstaw tych nowotworów leżą aberracje genetyczne, które powodują zmiany w materiale genetycznym komórek. W przypadku DLBCL stwierdzono ponad 150 różnych genetycznych nieprawidłowości. Każdy pacjent może mieć kilkadziesiąt tych zmian. **Chorzy na DLBCL, niezależnie od podtypu molekularnego, są obecnie leczeni zgodnie z jednolitym protokołem, który nie u wszystkich pacjentów jest skuteczny.**

Realizacja projektu od 1.01.2021 do 31.12.2026

Opis projektu:

- Celem projektu jest opracowanie i ocena bezpieczeństwa stosowania algorytmu diagnostycznego chłoniaków rozlanych z dużych komórek B (DLBCL) lub chłoniaków o wysokim stopniu złośliwości z komórek B (HGBCL). Algorytm bazuje na dynamice zmian stężenia krążącego DNA pochodzenia nowotworowego i ma służyć do wczesnej identyfikacji chorych wrażliwych i opornych na leczenie oraz wczesnej identyfikacji nawrotów.
- Dodatkowym celem projektu jest ocena skuteczności leczenia podejmowanego w oparciu o algorytm diagnostyczny uwzględniający miano krążącego DNA (cfDNA) pochodzenia nowotworowego jako bardzo czułego biomarkera.

Dotychczasowe efekty:

- Dotychczas zrekrutowano do badania 84 pacjentów, w 9 ośrodkach badawczych.
- Poprawa diagnostyki wtórnej

11. Projekt: Zastosowanie limfocytów CAR T antyCD19 w leczeniu dorosłych chorych na nawrotową i oporną ostrą białaczkę limfoblastyczną. Badanie kliniczne fazy I/II – MERMAID1

Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny

Główny Badacz: Prof. dr hab. med. Grzegorz W. Basak

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Głównym celem projektu jest badanie aktywności przeciwnowotworowej i ewentualnych działań niepożądanych modyfikowanych limfocytów CAR-T anty-CD19 u dorosłych chorych z oporną i nawrotową ostrą białaczką limfoblastyczną B-komórkową. Terapię otrzymają pacjenci, którzy ze względu na ograniczenia wiekowe refundacji do tej pory nie mieli dostępu do tej terapii.

Realizacja projektu od 01.09.2020 do 31.01.2026

Opis projektu:

- Badanie będzie prowadzone na grupie 20 chorych (wiek 18-65 lat) z rozpoznaniem oporną i nawrotową ostrą białaczką limfoblastyczną B-komórkową u których po minimum 2 cyklach chemioterapii indukcyjnej nie uzyskano całkowitej remisji lub doszło do nawrotu/progresji choroby.
- Proponowana terapia CAR-T należąca do grupy produktów leczniczych terapii zaawansowanych (ang. *Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP*) stanowi jedną z najbardziej innowacyjnych rozwiązań terapeutycznych w dzisiejszej medycynie

12. Projekt: Zastosowanie terapii tandemowej LutaPol/ItraPol (177Lu/90Y-DOTATATE) jako skutecznego narzędzia w leczeniu nowotworów neuroendokrynych

Beneficjent: Narodowe Centrum Badań Jądrowych

Główny Badacz: Prof. dr hab. n. med. Alicja Hubalewska-Dydejczyk

Realizacja projektu od 2020-06-15 do 2026-06-15

Jaki problem rozwiązuje projekt? Medycyna nuklearna wsparciem w skutecznym leczeniu guzów neuroendokrynych

Opis projektu:

Głównym celem badania jest ocena skuteczności leczenia guzów neuroendokrynych radioizotopami. Opracowanie algorytmu leczenia chorych z guzami neuroendokrynymi z użyciem mieszanek 177Lu-DOTATATE i 90Y-DOTATATE.

Dotychczasowe efekty:

- Obecnie trwa aktywna rekrutacja do badania klinicznego. W badaniu zaplanowano udział 92 pacjentów z nowotworami neuroendokrynymi, dotychczas zrekrutowano 39 pacjentów u których dostosowano dawkę, stosując indywidualną dozymetrię, w 6 ośrodkach badawczych.

13. Projekt RemiRit – Personalizowane leczenie immunosupresyjne z użyciem rituksymabu w leczeniu układowych zapaleń naczyń z obecnością przeciwciał ANCA – randomizowane, wieloośrodkowe badanie kliniczne

Beneficjent: Wojskowy Instytut Medyczny - Państwowy Instytut Badawczy

Główny Badacz: prof. dr hab. n. med. Stanisław Niemczyk

Realizacja projektu od 01.09.2021 do 31.08.2027

Jaki problem rozwiązuje projekt? Nowy standard leczenia układowych zapaleń naczyń krwionośnych

Opis projektu:

Celem projektu jest optymalizacja terapii immunosupresyjnej w układowym zapaleniu naczyń z obecnością przeciwciał ANCA w oparciu o schematy leczenia z użyciem przeciwciała monoklonalnego – rituksymabu.

Dotychczasowe efekty:

- Na podstawie wstępnych wyników od 25 pacjentów schemat leczenia z użyciem przeciwciała rituksymabu można przypuszczać, że jest bezpieczny w porównaniu do kontroli (brak ciężkich zdarzeń niepożądanych) oraz wiąże się z mniejszym obciążeniem personelu medycznego, jednocześnie pozytywnie wpływając na jakość życia pacjentów poprzez zmniejszenie liczby wizyt i skrócenie czasu podania leku. Schemat ten ma również pozytywny wpływ na jakość życia pacjentów (związany jest z mniejszą liczbą wizyt i krótszym czasem podania badanego leku w porównaniu do kontroli).
- **Na podstawie dotychczasowych obserwacji można oczekiwać, że badany schemat leczenia może się stać w przyszłości standardem optymalnego leczenia w badanej chorobie.**

14. Projekt: *Jednoramienne badanie II fazy oceniające skuteczność i bezpieczeństwo pembrolizumabu w połączeniu z rozpuszczalnym białkiem LAG-3, efitlagimodem i radioterapią w leczeniu przedoperacyjnym chorych na mięsaki tkanek miękkich (EFTISARC-NEO) chorych na mięsaki tkanek miękkich - EFTISARC-NEO*

Beneficjent: Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie – Państwowy Instytut Badawczy

Główny Badacz: Dr n. med. Katarzyna Kozak

Realizacja projektu od 01.07.2022 do 31.12.2026

Jaki problem rozwiązuje projekt? Redukcja ryzyka nawrotu choroby i wydłużenie życia u chorych na mięsaki tkanek miękkich

Opis projektu:

- Głównym celem projektu jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa terapii rozpuszczalnym białkiem fuzyjnym LAG-3 – efitlagimodem alfa – w połączeniu z przeciwciałem monoklonalnym – pembrolizumabem – oraz konwencjonalną radioterapią, w leczeniu przedoperacyjnym chorych na mięsaki tkanek miękkich.

Dotychczasowe efekty:

- Do badania włączono 9 chorych z 40 zaplanowanych.
- **Proponowany schemat ma wysokie szanse na redukcję ryzyka nawrotu choroby i wydłużenie przeżycia całkowitego chorych.**
- Trzech chorych zakończyło leczenie. U każdego pacjenta obserwowano bardzo dobrą odpowiedź na terapię.

15. Projekt: *Zastosowanie terapii celowanej u dzieci od 3 do 18 roku życia z rozlanym naciekającym glejakiem mostu (diffuse intrinsic pontine glioma-DIPG) w oparciu o wyniki badań genetycznych -DIPGen*

Beneficjent: Instytut "Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka" (IPCZD)

Główny Badacz: Dr hab. n. med. Bożenna Dembowska-Bagińska, Prof IPCZD

Realizacja projektu od 04.01.2021 do 31.12.2026

Jaki problem rozwiązuje projekt? Personalizowana terapia dla dzieci z rozlanym glejakiem z szansą na poprawę jakości życia

Opis projektu:

Głównym celem badania jest opracowanie optymalnego leczenia dla pacjentów w grupie pediatrycznej z naciekającym glejakiem mostu poprzez personalizację terapii i ocenę i skuteczności wybranych leków – syrolimus, trametynib. Rozlane glejaki mostu stanowią około 8-10% nowotworów dziecięcych, ta forma glejaka charakteryzuje się krótkim okresem przeżycia (8-12 miesięcy), głównie z powodu lokalizacji guza i wysokiej złośliwości. Podstawą leczenia jest radioterapia. W rezultacie personalizacji terapii oczekuje się poprawy wyników leczenia wśród dzieci z tą chorobą.



Dotychczasowe efekty:

- Badanie jest w trakcie realizacji, dotychczas włączono 25 ze 100 pacjentów z rozpoznanym rozlanym naciekającym glejakiem mostu.
- Wykonano ocenę patomorfologiczną, badania molekularne oraz analizę materiału genetycznego uzyskanego z tkanki guza i krwi u zrekrutowanych pacjentów.
- Wykonano analizę molekularną próbek od pacjentów z wykorzystaniem sekwencjonowania nowej generacji (ang. *Next Generation Sequencing, NGS*) na poziomie DNA i RNA.
- Opracowano system informatyczny SAMGen do gromadzenia i analizy danych medycznych i genetycznych, umożliwiający dopasowanie leczenia do cech molekularnych nowotworu, ocenę skuteczności terapii oraz tworzenie molekularnego obrazu choroby. **Trwają prace nad utworzeniem repozytorium danych genetycznych uzyskanych z materiału pobranego od przewidywanych 100 pacjentów. Będzie to unikalna w skali światowej baza danych molekularnych, która może być wykorzystana w innych badaniach nowotworów wieku rozwojowego.**

16. Projekt: *Prospektywne, randomizowane, otwarte badanie kliniczne III fazy z zaślepieniem oceny punktu końcowego oceniające skuteczność i bezpieczeństwo stosowania cyklosporyny i metotreksatu u dzieci i młodzieży z atopowym zapaleniem skóry o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego.*

Beneficjent: Uniwersytet Medyczny w Łodzi

Główny Badacz: Prof. dr hab. n. med. Joanna Narbutt

Realizacja projektu od 18.06.2020 do 17.06.2026

Jaki problem rozwiązuje projekt? **Terapia umożliwiająca wygaszenie uciążliwych objawów w Atopowym Zapaleniu Skóry u dzieci**

Opis projektu:

- Projekt skupia się na badaniu leków – metotreksatu (MTX) i cyklosporyny (CsA) – jako terapii dla dzieci z umiarkowanym i ciężkim Atopowym Zapaleniem Skóry (AZS). Obecne terapie skupiają się głównie na złagodzeniu objawów, ale nie prowadzą do wyleczenia choroby. Terapie miejscowe nie zawsze są wystarczające w kontrolowaniu ciężkich postaci AZS, co może wymagać użycia leków immunosupresyjnych. Celem tego badania jest uzyskanie danych naukowych potwierdzających bezpieczeństwo i skuteczność kliniczną metotreksatu i cyklosporyny oraz zmianę praktyki leczenia w terapii dzieci z umiarkowanym i ciężkim AZS.

Dotychczasowe efekty:

- Do badania włączonych zostało 172 z 317 planowanych pacjentów (54%).
- Wstępne, obserwowane przez lekarzy prowadzących projekt wyniki leczenia są obiecujące (dobre efekty kliniczne, brak działań niepożądanych, zadowolenie oraz poprawa jakości życia uczestników badania). Szczegółowa analiza będzie możliwa po zebraniu kompletu danych.

17. Projekt: *MIREN – opracowanie szybkiej i minimalnie inwazyjnej procedury rozpoznawania endometriozy*

Beneficjent: Wojskowy Instytut Medyczny - Państwowy Instytut Badawczy

Główny Badacz: Dr n.med. Monika Szafarowska

Realizacja projektu od 2023-09-01 do 2029-08-31

Jaki problem rozwiązuje projekt? Nieinwazyjna, szybka diagnostyka endometriozy szansą dla 2,5 mln kobiet w Polsce

Opis projektu:

Celem badania jest usprawnienie procesu diagnostyki endometriozy poprzez porównanie skuteczności metod nieinwazyjnych takich jak: metoda molekularna (test mRNA), metody obrazowe (MRI) lub połączenia obydwu metod w odniesieniu do inwazyjnej diagnostyki jaką stanowi laparoscopia.

Endometrioza jest jednym z najczęstszych schorzeń ginekologicznych. Ocenia się iż dotyczy około 10% kobiet w wieku rozrodczym. Choroba jest rozpoznawana nawet u 40% kobiet leczonych z powodu niepłodności oraz u ponad 60% kobiet z przewlekłym bólem miednicy mniejszej. **Szacuje się, że w Polsce na endometriozę może cierpieć nawet do 2,5 mln kobiet** jednak proces diagnozy jest długotrwały. Średni czas od wystąpienia objawów do **postawienia prawidłowej diagnozy to nawet 8-12 lat.** Dlatego opracowanie algorytmu diagnostycznego, który umożliwiłby szybką i wiarygodną procedurę diagnostyczną tego schorzenia nawet we wczesnych jego fazach za pomocą bezinwazyjnych metod pozwalałoby na wcześniejsze wdrożenie leczenia i poprawę zdrowia oraz jakości życia chorych bez stosowania inwazyjnych metod.

Pozytywny wynik testu genetycznego mógłby oszczędzić wielu pacjentkom tego zabiegu. Jest to istotne dla poprawy jakości życia pacjentek, gdyż laparoscopia łączy się z ryzykiem powikłań pooperacyjnych. Pozytywna diagnoza endometriozy w teście genetycznym czy w połączeniu z diagnostyką obrazową jest procedurą szybką i bardzo prostą, a co najważniejsze oszczędzającym pacjentkom długotrwałych badań.

Dotychczasowe efekty:

- Projekt znalazł się na liście rankingowej kwalifikującej do dofinansowania II rundy konkursu na badania Head-to-Head w zakresie niekomercyjnych badań klinicznych lub eksperymentów badawczych – edycja II (ABM/2023/1). Realizacja projektu dopiero się rozpoczęła.
- **Najważniejszym efektem projektu będzie opracowanie algorytmu diagnostycznego umożliwiającego przesiewową diagnostykę endometriozy także w niewyspecjalizowanych ośrodkach, co pozytywnie wpłynie na czas i efektywność diagnozy choroby.**
- Przeprowadzone analizy w badaniu pozwolą na stworzenie prostego algorytmu wczesnego wykrywania endometriozy u pacjentek z objawami klinicznymi. Tym samym umożliwi to pacjentkom podejmowanie świadomej decyzji odnośnie macierzyństwa (czasu zachodzenia w ciążę, zabezpieczenie płodności). **Ponadto wczesne rozpoznanie pozwoli na wdrożenie najskuteczniejsze z dostępnych metod leczenia farmakologicznego oraz być może uniknięcia inwazyjnej metody diagnostyki jaką jest laparoscopia.** Dodatkowym ważnym celem projektu jest poznanie nowych aspektów patofizjologii endometriozy o podłożu immunologicznym oraz genetycznym.

18. Projekt: *Pembrolizumab w Terapii Zaawansowanego, Progresującego Raka Kory Nadnerczy*

Beneficjent: Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie - Państwowy Instytut Badawczy, Oddział w Gliwicach

Główny Badacz: dr n. med. Barbara Ziólkowska,

Realizacja projektu od 2021-09-01 do 2027-08-31

Jaki problem rozwiązuje projekt? Szansa na leczenie nieoperacyjnych, rzadkich nowotworów endokrynych

Opis projektu:

Rak kory nadnerczy to bardzo rzadki nowotwór endokryny, występujący z częstością około 1/milion/rok. Jedynie radykalne leczenie operacyjne wczesnych postaci daje szansę całkowitego wyleczenia. W przypadku postaci zaawansowanych rokowanie jest złe, a dostępne standardowe terapie są bardzo ograniczone, jednocześnie charakteryzując się umiarkowaną efektywnością. W projekcie planowane jest leczenie przeciwciałem monoklonalnym – Pembrolizumabem – ze wspomagającym leczeniem inhibitorem steroidogenezy (Metopiron lub Ketokonazol) w przypadku raka kory nadnercza.

Planowane jest włączenie 24 uczestników.

Dotychczasowe efekty:

- Liczba zrekrutowanych pacjentów (uczestników z podpisaną świadomą zgodą): 6
- Nowy schemat leczenia dla pacjentów z zaawansowanym nowotworem endokrynym.

19. Projekt: Prospektywne, wielośrodkowe, randomizowane badanie trójkątne, Ib/III fazy, porównawcze mające na celu Optymalizację i Personalizację Terapii Immunologicznej nawrotowych Chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (OPTIC)

Beneficjent: Uniwersytet Medyczny w Lublinie

Główny Badacz: Prof. dr hab. n. med. Krzysztof Giannopoulos

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Szansa na terapię dla pacjentów z oporną lub nawrotową białaczką limfocytową, którzy nie odpowiadają na wcześniejsze leczenie.

Opis projektu:

Przewlekła białaczka limfocytowa jest najczęściej rozpoznawaną białaczką w wieku dorosłym w Europie i Stanach Zjednoczonych. Populacją docelową dla tego badania są dorośli chorzy na przewlekłą białaczką limfocytową nieodpowiadający na wcześniejsze leczenie wenetoklaksem – tj. oporni lub z nawrotem. W ramach badania proponowana jest nowa terapia, której głównym celem jest określenie skuteczności leczenia dla schematów obinutuzumab + daratumumab + wenetoklaks w grupie wysokiego ryzyka wraz z określeniem jakości życia chorych w trakcie prowadzonej terapii. Badane produkty lecznicze są zarejestrowane, dostępne na rynku ale zastosowane w nowym schemacie leczenia dla chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową. Uzyskane wyniki będą stanowiły istotny postęp w opracowaniu nowych rozwiązań terapeutycznych co za tym idzie przyczynią się do ratowania życia i uzyskania poprawy stanu zdrowia pacjentów

Realizacja projektu: od 2023-09-01 do 2028-08-31

20. Projekt: Zastosowanie MET-PET w fuzji z MRI w leczeniu operacyjnym i radioterapii pooperacyjnej glejaka wielopostaciowego – badanie randomizowane, zaślepienie, prospektywne.

Beneficjent: Wojewódzkie Wielospecjalistyczne Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi

Główny Badacz: dr Kamil Krystkiewicz

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Zwiększenie szans na skuteczność resekcji glejaka mózgu, dzięki innowacyjnej metodzie obrazowania, która precyzyjnie określa granice resekcji guza dające największą szansę na wyzdrowienie.

Opis projektu:

Glejak wielopostaciowy (GBM WHO IV) jest najczęstszym nowotworem pierwotnym mózgu u osób dorosłych. Jednocześnie jest najbardziej agresywny ze wszystkich pierwotnych nowotworów mózgu, a rokowanie, pomimo zastosowanego leczenia, jest złe. Szacowana mediana przeżyć wynosi 12-16 miesięcy przy optymalnym leczeniu. Aktualnym standardem leczenia jest maksymalnie doszczętna resekcja na podstawie przedoperacyjnego badania MRI z kontrastem. Udowodniono, że zakres wycięcia nowotworu przekłada się na czas przeżycia wolnego od wznowy (PFS) i przeżycia całkowitego (OS). Pomimo zabiegów operacyjnych dochodzi od wznowy miejscowej w miejscu operowanym. Tłumaczy się to tym, że w tkance nerwowej otaczającej ognisko wzmocnienia stwierdzone są komórki pnia (stem cells) glejaka wielopostaciowego, które są odpowiedzialne za wczesne odrosty nowotworu a aktualnie stosowana procedura diagnostyczna badanie MRI z kontrastem jest metodą, która nie pozwala z odpowiednią czułością wykazać granic resekcji, by maksymalnie wydłużyć PFS czy przeżycia całkowitego OS. W literaturze istnieją doniesienia dotyczące zastosowania badania PET z radiofarmaceutykami aminokwasowymi w diagnostyce guzów glejowych, różnicowaniu nowotworów czy planowania biopsji. Aktualnie brakuje dobrej jakości badania porównującego aktualny standard postępowania i planowania leczenia (MRI z kontrastem) z badaniem PET-CT, a niniejsze badanie jest pierwszym w skali światowej tego typu projektem. Głównym celem projektu jest wydłużenie czasu przeżycia wolnego od wznowy i przeżycia całkowitego.

Realizacja projektu: od 2023-08-01 do 2029-07-31

21. Projekt: GENTLE-PACE STUDY Wieloośrodkowy, randomizowany, prowadzony metodą podwójnie ślepej próby eksperyment badawczy porównujący skuteczność i bezpieczeństwo kardioneuroablacji do stałej stymulacji serca u pacjentów z implantowanym stymulatorem serca z powodu objawowej bradykardii.

Beneficjent: 4. Wojskowy Szpital Kliniczny z Polikliniką SPZOZ we Wrocławiu

Główny Badacz: dr hab. Dariusz Jagielski

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Daje szansę na uniknięcie konieczności wszczepiania stałego rozrusznika serca młodym ludziom i zastąpienie go zabiegiem kardioneuroablacji.

Opis projektu”

Projekt dotyczy kardioneuroablacji (CNA) jako alternatywnej metody leczenia dysfunkcji węzła zatokowego (SND) i/lub przedsionkowo-komorowego (AVB) w stosunku do dotychczas zalecanej terapii stałą stymulacją serca (PM). Wszczepienie PM u pacjentów w młodym wieku z powodu SND/AVB wiąże się z narażeniem ich na konsekwencje wieloletniej obecności i funkcji tego układu. Do tej pory była to jedyna możliwość leczenia pacjentów z SND/AVB, także w populacji, w której dominującą przyczyną bradykardii mogła być hiperwagotonia. Kilkanaście lat temu zaistniała metoda skupiająca się na odnerwieniu przywspółczulnym serca – CNA. Brak jest randomizowanych badań klinicznych, które oceniłyby skuteczność CNA, jako metody leczenia czynnościowych SND/AVB w porównaniu do dotychczasowego standardu, a więc terapii PM. Zasadniczym celem eksperymentu medycznego jest ocena skuteczności i bezpieczeństwa CNA, jako metody pozwalającej na rezygnację z kontynuacji terapii PM u pacjentów z czynnościową bradyarytmią w porównaniu z komparatorem jakim jest PM, czyli dotychczas zalecana w wytycznych Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego (ESC) strategia leczenia tych zaburzeń.

Realizacja projektu: od 2023-08-01 do 2029-07-31

22. Projekt: Ocena częstości występowania przetrwałego nadciśnienia płucnego noworodków w grupie noworodków urodzonych pomiędzy 32 a 42 tygodniem ciąży leczonych salbutamolem

Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny

Główny Badacz: Dr hab. n. med. Renata Bokiniec

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Zapobieganie ciężkiej niewydolności oddechowej u noworodków.

Coraz więcej dzieci rodzi się z niewydolnością oddechową, która jest jednym z najpoważniejszych problemów współczesnej neonatologii. Projekt bada skuteczność leku – salbutamolu podawanego wziewnie w celu zapobiegania rozwinięciu się ciężkiej niewydolności oddechowej i uniknięcia stosowania wentylacji mechanicznej w pierwszych dobach życia.

TTN – przemijający szybki oddech noworodka (ang. *Transient Tachypnea of the Newborn*) jest jedną z najczęstszych przyczyn niewydolności oddechowej wśród noworodków urodzonych o czasie oraz tzw. **późnych wcześniaków**. Część dzieci rozwija ciężką postać niewydolności oddechowej, czyli przetrwałe nadciśnienie płucne noworodków (PPHN), którego leczenie jest trudne. U noworodków leczonych dotychczasowymi metodami ryzyko zgonu wynosi ok. 10-15%. Ponadto dzieci, które przebyły PPHN są narażone na odległe skutki pod postacią powikłań neurologicznych, czy też zaburzeń neurorozwojowych. **Zaproponowana przez badaczy metoda leczenia może skutecznie zapobiegać rozwojowi ciężkiej niewydolności oddechowej.**

Realizacja projektu od 1.10.2020 do 30.09.2026

Opis projektu:

- Celem badania jest zmniejszenie (dzięki zastosowanej interwencji, tj. podaży salbutamolu – leku stosowanemu przeciwko astmie) odsetka ciężkiego nadciśnienia płucnego, które może być powikłaniem przedłużających się zaburzeń oddychania zwanych TTN szczególnie u dzieci urodzonych cięciem cesarskim

Dotychczasowe efekty:

- Dotychczas zrekrutowano do badania 297 pacjentów w 8 ośrodkach badawczych.
- Lek nie wykazał działań niepożądanych

23. Projekt: Ocena odpowiedzi immunologicznej u chorych leczonych pembrolizumabem z nowo zdiagnozowanym glejakiem wielopostaciowym mózgu (PIRG)

Beneficjent: Śląski Uniwersytet Medyczny w Katowicach

Główny Badacz: Dr hab. n. med. Wojciech Kaspera

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Zwiększenie szans na przeżycie pacjentów z glejakiem wielopostaciowym mózgu, dzięki włączeniu nieobjętego standardem terapii leczenia immunologicznego, które aktywizuje układ odpornościowy do walki z rakiem.

Glejak wielopostaciowy (GBM) charakteryzuje się skrajnie złośliwym przebiegiem klinicznym, oraz znaczną opornością na zastosowaną terapię. Aktualny przyjęty standard leczenia GBM obejmuje maksymalnie możliwy zakres resekcji chirurgicznej oraz uzupełniające leczenie w postaci radio- i chemioterapii. Pomimo tak radykalnego leczenia często dochodzi u pacjentów do wznowy. **Projekt przewiduje leczenie chorych na etapie przedoperacyjnym innowacyjną metodą** w celu aktywacji układu immunologicznego skutkującej bardziej intensywnym niszczeniem komórek guza, **co może zapobiec pojawianiu się jego wznowy po przebytych leczeniu.**

Glejak wielopostaciowy to guz ośrodkowego układu nerwowego, charakteryzujący się skrajnie złośliwym przebiegiem klinicznym, znaczną opornością na terapie oraz złym rokowaniem. Szacuje się, że roczna zapadalność na ten typ nowotworu wynosi 3/100.000 przypadków. Tylko 10% osób po leczeniu glejaka przeżywa 3 lata. **Zastosowanie przyjętej przez badaczy metody leczenia pobudzającej układ immunologiczny do zwalczania komórek guza może zwiększyć szansę osób dotkniętych tym nowotworem na jego zwalczenie.**

Realizacja projektu od 1.06.2020 do 30.05.2026

Opis projektu:

- Ocena odpowiedzi immunologicznej mikrośrodowiska guza na przedoperacyjne podanie pembrolizumabu.
- Ocena użyteczności obrazowania mającego na celu ocenę pobudzenia układu immunologicznego pacjentów

Przewidywane efekty:

- Zastosowanie proponowanej terapii u chorych z rozpoznany GBM przed zabiegiem chirurgicznym przyczyni się do zwiększonego pobudzenia układu immunologicznego wzmacniając efektywność odpowiedzi immunologicznej i ostatecznie poprawi rokowanie u tych chorych.
- Zwiększenie kontroli układu immunologicznego nad guzem może zmniejszyć agresywność wzrostu guza w momencie wystąpienia wznowy, co w konsekwencji powinno przyczynić się do polepszenia jakości życia chorych.

24. Projekt: *Niekomercyjne badanie kliniczne statyn w profilaktyce raka i terapii plejotropowej u palaczy z przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP)*

Beneficjent: Uniwersytet Medyczny w Białymstoku

Główny Badacz: Prof. dr hab. Robert Marek Mróz

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Poprawa parametrów oddechowych u osób z Przewlekłą Obturacyjną Chorobą Płuc. Złagodzenie stanu zapalnego zarówno w samym układzie oddechowym jak i w płucach oraz wywołanie efektu chemoprewencyjnego – odwracanie lub opóźnianie procesów nowotworowych.

Badania epidemiologiczne wykazały częstsze występowanie raka płuca oraz podwyższone ryzyko zgonu z powodu raka płuca wśród pacjentów z Przewlekłą Obturacyjną Chorobą Płuc (POChP). Rak płuca oraz POChP są ze sobą blisko związane i **szacuje się że od 40 do 70% pacjentów z rakiem płuca choruje również na POChP, ustanawiając POChP drugim najważniejszym czynnikiem ryzyka raka płuca poza paleniem.** Uważa się również że POChP jest jednym z czynników powodujących raka płuca. W badaniu zastosowany lek (łatwo dostępny i tani) może redukować liczbę zaostrzeń POChP, poprawić funkcjonowanie płuc oraz jakość życia pacjentów. Może też pośrednio wpływać na hamowanie procesów nowotworowych.

Realizacja projektu od 1.06.2020 do 31.05.2026

Opis projektu:

- Głównym celem projektu jest wykazanie efektu działania statyn (leków obniżających stężenie cholesterolu we krwi) – powszechnie stosowanych, stosunkowo tanich oraz łatwo dostępnych – na poprawę stanu klinicznego, redukcję częstości zaostrzeń oraz prewencję zapadalności na raka płuca wśród pacjentów z rozpoznaną Przewlekłą Obturacyjną Chorobą Płuc (POChP).

Dotychczasowe efekty:

- Projekt ma zasięg ogólnopolski zrekrutowano 91 pacjentów.

25. Projekt: *Ocena skuteczności i bezpieczeństwa nebiwololu w leczeniu nadciśnienia tętniczego u nastolatków*

Beneficjent: Warszawski Uniwersytet Medyczny

Główny Badacz: Dr hab. n. med. Małgorzata Pańczyk-Tomaszewska

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Skuteczne przeciwdziałanie nadciśnieniu tętniczemu u młodzieży w wieku 12-17 lat ograniczające występowanie działań niepożądanych znacznie obniżających jakość życia nastolatków w porównaniu do obecnego standardu leczenia.

Nadciśnienie tętnicze (NT) występuje u nastolatków z częstością 10-13% i jest chorobą o dużym znaczeniu klinicznym. Leki rekomendowane przez Europejskie Towarzystwo Nadciśnienia Tętniczego mają ograniczone zastosowanie przez możliwe działania niepożądane u nastolatków (niekorzystny wpływ na zaburzenia metaboliczne, tolerancję wysiłku oraz erekcję). Proponowany przez badaczy lek

(Nebivolol), nie pogarsza funkcji seksualnych oraz nie wykazuje negatywnego wpływu na funkcje oddechowe. Ma również działanie antyoksydacyjne. Jest zatem dobrze rokującym lekiem w tej grupie chorych.

Realizacja projektu od 15.04.2020 do 15.04.2025

Opis projektu:

- Celem projektu jest ocena bezpieczeństwa stosowania i wpływu badanego leku na ciśnienie tętnicze obwodowe u nastolatków z nadciśnieniem tętniczym.

Dotychczasowe efekty:

- Projekt ma zasięg ogólnopolski zrekrutowano ponad 1/3 docelowej grupy pacjentów.
- Badana jest szeroko rozumiana poprawa stanu zdrowia nastolatków z nadciśnieniem tętniczym także w aspekcie lepszego ich funkcjonowania społecznego (zmniejszenie absencji szkolnych, poprawa funkcjonowania w domu i szkole)

26. Projekt: Ocena efektywności klinicznej technologii BSD (B-matrix Spatial Distribution) oraz algorytmów opartych na sztucznej inteligencji do analizy obrazów MRI w przebiegu stwardnienia rozsianego (SM)

Beneficjent: Samodzielny Publiczny Zakład Opieki Zdrowotnej Szpital Uniwersytecki w Krakowie

Główny Badacz: Prof. dr hab. n. med. Agnieszka Słowik

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Poprawa metod wczesnej diagnostyki osób chorych na stwardnienie rozsiane oraz bardzo dokładny monitoring rezultatów stosowanych terapii.

Stwardnienie rozsiane (SM) to choroba autoimmunologiczna, w której układ odpornościowy atakuje własne komórki układu nerwowego. Stanowi najczęstszą nieurazową przyczynę niesprawności u ludzi młodych. **Wyleczenie SM nie jest obecnie możliwe.** W 2019 roku polska populacja pacjentów z SM liczyła ponad 50 tysięcy osób. Jednym z najważniejszych badań wykonywanych w SM jest rezonans magnetyczny (MR), pozwalający na uwidocznienie uszkodzeń układu nerwowego w mózgu i rdzeniu kręgowym. **W ramach prowadzonego badania stworzony został algorytm sztucznej inteligencji (AI) do analizy obrazów MR, który z dużą dokładnością klasyfikuje stopnie zaawansowania postępu choroby.**

Realizacja projektu od 1.10.2020 do 31.12.2024

Opis projektu:

- Celem projektu jest ocena przydatności klinicznej korekty obrazów rezonansu magnetycznego przy pomocy innowacyjnej technologii (testowanej dotychczas w warunkach przedklinicznych), do monitorowania przebiegu choroby u pacjentów z rozpoznaniem stwardnienia rozsianego (SM), a także możliwości jej wykorzystania dla stworzenia algorytmów oceniających opartych na sztucznej inteligencji (AI).

Dotychczasowe efekty:

- Stworzony w ramach badania klinicznego program może służyć do wczesnego wykrywania SM.



- Opracowana w ramach badania innowacyjna metoda diagnostyczna będzie mogła być stosowana u pacjentów nie tylko ze stwardnieniem rozsianym, ale również z innymi chorobami neurodegeneracyjnymi, gdzie dokładna ocena jest kluczowa dla planowania terapii i monitorowania postępu choroby.

27. Projekt: *Indukcyjne leczenie chorych na raka płaskonabłonkowego regionu głowy i szyi z zastosowaniem jednoczesnej chemioterapii i radioterapii niskimi dawkami promieniowania jonizującego (iCHRTL)*

Beneficjent: Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie - Państwowy Instytut Badawczy oddział w Gliwicach

Główny Badacz: Prof. dr hab. n. med. Piotr Rutkowski

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Zmniejszenie niepowodzeń leczenia nowotworów głowy i szyi.

W Polsce większość chorych na raka regionów głowy i szyi (RRGiSz) trafia do onkologa z chorobą w stanie zaawansowanym. Standardowe leczenie (operacja, radioterapia - RT) jest skuteczne u mniej niż połowy takich chorych. Główną przyczyną niepowodzeń są niewyleczenia lub wznowy. U istotnego odsetka chorych pojawiają się również przerzuty. Z tego względu podjęto **badanie nad skutecznością stosowania dodatkowo chemioterapii (CHT) w okresie poprzedzającym leczenie operacyjne (metoda indukcyjna -i) i skojarzonej z radioterapią. Jest to trzecie badanie kliniczne na świecie** testujące złożoną terapię nowotworów głowy i szyi.

Realizacja projektu od 1.12.2020 do 30.06.2026

Opis projektu:

- Celem badania jest weryfikacja skuteczności i dobrej tolerancji zastosowanej metody leczenia iCHRTL u chorych na raka płaskonabłonkowego jamy ustnej, gardła, krtani lub zatok przynosowych. Dzięki zakładanej poprawie tolerancji chemioterapii możliwe będzie zwiększenie dostępności leczenia z wykorzystaniem chemioterapii w tej grupie chorych.

Dotychczasowe i planowane efekty:

- Leczeniu poddano 20 z 40 przewidzianych pacjentów
- Upowszechnienie lepiej tolerowanego schematu leczenia, które w części może być prowadzone ambulatoryjnie – bez konieczności hospitalizacji.

28. Projekt: *Ocena bezpieczeństwa i efektywności klinicznej stent-graftów aortalnych modelowanych przy użyciu innowacyjnej technologii drukowania modeli w formacie 3D – wielośrodkowe badanie randomizowane*

Beneficjent: Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 2 PUM w Szczecinie

Główny Badacz: Dr n. med. Paweł Rynio

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Skuteczne przeciwdziałanie pęknięciom tętniaka aorty brzusznej przy pomocy spersonalizowanego podejścia do pacjenta. Wprowadzenie innowacyjnej, polskiej metody obrazowania cyfrowego i drukowania (w drukarce 3D) modelu aorty pacjenta dopasowanego indywidualnie.

Tętniak aorty brzusznej jest schorzeniem występującym nawet u 4-9% starszych mężczyzn. Tętniak często nazwany jest "tykającą bombą" ze względu na wysokie ryzyko niekontrolowanego pęknięcia i zgonu. W takiej sytuacji śmiertelność sięga ponad 90%. Leczenie polega na zapobieganiu w formie operacji naczyniowej zanim dojdzie do pęknięcia. Nowoczesna wewnątrznacyniowa naprawa tętniaka aorty jest leczeniem małoinwazyjnym. Zabieg ten wiąże się z długim okresem rekonwalescencji i większą śmiertelnością wczesną. **W projekcie badacze proponują wszczepianą protezę naczynia (stent-graft),** która będzie korzystną alternatywą dla operacji klasycznej. Rozmieszczenie naczyń jest u każdego człowieka inne, w związku z tym nie ma dostępnych "gotowych" stent-graftów. W ramach badania klinicznego **użyte zostanie polskie rozwiązanie informatyczne (oprogramowanie PrintGraft),** które łączy w sobie technologię sztucznej inteligencji (AI) i druku 3D, w ten sposób **każdy pacjent otrzyma stent-graft zaprojektowany na bazie własnego szablonu stent-graftu. Metoda pozbawiona jest wszystkich niedoskonałości związanych z dotychczas stosowaną "ręczną" metodą** przygotowywania stent-graftów oraz posiada lepsze parametry niż stent-grafy produkowane na zamówienie.

Realizacja projektu od 1.04.2021 do 31.03.2027

Opis projektu:

- Celem badania jest wykazanie równoważności stent-graftów formowanych przy pomocy oprogramowania PrintGraft do stent-graftów wytwarzanych na zamówienie (CMD) pod względem wskaźników operacyjnych oraz przeżywalności po operacji tętniaka aorty.

Dotychczasowe i planowane efekty:

- Leczeniu poddano 30 ze 100 przewidzianych pacjentów
- Wspomaganie lekarzy w podejmowaniu najlepszych decyzji terapeutycznych w leczeniu tętniaków aorty i zwiększenie bezpieczeństwa pacjentów podczas i po wykonaniu procedury leczniczej.

29. Projekt: *Randomizowane, podwójnie zaślepione, kontrolowane placebo- badanie oceniające skuteczność i bezpieczeństwo terapii dekanianem nandrolonu oraz terapii z zastosowaniem kompleksowej fizjoterapii i diety w leczeniu sarkopenii*

Beneficjent: Narodowy Instytut Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji im. prof. dr hab. med. Eleonory Reicher

Główny Badacz: Prof. dr hab. n.med. Tomasz Targowski

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Skuteczna diagnostyka i wprowadzenie kompleksowej terapii łączącej fizjoterapię, dietetykę i farmakoterapię w zapobieganiu utracie masy mięśniowej i funkcji mięśni szkieletowych, związanej z wiekiem.

Sarkopenia to zespół charakteryzujący się utratą masy mięśniowej i funkcji mięśni szkieletowych, związany z wiekiem. Choroba ta najczęściej diagnozowana jest u osób starszych. **To jeden z większych problemów zdrowia publicznego.** Skuteczność obecnie podejmowanych interwencji jest w dużej

mierze nieznana, brak jest również markerów definiujących różne stadia tej choroby wyniszczającej. **Projekt jest jednym z nielicznych na świecie poświęconym poszukiwaniu równocześnie nowych terapii w sarkopenii w połączeniu z udoskonaleniem ścieżki diagnostycznej.** Badacze testują lek (dekanian nandrolonu) stosowany w zapobieganiu osteoporozy oraz określone metody fizjoterapii połączonej z dietą.

Główny cel badania: Ocena skuteczności terapii nandrolonem oraz interwencji fizjoterapeutycznej i diety w leczeniu pacjentów z sarkopenią. Celem prezentowanego badania będzie określenie również:

- 1) biomarkerów sarkopenii mających zasadnicze znaczenie dla lepszego zrozumienia patogenezы schorzenia w celu dokładnego prognozowania, diagnozowania i oceny sarkopenii;
- 2) a także określenie wpływu skuteczności zastosowanej farmakoterapii, diety oraz fizjoterapii na skład mikrobiomu, profili metabolomicznych oraz poziom czynników pro-/anty-zapalnych u pacjentów - będzie to pierwsze badanie tego typu zarówno w Polsce, jak i na świecie.

Realizacja projektu od 1.03.2022 do 29.02.2028

Opis projektu:

- Celem projektu będzie opracowanie nowych procedur dotyczących postępowania diagnostycznego i farmakologicznego u chorych z sarkopenią, które będą mogły być szeroko stosowane w celu zapobiegania wykluczenia społecznego osób starszych.

Dotychczasowe i planowane efekty:

- Badanie już rozpoczęło rekrutację pacjentów
- Efekty badania będą mogły wpłynąć nie tylko na politykę zdrowotną, ale również społeczną, ponieważ zarówno wczesna diagnostyka sarkopenii, jak i efektywny system powstrzymywania jej skutków zmniejszy koszty opieki nad osobami dotkniętymi tą chorobą.

30. Projekt: Wieloośrodkowe, czteroramienne, randomizowane badanie z podwójnie ślepą próbą, oceniające równoważność dawek bewacyzumabu w terapii w I linii leczenia raka jajnika

Beneficjent: Uniwersytet Medyczny w Lublinie

Główny Badacz: dr hab. n. med. Marcin Bobiński

Jaki problem rozwiązuje projekt?

Ustalenie schematu dawkowania bewacyzumabu – leku stosowanego w raku jajnika w sposób zachowujący jego skuteczność, lecz zmniejszający liczbę ciężkich działań niepożądanych które wywołuje.

Rak jajnika jest piątym co do częstotliwości zachorowań i czwartym pod względem śmiertelności nowotworem wśród kobiet w Polsce. Leczenie chorych w zaawansowanym stadium choroby polega na przeprowadzeniu zabiegu chirurgicznego obejmującego wycięcie wszystkich zmian nowotworowych, a następnie zastosowanie do 6 cykli chemioterapii i terapię bewacyzumabem.

Bewacyzumab stanowi też podstawę leczenia podtrzymującego u pacjentek z rakiem jajnika. W Polsce, przez ostatnie kilka lat bewacyzumab był stosowany w ramach programu terapeutycznego w ściśle opisanej grupie chorych w dawce w 15 mg/kg m. c. Bewacyzumab, jako lek antyangiogeny, może

powodować liczne działania niepożądane, w tym ciężkie powikłania takie jak: perforacje żołądkowo-jelitowe, przetoki, komplikacje w gojeniu ran, encefalopatia, białkomocz, zakrzepica zatorowa tętnic i żył, tętniaki, zastoinowa niewydolność serca, oraz martwicze zapalenie powięzi, w tym zakończone zgonem.

Przedmiotem projektu jest badanie kliniczne dotyczące zastosowania bewacyzumabu w nowym schemacie uwzględniającym zmniejszenie jego dawkowania, a co za tym idzie zmniejszenie toksyczności leczenia onkologicznego. W projekcie proponowana jest redukcja dawki bewacyzumabu z 15 mg/kg m.c. do 7.5 mg/kg m.c, z założeniem utrzymania skuteczności leczenia onkologicznego w obu grupach pacjentek.

Przeprowadzenie powyższego badania może wpłynąć na zmianę dotychczasowego schematu pierwszej linii leczenia w niskozróżnicowanym raku jajnika w zaawansowanym stadium choroby. Obniżenie dawki leku przy zachowaniu skuteczności leczenia umożliwi z jednej strony uzyskanie lepszego profilu bezpieczeństwa, a co za tym idzie obniżyć odsetek chorych przerywających terapię z drugiej zaś, pozwoli obniżyć koszty terapii, co jest istotne z punktu widzenia systemu finansowania leczenia onkologicznego.

Realizacja projektu: od 2023-08-01 do 2029-07-31