

Usi terapeutici: ruolo dei CE

Decreto Ministeriale dell'8 Maggio 2003

Il D.M 8 Maggio 2003 “Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica”, disciplina in Italia l'accesso a terapie farmacologiche sperimentali, per un uso al di fuori della sperimentazione clinica, a pazienti affetti da malattie gravi o rare o che si trovino in pericolo di vita, quando, a giudizio del medico, non vi siano ulteriori valide alternative terapeutiche

L'autorizzazione all'uso del farmaco può essere rilasciata dal Comitato Etico soltanto se (Articolo 2):

- *il medicinale sia già oggetto, con la medesima indicazione terapeutica, di studi clinici sperimentali, in corso o conclusi, di fase III o, in casi particolari di condizioni di malattia che pongono il paziente in pericolo di vita, di studi clinici già conclusi di fase II;*
- *i dati disponibili sulle sperimentazioni siano sufficienti per formulare un giudizio favorevole sull'efficacia e sulla tollerabilità del farmaco.*

Uso compassionevole/expanded access: principi normativi ed analisi retrospettiva nell'Area Vasta Nord Ovest nel biennio 2014-2015

Alessandra Saporiti,¹ Barbara Meini,¹ Eleonora De Paola,² Laura Fabbrini,² Chiara Papi,² Letizia Pistolesi,² Diego Carignani²

1. Task Force Aziendale per la Sperimentazione Clinica ex-ASL 6 Livorno; 2. Segreteria scientifica Comitato Etico Area Vasta Nord Ovest - Sezione Autonoma del Comitato Etico per la Sperimentazione Clinica, Regione Toscana



Conclusioni:

Il parere del Comitato Etico (CE) competente, che svolge le sue funzioni a garanzia della tutela della salute e dei diritti dei soggetti, **è necessario, vincolante** e deve essere **espresso caso per caso** sulla base delle prove esistenti, la mancanza di alternative terapeutiche e l'urgenza, facendo attenzione all'uso/abuso del ricorso alle procedure d'urgenza, in quanto altrimenti non sarebbe eticamente accettabile somministrare un farmaco che non ha completato lo sviluppo clinico e con solo i dati preliminari sulla sicurezza ed efficacia.

Il ruolo del CE è non solo di risolvere un conflitto o di rispondere alla richiesta disperata del paziente, ma **prendere la decisione giusta per la protezione del singolo paziente (o di un gruppo)**, e per assicurare la rigorosa applicazione delle regole della scienza e delle leggi, evitando una "compassione" fuori luogo.

www.agenziafarmaco.gov.it/content/normativa-di-riferimento-sperimentazione-clinica

[Sede](#) | [Contatti](#) | [Posta Elettronica Certificata](#) | [Elenco siti tematici](#) | [Area Riservata](#) | [Webmail AIFA](#) | [English corner](#) | [Ricerca](#) | [Ricerca Link diretti](#)

[Alfa è](#) | [Vertici istituzionali](#) | [Commissioni](#) | [Normativa](#) | [Banca Dati Farmaci](#) | [Comunicazione](#) | [In Agenda](#) | [Eventi e convegni](#) | [Atti](#)
[Pillole dal Mondo](#) | [Concept Paper](#) | [Position Paper](#) | [Concorsi](#) | [Bandi di Gara](#) | [Modulistica](#) | [Open Data](#)

[Home » Normativa](#) | [Notizie sui farmaci](#) | [Seleziona il principio attivo](#)

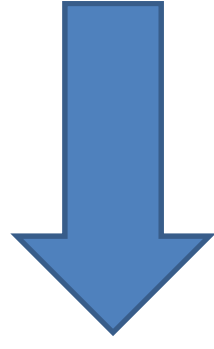
Link per gli operatori

- > [Carenze dei medicinali](#)
- > [Eudragilance](#)
- > [Centro Informazione Indipendente sul Farmaco - FarmaciLine](#)
- > [Farmaci sottoposti a monitoraggio](#)
- > [Liste di Trasparenza](#)
- > [Note AIFA](#)
- > [Note informative importanti](#)
- > [Comunicati Stampa EMA](#)
- > [Osservatorio nazionale sperimentazione clinica](#)
- > [Rete nazionale farmacovigilanza](#)
- > [Segnalazioni reazioni avverse](#)
- > [Tracciabilità del farmaco](#)
- > [RCP medicinali autorizzati con procedura centralizzata](#)

Normativa di riferimento - Sperimentazione clinica

- [Legge 648/96](#)
- [Legge n. 326 del 2003 \(Fondo AIFA 5%\)](#)
- [D.M 8 Maggio 2003 - modificato dal DM 7/11/2008 \(Farmaci ad uso compassionevole\)](#)
- [Legge 94/1998](#)
- [Decreto ministeriale 18 maggio 2001, n. 279 \(Malattie rare\)](#)
- [Altra normativa](#)

Data aggiornamento: aprile 2016



it/farmaci-ad-uso-compassionevoole

Cerca

Stampa

Indietro

Home

Indirizzo mail

Farmaci ad uso compassionevole

D.M 8 Maggio 2003 (farmaci ad uso compassionevole) modificato dal DM 7/11/2008)

Il D.M 8 Maggio 2003 "Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica", disciplina in Italia l'accesso a terapie farmacologiche sperimentali, per un uso al di fuori della sperimentazione clinica, a pazienti affetti da malattie gravi o rare o che si trovino in pericolo di vita, quando, a giudizio del medico, non vi siano ulteriori valide alternative terapeutiche. Il Decreto è pubblicato in G.U. n. 173 del 28/7/2003.

Il DM 7/11/2008 pubblicato in G.U. n. 80 del 6/4/2009 rappresenta una modifica al DM 8/5/2003.

Sulla base delle modifiche introdotte ne risulta che i requisiti di qualità di produzione e le modalità di importazione dei medicinali sperimentali forniti ai sensi del DM 8/5/2003 e s.m. dovranno risultare in possesso degli stessi requisiti di qualità di produzione in accordo alle Norme di Buona Fabbricazione vigenti in ambito nazionale e comunitario, onde poter assicurare l'assenza di possibili rischi per la salute pubblica imputabili a difetti di qualità nella produzione, mentre le officine di produzione e/o di importazione dovranno risultare in possesso delle necessarie autorizzazioni alla produzione rilasciate dalle autorità regolatorie a seguito di ispezione.

La seguente documentazione **deve essere trasmessa esclusivamente in formato elettronico** all'Ufficio Ricerca e Sperimentazione Clinica dell'AIFA all'indirizzo mail usocompassionevoole.rsc@aifa.gov.it

- Richiesta del medicinale formulata dal medico con assunzione di responsabilità al trattamento secondo protocollo ai sensi dell'art. 4 comma 1 del DM 8/5/2003;
- Notifica dei/dei pazienti candidati al trattamento, con indicazione delle iniziali del nome, cognome e data di nascita, accompagnata da breve motivazione clinica;
- Protocollo d'uso del medicinale;
- Documentazione di informazione al paziente accompagnata dal modulo per l'acquisizione del consenso informato;
- Dichiarazione di disponibilità della ditta alla fornitura del medicinale;
- Parere espresso dal [Comitato Etico](#);
- Documentazione attestante la produzione del medicinale sperimentale secondo GMP in accordo alla normativa nazionale e comunitaria, oppure attestante la qualità della produzione almeno equivalente alle EU-GMP se proveniente da Paesi Terzi
- Altra documentazione ritenuta utile fornita a supporto della richiesta;

• **Lista Farmaci Uso compassionevole (Aggiornamento 28 giugno 2016)**

- o [File ODS](#)
- o [File CSV](#) rilasciato con licenza [CC-BY](#) (Limiti al riutilizzo di dati personali)

Documentazione necessaria per il CE e per AIFA a cura del medico richiedente

Documentazione generale

- 1) **Assunzione di responsabilità** firmata dal medico richiedente e dal responsabile della U.O. (vedi modello allegato)
- 2) **Curriculum vitae** del medico richiedente, datato e firmato
- 3) **Protocollo di uso del medicinale**, che riporti chiaramente:
 - la specifica indicazione terapeutica
 - i criteri di inclusione/esclusione al trattamento
 - l'elenco degli studi in corso e conclusi per l'indicazione richiesta
 - i dati pertinenti l'efficacia e la tollerabilità
 - il monitoraggio previsto dei pazienti
 - i criteri per l'interruzione del trattamento

Alcune di queste informazioni potrebbero essere contenute, in alternativa, nell'IB.

- 4) **Investigator's Brochure** del medicinale
- 5) **Scheda raccolta –dati** (secondo la logica di uno studio osservazionale)
- 6) **Informativa per il paziente sulla terapia proposta**, accompagnata dal modulo per l'acquisizione del consenso
- 7) **Informativa sul trattamento dei dati personali** e modulo per la relativa autorizzazione (eventualmente può essere integrata nell'informativa sulla terapia)
- 8) **Lettera per il medico di medicina generale**, riportante in particolare i possibili effetti indesiderati e le interazioni farmacologiche.

Documentazione per singolo paziente

- 9) **Dichiarazione di disponibilità della ditta alla fornitura del medicinale**
- 10) **Relazione clinica**, riportante:
 - dati identificativi del paziente (iniziali del nome e del cognome e data di nascita)
 - motivazione clinica della richiesta e dell'assenza di valide alternative terapeutiche
 - dichiarazione della rispondenza ai criteri di inclusione nel programma
 - riferimenti bibliografici degli studi su soggetti comparabili al paziente per il quale si richiede l'autorizzazione

- Necessità di supporto ai medici richiedenti in particolare nella stesura
- del protocollo (se non fornito dalla ditta),
- del foglio informativo e consenso,
- Della lettera per il medico curante

PROPOSTA



Creazione area del sito dedicata agli “usi terapeutici” approvati dai CE partecipanti alla rete

Vantaggio: condivisione documentazione e riduzione tempi di approvazione