

# Compassionate Use

## Was ist Compassionate Use?

Der Begriff „Compassionate Use“ (etwa: „mitfühlende Anwendung“) bezeichnet spezielle Programme, in denen Patienten Arzneimittel erhalten können, die nicht für den allgemeinen Markt zugelassen sind. Im Deutschen spricht man auch von einer „Härtefallregelung“. Dies kann insbesondere ein Weg sein, ein vielversprechendes, aber noch nicht zugelassenes Arzneimittel für Patienten verfügbar zu machen, die

- mit zugelassenen Arzneimitteln derzeit nicht zufriedenstellend behandelbar sind,
- eine Erkrankung haben, gegen die noch gar kein Arzneimittel zugelassen wurde,
- nicht an einer aktuellen klinischen Studie teilnehmen können.

Alle Arzneimittel sind für eine bestimmte Anwendung zugelassen. Wird ein Arzneimittel für eine nicht zugelassene Anwendung verschrieben, nennt man dies „Off-Label Use“. Dieser Artikel befasst sich mit „Compassionate Use“.

## Welche Arzneimittel können über „Compassionate Use“ zugänglich gemacht werden?

Compassionate-Use-Programme dürfen nur für Arzneimittel eingerichtet werden, von denen man sich einen Nutzen für Patienten mit lebensbedrohlichen, langwierigen oder zu schweren Behinderungen führenden Erkrankungen erhofft.

Arzneimittel in Compassionate-Use-Programmen sind im Allgemeinen solche, die bereits erfolgreich in der frühen

klinischen Entwicklung getestet wurden, einschließlich toxikologischer Studien und erster Anwendung am Menschen. Dabei können möglicherweise noch Fragen über das Sicherheitsprofil des Arzneimittels und Unsicherheiten über die optimale Dosis und das Dosierungsschema bestehen.

Wie funktionieren Compassionate-Use-Programme?

Compassionate-Use-Programme werden auf nationaler Ebene koordiniert und eingerichtet. Die einzelnen Länder entscheiden im Rahmen ihrer Verordnungen und Gesetze unabhängig darüber, wie und wann solche Programme eingerichtet werden.

Ärzte, die ein vielversprechendes Arzneimittel für schwer kranke Patienten erhalten möchten, müssen sich an die zuständige nationale Behörde in ihrem Land wenden und das entsprechende Verfahren einhalten. Die nationale Behörde führt ein Verzeichnis der Patienten in ihren Compassionate-Use-Programmen, und es gibt Systeme zur Erfassung von eventuell durch die Patienten oder ihre Ärzte gemeldeten Nebenwirkungen.

Wie kann ein Patient an einem Compassionate-Use-Programm teilnehmen?

Um in ein Compassionate-Use-Programm zu gelangen, muss ein Patient mit seinem Arzt sprechen. Der Arzt wird seinen Patienten möglicherweise zunächst darüber beraten, ob es in seinem Land eine geeignete klinische Studie gibt, an der er teilnehmen kann, denn bisher noch nicht zugelassene Arzneimittel werden Patienten üblicherweise zuerst über klinische Studien zur Verfügung gestellt. Der Arzt berät seinen Patienten möglicherweise auch darüber, wie Compassionate-Use-Programme in dem jeweiligen Land funktionieren.

Gegebenenfalls kann der Arzt bei der zuständigen nationalen Behörde nachfragen, ob ein geeignetes Compassionate-Use-Programm in dem Land zur Verfügung steht.

# **Welche Rolle hat die Europäische Arzneimittel-Agentur im Bereich Compassionate Use?**

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) kann Empfehlungen an alle EU-Mitgliedstaaten zur Verabreichung, Verteilung und Anwendung bestimmter Arzneimittel über Compassionate Use aussprechen. Er ermittelt auch, welche Patienten einen Nutzen von Compassionate-Use-Programmen haben könnten.

Der CHMP kann diese Empfehlungen auf Anfrage eines Mitgliedstaats aussprechen. Er kann diese Empfehlungen auch aussprechen, wenn ihm zur Kenntnis gelangt, dass in Mitgliedstaaten mehrere Compassionate-Use-Programme mit einem bestimmten Arzneimittel eingerichtet werden.

Die Empfehlungen des CHMP haben zum Ziel, Compassionate-Use-Programme EU-weit zu standardisieren und können auch dazu beitragen, die Bedingungen vorhandener Compassionate-Use-Programme zu verdeutlichen. Die CHMP-Empfehlungen sind jedoch nicht rechtlich bindend und werden nur von denjenigen Mitgliedstaaten umgesetzt, die sich nach ihnen richten möchten.

Die EMA veröffentlicht auf ihrer Website eine Liste von Stellungnahmen, die der CHMP über Compassionate Use von Arzneimittel abgegeben hat. Dieses Verzeichnis beinhaltet auch Informationen über die Empfehlungen der Agentur, ob und bei welchen Patienten das Arzneimittel verwendet werden soll.

## **Gib es neben Compassionate Use noch andere Wege, Arzneimittel vor deren**

# Zulassung zu erhalten?

Ärzte können ein vielversprechendes Arzneimittel auch auf individueller Basis für einen einzelnen Patienten erhalten, indem sie es vom Hersteller anfordern und für diesen Patienten in ihrer eigenen unmittelbaren Verantwortung anwenden. Diese Behandlung auf individueller Basis wird oft als „individueller Heilversuch“ bezeichnet und darf nicht mit Compassionate-Use-Programmen verwechselt werden. In diesem Fall nimmt der für die Behandlung verantwortliche Arzt direkt Kontakt mit dem Hersteller auf. Der Hersteller führt zwar Buch über die ausgelieferten Arzneimittel, es gibt aber kein zentrales Verzeichnis der so behandelten Patienten.

Manchmal können Patienten in „Expanded-Access-Programme“ (etwa: Programm für erweiterten Zugang) eintreten. Ein Hersteller eines vielversprechenden Arzneimittels kann ein solches Programm einrichten, um einen frühzeitigen Zugang zu seinem Arzneimittel zu ermöglichen und dessen Anwendung auf Patienten zu erweitern, die einen Nutzen davon haben können. So könnten beispielsweise Patienten, die das Arzneimittel im Rahmen einer klinischen Studie erhalten haben und die Behandlung fortsetzen möchten, diese Möglichkeit in einem Expanded-Access-Programm erhalten. Diese Programme werden von den nationalen Behörden oftmals auf dieselbe Weise genehmigt wie klinische Studien, und die Patienten werden auf dieselbe Weise beobachtet wie in klinischen Studien.

Die US-amerikanische Gesundheitsbehörde FDA verwendet die Bezeichnungen „expanded access“ und „compassionate use“ gleichbedeutend. Dies ist in Europa nicht so.

Ein großer Teil dieses Artikels basiert auf der EMA-Leitlinie Questions and answers on the compassionate use of medicines in the European Union zu Fragen des „Compassionate Use“ von Arzneimitteln in der EU gemäß Artikel 83 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 und der EMA-Website.

A2-5.14.2-V1.0