

# Användning av humanitära skäl

## Vad är användning av humanitära skäl?

Begreppet "användning av humanitära skäl" avser särskilda program som inrättas för att ge patienter tillgång till ej godkända läkemedel. Detta kan framför allt vara ett sätt att göra ett lovande, men ännu inte godkänt, läkemedel tillgängligt för patienter som:

- i dagsläget inte kan behandlas på tillfredsställande sätt med godkända läkemedel
- har en sjukdom för vilken det inte finns några godkända läkemedel ännu
- inte kan delta i pågående klinisk prövning.

Alla läkemedel godkänns för ett specifikt användningsområde. När de ordinerar för en annan typ av användning kallas detta "off label"-användning. Den här artikeln handlar om användning av humanitära skäl.

## Vilka läkemedel kan göras tillgängliga genom användning av humanitära skäl?

Program för användning av humanitära skäl ska endast inrättas för läkemedel som förväntas hjälpa patienter med livshotande, kronisk eller allvarligt försvagande sjukdom.

Läkemedel som ingår i program för användning av humanitära skäl har vanligen genomgått tidig klinisk utveckling, inklusive toxikologi- och first-in-human-studier, med goda resultat. Det kan fortfarande finnas osäkerheter kring

läkemedlets säkerhetsprofil och om optimal dos och doseringsschema.

Hur fungerar program för användning av humanitära skäl?

Program för användning av humanitära skäl samordnas och inrättas nationellt. Varje land bestämmer själv hur och när sådana program ska inrättas, i enlighet med nationella lagar och bestämmelser.

Läkare som vill få tillgång till ett lovande läkemedel för patienter med allvarliga sjukdomar måste kontakta relevant nationell myndighet i sitt land och följa motsvarande förfarande. Den nationella myndigheten ska upprätta ett register över patienter som behandlas inom deras program för användning av humanitära skäl, och ha system för att registrera eventuella biverkningar som patienterna eller deras läkare rapporterar.

Hur kan en patient anmäla sig till ett program för användning av humanitära skäl?

För att anmäla sig till ett program för användning av humanitära skäl måste patienter prata med sin läkare. Läkare kan börja med att informera patienten om huruvida det finns en lämplig klinisk prövning i landet som de kan delta i, eftersom läkemedel som ännu inte har godkänts i allmänhet först och främst görs tillgängliga för patienter genom kliniska prövningar. Läkare kan också förklara för patienten hur program för användning av humanitära skäl fungerar i deras land.

I lämpliga fall kan läkaren kontakta den nationella myndighet i landet som ansvarar för programmen för användning av humanitära skäl och ta reda på om det finns något lämpligt program.

# **Vilken uppgift har europeiska läkemedelsverket vid användning av humanitära skäl?**

Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) kan ge rekommendationer till EU:s samtliga medlemsstater avseende administrering, distribution och användning av vissa läkemedel som används av humanitära skäl. Kommittén avgör också vilken patientpopulation som kan behandlas via ett program för användning av humanitära skäl.

CHMP kan lämna dessa rekommendationer efter förfrågan från en medlemsstat. Den kan också ge dessa rekommendationer om de får information om att man håller på att upprätta ett antal program för användning av humanitära skäl med ett specifikt läkemedel i medlemsstater.

Syftet med rekommendationerna från CHMP är att standardisera program för användning av humanitära skäl inom hela EU. Rekommendationerna kan också bidra till att tydliggöra villkoren för befintliga program för användning av humanitära skäl. CHMP:s rekommendationer är dock inte rättsligt bindande och införlivas enbart av de medlemsstater som vill.

EMA publicerar en lista på sin webbplats över yttranden som CHMP utarbetat avseende användning av läkemedel av humanitära skäl. Denna förteckning innehåller även information om europeiska läkemedelsmyndighetens rekommendationer, t.ex. om hur läkemedlet ska användas och på vilka patienter.

## **Finns det några andra sätt att få tillgång till läkemedel innan de har godkänts utöver användning av**

# humanitära skäl?

Läkare kan också erhålla ett lovande läkemedel för en patient genom att begära en sats av ett läkemedel från tillverkaren för användning under deras direkta ansvar. Detta kallas ofta behandling som avser en namngiven patient och ska inte blandas ihop med program för användning av humanitära skäl. I detta fall ska läkaren som ansvarar för behandlingen kontakta tillverkaren direkt. Tillverkarna registrerar vad de levererar, men det finns inget centralt register över patienter som mottar behandling på detta sätt.

I vissa fall kan patienter delta i ett program för utökad tillgång (EPA, Expanded Access Programme). Ett företag som tillverkar ett lovande läkemedel kan välja att inrätta ett av dessa program för att erbjuda tidig tillgång till dess läkemedel och för att utöka dess användning till patienter som kan gynnas av det. Till exempel kan patienter som har behandlats med läkemedlet under en klinisk prövning och som vill fortsätta behandlingen göra det genom ett program för utökad tillgång. Dessa program godkänns ofta av de nationella myndigheterna på samma sätt som kliniska prövningar, och patienter övervakas på samma sätt som patienter som deltar i kliniska prövningar.

FDA använder begreppen "utökad tillgång" och "användning av humanitära skäl" utan åtskillnad. Så är inte fallet i Europa.

En stor del av denna text har hämtats från EMA:s frågor och svar om användning av läkemedel av humanitära skäl inom EU, dokumentet Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to Article 83 of Regulation (EC) No 726/2004 och EMA:s webbplats.

A2-5.14.2-V1.0