



COMITATO ETICO TERRITORIALE

REGIONE CALABRIA

Istituito con D.D.R. N°. 7927 DEL 07/06/2023 Dip. Tutela Salute e welfare¹

e-mail: comitatoeticoregionecalabria@gmail.com

www.comitatoeticoregionecalabria.it



Procedura operativa per richiesta di Uso Terapeutico di un Medicinale sottoposto a Sperimentazione Clinica

(D.M. 7 settembre 2017)

¹ Il C.E.T. è un organismo indipendente, senza rapporti di subordinazione gerarchica nei confronti della struttura in cui opera in base al regolamento N°. 11125 DEL 01/08/2023 Dipartimento della tutela della salute e welfare - Settore 03 – Regione Calabria. Organizzazione e funzionamento: Gazzetta Ufficiale, serie generale, n.31 del 7 febbraio 2023.

Scopo e campo di applicazione

Questa Procedura Standard (SOP) ha lo scopo di descrivere le modalità di richiesta e di valutazione degli usi terapeutici di medicinali sottoposti a sperimentazione clinica, in conformità al Decreto Ministeriale 7 settembre 2017.

Glossario, sigle, abbreviazioni, acronimi

Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica: la fornitura a titolo gratuito da parte dell'Azienda farmaceutica di:

- 1) medicinali non ancora autorizzati, sottoposti a sperimentazione clinica e prodotti in stabilimenti farmaceutici o importati secondo le modalità autorizzative e i requisiti previsti dalla normativa vigente;
- 2) medicinali provvisti dell'autorizzazione all'immissione in commercio, ai sensi dell'art. 6, commi 1 e 2, del decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219 per indicazioni diverse da quelle autorizzate;
- 3) medicinali autorizzati ma non ancora disponibili sul territorio nazionale.

malattie rare: malattia la cui prevalenza, intesa come il numero di casi presenti su una data popolazione, non superi la soglia di cinque casi su diecimila persone, e sia inclusa in una delle seguenti liste di riferimento: lista EMA (collegata ai pareri espressi dal Comitato medicinali orfani - COMP); lista del Centro nazionale malattie rare dell'Istituto Superiore Sanità.

tumori rari: tumori con incidenza inferiore a 6/100,000/anno.

azienda farmaceutica: azienda produttrice del medicinale, ovvero titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

programma di uso terapeutico ovvero expanded access program (EAP) ovvero early access program ovvero compassionate use program (CUP): impiego di medicinali nell'ambito dell'uso compassionevole in più pazienti, sulla base di un protocollo clinico definito e identico per tutti i pazienti.

uso terapeutico nominale: impiego di medicinali nell'ambito dell'uso compassionevole su base nominale per un singolo paziente, in base alle evidenze scientifiche e non nell'ambito di un protocollo clinico definito.

medicinale di terapia avanzata: si intende uno qualsiasi dei seguenti medicinali ad uso umano:

- 1) medicinali di terapia genica, quali definiti nella parte IV dell'allegato I della direttiva 2001/83/CE;
- 2) medicinali di terapia cellulare somatica, quali definiti nella parte IV dell'allegato I della direttiva 2001/83/CE;
- 3) prodotti di ingegneria tissutale quali definiti nell'art. 2 del regolamento 1394/2007CE.

reazione avversa: la reazione nociva e non voluta conseguente non solo all'uso autorizzato di un medicinale alle normali condizioni di impiego ma anche agli errori terapeutici e agli usi non conformi alle indicazioni contenute nell'autorizzazione all'immissione in commercio, incluso l'uso improprio e l'abuso del medicinale.

Modalità operative - Sottomissione di una richiesta autorizzazione di uso terapeutico di un medicinale sottoposto a sperimentazione clinica

Invio della domanda

Il Medico che intende richiedere l'autorizzazione per un uso terapeutico di:

1. medicinali non ancora autorizzati, sottoposti a sperimentazione clinica e prodotti in stabilimenti farmaceutici o importati secondo le modalità autorizzative e i requisiti previsti dalla normativa vigente;
2. medicinali provvisti dell'autorizzazione all'immissione in commercio, ai sensi dell'art. 6, commi 1 e 2, del decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219 per indicazioni diverse da quelle autorizzate;
3. medicinali autorizzati ma non ancora disponibili sul territorio nazionale;

per il trattamento di paziente/i affetto/i da patologia grave, malattia rara, tumore raro, condizione di malattia che pone il paziente in pericolo di vita, per il quale non sono disponibili valide alternative terapeutiche o che non possono essere inclusi in una sperimentazione clinica o, ai fini della continuità terapeutica, per pazienti già trattati con beneficio clinico nell'ambito di una sperimentazione clinica, invia alla Segreteria Tecnico Scientifica del CET Regione Calabria la richiesta di rilascio di parere per:

1. **programma di uso terapeutico (anche detto «expanded access program»):** impiego di medicinali nell'ambito dell'uso compassionevole in più pazienti, sulla base di un protocollo clinico definito e identico per tutti i pazienti;
2. **uso terapeutico nominale:** impiego di medicinali nell'ambito dell'uso compassionevole su base nominale per un singolo paziente, in base alle evidenze scientifiche e non nell'ambito di un protocollo clinico definito;

La richiesta deve obbligatoriamente contenere:

- *modulo di domanda di uso terapeutico datata, timbrata e firmata dal richiedente (vedi modulo 14)*
- *Protocollo (ove previsto Programma ad Uso Terapeutico/ Accesso allargato)*
- *Foglio informativo e modulo di consenso informato con firma e anagrafica oscurata (vedi modulo 15);*
- *Relazione clinica anamnestica del paziente firmata e timbrata, riportante il razionale sull'uso del farmaco con dati sensibili oscurati;*
- *Riassunto Caratteristiche del Prodotto o Brochure sul farmaco;*
- *Certificato GMP (Good Manufacturing Practices) del farmaco;*
- *Dichiarazione Ditta per la fornitura gratuita del farmaco;*
- *Eventuale Bibliografia/letteratura a supporto del razionale;*
- *Indicare eventuale altra documentazione.*

Preparazione dell'istruttoria da parte della segreteria (STS) e valutazione

All'acquisizione della domanda la Segreteria Tecnico Scientifica (STS) ne valuta la completezza e, in caso di documenti mancanti o presentati in modo non corretto, provvede a richiedere mezzo email al medico responsabile della procedura le opportune modifiche/integrazioni.

La STS del CET predisposta e validata la documentazione pervenuta, procede all'invio mezzo email della stessa a tutti i componenti del CET, se trattasi di richiesta con motivo di URGENZA. Se entro 48 ore non vengono sollevate criticità si dà mandato alla stessa e al

Presidente del CET di predisporre apposito verbale di autorizzazione. Tale verbale verrà ratificato alla prima data utile delle riunioni del CET.

Qualora la richiesta di farmaco non sia a carattere di urgenza, verrà calendarizzata alla prima seduta utile del CET.

Trasmissione del parere

Formulato il parere, la STS lo trasmette al richiedente e al responsabile della farmacia della struttura sanitaria del richiedente.

Contestualmente la STS trasmette digitalmente all'Agenzia italiana del farmaco (AIFA - usocompassionevole.rsc@aifa.gov.it) il proprio parere, corredato dalla relativa documentazione, entro tre giorni dall'adozione del parere stesso.

Trasmissione e ricezione di notifiche di sicurezza

I medici sono tenuti a segnalare al responsabile di farmacovigilanza della struttura sanitaria di appartenenza del segnalatore stesso o direttamente alla Rete nazionale di farmacovigilanza attraverso il portale web dell'AIFA e al Comitato Etico Territoriale, le sospette reazioni avverse, specificando che si tratta di un medicinale utilizzato ai sensi del presente decreto; la segnalazione deve essere inviata entro due giorni e, per i medicinali di origine biologica non oltre le trentasei ore, in modo completo e secondo le modalità pubblicate sul sito istituzionale dell'AIFA. Successivamente sarà cura del responsabile di farmacovigilanza della struttura sanitaria di appartenenza del segnalatore notificare la segnalazione all'AIFA e dell'Azienda che ha fornito il medicinale utilizzato ai sensi del presente decreto secondo la modalità e le tempistiche previste dal decreto del Ministro della salute 30 aprile 2015 citato in premessa.

RIFERIMENTI NORMATIVI

Decreto Ministro della Salute 7 settembre 2017 Disciplina dell'uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica (GU n. 256 del 2-11-2017)

Allegati:

Modulo 14 – Modello di domanda

Modulo 15 – Modello di consenso informato