

Παρηγορητική χρήση

Τι είναι η παρηγορητική χρήση;

Ο όρος «παρηγορητική χρήση» αναφέρεται σε ειδικά προγράμματα που έχουν δημιουργηθεί για να κάνουν δυνατή τη διάθεση μη εγκεκριμένων φαρμάκων σε ασθενείς. Ειδικότερα, αυτό μπορεί να είναι ένας τρόπος για να καταστεί ένα πολλά υποσχόμενο αλλά μη εγκεκριμένο φάρμακο διαθέσιμο σε ασθενείς, οι οποίοι:

- δεν μπορούν επί του παρόντος να λάβουν ικανοποιητική θεραπεία με εγκεκριμένα φάρμακα,
- πάσχουν από μια ασθένεια για την οποία δεν έχει εγκριθεί ακόμη κάποιο φάρμακο,
- δεν μπορούν να εγγραφούν σε μια εν εξελίξει κλινική δοκιμή.

Όλα τα φάρμακα λαμβάνουν έγκριση για συγκεκριμένη χρήση. Όταν συνταγογραφούνται για χρήση με διαφορετικό τρόπο, αυτό ονομάζεται χρήση «εκτός εγκεκριμένων ενδείξεων» (off-label). Το παρόν άρθρο αφορά την παρηγορητική χρήση.

Ποια φάρμακα μπορούν να διατεθούν μέσω παρηγορητικής χρήσης;

Τα προγράμματα παρηγορητικής χρήσης θα πρέπει να εφαρμόζονται μόνο για φάρμακα που αναμένεται να βοηθήσουν ασθενείς με απειλητικές για τη ζωή, μακροχρόνιες ασθένειες ή ασθένειες που αποφέρουν σοβαρές αναπηρίες.

Γενικά, τα φάρμακα σε προγράμματα παρηγορητικής χρήσης πρέπει να έχουν περάσει επιτυχώς από τα αρχικά στάδια κλινικής ανάπτυξης, συμπεριλαμβανομένων των τοξικολογικών μελετών και των μελετών πρώτης χορήγησης στον άνθρωπο. Ενδέχεται να υπάρχουν ακόμη ορισμένα ερωτήματα σχετικά με το προφίλ

ασφάλειας του φαρμάκου, καθώς και αβεβαιότητες σχετικά με τη βέλτιστη δοσολογία και το δοσολογικό σχήμα.

Πώς λειτουργούν τα προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Τα προγράμματα παρηγορητικής χρήσης συντονίζονται και εφαρμόζονται σε εθνικό επίπεδο, ενώ αποφασίζεται ανεξάρτητα πώς και πότε θα ανοίξουν τέτοια προγράμματα, σύμφωνα με τους εθνικούς κανόνες και τη νομοθεσία.

Οι γιατροί που επιθυμούν να αποκτήσουν ένα πολλά υποσχόμενο φάρμακο για βαριά πάσχοντες ασθενείς πρέπει να επικοινωνήσουν με την αρμόδια εθνική αρχή της χώρας τους και να ακολουθήσουν την αντίστοιχη διαδικασία. Η εθνική αρχή τηρεί μητρώο των ασθενών που έχουν υποβληθεί σε θεραπεία στο πλαίσιο προγραμμάτων παρηγορητικής χρήσης, ενώ έχουν τεθεί σε εφαρμογή συστήματα για την καταγραφή τυχόν παρενεργειών που αναφέρονται από τους ασθενείς ή τους γιατρούς τους.

Πώς μπορεί ένας ασθενής να ενταχθεί σε ένα πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης;

Για να ενταχθούν σε ένα πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης, οι ασθενείς πρέπει να μιλήσουν με τον γιατρό τους. Οι γιατροί μπορούν πρώτα να συμβουλευθούν τον ασθενή σχετικά με το αν υπάρχει στη χώρα του μια κατάλληλη κλινική δοκιμή στην οποία μπορεί να εγγραφεί, καθώς τα φάρμακα που δεν έχουν εγκριθεί ακόμη γενικά διατίθενται πρώτα στους ασθενείς μέσω κλινικών δοκιμών. Οι γιατροί μπορούν επίσης να συμβουλευθούν τον ασθενή σχετικά με το πώς λειτουργούν τα προγράμματα παρηγορητικής χρήσης στη χώρα τους.

Κατά περίπτωση, ο γιατρός μπορεί να απευθυνθεί στην εθνική αρχή που είναι αρμόδια για τα προγράμματα παρηγορητικής χρήσης στη χώρα του και να μάθει εάν υπάρχει κάποιο διαθέσιμο κατάλληλο πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης.

Ποιος είναι ο ρόλος του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων στην παρηγορητική χρήση;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA) μπορεί να παρέχει συστάσεις σε όλα τα κράτη μέλη της ΕΕ σχετικά με τη χορήγηση, τη διανομή και τη χρήση ορισμένων φαρμάκων σε σχέση με την παρηγορητική χρήση. Προσδιορίζει επίσης ποιοι ασθενείς μπορούν να επωφεληθούν από προγράμματα παρηγορητικής χρήσης.

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) μπορεί να παράσχει αυτές τις συστάσεις κατόπιν αιτήματος ενός κράτους μέλους. Μπορεί επίσης να παράσχει αυτές τις συστάσεις όταν αντιληφθεί ότι δημιουργούνται πολλά προγράμματα παρηγορητικής χρήσης για ένα συγκεκριμένο φάρμακο στα κράτη μέλη.

Οι συστάσεις της CHMP αποσκοπούν στην τυποποίηση των προγραμμάτων παρηγορητικής χρήσης σε ολόκληρη την ΕΕ και μπορούν επίσης να συμβάλλουν στο να γίνουν πιο σαφείς οι όροι των υφιστάμενων προγραμμάτων παρηγορητικής χρήσης. Ωστόσο, οι συστάσεις της CHMP δεν έχουν νομικές επιπτώσεις και εφαρμόζονται μόνο από τα κράτη μέλη που επιθυμούν να τις ακολουθήσουν.

Ο EMA δημοσιεύει έναν κατάλογο με τις γνώμες που εκδίδονται από τη CHMP σχετικά με την παρηγορητική χρήση φαρμάκων στον ιστότοπό του. Το μητρώο αυτό περιλαμβάνει επίσης πληροφορίες σχετικά με τις συστάσεις του οργανισμού, όπως ο τρόπος με τον οποίο πρέπει να χρησιμοποιείται το φάρμακο και σε ποιους ασθενείς.

Εκτός από την παρηγορητική χρήση,

υπάρχουν άλλοι τρόποι απόκτησης φαρμάκων πριν από την έγκρισή τους;

Οι γιατροί μπορούν επίσης να αποκτήσουν ένα υποσχόμενο φάρμακο για έναν ασθενή ζητώντας από τον παρασκευαστή του φαρμάκου να το προμηθεύσει, προκειμένου να χρησιμοποιηθεί σε έναν ασθενή υπό την άμεση ευθύνη του. Αυτό συχνά αποκαλείται θεραπεία σε «ονομαστική βάση» και δεν πρέπει να συγχέεται με τα προγράμματα παρηγορητικής χρήσης. Σε αυτήν την περίπτωση, ο γιατρός που είναι υπεύθυνος για τη θεραπεία θα επικοινωνήσει απευθείας με τον παρασκευαστή. Παρότι οι παρασκευαστές καταγράφουν αυτά που προμηθεύουν, δεν υπάρχει κεντρικό μητρώο των ασθενών που λαμβάνουν τη θεραπεία με αυτόν τον τρόπο.

Μερικές φορές οι ασθενείς μπορούν να ενταχθούν σε «προγράμματα διευρυμένης πρόσβασης». Μια εταιρεία που παρασκευάζει ένα πολλά υποσχόμενο φάρμακο μπορεί να επιλέξει να διεξάγει ένα από αυτά τα προγράμματα για να επιτρέψει την πρόωρη πρόσβαση στο φάρμακό της και να διευρύνει τη χρήση του σε ασθενείς που μπορούν να επωφεληθούν από αυτό. Για παράδειγμα, οι ασθενείς που έχουν λάβει θεραπεία με το φάρμακο κατά τη διάρκεια μιας κλινικής δοκιμής και επιθυμούν να συνεχίσουν τη θεραπεία, μπορεί να έχουν τη δυνατότητα να το κάνουν μέσω ενός προγράμματος διευρυμένης πρόσβασης. Τα προγράμματα αυτά συχνά εγκρίνονται από τις εθνικές αρχές με τον ίδιο τρόπο όπως οι κλινικές δοκιμές, και οι ασθενείς παρακολουθούνται με τον ίδιο τρόπο όπως οι ασθενείς σε μια κλινική δοκιμή.

Ο FDA χρησιμοποιεί τους όρους «διευρυμένη πρόσβαση» και «παρηγορητική χρήση» με εναλλάξιμο τρόπο, κάτι που δεν ισχύει στην Ευρώπη.

Μεγάλο μέρος του παρόντος κειμένου έχει προσαρμοστεί από το κείμενο Ερωτήσεις και απαντήσεις σχετικά με την παρηγορητική χρήση φαρμάκων στην Ευρωπαϊκή Ένωση (Questions and answers on

the compassionate use of medicines in the European Union) ,
την Κατευθυντήρια γραμμή για την παρηγορητική χρήση
φαρμάκων, σύμφωνα με το άρθρο 83 του Κανονισμού (ΕΚ) αριθ.
726/2004 (Guideline on compassionate use of medicinal
products, pursuant to Article 83 of Regulation (EC) No
726/2004) και τον ιστότοπο του EMA.

A2-5.14.2-V1.0