

# Zastosowanie leku ze względów humanitarnych

## Czym jest zastosowanie leku ze względów humanitarnych?

Termin „zastosowanie leku ze względów humanitarnych” odnosi się do specjalnych programów prowadzonych w celu udostępnienia pacjentom leków, na które nie wydano pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. W szczególności może być to sposób na udostępnienie leków, na które jeszcze nie wydano pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, pacjentom:

- u których obecna terapia z wykorzystaniem leków z pozwoleniem na dopuszczenie do obrotu nie przynosi zadowalających efektów,
- którzy cierpią na chorobę, na którą nie ma jeszcze leku z pozwoleniem na dopuszczenie do obrotu,
- nie mogą zapisać się do trwających już badań klinicznych.

Na wszystkie leki pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydaje się na określone zastosowanie. Jeśli są przepisywane do innego zastosowania, mówi się, że jest to zastosowanie niezgodne ze wskazaniami. Niniejszy artykuł dotyczy zastosowania leku ze względów humanitarnych.

## Które leki można udostępniać w ramach zastosowanie leku ze względów humanitarnych?

Programy stosowania leków ze względów humanitarnych powinny być wdrażany tylko dla leków, które według przewidywań mają

pomóc pacjentom z cierpiącym na choroby zagrażające życiu, długotrwałe lub poważne.

Aby dany lek mógł zostać użyty w programie stosowania leków ze względów humanitarnych, musi on najpierw pomyślnie przejść przez wczesne stadium opracowywania klinicznego, w tym badania toksykologiczne i pierwsze badania na ludziach. Wciąż mogą być wątpliwości co do profilu bezpieczeństwa leku i optymalnej dawki czy harmonogramu dawkowania.

Jak działają programy zastosowanie leku ze względów humanitarnych?

Programy zastosowanie leku ze względów humanitarnych są koordynowane i wdrażane na poziomie krajowym. Tutaj, zgodnie z krajowymi przepisami, podejmuje się niezależne decyzje, jak i kiedy rozpocząć takie programy.

Lekarze, którzy chcą udostępnić obiecujący lek osobom poważnie chorym, muszą skontaktować się z odpowiednim organem krajowym we własnym kraju i postępować zgodnie z odpowiednią procedurą. Organ krajowy prowadzi rejestr pacjentów leczonych w ramach programu zastosowania leku ze względów humanitarnych. Prowadzone są także rejestry wszelkich działań niepożądanych zgłaszanych przez pacjentów lub ich lekarzy.

W jaki sposób pacjent może zostać objęty programem zastosowania leku ze względów humanitarnych?

Aby zostać objętym programem zastosowania leku ze względów humanitarnych, pacjenci muszą poprosić o to swojego lekarza. Lekarze mogą najpierw udzielić informacji, czy w kraju pacjenta prowadzone są takie badania kliniczne, do których pacjent mógłby się zapisać, bo leki, które nie mają jeszcze pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, są ogólnie udostępniane pacjentom najpierw w ramach badań klinicznych. Lekarze mogą także udzielić pacjentowi informacji na temat sposobu działania programów stosowania leków ze względów humanitarnych w jego kraju.

W uzasadnionych sytuacjach lekarz może porozmawiać z organem krajowym odpowiadającym za programy stosowania leków ze względów w ich kraju i dowiedzieć się, czy istnieje odpowiadający program.

## **Jaka jest rola Europejskiej Agencji Leków w zastosowaniu leku ze względów humanitarnych?**

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi Europejskiej Agencji Leków (ang. Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) może wydawać zalecenia wszystkim państwom członkowskim UE w zakresie administracji, dystrybucji i stosowania określonych leków w celach związanych z zastosowań ze względów humanitarnych. Komitet ten wskazuje także, którym pacjentom programy zastosowania leku ze względów humanitarnych mogą przynieść korzyści.

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi może przekazać zalecenia na wniosek państwa członkowskiego. Może także to robić, jeśli dowiaduje się, że w państwach członkowskich przystępuje się do określonej liczby programów zastosowania leku ze względów humanitarnych z wykorzystaniem danego leku.

Zalecenia od Komitetu ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi mają na celu ustandaryzować programy stosowania leków ze względów humanitarnych w UE i mogą także sprawić, że warunki realizacji takich programów będą bardziej przejrzyste. Niemniej zalecenia Komitetu ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi nie mają implikacji prawnych i są przestrzegane wyłącznie przez te państwa członkowskie, które chcą ich przestrzegać.

EMA publikuje listę opinii Komitetu ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi na temat stosowania leków ze względów

humanitarnych na swojej witrynie internetowej. Ten rejestr zawiera także informacje na temat zaleceń Agencji, takich jak zalecenia dotyczące tego, czy lek powinien być stosowany, a jeśli tak, to u których pacjentów.

## **Czy oprócz zastosowania leku ze względów humanitarnych istnieją inne sposoby uzyskiwania dostępu do leków przed wydaniem na nie pozwolenia?**

Lekarze mogą także udostępnić obiecujący lek pacjentom poprzez zawnioskowanie o dostawę leku od producenta z przeznaczeniem do zastosowania u pacjenta na ich własną odpowiedzialność. Taka procedura nazywana jest często udostępnianiem leku „na zamówienie imienne” i nie należy jej mylić z programami zastosowania leku ze względów humanitarnych. W tym przypadku lekarz odpowiedzialny za leczenie kontaktuje się z producentem bezpośrednio. Podczas gdy producenci prowadzą rejestry dostaw, nie ma żadnego centralnego rejestru pacjentów otrzymujących dostęp do leczenia tym sposobem.

Niekiedy pacjenci mogą zostać objęci „programami rozszerzonego dostępu”. Firma produkująca obiecujący lek może podjąć decyzję o rozpoczęciu jednego z takich programów, aby umożliwić wczesny dostęp do ich leku i rozszerzyć jego zastosowanie na pacjentów, którzy mogą na tym skorzystać. Na przykład pacjenci, którzy byli poddawani kuracji danym lekiem w ramach badań klinicznych i chcą kontynuować leczenie, mogą to zrobić w ramach programu rozszerzonego dostępu. Na takie programy czasami pozwolenie wydają organy krajowe w taki sam sposób, jak w przypadku badań klinicznych, a pacjenci są monitorowani w ten sam sposób, jak w badaniach klinicznych.

Amerykańska Agencja Żywności i Leków używa terminów

„rozszerzony dostęp” i „zastosowanie leku ze względów humanitarnych” wymiennie, jednak w Europie jest inaczej.

Znaczna część niniejszego tekstu pochodzi z pytań i odpowiedzi na temat zastosowania leku ze względów humanitarnych w Unii Europejskiej EMA, Wytycznych na temat zastosowania produktów leczniczych ze względów humanitarnych, zgodnie z artykułem 83 rozporządzenia (WE) nr 726/2004 i witryny internetowej.

A2-5.14.2-V1.0