

Uso compasivo

¿Qué es el uso compasivo?

El término “uso compasivo” se refiere a programas especiales diseñados para poner medicamentos no autorizados a disposición de los pacientes. En concreto, puede ser una forma de hacer que un medicamento prometedor pero aún no autorizado esté a disposición de los pacientes que:

- actualmente no pueden ser tratados satisfactoriamente con medicamentos autorizados;
- tienen una enfermedad para la que no se ha autorizado ningún medicamento todavía;
- no pueden participar en ningún ensayo clínico en curso.

Todos los medicamentos están autorizados para un uso específico. Cuando se prescriben para usarlos de una forma diferente, nos encontramos ante un “uso no contemplado”. En este artículo se analiza el uso compasivo.

¿Qué medicamentos pueden estar disponibles para uso compasivo?

Los programas de uso compasivo deben implantarse solo para medicamentos que se espera que ayuden a los pacientes que tienen enfermedades que ponen en peligro su vida, son de larga duración o son seriamente discapacitantes.

En general, los medicamentos de los programas de uso compasivo habrán superado satisfactoriamente el desarrollo clínico inicial, incluidos los estudios de toxicología y los ensayos iniciales en humanos. Puede haber todavía algunas cuestiones pendientes sobre el perfil de seguridad del medicamento, así como poca certeza sobre la dosis y el programa de dosificación

óptimos.

¿Cómo funcionan los programas de uso compasivo?

Los programas de uso compasivo se coordinan e implantan a nivel nacional, y cada país decide cómo y cuándo abrir tales programas, de acuerdo con las normas y leyes locales.

Los médicos que desean conseguir un medicamento prometedor para tratar pacientes gravemente enfermos deben ponerse en contacto con la autoridad pertinente de su país y seguir el procedimiento correspondiente. La autoridad nacional mantiene un registro de los pacientes tratados en sus programas de uso compasivo, y existen sistemas para registrar los efectos secundarios notificados por los pacientes o sus doctores.

¿Cómo puede un paciente entrar en un programa de uso compasivo?

Para entrar en un programa de uso compasivo, los pacientes deben hablar con su médico. En primer lugar, los médicos deben aconsejar al paciente si hay un ensayo clínico adecuado en su país en el que pueda participar, ya que los medicamentos no autorizados primero se ponen a disposición de los pacientes a través de ensayos clínicos. Los médicos también pueden explicar al paciente el funcionamiento de los programas de uso compasivo en su país.

Si es conveniente, el médico puede hablar con la autoridad nacional responsable de los programas de uso compasivo de su país y averiguar si hay alguno disponible.

¿Cuál es el papel de la Agencia Europea de Medicamentos en el uso compasivo?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia

Europea de Medicamentos (EMA) puede aconsejar a todos los países miembros de la UE sobre la administración, la distribución y el uso de ciertos medicamentos de uso compasivo. También identifica qué pacientes se pueden beneficiar de los programas de uso compasivo.

El CHMP puede ofrecer estas recomendaciones a petición de un estado miembro. También puede ofrecerlas cuando es consciente de que se están organizando varios programas de uso compasivo con cierto medicamento en los estados miembro.

Las recomendaciones del CHMP tienen el objeto de normalizar los programas de uso compasivo en toda la UE y también pueden ayudar a que se entiendan mejor las condiciones de los programas de uso compasivo existentes. Sin embargo, las recomendaciones del CHMP no tienen ninguna vinculación legal y solo las aplican los estados miembro que desean seguirlas.

La EMA publica una lista con las opiniones adoptadas por el CHMP sobre el uso compasivo de medicamentos en su sitio web. Este registro también incluye información sobre las recomendaciones de la Agencia, como el modo en que se debe usar un medicamento y en qué pacientes.

Aparte del uso compasivo, ¿hay alguna otra forma de obtener medicamentos antes de su autorización?

Los médicos también pueden obtener un medicamento prometedor para un paciente si solicitan un lote a su fabricante para usarlo bajo su responsabilidad directa. A menudo esto se conoce como tratamiento para “pacientes determinados” y no se debe confundir con los programas de uso compasivo. En este caso, el médico responsable del tratamiento se pondrá en contacto directamente con el fabricante. Aunque los

fabricantes registran lo que suministran, no hay ningún registro central de los pacientes que reciben tratamiento de esta forma.

A veces los pacientes pueden entrar en programas de “autorización temporal”. Una compañía que fabrica un medicamento prometedor puede optar por activar uno de estos programas para permitir el acceso anticipado a su medicamento y ampliar su uso a pacientes que se pueden beneficiar del mismo. Por ejemplo, los pacientes que hayan sido tratados con el medicamento durante un ensayo clínico y deseen continuar con el tratamiento, pueden hacerlo a través de un programa de autorización temporal. Estos programas suelen tener la autorización de las autoridades nacionales del mismo modo que los ensayos clínicos, y el seguimiento de los pacientes es igual al de los participantes en dichos ensayos.

La FDA usa los términos “autorización temporal” y “uso compasivo” indistintamente, pero este no es el caso en Europa.

Una gran parte de este texto es una adaptación de las preguntas y respuestas sobre el uso compasivo de medicamentos en la Unión Europea de la EMA, el documento Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to Article 83 of Regulation (EC) No 726/2004 y el sitio web.

A2-5.14.2-V1.0