

Procedura per la richiesta uso terapeutico di farmaco sottoposto a sperimentazione
Uso compassionevole o Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica.
(DM 8 maggio 2003)

Definizione:

Un medicinale prodotto in stabilimento farmaceutico, privo dell'autorizzazione può essere richiesto all'impresa produttrice per uso al di fuori della sperimentazione clinica quando non esista valida alternativa terapeutica per il trattamento di patologie gravi, o di malattie rare o di condizioni di malattia che pongono il paziente in pericolo di vita.

Requisiti necessari per la richiesta:

L'autorizzazione all'uso del medicinale può essere rilasciata soltanto qualora ricorrano le seguenti condizioni: il medicinale sia già oggetto, nella medesima specifica indicazione terapeutica, di studi clinici sperimentali, conclusi, di fase terza o, in casi particolari di condizioni di malattia che pongano il paziente in pericolo di vita, di studi clinici già conclusi di fase seconda o di fase terza in corso; i dati disponibili dalle sperimentazioni siano sufficienti per formulare un favorevole giudizio sul rapporto rischio/beneficio del medicinale richiesto. (DM8/05/2003)

Procedure per la richiesta del farmaco all'azienda farmaceutica:

La fornitura del medicinale può essere richiesta alla impresa produttrice: dal medico per uso nominale nel singolo paziente non trattato nell'ambito di studi clinici; da più medici operanti in diversi centri o da gruppi collaborativi multicentrici; dai medici o da gruppi collaborativi, per pazienti che hanno partecipato a una sperimentazione clinica che ha dimostrato un profilo di efficacia e tollerabilità tale da configurare la necessità, per coloro che hanno partecipato al trial, a continuare la terapia. A seguito della richiesta, l'impresa produttrice può fornire il farmaco sulla base di un protocollo in cui siano presenti ed adeguatamente documentate: la motivazione clinica della richiesta; i dati pertinenti relativi alla efficacia ed alla tollerabilità, la comparabilità dei pazienti con quelli del protocollo; le modalità di informazione al paziente; le modalità di raccolta dati, secondo la logica di uno studio osservazionale. **Il medicinale è fornito gratuitamente dall'impresa autorizzata.**

Procedure per la richiesta di autorizzazione al CE:

Il protocollo presentato all'azienda per la richiesta del farmaco deve essere sottoposto da parte del medico alla approvazione da parte del comitato etico.

La documentazione necessaria inoltre è la seguente:

- Lettera di richiesta (**vedi allegato 1**).
- Assunzione di responsabilità del medico per il trattamento secondo il protocollo clinico (**vedi allegato 2**).
- Protocollo.
- Investigator Brochure.
- Notifica del/dei pazienti candidati al trattamento con relazione clinica individuale dalla quale deve essere chiaro che non esistono altre alternative terapeutiche valide (**vedi allegato 3**)
- Modulo di informazione al paziente e modulo per l'acquisizione del consenso informato personalizzati (**vedi allegato 4**)
- Dichiarazione di disponibilità dell'Azienda Farmaceutica alla fornitura del medicinale possibilmente fino all'inserimento del farmaco nelle liste di rimborsabilità regionali.
- Documentazione attestante la produzione del medicinale secondo GMP.

Lo sperimentatore dovrà attendere che il CE, con procedure d'urgenza, autorizzi l'uso nominale/compassionevole.

Successivamente il farmaco potrà essere inviato dall'Azienda produttrice alla Farmacia Interna.