

## **Decreto Ministeriale 7 settembre 2017**

### **Disciplina dell'uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica**

Questo documento risponde a una serie di quesiti frequenti relativi all'applicazione del DM 7 settembre 2017 e potrà essere aggiornato sulla base di ulteriori necessità di chiarimento. Eventuali quesiti non compresi nel documento possono essere inviati all'indirizzo [usocompassionevole.rsc@aifa.gov.it](mailto:usocompassionevole.rsc@aifa.gov.it)

#### **DEFINIZIONI**

**D: Con riferimento all'Art. 1, cosa si intende per "medicinali non ancora autorizzati, sottoposti a sperimentazione clinica"?**

**R:** Con la dicitura "medicinali non ancora autorizzati" si fa riferimento all'autorizzazione sul territorio italiano: si tratta pertanto di medicinali il cui impiego non è autorizzato sul territorio nazionale, ma per i quali sono in corso sperimentazioni cliniche. L'uso compassionevole è possibile anche solo per indicazioni diverse da quelle autorizzate. Lo stato autorizzativo in altri Paesi non è rilevante ai fini della definizione. In ogni caso, i medicinali in questione devono essere prodotti in stabilimenti farmaceutici secondo le normative e linee guida vigenti e importati a norma di legge.

**D: Cosa si intende per "medicinale autorizzato ma non ancora disponibile" ?**

**R:** Si intende un farmaco non ancora commercializzato, nonostante sia stata emanata l'autorizzazione con classificazione almeno in classe C(nn). In casi eccezionali, questa definizione può essere estesa a medicinali per i quali siano stati anche stabiliti il regime di rimborsabilità e la classificazione, ma che per motivi impreveduti non sono disponibili per i pazienti per un periodo di tempo definito. In questi casi è necessaria una preventiva comunicazione con AIFA. Tale definizione si applica a qualsiasi medicinale, indipendentemente dalla procedura di autorizzazione (Centralizzata/Decentrata/Mutuo Riconoscimento).

**D: È corretto dire che la definizione dello schema di trattamento o l'indicazione in caso di uso terapeutico nominale (Art.1, c.1, f) non deve necessariamente riferirsi al protocollo d'uso del medicinale utilizzato durante gli studi clinici, ma può basarsi su evidenze scientifiche?**

**R:** Sì. In questo caso, gli studi clinici a supporto devono fornire evidenze adeguate, come richiesto dal DM. A tal fine non vi è differenza tra studi indipendenti o sponsorizzati.

A tutela della sicurezza del paziente e della potenziale efficacia del trattamento nello specifico caso clinico, queste evidenze devono comunque essere adeguate a giustificare la deviazione rispetto al protocollo d'uso negli studi clinici..

**D: L'inclusione di ciascun paziente nel programma deve essere ogni volta preventivamente approvata dal Comitato Etico?**

**R:** Sia per il programma di uso terapeutico che per l'uso terapeutico nominale è prevista, da parte del competente Comitato etico, la valutazione della richiesta per il singolo paziente, corredata dalla motivazione clinica. In caso di uso terapeutico, è facoltà dei Comitati etici decidere quale debba essere la documentazione necessaria per ogni paziente nell'ambito di un

programma, fermo restando l'obbligo di acquisire per ciascuno, oltre al consenso informato, la motivazione clinica a supporto dell'eleggibilità..

**D. Quali sono le modalità con le quali l'azienda deve informare AIFA dell'intenzione di attivare un programma di uso compassionevole e quali informazioni/documenti devono essere forniti?**

**R:** L'intenzione di attivare un programma di uso compassionevole in Italia deve essere comunicata preventivamente dalle Aziende Farmaceutiche ad AIFA, mediante invio telematico all'indirizzo [usocompassionevole.rsc@aifa.gov.it](mailto:usocompassionevole.rsc@aifa.gov.it). La mail dovrà contenere il protocollo clinico definito e identico per tutti i pazienti e le informazioni relative alla data pianificata di attivazione e di chiusura del programma, ove già nota, con indicazione del periodo complessivo di presumibile disponibilità alla fornitura gratuita del medicinale, secondo quanto indicato dall'Articolo 5 del DM. Laddove la data di chiusura del programma non fosse ancora nota, la stessa può essere comunicata successivamente, ma sempre entro 30 giorni prima della chiusura del programma.

**D: Entro quale tempistica le aziende farmaceutiche devono informare AIFA dell'intenzione di attivare o chiudere un programma di uso compassionevole?**

**R:** La comunicazione di attivazione di un programma di uso terapeutico deve essere inviata ad AIFA almeno 15 giorni prima dell'attivazione, corredata della documentazione di cui all'art. 4, c. 1, lettere b), d), f) e g). La comunicazione relativa alla chiusura deve essere inviata almeno 30 giorni prima.

**D: Quando deve essere inviata ad AIFA la notifica del parere del Comitato etico?**

**R:** La richiesta per l'impiego di medicinali a uso terapeutico deve essere inviata unicamente al competente Comitato etico che si occuperà della valutazione. Il Comitato dovrà poi trasmettere ad AIFA il parere, corredata dalla relativa documentazione, entro tre giorni dalla data della seduta nella quale è stato emesso (o dalla data di chiusura della consultazione telematica nei casi urgenti che possono richiedere tale procedura, in base all'eventuale regolamento del Comitato etico). La notifica dovrà avvenire esclusivamente per via telematica, all'indirizzo [usocompassionevole.rsc@aifa.gov.it](mailto:usocompassionevole.rsc@aifa.gov.it), possibilmente con un singolo invio per paziente. La mail di notifica ad AIFA dovrà riportare nell'oggetto la denominazione del medicinale.

**D: Quali documenti devono essere notificati dal Comitato etico ad AIFA?**

**R:** In caso di uso terapeutico nominale il Comitato etico deve inviare ad AIFA l'intera documentazione come da art. 4, c.1., insieme al parere favorevole (nel rispetto della normativa vigente in materia di tutela dei dati sensibili).

In caso di programma di uso terapeutico, che prevede l'inclusione di più pazienti con la medesima indicazione e il medesimo schema posologico, il Comitato etico deve inviare ad AIFA, per ciascun paziente: il parere favorevole (nel rispetto della normativa vigente in materia di tutela dei dati sensibili) e la documentazione indicata all'art. 4, c. 1, lettere a) e c). La documentazione di cui all'art. 4, c.1, lettere b), d), f) e g) dovrà essere invece inoltrata ad AIFA dall'Azienda farmaceutica, un'unica volta, contestualmente alla notifica di attivazione del programma di uso terapeutico.

**D: Dopo la notifica ad AIFA del parere del CE, è necessario attendere un periodo di tempo stabilito prima che l'Ospedale inoltri all'Azienda l'ordine del medicinale?**

**R:** In caso di uso compassionevole, la disponibilità alla fornitura gratuita del medicinale deve essere acquisita preventivamente. La conferma della fornitura, in caso di parere favorevole da

parte del Comitato etico, non necessita di ulteriore approvazione da parte di AIFA. Si ricorda tuttavia che, a tutela della sicurezza dei pazienti, AIFA può intervenire in qualsiasi momento in modo restrittivo, sospendendo o vietando l'impegno del medicinale. E' più frequente che, in caso di uso compassionevole su base nominale e non all'interno di un programma di uso terapeutico, possano crearsi situazioni di dubbio: in questi casi è sempre possibile rivolgersi ad AIFA tramite l'indirizzo [usocompassionevole.rsc@aifa.gov.it](mailto:usocompassionevole.rsc@aifa.gov.it).