

Patient and Public Involvement v klinickém výzkumu: od regulatorních požadavků k partnerské spolupráci s pacienty

Hana Blahynková, Lenka Součková, Adriána Papiež

CZECRIN, Lékařská fakulta Masarykovy univerzity, Brno

Klinický výzkum se v posledních letech stále více orientuje na systematické zapojení pacientů a veřejnosti (Patient and Public Involvement, PPI), přičemž pacient již není vnímán pouze jako účastník studie, ale také jako aktivní partner podílející se na plánování výzkumu. Tento přístup zvyšuje relevanci výzkumných otázek, zlepšuje proveditelnost studií i využitelnost jejich výsledků v klinické praxi. Principy zapojení pacientů jsou reflektovány v moderních metodologických a regulatorních rámcích, včetně zásad International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use Good Clinical Practice (ICH GCP R3), Quality by Design či nejnovější revizi Declaration of Helsinki.

Zapojení pacientů je dnes zároveň často vyžadováno nebo výrazně preferováno ve veřejných grantových programech, například v rámci Horizon Europe, National Institute for Health and Care Research nebo Patient-Centered Outcomes Research Institute. Pacienti mohou přispět k formulaci výzkumných otázek, výběru relevantních cílových ukazatelů, zlepšení srozumitelnosti studijních dokumentů i ke snížení zátěže účastníků studií.

Důležitým prostředníkem mezi pacienty a výzkumníky může být patientský advokát, který podporuje smysluplné zapojení pacientů v jednotlivých fázích výzkumu. Systematické PPI tak představuje důležitý posun směrem ke kvalitnějšímu a etičtějšímu klinickému výzkumu.

Klíčová slova: Patient and Public Involvement, klinický výzkum, design klinických hodnocení, patientský advokát, patient-reported outcomes.

Patient and Public Involvement in clinical research: from regulatory requirements to partnerships with patients

In recent years, clinical research has increasingly focused on the systematic involvement of patients and the public (Patient and Public Involvement, PPI), with patients no longer viewed merely as study participants but also as active partners contributing to research planning. This approach enhances the relevance of research questions, improves the feasibility of studies, and increases the applicability of their results in clinical practice. The principles of patient involvement are reflected in modern methodological and regulatory frameworks, including the International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use Good Clinical Practice (ICH GCP R3), Quality by Design, and the latest revision of the Declaration of Helsinki.

Patient involvement is also frequently required or strongly preferred in public grant programs today, such as Horizon Europe, the National Institute for Health and Care Research, or the Patient-Centered Outcomes Research Institute. Patients can contribute to formulating research questions, selecting relevant endpoints, improving the clarity

DECLARATIONS:

Declaration of originality:

The manuscript is original and has not been published or submitted elsewhere.

Ethical principles compliance:

The authors attest that their study was approved by the local Ethical Committee and is in compliance with human studies and animal welfare regulations of the authors' institutions as well as with the World Medical Association Declaration of Helsinki on Ethical Principles for Medical Research Involving Human Subjects adopted by the 18th WMA General Assembly in Helsinki, Finland, in June 1964, with subsequent amendments, as well as with the ICMJE Recommendations for the Conduct, Reporting, Editing, and Publication of Scholarly Work in Medical Journals, updated in December 2018, including patient consent where appropriate.

Conflict of interest and financial disclosures:

None.

Funding/Support:

Předkládaná práce byla podpořena velkou výzkumnou infrastrukturou CZECRIN (projekt LM2023049).

Cit. zkr: *Klin Farmakol Farm.* 2026;40(2):112-115

<https://doi.org/10.36290/far.2026.025>

Článek přijat redakcí: 27. 3. 2026

Článek přijat k tisku: 15. 6. 2026

Mgr. Hana Blahynková

hana.blahynkova@med.muni.cz

of study documents, and reducing the burden on study participants.

A patient advocate can serve as an important intermediary between patients and researchers, supporting meaningful patient involvement at each stage of research. Systematic PPI thus represents an important step toward higher-quality and more ethical clinical research.

Key words: Patient and Public Involvement, clinical research, clinical trial design, patient advocate, patient reported outcomes.

Proměna role pacientů v klinickém výzkumu

Moderní klinická farmakologie a vývoj léčiv postupně opouštějí tradiční paternalistický model klinického výzkumu, v němž byl pacient vnímán především jako účastník studie a zdroj dat. Rostoucí komplexita studií, důraz na klinickou relevanci a výzvy spojené s nábořem a retencí účastníků vedly k přehodnocení této role. Do popředí se proto dostává systematické zapojení pacientů a veřejnosti do výzkumu (Patient and Public Involvement, PPI), které redefinuje roli pacienta z pasivního účastníka klinického hodnocení na aktivního partnera a spolutvůrce výzkumného procesu (1–4). Význam PPI je dnes zohledněn také v moderních metodologických a regulatorních rámcích klinického výzkumu (1, 5), současně je zapojení pacientů stále častěji požadováno nebo výrazně podporováno v rámci veřejných výzkumných grantů a mezinárodních výzkumných programů.

Cílem tohoto článku je představit koncept zapojení pacientů do klinického výzkumu, popsat jeho přínosy pro design a realizaci klinických studií a diskutovat roli patientského advokáta jako důležitého prostředníka mezi patientskou komunitou a výzkumníky.

Regulatorní a etické ukotvení zapojení pacientů

Zapojení pacientů do klinického výzkumu není pouze konceptuální změnou v přístupu k výzkumu, ale je stále více zakotveno také v regulatorních, etických a metodologických rámcích moderního klinického hodnocení (2, 6). Oblast PPI prochází v posledních letech dynamickým evolučním vývojem jak na mezinárodní úrovni, tak v prostředí České republiky. Aktualizovaná verze ICH GCP R3 představuje výrazný milník v tomto procesu (1, 7, 8) a zdůrazňuje orientaci na pacienta, integraci moderních technologií a princip

kvality budované již ve fázi návrhu studie. Koncept Quality by Design, který je v této směrnici opakovaně uváděn, představuje zásadní změnu v chápání kvality klinických hodnocení. Kvalita již nemá být zajišťována primárně prostřednictvím kontrol a auditů, ale musí být systematicky integrována do návrhu studie již v raných fázích její přípravy. Zapojení pacientů v této fázi umožňuje včas identifikovat prvky protokolu, které mohou být nadměrně zatěžující, logisticky obtížně proveditelné nebo klinicky málo relevantní. Spolupráce s pacienty může vést k optimalizaci studijních návštěv, odběrů biologického materiálu i využití decentralizovaných prvků studie (9).

Vedle klinických cílů pacienti často upozorňují na praktické aspekty účasti ve studii, jako je cestování, administrativní zátěž, invazivita vyšetření či dopad na kvalitu života (10). Integrace těchto perspektiv může přispět k realističtějšímu designu klinických studií a zlepšení jejich proveditelnosti.

Směrnice ICH GCP R3 reflektuje technologický pokrok jako klíčový prostředek k posílení patient-centric přístupu v klinickém výzkumu. Využití digitálních technologií, včetně umělé inteligence, nositelné elektroniky, elektronických informovaných souhlasů nebo vzdáleného monitorování umožňuje realizaci decentralizovaných a hybridních klinických studií, které mohou významně snížit zátěž pacientů a zvýšit dostupnost výzkumu pro širší populaci. Elektronické informované souhlasy představují důležitý nástroj patientsky orientovaného výzkumu. Jejich úspěšné využití však vyžaduje jednoduché a bezpečné ověření identity.

Význam zapojení pacientů je současně zdůrazněn i v etických dokumentech upravujících klinický výzkum. Nejnovější revize Declaration of Helsinki, přijatá World Medical Association v roce 2024, zdůrazňuje význam respektu k účastníkům výzkumu a jejich ko-

munitám a podporuje jejich zapojení do různých fází výzkumného procesu, včetně návrhu studie a šíření výsledků.

Rostoucí význam zapojení pacientů je patrný také v oblasti financování výzkumu. Mnohé veřejné grantové agentury dnes požadují nebo významně podporují smysluplné zapojení pacientů či patientských advokátů do výzkumných projektů. Tento požadavek je explicitně formulován například v rámci programů Horizon Europe (11), britského National Institute for Health and Care Research nebo amerického Patient-Centered Outcomes Research Institute.

Navzdory rostoucímu významu PPI však oblast jeho praktické implementace zůstává v mnoha zemích, včetně České republiky, ve fázi postupného budování zkušeností a institucionální expertizy. Zatímco některé zahraniční systémy již disponují etablovanými modely participace pacientů, česká nemocniční a akademická centra teprve vytvářejí praktické mechanismy pro systematické zapojování pacientů do výzkumu. V tomto kontextu nabývá na významu sdílení zkušeností mezi institucemi, inspirace mezinárodními frameworky a adaptace ověřených přístupů na podmínky českého zdravotnického a výzkumného prostředí. Postupné budování praktické expertizy, vzdělávání patientských zástupců i výzkumných týmů a rozvoj partnerské spolupráce tak představují klíčové předpoklady pro dlouhodobě udržitelnou implementaci PPI do klinického výzkumu.

Přínosy zapojení pacientů pro klinický výzkum

1) Zapojení pacientů do přípravy a realizace klinických studií zvyšuje jejich relevanci a proveditelnost. Pacienti přinášejí perspektivu reálné zkušenosti s onemocněním, která doplňuje odborný pohled výzkumníků a pomáhá formulovat výzkumné otázky.

Jedním z klíčových přínosů zapojení pacientů je možnost lépe definovat výzkumné otázky tak, aby odrážely skutečné potřeby patientské populace. Zatímco výzkumníci se často zaměřují na biologické mechanismy onemocnění nebo regulatorní požadavky, pacienti mohou upozornit na aspekty onemocnění, které mají zásadní dopad na jejich každodenní život (12, 13), funkční schopnosti nebo kvalitu života. Zapojení pacientů tak může přispět k identifikaci dosud nenaplněných potřeb (unmet needs) a pomoci zaměřit výzkum na klinicky relevantní problémy.

2) Design klinických studií

Pacienti mohou rovněž významně přispět k optimalizaci designu klinických studií. Jejich perspektiva může být cenná při výběru klinicky významných endpointů (4, 12), zejména v případě ukazatelů zaměřených na kvalitu života nebo funkční stav pacientů (11). Současně mohou pomoci identifikovat prvky protokolu, které představují nadměrnou zátěž pro účastníky, například časté studijní návštěvy, invazivní vyšetření nebo logisticky náročné postupy.

Zohlednění těchto faktorů může vést k realistickému nastavení studijních procedur a přispět ke zlepšení náboru a retence účastníků (1). Praktické zkušenosti ukazují, že studie, jejichž design reflektuje potřeby a možnosti pacientů, dosahují často vyšší míry náboru i lepší adherence k protokolu.

3) Studijní dokumenty a komunikace s účastníky

Materiály určené účastníkům klinických hodnocení a náborové dokumenty představují klíčové rozhraní mezi výzkumným týmem a pacientem. Jejich kvalita, srozumitelnost a praktická použitelnost mají přímý dopad na úspěšnost náboru, informovanost účastníků i jejich dlouhodobou spolupráci ve studii. Zapojení pacientů do jejich přípravy umožňuje identifikovat nejasné formulace, nadměrnou administrativní zátěž a postupy, které jsou v reálných podmínkách obtížně proveditelné. Pacienti mohou například pomoci upravit jazyk informovaných souhlasů tak, aby byl srozumitelný pro širší populaci, nebo upozornit na informace, které jsou pro potenciální účastníky studie zvláště důležité.

Zapojení pacientů při vývoji nástrojů hodnocení výsledků

Jedním z klíčových aspektů patient-centric přístupu v klinickém vývoji je validace nástrojů pro hodnocení výsledků (Clinical Outcome Assessments, COA), zejména pacientem hlášených výstupů (Patient-Reported Outcomes, PRO). Regulační autority považují rané fáze klinického vývoje (fáze I–II) za optimální období pro ověření jejich „vhodnosti pro daný účel“ (fit-for-purpose) (7, 13, 14). Hodnocení srozumitelnosti dotazníku až v registrační studii může představovat významné vědecké i regulatorní riziko, protože případné nedostatky mohou negativně ovlivnit interpretaci klíčových cílových ukazatelů.

V raných fázích vývoje se proto využívají kognitivní rozhovory (3, 14) (cognitive interviews, cognitive debriefing), jejichž cílem je ověřit, že pacienti správně rozumějí instrukcím, jednotlivým položkám i odpovědním škálám a že hodnocené parametry odpovídají jejich zkušenosti s onemocněním. Tento postup umožňuje včas identifikovat nejasné formulace, nevhodně nastavené škály či nepřiměřené období pro vybavení si příznaků (recall period), odhalit rozdíly v interpretaci mezi skupinami pacientů a snížit zátěž respondentů (13). Včasné testování tak významně snižuje regulatorní riziko a posiluje vědeckou robustnost klinického programu.

V pediatrické populaci vyžaduje testování srozumitelnosti vývojově přiměřený přístup. U mladších dětí se používají jednodušší jazykové formulace, obrázkové škály nebo alternativní techniky, například formou hry či kresby. Současně se ověřuje vhodnost hodnotících škál i nastavení recall period. Pokud to věk a kognitivní schopnosti umožňují, dítě by mělo odpovídat samostatně. Není-li spolehlivý self-report možný, přechází se k hodnocení pečovatelem (Observer-Reported Outcome, ObsRO), které se zaměřuje pouze na objektivně pozorovatelné projevy.

Role patientského advokáta v klinickém výzkumu

Klíčovou postavou PPI je patientský advokát, jehož roli je nutné přesně vymezit. V kontextu klinického výzkumu nejde o právního zástupce, ale o školeného experta s přimou

žitou zkušeností s konkrétním onemocněním a jeho léčbou anebo znalostí procesů klinického výzkumu. Na rozdíl od běžného účastníka klinické studie, který zůstává zdrojem dat, vystupuje patientský advokát jako aktivní člen výzkumného týmu, často v roli Patient Research Partner (5, 11).

Pacientský advokát přináší do výzkumu perspektivu patientské komunity a pomáhá identifikovat aspekty, které jsou pro nemocné skutečně významné. Vedle tradičních klinických ukazatelů se tak do popředí dostávají parametry kvality života, funkční zdatnosti, psychosociálních dopadů léčby a zvládnutelnosti nežádoucích účinků. Tyto faktory mohou zásadně ovlivňovat nejen ochotu pacientů účastnit se klinických studií, ale i jejich důvěru ve smysl výzkumu a praktickou využitelnost výsledků.

Pacientské organizace představují důležitý zdroj zpětné vazby a zkušeností patientské komunity. Jejich zapojení podporuje komunikaci mezi pacienty a zdravotnickými pracovníky a přispívá k rozvoji péče orientované na potřeby pacientů.

Výzvy a limity zapojení pacientů

Navzdory rostoucí podpoře PPI přetrvávají významné překážky jeho efektivní implementace, včetně dominance vědeckého žargonu, nerovné dynamiky moci a omezené diverzity zapojených pacientů. V některých případech může zapojení pacientů zůstat spíše formální než skutečně partnerské.

V literatuře je tento fenomén popisován jako riziko tokenismu, kdy jsou pacienti do výzkumu zapojováni primárně za účelem naplnění formálních požadavků grantových schémat či institucionálních standardů, aniž by měli reálný vliv na rozhodovací procesy (7, 14), definování výzkumných priorit nebo interpretaci výsledků. Takový přístup může oslabovat důvěru patientské komunity a snižovat skutečný přínos participace pro kvalitu výzkumu.

Další významnou výzvu představuje riziko kooptace patientských zástupců, kdy pacient postupně přebírá perspektivu výzkumného týmu a ztrácí schopnost reprezentovat zkušenosti širší patientské komunity (1). Další výzvou je opakované zapojování stejného okruhu zkušených patientských zástupců, což může vést k omezené reprezentativnosti

pacientské populace. K odlišení smysluplného zapojení od symbolického přístupu přispívají standardizační nástroje, jako jsou směrnice GRIPP2, a vzdělávací iniciativy zaměřené na rozvoj kompetencí pacientských zástupců, jako je EUPATI. Přístup k PPI do výzkumu vykazuje v evropském prostoru značnou variabilitu. Severské země patří dlouhodobě mezi lídry, zatímco ve střední Evropě, včetně České republiky a Německa, se PPI postupně institucionalizuje (3, 8). Významným krokem bylo založení národní platformy EUPATI v roce 2022, která vytvořila rámec pro vzdělávání pacientů v oblasti klinického výzkumu, vývoje léčiv a regulace. Společně s dalšími iniciativami, například CAATS při Masarykově univerzitě, které se ve spolupráci s Centrem precizní medicíny ve Fakultní nemocnici Brno zaměřuje na identifikaci dostupných terapeutických možností pro dětské pacienty s velmi vzácnými onemocněními a současně podporuje komunikaci mezi pacienty, klinickými

pracovišti a výzkumnými týmy. Podobné iniciativy mohou přispět nejen k lepší orientaci pacientů v možnostech léčby a klinického výzkumu, ale také k posílení jejich role jako informovaných partnerů v procesu vývoje a hodnocení nových terapií.

Zkušenosti z praxe ukazují, že včasné zapojení pacientů vede k hmatatelným změnám v designu studií, snížení zátěže účastníků a zvýšení etické přijatelnosti i efektivity klinického výzkumu (15). Zohlednění perspektivy pacientů již ve fázi návrhu studií zároveň umožňuje generovat data, která jsou lépe využitelná pro hodnocení zdravotnických technologií a rozhodování o úhradách. Parametry kvality života a funkční přínosy léčby se tak stávají důležitým mostem mezi klinickým výzkumem, regulací a reálnou dostupností inovativních terapií pro pacienty. Současně roste zájem o hodnocení skutečného dopadu participace pacientů na kvalitu a efektivitu výzkumu. Jedním z přístupů je systematické

dokumentování změn ve studijních protokolech iniciovaných pacienty, například úprav studijních návštěv, administrativní zátěže nebo informovaných souhlasů, které umožňuje lépe posoudit přínos PPI pro realizaci klinických studií.

Závěr

Zapojení pacientů podle principů ICH GCP R3 představuje významnou změnu v klinickém výzkumu. Moderní technologie, náborové strategie i materiály pro účastníky by měly vznikat ve spolupráci s pacienty, aby odpovídaly jejich potřebám a zkušenostem.

Smysluplná participace pacientů vyžaduje transparentní komunikaci, respekt k jejich zkušenostem a reprezentativní zastoupení různých skupin pacientů. Pouze za těchto podmínek může být PPI skutečným partnerstvím, které přispívá ke kvalitě, etické integritě a dlouhodobé udržitelnosti klinického výzkumu.

LITERATURA

1. Egher C, Zvonareva O. Knowledge-based Representation: Patient Engagement in Drug Development. *Health Expect*. 2024;27(1):e13912.
2. Geißler J, Isham E, Hickey G, et al. Patient Involvement in Clinical Trials. *Commun Med*. 2022;2(1):94.
3. U.S. Food and Drug Administration (FDA). Patient-Focused Drug Development: Collecting Comprehensive and Representative Input [Internet]. FDA; 2020 [cited 11-02-2026]. Available from: <http://resource.nlm.nih.gov/9918230998606676>.
4. U.S. Food and Drug Administration (FDA). Patient-Focused Drug Development: Incorporating Clinical Outcome Assessments Into Endpoints for Regulatory Decision-Making [Internet]. FDA; 2023 [cited 11-02-2026]. Available from: <https://www.hhs.gov/guidance/document/patient-focused-drug-development-incorporating-clinical-outcome-assessments-endpoints>.
5. Amjad A, Ratcliffe N, Smith AL, et al. Patient and Public Involvement in Laboratory Based Research: Reflections on Six Studies.
6. Arumugam A, Phillips LR, Moore A, et al. Patient and Public Involvement in Research: A Review of Practical Resources for Young Investigators. *BMC Rheumatol*. 2023;7(1):2.
7. The Lancet Healthy Longevity. Increasing Patient and Public Involvement in Clinical Research. *Lancet Healthy Longev*. 2024;5(2):e83.
8. Tong A, Scholes-Robertson N, Hawley C, et al. Patient-Centred Clinical Trial Design. *Nat Rev Nephrol*. 2022;18(8):514-523.
9. Jackson-Perry D, Cart-Richter E, Haerry D, et al. Patient and Public Involvement in HIV Research: A Mapping Review and Development of an Online Evidence Map. *J Int AIDS Soc*. 2024;27(11):e26385.
10. U.S. Food and Drug Administration (FDA). Patient-Focused Drug Development: Methods to Identify What Is Important to Patients [Internet]. FDA; 2022 [cited 11-02-2026]. Available from: <https://www.hhs.gov/guidance/document/patient-focused-drug-development-methods-identify-what-important-patients-guidance>.
11. U.S. Food and Drug Administration (FDA). Patient-Focused Drug Development: Selecting, Developing, or Modifying Fit-for-Purpose Clinical Outcome Assessments [Internet]. FDA; 2022 [cited 11-02-2026]. Available from: <https://www.hhs.gov/guidance/document/patient-focused-drug-development-methods-identify-what-important-patients-guidance>.
12. Dews SA, Bassi A, Buckland S, et al. Characterising Meaningful Patient and Public Involvement in the Pharmaceutical Industry Research Setting: A Retrospective Quality Assessment. *BMJ Open*. 2023;13(8):e071339.
13. Sand AS, Grimsgaard S, Pettersen I. Patient and Public Involvement in Health Research: A Nordic Perspective. *Scand J Public Health*. 2020;48(1):119-121.
14. Schilling I, Herbon C, Jilani H, et al. Aktive Beteiligung von Patientinnen an klinischer Forschung – Eine Einführung. *Z Evid Fortbild Qual Gesundheitswes*. 2020;155:56-63.
15. Zeissler ML, Bakshi N, Bartlett M, et al. Patient and Public Involvement and Engagement in the Development of a Platform Clinical Trial for Parkinson's Disease: An Evaluation Protocol. *J Parkinsons Dis*. 2024;14(4):809-821.