

Uso compassionevole

Cos'è l'uso compassionevole?

Il termine “uso compassionevole” si riferisce a speciali programmi stabiliti per rendere farmaci non autorizzati disponibili per i pazienti. In particolare, può essere un modo per rendere disponibile un farmaco promettente ma non ancora autorizzato ai seguenti tipi di pazienti:

- Pazienti che attualmente non possono essere trattati in modo soddisfacente con i farmaci autorizzati
- Pazienti con una malattia per cui non è stata autorizzato finora alcun farmaco
- Pazienti che non possono arruolarsi in uno studio clinico in corso.

Tutti i farmaci vengono autorizzati per un uso specifico. Quando vengono prescritti per un uso di tipo diverso, si chiama uso “off-label” (“fuori dalle modalità autorizzate”). Il presente articolo si occupa dell'uso compassionevole.

Quali farmaci possono essere disponibili tramite l'uso compassionevole?

I programmi per l'uso compassionevole devono essere fissati per medicinali che si prevede aiutino pazienti con malattie gravemente disabilitanti di lunga durata e pericolose per la vita.

I farmaci utilizzati nei programmi per l'uso compassionevole generalmente dovranno avere avuto risultati positivi nello sviluppo clinico iniziale, compresi gli studi di tossicologia e gli studi iniziali in esseri umani. Potrebbe esserci ancora

qualche quesito in relazione al profilo di sicurezza del farmaco e incertezze riguardo il dosaggio e il programma di dosaggio ottimali.

Come funzionano i programmi per l'uso compassionevole?

I programmi per l'uso compassionevole sono coordinati e implementati a livello nazionale, dove si decide indipendentemente in che modo e dove aprire tali programmi, secondo le norme e la legislazione nazionale.

I medici che desiderano ottenere un farmaco promettente per pazienti gravemente ammalati devono contattare il relativo ente nazionale del rispettivo paese e seguire le corrispondenti procedure. L'autorità nazionale conserva un registro di pazienti trattati entro i suoi programmi per l'uso compassionevole e sono presenti sistemi per la registrazione di eventuali effetti collaterali riferiti dai pazienti o dai loro medici.

In che modo partecipare a un programma per l'uso compassionevole?

Al fine di partecipare a un programma per l'uso compassionevole di farmaci, i pazienti devono rivolgersi al proprio medico. I medici possono prima di tutto offrire raccomandazioni riguardo all'eventualità di uno studio clinico adatto nel proprio paese in cui possano arruolarsi, poiché i farmaci che non sono stati ancora autorizzati vengono di solito resi disponibili ai pazienti mediante gli studi clinici. I medici possono inoltre consigliare i pazienti su come funzionano i programmi per l'uso compassionevole nei loro paesi.

Se appropriato, il medico può rivolgersi all'autorità nazionale responsabile per i programmi per l'uso compassionevole dei farmaci nel loro paese e scoprire se è disponibile un programma del genere idoneo.

Qual è il ruolo dell'Agenzia europea per i medicinali nell'uso compassionevole dei farmaci?

Il Comitato per i prodotti medicinali per uso umano (Committee Products for Human Use, CHMP) dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) può fornire raccomandazioni a tutti gli Stati membri dell'UE riguardo alla somministrazione, distribuzione e utilizzo di certi farmaci nell'ambito dell'uso compassionevole. Inoltre individua quali pazienti possono trarre benefici da programmi per l'uso compassionevole.

Il CHMP può fornire tali raccomandazioni su richiesta di uno Stato membro. Può inoltre fornire tali raccomandazioni quando viene a conoscenza che è in corso di organizzazione una serie di programmi per l'uso compassionevole con un dato farmaco negli Stati membri.

Le raccomandazioni da parte del CHMP hanno come fine di standardizzare i programmi per l'uso compassionevole in tutta l'UE e può anche aiutare a rendere più chiare le condizioni dei programmi per l'uso compassionevole esistenti. Tuttavia, le raccomandazioni non hanno alcuna implicazione a livello legale e sono applicate solo dagli Stati membri che desiderano seguirle.

L'EMA pubblica sul suo sito web un elenco di opinioni adottate dal CHMP sull'uso compassionevole di farmaci. Tale registro contiene inoltre informazioni sulle raccomandazioni dell'agenzia, ad esempio su come utilizzare un medicinale e in quali pazienti.

A parte l'uso compassionevole, vi

sono eventuali altri modi per ottenere i farmaci prima dell'autorizzazione?

I medici possono anche ottenere un farmaco promettente per un paziente richiedendo una fornitura del farmaco da un fabbricante, affinché sia utilizzato per il paziente stesso sotto la sua immediata responsabilità. Spesso questo viene chiamato trattamento sulla “base del singolo paziente” (“named-patient basis”) e non deve essere confuso con programmi per l'uso compassionevole. In tal caso, il medico responsabile per il trattamento contatterà direttamente il fabbricante. Mentre i fabbricanti registrano le loro forniture, non esiste un registro centrale per i pazienti che ricevano un trattamento in questo modo.

A volte i pazienti possono partecipare a “programmi di accesso allargati”. Un'azienda che produce un farmaco promettente può scegliere di condurre un programma di questo tipo per consentire l'accesso anticipato al proprio farmaco e per ampliare il suo uso a pazienti che possano beneficiarne. Ad esempio, pazienti che sono stati trattati con il farmaco nel corso di uno studio clinico e desiderino proseguirlo potrebbero essere in grado di farlo tramite un programma di accesso allargato. Questi programmi sono spesso autorizzati dalle autorità nazionali allo stesso modo degli studi clinici e i pazienti vengono seguiti allo stesso modo dei pazienti in uno studio clinico.

L'agenzia per i farmaci e gli alimenti (Food and Drug Administration, FDA) degli Stati Uniti utilizza i termini “accesso allargato” e “uso compassionevole” in modo intercambiabile, e questo non succede in Europa.

Molta parte di questo testo è stata adattata da Domande e

risposte sull'uso compassionevole dei farmaci nell'Unione Europea, Linea guida sull'uso compassionevole dei prodotti medicinali, in conformità all'Art. 83 del regolamento (CE) N. 726/2004, e il sito web dell'EMA.

A2-5.14.2-V1.0