

Modello di percorso regionale unificato per accesso all'uso Compassionevole di medicinali

VALUTAZIONE COMITATO ETICO (CE)

Rispetto a quanto stabilito per la richiesta di attivazione di uno studio, le richieste di parere di utilizzo di un medicinale al di fuori di una sperimentazione clinica o per uso compassionevole (*secondo quanto stabilito dal D.M. 08.05.2003*) vengono valutati dal CE anche al di fuori della seduta.

La valutazione infatti viene fatta in via preliminare da un gruppo ristretto del CE nell'arco di (72 ore circa) dalla ricezione della richiesta.

Il parere formulato dai componenti designati dell'istruttoria costituisce un Parere urgente che viene ratificato, da parte del CE, nella prima seduta utile.

- **DEFINIZIONE GRUPPO RISTRETTO**: La scelta del gruppo di valutazione è effettuata sulla base della specificità della richiesta, tenendo conto che in tutti i casi è necessario il parere del farmacologo. Pertanto il gruppo Ristretto del CE risulta così composto:
 - 1) Farmacologo
 - 2) Specialista del settore (1° Opzione: un membro di CE se presente come specialità. 2° opzione: uno specialista del Settore individuato da Segreteria CE)
 - 3) Bioeticista
- **MODALITA' OPERATIVE DEL GRUPPO RISTRETTO**: il Gruppo ristretto può operare anche attraverso la circolazione di documenti per via elettronica senza necessità di un incontro fisico (comunque pianificabile in situazioni particolari).

PROCEDURA DI ATTIVAZIONE DELLA RICHIESTA

La richiesta di autorizzazione all'uso del medicinale per "uso compassionevole" **E' POSSIBILE SOLO** quando vengono rispettati queste condizioni:

- 1) il medicinale è già oggetto, nella medesima specifica indicazione terapeutica, di studi clinici sperimentali in corso o conclusi di fase III o solo nei casi particolari di condizioni di malattia che pongono il paziente in pericolo di vita, di studi clinici già conclusi di fase II
 - 2) i dati disponibili di tali studi siano sufficienti per formulare un parere favorevole sia sull'efficacia sia sulla tollerabilità del medicinale
- **LA RICHIESTA PUO' RIGUARDARE:**
 - 1) un singolo paziente NON trattato in studi clinici
 - 2) pazienti che hanno precedentemente partecipato a una sperimentazione clinica che ha dimostrato un profilo di efficacia e tollerabilità tale da richiederne il proseguimento del trattamento
 - **LA RICHIESTA PUO' ESSERE FATTA:**
 - 1) da un singolo medico

- 2) da medici operanti in diversi centri o gruppi collaborativi

N. DEI PAZIENTI CHE POSSONO ACCEDERE AL PROGRAMMA DI USO COMPASSIONEVOL

LA DIRETTIVA DEL dm 8.5.2003 NON indica un numero limite, e l'inserimento di nuovi pazienti nel protocollo è possibile fino a che il medicinale non diventi disponibile sul mercato.

DOCUMENTAZIONE RICHIESTA A SUPPORTO DELLA RICHIESTA:

- 1) Domanda di autorizzazione sottoscritta dal Direttore dell'Unità Operativa e da medico responsabile del trattamento del/dei paziente/i (Vedi Facsimile allegato)
- 2) Modulo di Assunzione di Responsabilità - Uso compassionevole- sottoscritto dal medico responsabile del trattamento del/i paziente/i (Vedi Facsimile allegato)
- 3) Letteratura che riporti studi clinici di fase III conclusi o in corso o, in casi particolari di malattia che pongono il paziente in pericolo di vita, studi clinici di fase II conclusi, in cui sia stato somministrato il farmaco in oggetto a pazienti simili a quelli cui si intende somministrare lo stesso farmaco
- 4) modalità d'impiego del farmaco (posologia e durata della terapia)
- 5) Foglio informativo e consenso informato ad hoc per il paziente con data e numero di versione
- 6) Lettera informativa per il Medico Curante
- 7) Dichiarazione della fornitura gratuita del farmaco da parte dell'impresa autorizzata*
- 8) Relazione clinica del paziente con indicate le motivazioni che hanno portato alla richiesta
- 9) Scheda tecnica o Investigator's Brochure del medicinale oggetto della richiesta

Per richieste successive di inserimento di pazienti nel protocollo è consentito far riferimento alla documentazione i cui ai punti 3),4),7) e 9) già presentata dallo sperimentatore, purchè risalente entro i tre anni precedenti.

La documentazione (sottolineata) indicata ai punti 1) 2) 5), 6) e 8) deve invece sempre essere presentata.

***FORNITURA DEL FARMACO**

Nella dichiarazione di fornitura del farmaco da parte dell'impresa autorizzata vanno identificate le seguenti tipologie:

- *In caso di cicli di terapia "definiti" nel tempo l'impresa si impegna a fornire in farmaco per TUTTA la durata della terapia prevista, indipendentemente dall'immissione nel mercato del farmaco*
- *In caso di cicli di terapia "definiti" nel tempo l'impresa si impegna a fornire in farmaco solo fino all'immissione nel mercato dello stesso*
- *In caso di cicli di terapia "cronica" l'impresa si impegna a fornire in farmaco fino all'immissione nel mercato dello stesso*

NOTIFICA AD AIFA

Trattandosi di procedura d'urgenza possono essere applicate le seguenti modalità di notifica:

- 1) Notifica contestuale della richiesta ad AIFA e al CE di riferimento
- 2) Notifica ad AIFA inviata all'ottenimento del Parere Preliminare del Gruppo Ristretto del CE

3) Notifica ad AIFA inviata all'ottenimento del Parere Definitivo del CE

NB: la terza modalità appare la più pratica, evitando la moltiplicazione di passaggi di documenti "temporanei"

Ciascuna Azienda Ospedaliera definisce le competenze di notifica ad AIFA: si raccomanda di centralizzare i processi di notifica ai CE, piuttosto che in capo ai singoli sanitari, per uniformità procedurali

FARMACOVIGILANZA

- I medici sono tenuti a segnalare al Responsabile di Farmacovigilanza (RFV) della struttura di loro appartenenza e al Comitato Etico competente qualsiasi sospetta reazione avversa a un medicinale durante l'uso compassionevole.
- Può essere utilizzata la scheda ministeriale "scheda cartacea" oppure il modello elettronico (denominato "scheda elettronica")
- Successivamente il RFV notifica la segnalazione all'AIFA e all'Azienda che ha fornito il medicinale per l'uso compassionevole secondo le modalità stabilite dalla normativa vigente ovvero:
 - 1) Se il farmaco ha già una AIC, la segnalazione viene inserita nella Rete Nazionale di Farmacovigilanza indicando che si tratta di "uso compassionevole". L'azienda farmaceutica viene informata della segnalazione in automatico tramite la RNF.
 - 2) Se il farmaco non ha alcuna AIC, la notifica all'AIFA dovrà avvenire tramite invio della segnalazione per fax allo 06 5978 4142 indicando che si tratta di un "uso compassionevole". Copia della segnalazione deve essere inviata all'azienda farmaceutica specificando che la segnalazione è già stata inoltrata all'AIFA.

DA STAMPARE SU CARTA INTESATA DELLA STRUTTURA DI APPARTENENZA

**ASSUNZIONE DI RESPONSABILITÀ –USO COMPASSIONEVOL- USO TERAPEUTICO DI
MEDICINALE SOTTOPOSTO A SPERIMENTAZIONE CLINICA (D.M. 8 maggio 2003)**

Protocollo :

.....
.....

Farmaco

.....**Ditta:**.....

Il sottoscritto, secondo quanto previsto dalla normativa,

DICHIARA, in particolare, ***CHE***

- il medicinale viene utilizzato in una situazione clinica (patologia grave, malattia rara o condizione di malattia che ponga il paziente in pericolo di vita) per la quale non esiste valida alternativa terapeutica;
- per il medicinale esistono studi clinici sperimentali conclusi o in corso di fase III, o studi conclusi di fase II solo nel caso si tratti di malattia che ponga il paziente in pericolo di vita;
- i dati disponibili di cui al punto 2) sono sufficienti per formulare un giudizio favorevole sull'efficacia e la tollerabilità del medicinale;
- al suo impiego partecipano esclusivamente pazienti comparabili a quelli arruolati negli studi clinici di cui al p.to 2), comprese l'indicazione terapeutica e lo stadio di malattia;
- si assume la responsabilità del trattamento secondo protocollo;
- si impegna a comunicare tempestivamente il nominativo di successivi pazienti che riceveranno il farmaco nell'ambito dello stesso protocollo al fine che possa essere autorizzato dal CE;
- il/i paziente/i verranno adeguatamente informati su potenziali benefici e rischi del trattamento;
- il farmaco verrà fornito gratuitamente dalla ditta produttrice

Si allega la scheda informativa che verrà fornita al paziente e il relativo modulo di consenso

Firma

Data

DA STAMPARE SU CARTA INTESATA DELLA STRUTTURA DI APPARTENENZA

**RICHIESTA DI AUTORIZZAZIONE ALL'USO TERAPEUTICO DI MEDICINALE
SOTTOPOSTO A SPERIMENTAZIONE CLINICA**

Io sottoscritto/a.....Direttore della USC
dell'Ente
chiedo l'autorizzazione all'utilizzo al di fuori della sperimentazione clinica del medicinale
.....per il/dei paziente/i nato/i il affetto/i da
.....
.....

Dichiaro che:

1) il medicinale è già oggetto, nella medesima specifica indicazione terapeutica, di studi clinici sperimentali (*indicare quali o allegare*)

in corso o conclusi di fase III
.....
.....

già conclusi di fase II (solo nei casi particolari di condizioni di malattia che pongono il paziente in pericolo di vita)
.....
.....

2) non esiste valida alternativa terapeutica;

3) la terapia avrà la durata di e avverrà sotto la responsabilità del Dott. (*se diverso dal richiedente*)

Si allegano alla seguente domanda:

- a. Modulo di Assunzione di Responsabilità – Uso compassionevole-([Mod09IO01PSp01CERicerca](#));
- b. Foglio informativo e consenso informato versione ;
- c. Dichiarazione della fornitura gratuita del farmaco da parte dell'impresa autorizzata;
- d. Protocollo d'uso;
- e. Relazione clinica del paziente;
- f. Lettera informativa Medico curante
- g. Dati di letteratura a supporto
- h. altro (specificare)

luogo e data,

Il Direttore USC/ USSD

Il Medico Responsabile del trattamento del paziente