

See discussions, stats, and author profiles for this publication at: <https://www.researchgate.net/publication/319521919>

Eksperyment leczniczy–dwa w jednym? [Therapeutic experiment – two in one?] – draft

Article · December 2016

CITATIONS

0

READS

392

2 authors, including:



[Joanna Rozynska](#)

University of Warsaw

37 PUBLICATIONS 57 CITATIONS

[SEE PROFILE](#)

Some of the authors of this publication are also working on these related projects:



The Advanced Certificate Program in Research Ethics for Central and Eastern Europe [View project](#)



Ethical analysis of risks and potential benefits in biomedical research [View project](#)

Joanna Różyńska
Uniwersytet Warszawski

Eksperyment leczniczy - dwa w jednym?¹

Ustawa z dnia 5 grudnia 1996 r. o zawodach lekarza i lekarza dentystry² (dalej u.z.l.) dzieli eksperymenty medyczne na dwa rodzaje: eksperymenty lecznicze i eksperymenty badawcze (art. 21). Zgodnie z treścią art. 21 ust. 2 u.z.l. „eksperymentem leczniczym jest wprowadzenie przez lekarza nowych lub tylko częściowo wypróbowanych metod diagnostycznych, leczniczych lub profilaktycznych w celu osiągnięcia bezpośredniej korzyści dla zdrowia osoby leczonej”. Udział w takim eksperymencie może brać tylko osoba chora, a tym, co uzasadnia jego przeprowadzenie, jest nieskuteczność lub niewystarczająca skuteczność dotychczas stosowanych metod medycznych (ust. 2 zd. 2). Natomiast eksperyment badawczy to eksperyment, który „ma na celu przede wszystkim rozszerzenie wiedzy medycznej. Może być on przeprowadzany zarówno na osobach chorych, jak i zdrowych (ust. 3).

Powyższa dychotomia jest od lat przedmiotem krytyki w polskiej literaturze prawniczej³. Podnosi się, że opiera się ona na kryterium dominującej intencji badacza, której – z racji jej subiektywnej natury – nie da się jednoznacznie i obiektywnie zbadać. Wskazuje się ponadto na niekonsekwencję ustawodawcy w posługiwaniu się tym podziałem w regulacji warunków dopuszczalności prowadzenia eksperymentów badawczych na osobach małoletnich (zob. art. 25 ust. 3 u.z.l.). Krytyka ta jest słuszna. Słabo wypada jednak na tle dyskusji, jakie od lat toczą się w literaturze światowej, na temat relacji między działalnością badawczą w medycynie a praktyką leczniczą, a także na tle historycznego już sporu o pojęciową adekwatność dzielenia badań naukowych z udziałem człowieka na badania terapeutyczne i nieterapeutyczne (czyli – mówiąc językiem polskiej ustawy – eksperymenty lecznicze i badawcze). Zręby tych dyskusji przedstawiłam w artykule „Regulacja ryzyka i potencjalnych korzyści badania biomedycznego z udziałem człowieka w standardach międzynarodowych”⁴, nie ma więc potrzeby ich tu szczegółowo powtarzać. Warto jednak przypomnieć, że przez lata spory te koncentrowały się wokół jednego z najważniejszych dokumentów międzynarodowych wyznaczających etyczne standardy prowadzenia naukowych badań medycznych z udziałem człowieka, a mianowicie Deklaracji Helsińskiej Światowego Stowarzyszenia Lekarzy (*World Medical Association*), która od momentu powstania w 1964 roku do rewizji z 2000 roku opierała się na założeniu, że „w dziedzinie badań

¹ Praca jest rezultatem realizacji projektu badawczego finansowanego przez Narodowe Centrum Nauki, nr 2014/15/B/HS1/03829.

² T.j. Dz. U. z 2015 r. poz. 464 z późn. zm.

³ Zob. np. M. Safjan, *Prawo i medycyna. Ochrona praw jednostki a dylematy współczesnej medycyny*, Oficyna Naukowa, Warszawa 1998, s. 174; B. Iwańska, *Warunki prawne dopuszczalności prowadzenia eksperymentów medycznych*, „Państwo i Prawo” 2000, z. 2, s. 73; M. Boratyńska, P. Konieczniak, *Prawa pacjenta*, Warszawa 2001, s. 115; L. Kubicki (red.), *Prawo medyczne*, Wrocław 2003, s. 35; K. Sakowski, w: E. Zielińska (red.), *Ustawa o zawodach lekarza i lekarza dentystry. Komentarz*, Wyd. 2, Lex a Wolters Kluwer Business, Warszawa 2014, s. 508-509; P. Konieczniak, *Eksperyment naukowy i techniczny a porządek prawny*, Warszawa 2014, s. 90-91.

⁴ Zob. J. Różyńska, *Regulacja ryzyka i potencjalnych korzyści badania biomedycznego z udziałem człowieka w standardach międzynarodowych*, „Prawo i medycyna” 2016, nr 2 (63, vol. 18), s. 58-78.

klinicznych (*clinical research*) konieczne jest dostrzeżenie zasadniczej różnicy między badaniami klinicznymi, których głównym celem jest przysporzenie pacjentowi korzyści terapeutycznych, i badaniami klinicznymi, których główny cel jest czysto naukowy i nie ma żadnej wartości terapeutycznej dla osoby im poddanej⁵. Założenie to było powszechnie krytykowane w literaturze⁶. Pod wpływem tej krytyki, w 2000 roku 52. Zgromadzenie Ogólne Światowego Stowarzyszenia Lekarzy dokonało zasadniczej rewizji struktury pojęciowej i normatywnej Deklaracji. Po pierwsze, odstąpiono od posługiwania się w kontekście badań naukowych w medycynie kategorią celu terapeutycznego, uznając, że wprowadza ona w błąd co do celu działalności badawczej w medycynie, jakim jest „jest poprawa metod profilaktycznych, diagnostycznych i terapeutycznych, a także zrozumienie etiologii i patogenezы chorób”, a zatem rozwój uogólnialnej wiedzy naukowej⁷. Po drugie, zrezygnowano z dychotomicznego podziału badań medycznych na badania połączone z profesjonalną opieką i badania nieterapeutyczne, i odrębnej ich regulacji. Uznano, że badania medyczne połączone z opieką medyczną (badania z potencjałem terapeutycznym) stanowią szczególną podkategorię wszystkich badań medycznych z udziałem ludzi, choć ze względu na fakt, iż angażują one osoby chore, ich prowadzenie wymaga zachowania pewnych dodatkowych warunków ochronnych. Po trzecie, jednoznacznie odróżniono prowadzenie badań naukowych połączonych z opieką medyczną (badań z potencjałem terapeutycznym) od stosowania niesprawdzonych metod leczniczych w praktyce klinicznej w celu poprawy zdrowia konkretnego pacjenta, czyli od tzw. terapii eksperymentalnej (nazywanej także leczeniem lub terapią innowacyjną). Niestety, ani te dyskusje ani te zmiany nie znalazły odzwierciedlenia w polskich debatach dotyczących ustawowej regulacji medycznego eksperymentu lekarskiego.

W niniejszym artykule krytycznie przeanalizuję stan polskiej debaty na temat natury i warunków realizacji eksperymentu leczniczego.

Eksperyment leczniczy czy terapia eksperymentalna

Studiując wypowiedzi przedstawicieli polskiej doktryny, nie sposób oprzeć się wrażeniu, że pojęcie „eksperyment leczniczy” używane jest w polskiej literaturze prawniczej dla oznaczenia dwóch zasadniczo odmiennych procedur, a mianowicie⁸:

- systematycznych badań naukowych na osobach chorych prowadzonych ściśle według uprzednio opracowanego protokołu w celu przetestowania hipotezy naukowej dotyczącej bezpieczeństwa i skuteczności nowych metod profilaktycznych, diagnostycznych lub terapeutycznych, czyli badań medycznych (*medical research; biomedical research, clinical research*), które w standardach międzynarodowych określa się mianem badania połączonych z profesjonalną opieką medyczną lub badań mających potencjał dostarczenia uczestnikom bezpośrednich korzyści zdrowotnych; oraz

⁵ World Medical Association, *Human Experimentation: Code of Ethics of the World Medical Association*, BMJ 1964, vol. 2, s. 177. Kolejne wybrane wersje Deklaracji Helsińskiej dostępne są w: R.V. Carlson, K.M. Boyd, D.J. Webb, *The Revision of the Declaration of Helsinki: Past, Present and Future*, „British Journal of Clinical Pharmacology” 2004, vol. 57, nr 6, s. 708-713.

⁶ Zob. R. J. Levine, *The Need to Revise the Declaration of Helsinki*, „The New England Journal of Medicine” 1999, vol. 341, s. 531-534; D. M. Morens, *Should the Declaration of Helsinki be Revised?*, „The New England Journal of Medicine” 1999, vol. 341, nr 24, s. 1851; C. Weijer, *Thinking Clearly About Research Risk: Implications of the Work of Benjamin Freedman*, „IRB: A Review of Human Subjects Research” 1999, vol. 21, s. 1-5.

⁷ Zob. pkt 6 zd. 1 Deklaracji Helsińskiej Światowego Stowarzyszenia Lekarzy w wersji z 2000 roku w: R.V. Carlson, K.M. Boyd, D.J. Webb, *The Revision of the Declaration of Helsinki: Past, Present and Future...*, s. 710.

⁸ Bliżej zob. np. D. H. Cowan, *Innovative Therapy versus Experimentation*, Tort & Insurance Law Journal 1986, vol. 21 nr 4, s. 619-633. E. Jackson, *Medical Law. Text, Cases and Materials*, 3rd Ed., Oxford University Press, Oxford 2013, s. 452-453; J. Różyńska, *Regulacja ryzyka i potencjalnych korzyści badania biomedycznego...*, s. 60-72.

- terapii eksperymentalnej, czyli leczenia podejmowanego *ad casu* wobec konkretnego pacjenta, metodami, których bezpieczeństwo i skuteczność nie zostały jeszcze w pełni naukowo potwierdzone, bez założenia, że dostarczy ono wiarygodnej, uogólnialnej wiedzy naukowej.

Niektórzy przedstawiciele doktryny ewidentnie utożsamiają eksperyment leczniczy z terapią innowacyjną. Mirosław Nesterowicz uważa eksperyment leczniczy za formę terapii *ultima ratio*, po którą lekarz sięga, gdy wszystkie inne dostępne metody okazały się nieskuteczne. „Powinien on być stosowany tylko wyjątkowo, gdy uznane środki lecznicze nie wystarczają dla wyleczenia pacjenta (zachodzi więc tzw. stan nieuleczalny) i gdy ryzyko zastosowania eksperymentu będzie proporcjonalne do oczekiwanych korzyści”⁹. Podobnie twierdzi Marian Filar, według którego eksperyment leczniczy polega na tym, że lekarz w trakcie leczenia (rozumianego szeroko – od profilaktyki poczynając, poprzez diagnostykę i terapię, a na rehabilitacji kończąc) „świadomie odstępuje od działań standardowych, uznając, iż w danym przypadku będą one nieskuteczne, bądź też działa w warunkach, w których w odniesie do danej konkretnej sytuacji brak w ogóle wypracowanych jakiegokolwiek zweryfikowanych praktyką medyczną standardów”¹⁰. „Jego podstawową cechą i kwalifikatorem jest jednak cel leczniczy w odniesieniu do konkretnego pacjenta. Lekarz działa tu więc, by leczyć, a nie by badać”¹¹. Żaden z cytowanych komentatorów nie wymaga wprost, aby lekarz poddający pacjenta leczeniu eksperymentalnemu gromadził dane dotyczące przebiegu i wyników tego leczenia i upubliczniał je, chociażby w charakterze *case studies*, tak, aby leczenie to miało jakąkolwiek wartość naukową i przyczyniało się rozwojowi wiedzy i techniki medycznej.

Odmienne naturę medycznego eksperymentu leczniczego zdaje się ujmować Przemysław Konieczniak. Uważa on, że pojęcie to – co do zasady – nie obejmuje tzw. „czystego” eksperymentu medycznego¹², czyli takiego „który byłby pozbawiony celu poznawczego”, gdyż „nie opracowuje się nowej metody leczniczej z myślą o jej zastosowaniu u jednego konkretnego pacjenta”¹³. Eksperyment ma zawsze cel poznaczy. Autor zgadza się z opinią Jerzego Sawickiego, który twierdził, że „prowadzący eksperyment [leczniczy] może nawet kierować się wyraźnie i w przeważającej mierze ciekawością naukową. Nie zmienia to leczniczego charakteru całości zabiegu. Dla uznania zabiegu za eksperymentalno-terapeutyczny wystarczy więc, jeżeli tendencją doświadczonego było działać jednocześnie na korzyść osoby doświadczalnej, dla dobra jej zdrowia. W jak minimalnym tylko stopniu ta tendencja by się nie przejawiała, to nadaje już ona swój charakter całości eksperymentu”¹⁴. Choć słowa Sawickiego stoją w sprzeczności z literalnym brzmieniem art. 21 ust. 2 u.z.l., który wymaga, aby lekarz prowadzący eksperyment leczniczy działał „w celu osiągnięcia bezpośredniej korzyści dla zdrowia osoby leczonej”, a nie w jakimkolwiek innym celu, w szczególności poznawczym, i tylko przywydował, godził się lub był w minimalnym stopniu zainteresowany przysporzeniem bezpośredniej korzyści konkretnemu pacjentowi, pozwalają one Konieczniakowi na nazywanie eksperymentem leczniczym systematycznych, wysoce sformalizowanych badań naukowych nad nowymi metodami profilaktycznymi, diagnostycznymi lub terapeutycznymi prowadzonych na osobach chorych, a zatem badań, które mają co najwyżej potencjał dostarczenia uczestnikom (a zazwyczaj tylko ich części) bezpośrednich korzyści zdrowotnych. Autor stwierdza wprost: „Fazy

⁹ M. Nesterowicz, *Prawo medyczne*, Wyd. IX, Wyd. „Dom Organizatora”, Toruń 2010, s. 217; M. Nesterowicz, *Eksperyment medyczny w świetle prawa (podstawy prawne, odpowiedzialność, ubezpieczenie)*, „Prawo i medycyna” – Wydanie specjalne 2004, s. 29.

¹⁰ M. Filar, *Lekarskie prawo karne*, Zakamycze, Kraków 2000, s. 150.

¹¹ Tamże, s. 144.

¹² Zob. też L. Kubicki, *Medyczny eksperyment badawczy (Warunki dopuszczalności w prawie polskim)*, „Państwo i prawo” 1988, nr 7, s. 55.

¹³ P. Konieczniak, *Eksperyment naukowy i techniczny a porządek prawny*, Warszawa 2014, s. 89.

¹⁴ J. Sawicki, *Przymus leczenia, eksperyment, udzielanie pomocy i przeszczep w świetle prawa*, PZWL Warszawa 1966, s. 192 za: P. Konieczniak, *Eksperyment naukowy i techniczny a porządek prawny...*, s. 88.

druga i trzecia badań klinicznych odpowiadają pojęciu eksperymentu leczniczego, gdyż są wypróbowaniem leku na chorych, w intencji przyniesienia im korzyści zdrowotnych oraz (jednocześnie) uzyskania informacji o skuteczności”¹⁵. Warto dodać, że we wcześniejszej pracy, napisanej wspólnie z Marią Boratyńską, Autor bronił poglądu, zgodnie z którym poprawnym sposobem wyznaczenia linii demarkacyjnej między eksperymentem leczniczym a badawczym byłoby przyjęcie, że eksperymentem leczniczym jest taki, który ma „cel poznawczy ogólny i zarazem bezpośredni cel terapeutyczny względem konkretnego pacjenta”, a badawczym taki, któremu przyświeca „cel poznawczy ogólny i brak bezpośredniego celu terapeutycznego”¹⁶.

W podobnym duchu wypowiada się Krzysztof Sakowski. Eksperyment lekarski „pojawia się w chwili – stwierdza Autor – gdy medycyna staje przed jakimś przypadkiem i należy podjąć ryzyko zastosowania niesprawdzonej albo nie do końca sprawdzonej terapii, aby ratować życie lub zdrowie pacjenta”¹⁷. Dodaje jednak, że „wszelkie eksperymenty medyczne kierują się w większym lub mniejszym stopniu celami badawczymi”¹⁸. A zatem „z natury rzeczy eksperymentom leczniczym przyświeca, oprócz terapeutycznego, również cel badawczy”¹⁹. „Cel leczniczy nie jest jedynym (...), ponieważ eksperymenty te przyczyniają się również do wzbogacenia wiedzy medycznej, przez co służą całemu społeczeństwu”²⁰. Sakowski twierdzi nawet, że „każde działanie eksperymentalne, któremu nie przyświeca wyłącznie czysto naukowy cel, można zaliczyć do eksperymentów leczniczych”²¹. Nie trudno zauważyć, że opinia ta jest sprzeczna z literą polskiego prawa. To w przypadku eksperymentu badawczego, a nie leczniczego, ustawodawca stanowi, że jest on zrealizowany „przede wszystkim” w celu rozszerzenia wiedzy, a zatem to właśnie eksperyment badawczy może być podejmowany także w celu (czy raczej z nadzieją) przysporzenia bezpośrednich korzyści dla zdrowia chorych uczestników²².

Wieloznaczność i problematyczność wyrażenia „eksperyment leczniczy” doskonale uwidacznia się także w wypowiedziach Agaty Wnukiewicz-Kozłowskiej. Autorka rozpoczyna analizy pojęcia eksperymentu medycznego od celnej konstatacji, że „eksperymenty w naukach medycznych mają charakter doświadczenia. Są w swojej metodyce podobne do doświadczeń przeprowadzanych w biologii i dyscyplinach mających z nią ścisły związek. Jedne i drugie polegają bowiem na jakiejś ingerencji w żywy organizm, nie wyłączając ludzkiego, objęte są ścisłą i dokładną obserwacją i służą zweryfikowaniu wcześniejszych hipotez. Ma to przyczyniać się do postępu w medycynie i naukach pokrewnych, który winien zmierzać ku dobru ludzkiemu, z zastrzeżeniem jednak prymatu interesu jednostki nad interesem społecznym”²³. Komentując ustawowe definicje eksperymentu medycznego, Autorka stwierdza jednak, że „eksperymentem medycznym jest (...) takie działanie eksperymentatora, w którym dąży on do sprawdzenia hipotezy naukowej, równocześnie mając na celu poprawę stanu zdrowia pacjenta. Przy czym, w zależności od tego, czy uwaga badacza skupia się bezpośrednio na działaniu

¹⁵ P. Konieczniak, *Eksperyment naukowy i techniczny a porządek prawny...*, s. 92.

¹⁶ M. Boratyńska, P. Konieczniak, *Prawa pacjenta*, Warszawa 2001, s. 115; L. Kubicki (red). *Prawo medyczne*, Wrocław 2003, s. 115.

¹⁷ K. Sakowski, w: E. Zielińska (red.), *Ustawa o zawodach lekarza i lekarza dentystry...*, s. 503.

¹⁸ Tamże, s. 505.

¹⁹ Tamże, s. 508.

²⁰ Tamże.

²¹ Tamże, s. 505.

²² Zob. tamże, s. 508. Warto dodać, że uznanie, iż eksperyment badawczy może służyć realizacji także innego celu niż tylko naukowy, usuwa sygnalizowaną w doktrynie niekonsekwencję ustawodawcy w sposobie regulacji warunków dopuszczalności prowadzenia eksperymentów badawczych na osobach małoletnich (zob. art. 25 ust. 3 zd. 1 u.z.l: „Udział małoletniego w eksperymencie badawczym jest dopuszczalny, jeżeli spodziewane korzyści mają bezpośrednie znaczenie dla zdrowia małoletniego, a ryzyko jest niewielkie i nie pozostaje w dysproporcji do możliwych pozytywnych rezultatów”).

²³ A. Wnukiewicz-Kozłowska, *Eksperyment medyczny na organizmie ludzkim w prawie międzynarodowym i europejskim*, Dom Wydawniczy ABC, Warszawa 2004, s. 25.

lecniczym opartym na nowej metodzie, czy raczej na celu czysto naukowym, możemy wyróżnić odpowiednio: eksperyment terapeutyczny i eksperyment badawczy”²⁴. „Generalnie – pisze Wnukiewicz-Kozłowska – można zatem wyróżnić dwa typy eksperymentu w medycynie: (a) eksperyment leczniczy (zwany również leczniczo-terapeutycznym lub „czystym” eksperymentem leczniczym); (b) eksperyment badawczy (nazywany także naukowo-eksploratywnym lub kliniczno-biologicznym albo nielecniczym)”²⁵. I dodaje, że „tzw. czysty eksperyment leczniczy podejmowany [jest] ad casu w odniesieniu do indywidualnego pacjenta, dla poprawy zdrowia chorego w sytuacji, w której zastosowanie uznanych metod terapeutycznych okazuje się bezskuteczne”²⁶. Zaznacza ponadto (*notabene* słusznie, choć w sposób daleki od precyzji pojęciowej), że czysty eksperyment leczniczy ni jak się nie ma do pojęcia naukowych badań biomedycznych z udziałem ludzi w rozumieniu standardów międzynarodowych, a dokładnej *Konwencji o ochronie praw człowieka i godności istoty ludzkiej wobec zastosowań biologii i medycyny: Konwencji o prawach człowieka i biomedycynie*²⁷, która – jak pisze Autorka – operuje szerokim rozumieniem medycznego eksperymentu badawczego obejmującym „badania o dwójakim charakterze: (1) badania czysto poznawcze, podejmowanie w celu zdobycia wiadomości naukowych istotnych dla rozwoju wiedzy, oraz (2) badania, które zawierają w sobie elementy również eksperymentu leczniczego, lecz są podejmowane programowo na pewnej populacji pacjentów, w których to badaniach element poznawczy ma znaczenie przeważające”²⁸. Spostrzeżenie to jest bardzo trafne. Faktycznie, leczenie eksperymentalne jest poza zakresem pojęcia badania naukowego mającego potencjał dostarczenia uczestnikom bezpośrednich korzyści zdrowotnych, którym posługują się współczesne standardy i regulacje międzynarodowe, *ergo* poza zakresem przedmiotowym tych regulacji. Sama Autorka nie wyciąga jednak żadnych dalszych wniosków normatywnych z tej konstatacji – wniosków które, dodajmy, nie mógłby przybrać innej formy niż miażdżąca krytyka polskiej regulacji eksperymentu medycznego. Na koniec warto dodać, że dostrzeżona przez Wnukiewicz-Kozłowską (choć słabo wyartykułowana) różnica między „czystym” eksperymentem leczniczym (czyli leczeniem eksperymentalnym) a medycznym badaniem (eksperymentem) naukowym z potencjałem terapeutycznym oraz medycznym badaniem (eksperymentem) naukowym pozbawionym takiego potencjału, została już dostrzeżona wiele lat wcześniej przez Wandę Wanatowską. Autorka ta wyróżniała trzy rodzaje eksperymentów: (1) eksperymenty „terapeutyczne”, czyli działania lecznicze realizowane przy zastosowaniu innowacyjnych, niesprawdzonych jeszcze w pełni metod; (2) eksperymenty „biologiczne”, czyli działania badawcze podejmowane wyłącznie w celach poznawczych i (3) eksperymenty „leczniczo-naukowe”, czyli działania realizujące jednocześnie cele poznawcze i

²⁴ Tamże, s. 37.

²⁵ Tamże, s. 36.

²⁶ Tamże, s. 35.

²⁷ Council of Europe, *Convention for the Protection of Human Rights and Dignity of the Human Being with regard to the Application of Biology and Medicine: Convention on Human Rights and Biomedicine*, Oviedo 1997. Protokół dostępu: <http://www.coe.int/en/web/conventions/full-list/-/conventions/treaty/164>. Polskie tłumaczenie w: J. Różyńska, M. Waligóra M. (red.), *Badania naukowe z udziałem ludzi w biomedycynie. Standardy międzynarodowe*, Wolters Kluwer, Warszawa 2012, s. 259-269. Uwaga Wnukiewicz-Kozłowska odnosi się zatem także do Protokołu Dodatkowego do Konwencji o prawach człowieka i biomedycynie dotyczącego badań biomedycznych. Zob. Council of Europe, *Additional Protocol to the Convention on Human Rights and Biomedicine, concerning Biomedical Research*, Strasbourg 2005. Protokół dostępu: <http://www.coe.int/en/web/conventions/full-list/-/conventions/treaty/195>. Polskie tłumaczenie w: J. Różyńska, M. Waligóra M. (red.), *Badania naukowe z udziałem ludzi w biomedycynie...*, s. 270-282.

²⁸ A. Wnukiewicz-Kozłowska, *Eksperyment medyczny na organizmie ludzkim...*, s. 34 i 35.

lecnicze²⁹. Typologia zaproponowana przez Wanatowską nie spotkała się z uznaniem w literaturze, głównie ze względu na błędne postulaty regulacyjne jej Autorki³⁰.

Działanie eksperymentalne a eksperyment naukowy

Wydaje się, że podstawowym źródłem opisanego wyżej bałaganu pojęciowego jest – niedostrzeżona zarówno przez polskiego ustawodawcę, jak i część doktryny – wieloznaczność terminów „eksperyment” i „eksperymentalny”.

Słownik Języka Polskiego PWN wskazuje na dwa znaczenia słowa „eksperyment”: (1) próba realizacji nowatorskiego pomysłu; (2) doświadczenie naukowe przeprowadzone w celu zbadania jakiegoś zjawiska³¹. W języku potocznym przymiotnik „eksperymentalny” używany jest najczęściej, zgodnie z pierwszym z wymienionych wyżej znaczeń, jako synonim wyrażen „innovacyjny”, „nowatorski”, „pionierski”, „awangardowy” czy „niestandardowy”. Często słowo to stosowane jest w celu podkreślenia, że realizowany pomysł lub działanie są niebezpieczne, niesprawdzone lub ryzykowne. Niewątpliwie, wszystkie te określenia odnoszą się zazwyczaj także do eksperymentu, w drugim z wyróżnionych przez *Słownik* znaczeń. Nie wyczerpują jednak jego sensu³². Termin „eksperyment” rozumiany jako „doświadczenie naukowe” odnosi się do jednej z metod badawczych powszechnie stosowanych w naukach empirycznych, w tym we współczesnej medycynie. Na gruncie metodologii nauk, eksperymentem nazywa się zespół działań badawczych polegających na celowym wprowadzaniu określonych zmian w zdarzenie lub proces oraz jego systematycznej obserwacji i pomiarze. Eksperyment musi być prowadzony zgodnie z ogólnie przyjętymi standardami poprawności, rzetelności i staranności naukowej, w ściśle określonych, celowo dobranych, precyzyjnie kontrolowanych, szczegółowo udokumentowanych i dających się wielokrotnie powtarzać warunkach, w celu zbadania trafności postawionej hipotezy badawczej i, co za tym idzie, wzbogacenia ogólnej wiedzy naukowej³³.

Eksperymentem medycznym w ścisłym, naukowym znaczeniu tego słowa nie może być więc uznane jednorazowe zastosowanie przez lekarza nowatorskiej lub niesprawdzonej metody leczenia u konkretnego pacjenta, pozbawione waloru systematyczności i nie służące zgromadzeniu danych wnoszących wkład w ogólną wiedzę naukową. Na fakt ten zwróciła uwagę już w 1979 roku amerykańska Narodowa Komisja do spraw Ochrony Uczestników Badań Biomedycznych i Behawioralnych w Raporcie z Belmont – dokumencie uważanym dziś za jeden z kamieni węgielnych etyki badań medycznych z udziałem człowieka³⁴. „Należy rozróżnić z jednej strony badania biomedyczne i behawioralne, z drugiej zaś praktykę [stosowania] uznanej

²⁹ W. Wanatowska, *Eksperyment lekarski „Studia Prawno-Ekonomiczne”* 1974, t. 12, s. 74-75.

³⁰ Zob. np. M. Filar, *Lekarskie prawo karne...*, s. 145, przypis 38; P. Konieczniak, *Eksperyment naukowy i techniczny a porządek prawny...*, s. 90, przypis 336; K. Sakowski, w: E. Zielińska (red.), *Ustawa o zawodach lekarza i lekarza dentyści...*, s. 505.

³¹ Za: <http://sjp.pwn.pl/sjp/eksperyment;2556243>

³² Na marginesie warto zauważyć, że – wbrew poglądom wyrażanym przez niektórych przedstawicieli doktryny (zob. np. A. Wnukiewicz-Kozłowska, *Eksperyment medyczny na organizmie ludzkim...*, s. 36; B. Konieczniak, *Eksperyment naukowy i techniczny a porządek prawny...*, s. 77) – innowacyjność czy nowatorstwo nie jest cechą definicyjną eksperymentu rozumianego jako metody pozyskiwania danych naukowych. To wymóg etyczny. Nie-dopuszczalne jest bowiem narażanie ludzi (lub innych istot czujących) na ryzyko badawcze, które nie „służy” zdobyciu nowej, wartościowej wiedzy. Nie trudno jednak wyobrazić sobie eksperymenty zbędne, których celem jest przetestowanie już sfalsyfikowanych bądź wielokrotnie potwierdzonych hipotez naukowych. Zob. też. E. J. Emanuel, D. Wendler, C. Grady, *What Makes Clinical Research Ethical?*, JAMA 2000 vol. 283, nr 20, s. 2702.

³³ Zob. J. Herbut, P. Kawalec (red.), *Słownik terminów naukoznawczych. Teoretyczne podstawy naukoznawstwa*, Lublin 2009, s. 17; H. Zgólkowa (red.), *Praktyczny słownik współczesnej polszczyzny*, t. X, Poznań 1997, s. 313.

³⁴ The National Commission for the Protection of Human Subjects of Biomedical and Behavioral Research, *The Belmont Report, Ethical Principles and Guidelines for the Protection of Human Subjects of Research*, Washing-

terapii, aby ustalić, jakie czynności powinny podlegać ocenie w celu ochrony ludzkich uczestników badań. Rozróżnienie badań i praktyki zaciera się w części dlatego, że obie te czynności często występują razem (jak to jest w badaniu przeprowadzonym w celu oceny określonej terapii), w części zaś dlatego, że sposoby postępowania znacznie odbiegające od standardowej praktyki często określa się jako „eksperymentalne”, przy czym terminy „eksperymentalne” i „badania” nie są starannie zdefiniowane. Termin „praktyka” odnosi się najczęściej do interwencji, które mają służyć wyłącznie dobru indywidualnego pacjenta i które dają rozsądną nadzieję na powodzenie. Celem praktyki medycznej lub behawioralnej jest dokonanie diagnozy, postępowanie zapobiegawcze oraz leczenie określonego osobnika. Natomiast termin „badanie” oznacza czynność służącą do sprawdzenia jakiejś hipotezy, umożliwiającą wyciągnięcie wniosków, a tym samym przyczyniającą się do rozwinięcia lub przysporzenia uogólnialnej wiedzy (wyrażonej na przykład w postaci teorii, zasad i twierdzeń o stosunkach). Badania są zwykle opisane w formalnym protokole, w którym ustala się ich cel, a także zespół procedur służących do osiągnięcia tego celu. Kiedy lekarz w istotny sposób odstępuje od standardowej lub uznanej praktyki, ta innowacja sama w sobie nie stanowi jeszcze badania. Sam fakt, że jakaś procedura jest „eksperymentalna”, w sensie praktyki nowej, niesprawdzonej lub odmiennej, nie przesuwają jej automatycznie do kategorii „badania”. Radykalnie nowe procedury tego rodzaju powinny się jednak w ich wczesnej fazie czynić przedmiotem formalnych badań, aby ustalić, czy są one bezpieczne i skuteczne. Tak więc do obowiązków komisji nadzorujących praktykę medyczną należy na przykład dopilnowanie, aby ważna innowacja została włączona do formalnego projektu badawczego³⁵.

Jak już wspomniano wyżej, sytuacje, w których lekarz istotnie wykracza poza standardową praktykę medyczną w celu poprawy zdrowia konkretnego pacjenta nie mieszczą się w zakresie przedmiotowym międzynarodowych regulacji odnoszących się do prowadzenia naukowych badań biomedycznych z udziałem człowieka³⁶. Wyjątkiem jest Deklaracja Helsińska. Zaznaczyć jednak należy, iż aktualna wersja Deklaracji z 2013 roku poświęca leczeniu innowacyjnemu odrębny, ostatni rozdział zatytułowany „Interwencje o nieudowodnionej skuteczności w praktyce klinicznej”. Paragraf 37, będący jedynym przepisem zawartym w tym rozdziale, stanowi: „Podczas leczenia pacjenta tam, gdzie sprawdzone interwencje nie istnieją lub też okazały się nieskuteczne, lekarz, po zasięgnięciu porady eksperta i uzyskaniu świadomej zgody pacjenta lub jego przedstawiciela ustawowego, może zastosować interwencję o nieudowodnionej skuteczności, jeśli w ocenie lekarza daje ona nadzieję na ratowanie życia, przywrócenie zdrowia lub przyniesienie ulgi w cierpieniu. Następnie interwencja taka powinna stać się przedmiotem badań naukowych mających na celu ocenę jej bezpieczeństwa i skuteczności. We wszystkich przypadkach nowe informacje powinny być rejestrowane i tam, gdzie jest to stosowne, powinny zostać udostępnione publicznie³⁷”.

ton, DC1979. Protokół dostępu: <http://www.hhs.gov/ohrp/regulations-and-policy/belmont-report/>. Polskie tłumaczenie za: W. Galewicz (red.), *Badania z udziałem ludzi*, Antologia Bioetyki Tom 3, Universitas, Kraków 2011, s. 69-82.

³⁵ Tamże, s. 70-71.

³⁶ Zob. np. E. Jackson, *Medical Law. Text, Cases and Materials*, 3rd Ed., Oxford University Press, Oxford 2013, s. 452-453.

³⁷ World Medical Association, *Declaration of Helsinki - Ethical Principles for Medical Research Involving Human Subjects* (wersja z 2013 r.). Dostęp: <http://www.wma.net/en/30publications/10policies/b3/> Polskie tłumaczenie w: M. Czarkowski, R. Krajewski, K. Radziwiłł, Ośrodek Bioetyki Naczelnej Rady Lekarskiej, Warszawa. Dostęp: http://www.nil.org.pl/_data/assets/pdf_file/0008/93248/Deklaracja-Helsinska-przyjeta-na-64-ZO-WMA_-pazdziernik-2013_pelny-tekst.pdf

Działalność badawcza w medycynie a złudzenie terapeutyczne

Wadliwość polskiej regulacji eksperymentu leczniczego wynika jednak nie tylko z niedostrzeżenia przez ustawodawcę wieloznaczności terminu „eksperyment”, ale także z faktu, iż wprowadza ona w błąd co do natury działalności badawczej w medycynie. Problem ten pojawia się w szczególności w sytuacji, gdy wyrażenie „eksperyment leczniczy” używane jest jako nazwa dla eksperymentalnych naukowych badań medycznych mających potencjał dostarczenia bezpośrednich korzyści zdrowotnych chorym uczestnikom (a więc, gdy używane jest w znaczeniu, w jaki zdają się nim posługiwać wspomniani wyżej Przemysław Konieczniak, Maria Boratyńska i Krzysztof Sakowski). Definiując eksperyment medyczny o charakterze leczniczym jako działanie podejmowane przez lekarza „w celu osiągnięcia bezpośredniej korzyści dla zdrowia osoby leczonej” (art. 21 ust. 2 u.z.l.), ustawodawca ignoruje fakt, iż działalność badawcza w medycynie nie jest nakierowana na poprawę kondycji zdrowotnej poszczególnych uczestników, ale na rozwój wiedzy naukowej, a realizacja tego ostatniego celu często wymaga od lekarza-badacza działania w sposób, który nie jest optymalny z punktu widzenia zdrowotnych interesów chorych uczestników eksperymentu³⁸. Każde badanie naukowe, nawet jeśli ma potencjał dostarczenia uczestnikom bezpośrednich korzyści zdrowotnych, jest zaplanowane w sposób, który gwarantuje (a przynajmniej maksymalizuje szansę na) uzyskanie wiarygodnych, statystycznie istotnych i uogólnialnych danych naukowych. Interesy uczestnika są w dużej mierze podporządkowane wymogom rzetelnej metodologii badawczej. Plan badania sztywno określa procedurę i zasady przeprowadzania testowanych interwencji medycznych, w szczególności dawkowanie (wielkość, częstotliwość, sposób podania) testowanych produktów leczniczych. To jak, kiedy i jaką dawkę badanego leku otrzyma chory uczestnik, nie zależy od jego indywidualnych potrzeb medycznych, ale od protokołu badania. Dawka ta może być suboptymalna (zbyt mała lub zbyt duża) z punktu widzenia sytuacji zdrowotnej danej osoby. Plan badania jednoznacznie określa także inne procedury przeprowadzania i mechanizmy kontrolowania przebiegu eksperymentu, w szczególności warunki włączania i wyłączenia uczestników z badania, algorytmy randomizacji i zaślepienia (jeśli badania zakłada ich wdrożenie), warunki dopuszczalności i zasady poddawania chorych uczestników innym interwencjom medycznym, w szczególności tym już stosowanym u nich w celach terapeutycznych lub profilaktycznych, oraz wymogi przeprowadzania dodatkowych procedur diagnostycznych, które są zbędne, a często wręcz klinicznie niewskazane, a których jednym celem jest lepsze udokumentowanie wyników badania. Warto także mieć na uwadze, iż w przypadku badań naukowych z udziałem ludzi, lekarz-badacz stosuje interwencje medyczne, których profil ryzyka i korzyści nie jest dostatecznie poznany. Udział w badaniu obarczony jest więc ryzykiem wystąpienia zdarzeń niepożądanych – a nawet niepewnością co do bezpieczeństwa lub skuteczności testowanej interwencji – które jest wyższe od ryzyka związanego z procedurami stosowanymi w standardowej praktyce medycznej.

Polska definicja eksperymentu leczniczego zaciera opisaną wyżej różnicę między naturą działalności badawczej w medycynie a praktyką leczniczą nakierowaną na dobro indywidualnego chorego. Jest ona doskonałym wręcz przykładem ustawowego „złudzenia terapeutycznego” (*therapeutic misconception*) – błędnego „przekonania” ustawodawcy, które oddziałuje na przekonania i oczekiwania innych uczestników praktyki badawczej, że działalność ta jest i powinna być podejmowana z intencją przysporzenia korzyści terapeutycznym poszczególnym uczestnikom badań³⁹.

³⁸ Szerzej pisałam o tym we wspomnianym już tekście J. Różyńska, *Regulacja ryzyka i potencjalnych korzyści badania biomedycznego z udziałem człowieka w standardach międzynarodowych...*s. 65-72.

³⁹ Pojęcie złudzenia terapeutycznego pierwotnie odnoszone było wyłącznie do błędnego przekonania uczestników badań, że celem praktyki badawczej jest działanie dla dobra indywidualnego chorego, a nie rozwój wiedzy naukowej. Liczne badania empiryczne pokazały jednak, że takie błędne przeświadczenie często żywią także inni

Warunki leczenia eksperymentalnego

Polska definicja i regulacja eksperymentu leczniczego nie wytrzymuje krytyki także wówczas, gdy wyrażenie to jest używane dla oznaczenia leczenia eksperymentalnego stosowanego w celu ratowania życia lub poprawy zdrowia konkretnego pacjenta, w sytuacji, gdy dostępne, standardowe interwencje medyczne okazały się nieskuteczne lub niewystarczająco skuteczne. Wątpliwe jest bowiem czy przepisy dotyczące tak rozumianego eksperymentu leczniczego powinny być zawarte w rozdziale IV ustawy o zawodach lekarza i lekarza dentystry łącznie z przepisami dotyczącymi prowadzenia naukowych badań medycznych, i czy warunki dopuszczalności eksperymentalnej terapia są w tej ustawie adekwatnie sformułowane.

Przypomnijmy, że przeprowadzenie eksperymentu leczniczego (leczenia eksperymentalnego) jest dopuszczalne wtedy, gdy (art. 27 ust. 1 i 2 kodeksu karnego⁴⁰ oraz art. 21 ust. 2 zd. 2, art. 22, art. 27 ust. 2, art. 29 ust. 1 u.z.l.)⁴¹: (1) dotychczas stosowane metody medyczne nie są skuteczne lub ich skuteczność nie jest wystarczająca; (2) zagrożenia (ryzyka) dla zdrowia chorego, związane z udziałem w eksperymencie, nie przeważają spodziewanych korzyści dla chorego zarówno na etapie przygotowania eksperymentu, jak i jego trwania; (3) spodziewana korzyść lecznicza ma „istotne znaczenie”; (4) przewidywanie osiągnięcia tej korzyści jest zasadne w świetle aktualnego stanu wiedzy; (5) prowadzenie eksperymentu jest celowe w świetle aktualnego stanu wiedzy; (6) sposób przeprowadzenia eksperymentu jest zasadny w świetle aktualnego stanu wiedzy oraz (7) zgodny z zasadami etyki lekarskiej; (8) właściwa komisja bioetyczna wyraziła pozytywną opinię o projekcie eksperymentu. Oczywiście, warunkiem dopuszczalności poddania konkretnego pacjenta eksperymentowi leczniczemu (leczeniu eksperymentalnemu) jest także jego (9) zgoda lub zgoda jego przedstawiciel ustawowego albo sądu opiekuńczego udzielona w sposób i formie przewidzianej przez prawo (art. 24-25 u.z.l. oraz stosowane przepisy kodeksu rodzinnego i opiekuńczego). Wymóg uzyskania zgody może być jednak uchylony w przypadkach niecierpiących zwłoki i ze względu na bezpośrednie zagrożenie życia chorego (art. 25 ust. 8 u.z.l.).

Nie ma tu miejsca ani potrzeby, by dogłębnie analizować każdy z tych wymogów. Warto jednak zwrócić uwagę na cztery kwestie. Po pierwsze, na sam opis działania lekarza, które – według ustawy – konstytuuje eksperyment leczniczy. Przepis art. 21 ust 2 u.z.l. stanowi, że eksperymentem takim jest „wprowadzenie przez lekarza nowych lub tylko częściowo wypróbowanych metod”. Ustawodawca nie definiuje jednak co oznacza, że metoda jest „tylko częściowo wypróbowana”. Czy wystarczy, że dana metoda pomyślnie przeszła testy przedkliniczne lub eksperymenty na zwierzętach? Czy też musi być na bardziej zaawansowanym etapie badań, np. po II albo III fazie badań klinicznych? (Możliwość stosowania – poza protokołem badawczym – produktu lub wyrobu medycznego, który jest dopiero w procesie testowania bądź w trakcie procedury rejestracyjnej, jest dopuszczona w wielu krajach w ramach precyzyjnie

uczestnicy działalności badawczej, w tym sami badacze, a nawet autorzy regulacji czy standardów dotyczących realizacji badań biomedycznych z udziałem człowieka. Zob. bliżej P.S. Appelbaum, L.H. Roth, C. W. Lidz, *The Therapeutic Misconception: Informed Consent in Psychiatric Research*, „International Journal of Law and Psychiatry” 1982, vol. 5, nr 3-4, s. 319-329; P.S. Appelbaum, L.H. Roth, C. W. Lidz, P. Benson, W. Winslade, *False Hopes and Best Data: Consent to Research and the Therapeutic Misconception*, „Hastings Center Report” 1987, vol. 17, nr 2, s. 20-24; C.W. Lidz, P.S. Appelbaum, *The Therapeutic Misconception: Problems and Solutions*, „Medical Care” 2002, vol. 40, nr 9, s. V55-V63; S. Joffe, J.C. Weeks, *Views of American Oncologists about the Purposes of Clinical Trials*, „Journal of the National Cancer Institute” 2002, vol. 94, nr 24, s. 1847-1853; R. Dresser, *The Ubiquity and Utility of the Therapeutic Misconception*, „Social Philosophy & Policy” 2002, vol. 19: 271-294; G. E. Henderson, L. R. Churchill, A. M. Davis et al., *Clinical Trials and Medical Care: Defining the Therapeutic Misconception*, „PLoS Medicine” 2007, vol. 4, nr 11, s. 1735-1738.

⁴⁰ Dz. U. z 1997 r. Nr 88, poz. 553 z późn. zm.

⁴¹ Por. Np. M. Filar, *Lekarskie prawo karne...*, s. 150-151; K. Sakowski, w: E. Zielińska (red.), *Ustawa o zawodach lekarza i lekarza dentystry...*, s. 513-515.

uregulowanych programów tzw. *compassionate use*, *extended access* lub *continued access*⁴²). A może ustawodawca polski ma na myśli metodę, której skuteczność i bezpieczeństwo są potwierdzone dowodami naukowymi o niskim poziomie wiarygodności według standardów EBM (*evidence based medicine*), np. opublikowanymi opisami kilku przypadków, które zakończyły się sukcesem terapeutycznym albo wynikami badań przekrojowych lub kliniczno-kohortowych? A może w końcu chodzi tu wyłącznie o sytuacje, gdy lekarz stosuje jakiś produkt lub wyrób leczniczy dopuszczony już do obrotu w danym (lub innym) kraju, ale poza wskazaniami rejestracyjnymi (tzw. „*off-label use*”)? Ale jeśli tak, to czy każde odstępianie przez lekarza od wskazań rejestracyjnych będzie konstytuowało eksperyment leczniczy?⁴³

Rozstrzygnięcie tych kwestii, *ergo* ustalenie zakresu pojęciowego wyrażenia „częściowo wypróbowane metody”, ma fundamentalne znaczenie praktyczne i regulacyjne. Każda z wymienionych wyżej postaci terapii eksperymentalnej wiąże się bowiem z odmiennym stopniem innowacyjności i ryzyka. Adekwatna regulacja warunków stosowania leczenia eksperymentalnego powinna uwzględniać te odmienności, aby chronić pacjentów poddawanych takiemu leczeniu w sposób adekwatny do zagrożeń, na jakie są wystawieni.

Drugą kwestią, na którą warto zwrócić uwagę, jest problem niedookreśloności wymogu, aby dotychczas stosowane metody leczenia pacjenta były nieskuteczne lub ich skuteczność była niewystarczająca. Co to znaczy, że metoda nie jest wystarczająco skuteczna i jak dokonywać tej ewaluacji? Czy chodzi o skuteczność *in abstracto*, czy też o skuteczność *in concreto*, tj. efektywność zastosowanej metody u konkretnego pacjenta? Jeśli o skuteczność *in concreto* – a taka interpretacja wydaje się właściwsza w przypadku leczenia eksperymentalnego – to, czy należy brać pod uwagę tylko obiektywną efektywność kliniczną dostępnych terapii czy także subiektywną ocenę pacjenta dotyczącą wagi korzyści, ale także uciążliwości, z jakimi wiąże się standardowe leczenie? Czy można uznać za nieskuteczną metodę, która jest obiektywnie efektywna u pacjentów cierpiących na dany rodzaj schorzenia, ale która z perspektywy konkretnego chorego jest nieakceptowana (np. niezgodna z jego przekonaniem światopoglądowym albo nadmiernie uciążliwa)? W końcu, czy ocena skuteczności standardowych metod medycznych powinna należeć wyłącznie do lekarzy i członków komisji bioetycznych, czy także do pacjenta?

W literaturze wyrażany jest pogląd, że kwestię tę powinny oceniać „komisje bioetyczne, które, uwzględniając aktualną wiedzę medyczną i okoliczności konkretnego przypadku, ustalić muszą, czy znane i powszechnie uznane metody leczenia można uznać za wystarczające w danym przypadku. Generalnie jednak można stwierdzić – pisze Renata Kędziora – że za niewystarczające zostaną uznane metody, które nie mogą doprowadzić do polepszenia stanu chorego

⁴² Bliżej zob. J. J. Rusthoven, *Ethical Issues Raised by Compassionate Access to Experimental Treatment*, „*Ethics & Medicine*” 2004, vol. 30, nr 1, s. 17-33; J. J. Darrow et al., *Practical, Legal, and Ethical Issues in Expanded Access to Investigational Drug*, „*The New England Journal of Medicine*” 2015, vol. 372, nr 3, s. 279-28; T. Evan Chan, *Legal and Regulatory Response to Innovative Therapy*, „*Medical Law Review*” 2013, vol. 21, s. 92-100; R. Dresser, *The “Right to Try” Investigational Drugs: Science and Stories in the Access Debate*, „*Texas Law Review*” 2015, vol. 93, s. 1631-1657.

⁴³ Zob. np. J. Paszkiewicz, *Stosowanie leków poza wskazaniami rejestracyjnymi - eksperyment*, „*Menedżer Zdrowia*” 2006, nr 8, s. 42-44; J. Zajdel, *Stosowanie produktów leczniczych „off-label” – eksperyment medyczny czy działanie zgodne prawem?*, „*Gazeta Lekarska*” 2010, nr 12; J. Zajdel, *Stosowanie produktów leczniczych „off-label use” w populacji pediatrycznej – działanie na granicy ryzyka, czy dolożenie należytej staranności?*, „*Przeegląd Lekarski*” 2011, nr 1, s. 33-39; J. Kanturski, *Leczenie off-label: eksperyment medyczny czy stan wyższej konieczności?*, „*Prokuratura i Prawo*” 2012, vol. 10, s. 94-99; T. Szafranski, A. Szafranska, *Przechadzki po polu minowym – uwagi dotyczące stosowania leków niezgodnie z charakterystyką produktu leczniczego*, „*Postępy Psychiatrii i Neurologii*” 2012, vol. 21, nr 2, s. 107-115; O. Luty, *Zaniechanie zlecenie produktu leczniczego poza zarejestrowanymi wskazaniami a odpowiedzialność cywilna lekarza, cz. II: Obowiązek zlecenia leku off-label i konsekwencje jego niewykonania*, „*Prawo i Medycyna*” 2014, vol. 16, nr 2, s. 139-142; K. Kordus, R. Spiewak, *Lekarz wobec ordynacji „off-label”*, „*Przeegląd Lekarski*” 2015, vol. 72, nr 1, s. 38-41.

lub chociażby do powstrzymania rozwoju choroby”⁴⁴. Stanowisko to wydaje się zasadne w świetle obowiązującego prawa. Jak jednak zostanie pokazane niżej, dyskusyjne jest, czy kontrolę nad stosowaniem leczenia innowacyjnego powinny sprawować komisje bioetyczne i czy ocena dopuszczalności zastosowania innowacyjnej terapii powinna abstrahować od subiektywnej opinii pacjenta (lub jego przedstawiciela ustawowego) na ten temat.

Kolejnym problemem, który należy przeanalizować, jest sposób unormowania korzyści i ryzyka eksperymentu leczniczego (leczenia eksperymentalnego). Przypomnijmy, że podstawowym celem takiego leczenia jest przysporzenie pacjentowi bezpośredniej korzyści zdrowotnej. Terapia innowacyjna rządzi się więc logiką zasady *salus aegroti suprema lex*, będącej fundamentem etyki lekarskiej. Oczekiwane korzyści dla zdrowia pacjenta muszą zatem przeważać na ryzykiem terapii, tak jak ma to miejsce w standardowej praktyce medycznej. Ustawa zastrzega jednak, że korzyści te muszą mieć ponadto „istotne znaczenie” lecznicze. A Kodeks Etyki Lekarskiej dodaje, że „lekarz przeprowadzający eksperyment leczniczy powinien być przeświadczony, że spodziewane korzyści dla pacjenta przeważają w istotny sposób nad nieuniknionym ryzykiem” (art. 42 zd. 2) i że nie wolno mu „narażać pacjenta na ryzyko w istotnym stopniu większe niż to, które grozi osobie nie poddanej temu eksperymentowi” (art. 42a ust. 1). Nie trudno dostrzec, że przepisy te są dalekie od jasności i precyzji. Poważne wątpliwości interpretacyjne budzi choćby wymóg, aby oczekiwane korzyści zdrowotne terapii eksperymentalnej miały „istotne znaczenie”. Ustawa nie wskazuje bowiem kto powinien orzekać o tym, czy korzyść terapeutyczna jest istotna i według jakich kryteriów. Czy decyzja ta powinna należeć wyłącznie do lekarza lub komisji bioetycznej, czy też uwzględniać opinię pacjenta, jak ma to się dzieje w standardowej opiece medycznej? Dalej, niejasne jest czy chodzi tu o obiektywną wartość kliniczną potencjalnego efektu leczenia eksperymentalnego dla zdrowia pacjenta, czy też o znaczenie względne, ustalane w relacji do ryzyka i uciążliwości, z jakim leczenie to się wiąże oraz w relacji do zagrożenia, jakie niesie z sobą niewdrożenie tej terapii?

Renata Kędziora zdaje się przychylić do poglądu, że wartość korzyści terapeutycznej powinna być oceniana w sposób obiektywny przez ekspertów, tj. lekarzy, ale przede wszystkim członków komisji bioetycznych. Píše bowiem, że „istotne znaczenie korzyści badane jest w odniesieniu do aktualnej wiedzy medycznej”⁴⁵, i dodaje, że „spodziewany rezultat [eksperymentu leczniczego] musi więc cechować duże, jeśli nie przełomowe znaczenie dla zwalczania choroby, powstrzymania jej rozwoju itd. Niewielkie korzyści w zakresie zwalczania choroby nie uzasadniają podjęcia eksperymentu”⁴⁶. Stanowisko to wydaje się jednak błędne co najmniej z dwóch następujących powodów. Po pierwsze, fałszywie zakłada, że można sensownie oceniać wartość interwencji medycznej bez uwzględniania jej kosztów – uciążliwości i ryzyka. Przekonanie to jest sprzeczne z doświadczeniami milionów lekarzy i pacjentów, którzy każdego dnia podejmują decyzję o wyborze optymalnej metody leczenia, kierując się właśnie analizą porównawczą korzyści i ryzyka, z jakimi wiąże się każda z dostępnych opcji terapeutycznych. Co więcej, jest ono nie do pogodzenia z cytowanym wyżej przepisem Kodeksu Etyki Lekarskiej, który stanowi, że: „lekarz przeprowadzający eksperyment leczniczy powinien być przeświadczony, że spodziewane korzyści dla pacjenta przeważają w istotny sposób nad nieuniknionym ryzykiem” (art. 42a ust. 1). Przepis ten ewidentnie przyjmuje względną interpretację wymogu „istotnego znaczenia” korzyści leczniczej. Za taką interpretacją zdaje się także optować Mirosław Nesterowicz, który pisze, że eksperyment leczniczy „nie powinien być stosowany, gdy zamierzone korzyści są niewielkie, natomiast istnieje uzasadniona obawa pogorszenia zdrowia chorego, jeśli istniejący stan nie zagraża jego zdrowiu”. Jednocześnie twierdzi, że „można

⁴⁴ R. Kędziora, *Odpowiedzialność karna lekarza w związku z wykonaniem czynności leczniczych*, Wolters Kluwer, Warszawa 2009, s. 288.

⁴⁵ Tamże, s. 289.

⁴⁶ Tamże.

uznać za dopuszczalny eksperyment kliniczny [lekarski] nawet wtedy, gdy ryzyko niebezpieczeństwa jego zastosowania jest dla pacjenta wysokie, a prawdopodobieństwo korzyści niewielkie, jeśli inne metody i środki są nieskuteczne, a pacjentowi w niedługim czasie grozi śmierć”⁴⁷. Abstrahując od wątpliwej poprawności językowej i pojęciowej tych cytatów, należy zgodzić się z ich logiką. Adekwatna ocena wartości oczekiwanych korzyści leczenia eksperymentalnego powinna być wynikiem porównania profilu ryzyka i potencjalnych korzyści danego leczenia eksperymentalnej z profilem ryzyka i korzyści innych dostępnych, standardowych opcji terapeutycznych, jeśli takie istnieją, a – jeśli nie ma żadnej skutecznej metody leczenia bądź jest ona nieakceptowana dla pacjenta – także ze skutkami zdrowotnymi niewdrożenia terapii innowacyjnej *ergo* z konsekwencji dalszego rozwoju choroby⁴⁸.

Stanowisko Kędziory jest trudne do zaakceptowania także ze względu na jego nadmierne paternalistyczny charakter. Kładąc nacisk na znaczenie aktualnej wiedzy naukowej w ocenie znaczenia potencjalnych korzyści innowacyjnej terapii, zdaje się ona całkowicie ignorować opinię chorego i przedkładać nad nią ocenę lekarzy i członków komisji bioetycznej. Leczenie eksperymentalne – co podkreśla sama autorka – ma zaś na celu przysporzenie pacjentowi szeroko rozumianej korzyści terapeutycznej, w szczególności wyleczenie go z choroby, spowolnienie jej postępów, złagodzenie objawów, w tym cierpienia, poprawienie kondycji zdrowotnej⁴⁹. Kto zaś lepiej od samego chorego jest w stanie ocenić, co jest dla niego ważne i istotne? Dla pacjenta zmagającego się z nieuleczalną chorobą onkologiczną, która pozbawiła go już zdolność do samodzielnego wykonywania większości zwykłych czynności dnia codziennego, szansa na odzyskanie chociażby niewielkiej części dawnej sprawności i samodzielności może mieć ogromną wartość, choć w ocenie członków komisji bioetycznej taki efekt może nie mieć „przełomowego znaczenia dla zwalczania choroby, powstrzymania jej rozwoju”. Czy komisja ma prawo pozbawiać pacjenta takiej szansy? Wydaje się to całkowicie nieusprawiedliwione.

Na marginesie warto zauważyć, że to dość powszechne w polskiej doktrynie prawa lekceważenie opinii pacjenta (lub jego przedstawiciela ustawowego) odnośnie wartości korzyści i akceptowalności ryzyka eksperymentu leczniczego, wynika zapewne z faktu łącznego uregulowania w ustawie zasad prowadzenia naukowych eksperymentów medycznych i terapii eksperymentalnej. Taka regulacja przysłania bowiem różnicę między okolicznościami, w jakich dochodzi do zaproszenia osoby do udziału w badaniu naukowym, a typowymi okolicznościami, w jaki podejmowana jest decyzjami o zastosowaniu innowacyjnej terapii u nieuleczanie chorego pacjenta.

Potencjalni uczestnicy eksperymentu badawczego są rekrutowani przez badacza, zgodnie z zasadami określonymi w projekcie eksperymentu, który został uprzednio pozytywnie opiniowany przez właściwą komisję bioetyczną. Spotkanie rekrutacyjne jest często pierwszym spotkaniem badacza z potencjalnym uczestnikiem. Z oczywistych względów, zarówno na etapie projektowania eksperymentu, jak i jego oceny dokonywanej przez komisję bioetyczną *ex ante*, nie ma więc możliwości uwzględnienia subiektywnych przekonań przyszłych uczestników dotyczących atrakcyjności przewidywanych korzyści eksperymentu czy akceptowalności ryzyka, jakie się z nim wiąże. Oceny tej dokonują badacze, a przede wszystkim członkowie komisji bioetycznej, kierując się wymogami regulacyjnymi oraz wskazaniem dostępnej wiedzy naukowej i doświadczenia życiowego. Potencjalni uczestnicy wyrażają swoje zdanie na temat relacji ewentualnych korzyści i ryzyka eksperymentu badawczego, udzielając bądź odmawiając udzielenia zgody na udział w badaniu.

Często inaczej przebiega natomiast proces podejmowania decyzji o możliwości zastosowania u danego pacjenta innowacyjnej metody leczenia. Do rozmowy na ten temat dochodzi

⁴⁷ M. Nesterowicz, *Prawo medyczne*, Wyd. IX, Wydawnictwo „Dom Organizatora”, Toruń 2010, s. 217.

⁴⁸ Tak też np. K. Sakowski, w: E. Zielińska (red.), *Ustawa o zawodach lekarza i lekarza dentystry...*, s. 518.

⁴⁹ Zob. R. Kędziora, *Odpowiedzialność karna lekarza...*, s. 288-289.

zazwyczaj między lekarzem i chorym (lub jego przedstawicielem ustawowym), którzy już dobrze się znają. Z inicjatywą zastosowania niestandardowej terapii wychodzi lekarz albo sam pacjent (lub jego przedstawiciel ustawowy), który jest rozczarowany niską skutecznością dotychczas podejmowanych wysiłków terapeutycznych bądź też – z ważnych dla siebie względów – nie zgadza się na użycie dostępnych metod leczenia. Decyzja pacjenta o gotowości poddania się eksperymentalnemu leczeniu zazwyczaj formuje się zatem w procesie rozmowy z zaufanym lekarzem i poprzedza (a często także warunkuje) podjęcie przez lekarza kroków formalnych niezbędnych do legalnego wdrożenia tego leczenia. A gdy tak właśnie się dzieje, nie ma żadnych przeszkód faktycznych, aby komisja, która ma wydać opinię o dopuszczalności zastosowania u danego pacjenta leczenia innowacyjnego, wzięła pod uwagę opinię tego chorego dotyczącą skuteczności dostępnych terapii standardowych oraz oczekiwanych pożytków i zagrożeń leczenia innowacyjnego. Nie ulega wszakże wątpliwości, że opinie poszczególnych pacjentów będą się różnić. Innowacyjna terapia, która – w świetle dostępnych dowodów naukowych i opinii ekspertów – daje pacjentowi szansę na przedłużenie życia o 6 miesięcy, ale wiąże się z koniecznością częstych i długotrwałych wizyt w szpitalu, wymaga regularnego poddawania się bolesnym zabiegom i istotnej zmiany trybu życia, a – na dodatek – wiąże się z ryzykiem wystąpienia całej gamy mniej lub bardziej dotkliwych reakcji niepożądanych, może mieć dla jednego pacjenta istotnie mniejszą wartość od dostępnych standardowych metod leczenia, które dają mu potwierdzoną wiarygodnymi dowodami naukowymi nadzieję na 3 miesiące życia, ale nie wiążą się z tak dużymi uciążliwościami i ryzykiem. Inny chory może natomiast przedkładać nawet najbardziej uciążliwą i ryzykowną terapię eksperymentalną, która daje mu szansę na przedłużenie życia o kilka miesięcy, nad mniej inwazyjne i bezpieczniejsze, ale mniej efektywne leczenie standardowe.

Warto wspomnieć o jeszcze jednym zapisie dotyczącym poziomu akceptowalnego ryzyka eksperymentu leczniczego (leczenia eksperymentalnego), a mianowicie o cytowanym już wyżej art. 42a ust. 1 KEL, który zakazuje lekarzowi „narażać pacjenta na ryzyko w istotnym stopniu większe niż to, które grozi osobie nie poddanej temu eksperymentowi” Przepis ten jest ewidentnie wadliwie skonstruowany. Można go jednak próbować interpretować na wyrost, w duchu zasady równowagi klinicznej⁵⁰. Lekarz, który proponuje pacjentowi poddanie się terapii wykorzystującej tylko częściowo sprawdzone produkty, wyroby lub procedury medyczne, działa zgodnie z lekarską powinnością promowania dobra pacjenta wtedy i tylko wtedy, gdy *stosunek* ryzyka do potencjalnych korzyści innowacyjnej terapii nie jest (istotnie) gorszy od *stosunku* ryzyka do potencjalnych korzyści, z jakimi wiążą się inne dostępne, standardowe opcje terapeutyczne, jeśli takie istnieją, a – jeśli takich nie ma – gdy prawdopodobieństwo i waga negatywnych skutków terapii eksperymentalnej nie są (istotnie) większe od prawdopodobieństwa i wagi zagrożeń, jakie wiążą się z niewdrożeniem terapii innowacyjnej *ergo* z dalszym postępowaniem choroby. Oczywiście, pojawiające się w art. 42a ust. 1 KEL słowo „istotnie”, czyni te zapis dużo mniej ochronnym niż wymaga tego zasada równowagi klinicznej.

Ostatnią kwestią, o której należy tu powiedzieć, jest wymóg uzyskania pozytywnej opinii komisji bioetycznej przed wdrożeniem leczenia eksperymentalnego. Komisje bioetyczne to ciała kolegialne, powoływane przez okręgowe rady lekarskie, rektorów wyższych uczelni medycznych lub wyższych uczelni z wydziałem medycznym oraz dyrektorów medycznych jednostek badawczo-rozwojowych (art. 29 ust. 3 u.z.l.). W ich skład wchodzi osoby posiadające wysoki autorytet moralny i wysokie kwalifikacje specjalistyczne (art. 29 ust. 1 u.z.l.). Zgodnie z §3 ust. 2 Rozporządzenia Ministra Zdrowia i Opieki Społecznej z dnia 11 maja 1999 roku w

⁵⁰ Bliżej o zasadzie równowagi klinicznej zob. np. J. Różyńska, *Spór o fundamenty etyki randomizowanych badań klinicznych*, w: K. Basińska, J. Halasz (red.), *Etyka w medycynie – wczoraj i dziś. Wybrane zagadnienia*, Oficyna Wydawnicza ‘Impuls’, Kraków 2013, s. 171-183.

sprawie szczegółowych zasad powoływania i finansowania oraz trybu działania komisji bioetycznych⁵¹, członkami komisji są lekarze specjaliści i po jednym przedstawicielu innego zawodu, w szczególności: duchowny, filozof, prawnik, farmaceuta, pielęgniarska, którzy posiadają co najmniej 10-letni staż pracy w zawodzie. Podstawową rolą komisji jest wyrażanie opinii o projekcie eksperymentu medycznego, w drodze uchwały, przy uwzględnieniu kryteriów etycznych oraz celowości i wykonalności projektu (art. 29 ust. 2 u.z.l.).

Zarówno charakter organów umocowanych do powoływania komisji bioetycznej, jak i praktyka funkcjonowania komisji nie czynią je ciałami optymalnymi do opiniowania projektów zastosowania eksperymentów leczniczych (leczenia eksperymentalnego). Aktualnie w Polsce działa około 52 komisji bioetycznych (oraz Odwoławcza Komisja Bioetyczna przez Ministra Zdrowia). Komisje funkcjonują głównie w dużych ośrodkach miejscach, będących jednocześnie prężnymi ośrodkami akademickimi i naukowymi. Dostęp do nich jest więc dla większości polskich lekarzy utrudniony. I tak na przykład, lekarz, który pracuje w powiatowym szpitalu specjalistycznym, aby uzyskać opinię komisji bioetycznej w sprawie poddania pacjenta innowacyjnej terapii, musi udać się w tej sprawie do miasta, w którym ma siedzibę miejscowa właściwa okręgowa izba lekarska, a co za tym idzie, także właściwa komisja bioetyczna. Czasami oznacza to dla niego konieczność pokonania dziesiątek kilometrów i poświęcenia wielu godzin, które mogłyby przeznaczyć na opiekę nad pacjentami.

Ponadto, z badań wynika, że średnio w roku komisja bioetyczna odbywa 10-11 posiedzeń⁵². Zazwyczaj nie zbiera się w okresie wakacji. Średni czas oczekiwania na wydanie przez komisję opinii w sprawie eksperymentu nie jest znany, ale może wynosić nawet do 60 dni, a zatem prawie dwa miesiące. Dla pacjenta w bardzo ciężkim stanie, dla którego terapia eksperymentalna jest jedyną szansą, dwumiesięczny okres oczekiwania może okazać się zbyt długi. Chory może zwyczajnie nie doczekać wydanie przez komisję pozytywnej opinii. Może też się wydarzyć tak, że jego stan zdrowia ulegnie w tym czasie tak radykalnemu pogorszeniu, że poddanie go eksperymentalnemu leczeniu przestanie być celowe. Straci zatem szansę na życie lub poprawę zdrowia, jakie dawało mu to leczenie.

Wszystko to przemawia za odebraniem komisjom bioetycznym prawa do oceniania wniosków o przeprowadzenie terapii eksperymentalnej i przekazaniem tej kompetencji – jak sugerował już Raport Belmoncki z 1979 roku – do „obowiązków komisji nadzorujących praktykę medyczną”. W różnych krajach i placówkach opieki zdrowia przyjmowane są w tym zakresie różne rozwiązania organizacyjne⁵³.

Wnioski

Powyższe analizy nie pozostawiają wątpliwości, że definicja i regulacja eksperymentu leczniczego, zawarta w polskiej ustawie o zawodach lekarza i lekarza dentystry, wymaga zasadniczej zmiany. Po pierwsze, należy jednoznacznie odróżnić terapię eksperymentalną od eksperymentalnych badań medycznych z potencjałem terapeutycznym i tę pierwszą uregulować w sposób adekwatny do jej celów i natury. Po drugie, konieczne jest dostosowanie języka oraz

⁵¹ Dz.U. nr 47, poz. 480.

⁵² M. Czarkowski, K. Różanowski, *Polish Research Ethics Committees in the European Union System of Assessing Medical Experiments*, „Science and Engineering Ethics” 2009, nr 15, s. 204-205.

⁵³ Zob. bliżej np. S.M. Strasberg, P.A. Ludbrook, *Who Oversees Innovative Practice? Is There a Structure that Meets the Monitoring Needs of New Techniques?*, „Journal of the American College of Surgeons” 2003, vol. 196, nr 6, s. 946-947; C.M. Ryan, D. Swanson, *Clinical Research, Innovative Practice and IRB Review: Identifying and Respecting Boundaries*, „American Journal of Transplantation” 2007, nr 7, s. 748-750; . Evan Chan, *Legal and Regulatory Response to Innovative Therapy...*, s. 122-130; K. Whitfield et al., *Compassionate Use of Interventions: Results of a European Clinical Research Infrastructure Network (ECRIN) Survey of Ten European Countries*, „Trials” 2010, vol. 11, s. 104-111.

standardów prowadzenia badań medycznych z udziałem ludzi – zarówno tych mających potencjał dostarczenia bezpośrednich korzyści zdrowotnych dla osób w nich uczestniczących, jak i badań pozbawionych takiego potencjału – do warunków ich realizacji określonych w standardach międzynarodowych i europejskich⁵⁴. W końcu po trzecie, kwestie dotyczące zasad prowadzenia badań naukowych w medycynie z udziałem człowieka należy uregulować kompleksowo w odrębnej ustawie⁵⁵. Nie powinny być one unormowane w ustawie o zawodach lekarza i lekarza dentystry, po pierwsze, ze względu na zasadniczo odmienny charakter i cel działalności badawczej i leczniczej, a po drugie, ze względu na fakt, iż nie tylko przedstawiciele tych dwóch profesji medycznych prowadzą badania naukowe z udziałem zdrowych i chorych uczestników.

⁵⁴ Zob. J. Różyńska, *Regulacja ryzyka i potencjalnych korzyści badania biomedycznego z udziałem człowieka w standardach międzynarodowych*....s. 58-78.

⁵⁵ Postulat ten już lata temu zgłaszał m.in. M. Nesterowicz, *Nowe ustawodawstwo medyczne (osiągnięcia i błędy)*, „Państwo i Prawo” 1997, nr 9, s. 8. Zob. też M. Safjan, *Prawo i medycyna*... s. 184; K. Sakowski, w: E. Zielińska (red.), *Ustawa o zawodach lekarza i lekarza dentystry*..., s. 515-516.