

**La ricerca sulle malattie rare e le prospettive
di cura per la malattia di Huntington**

L'uso compassionevole dei farmaci sperimentali



Lorenzo Cottini

President- General Manager

HIGH RESEARCH srl

AFI (Ricerche Cliniche)

Fondazione LIRH onlus -Roma, 2 Dicembre 2017

Uso Compassionevole

DM 7 settembre 2017 (GU 2.11.2017)

Utilizzo terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica (**uso compassionevole**) fornitura a **titolo gratuito**:

- Medicinale **non ancora autorizzato**, sottoposto a sperimentazione -**prodotti o importanti** secondo la normativa
- Medicinali **in commercio** (con AIC) ma utilizzati **secondo diversa indicazione** (per diversa patologia rispetto alla quale sono autorizzati)
- **Medicinali già autorizzati** ma **non ancora disponibili** per i pazienti (regioni, prezzo)

- **Malattie Rare** (5 casi su 10.000 e inclusi lista EMA) **e tumori rari** (6 su 100.000)
- **Expanded access (programma di uso terapeutico)**: uso compassionevole su **più pazienti** secondo un protocollo
- Uso terapeutico nominale: utilizzo su richiesta **per singolo paziente**

Il farmaco viene richiesto da

- **Medico per un singolo** paziente
- Da **più medici** di diversi centri o da **gruppi collaborativi**
- Da **medici** o **gruppi collaborativi** per pazienti che hanno **partecipato a sperimentazione clinica** poi conclusa (con dimostrazione di sicurezza, tollerabilità ed efficacia)-per continuità terapeutica

Il farmaco viene richiesto a

Azienda Farmaceutica

**Per pazienti con malattie o tumori rari o in
pericolo di vita**

Se

**Non vi sono valide alternative terapeutiche o
non possono essere inseriti in una
sperimentazione clinica o per pazienti già
trattati in una sperimentazione**

Il farmaco deve essere già oggetto nella stessa indicazione di studi clinici sperimentali (in corso o conclusi) di fase III o in casi particolari che pongano il paziente in pericolo di vita, di studi fase II già conclusi

Fasi di Sviluppo di un farmaco - studi interventistici

Fase I-Obiettivi: tollerabilità, farmacocinetica.

numero limitato di soggetti (20-80), volontari sani o pazienti selezionati per alcune tipologie di farmaci.

Fase II - Obiettivi: definizione della dose per gli studi successivi di fase III. **Attività e sicurezza. Efficacia preliminare.** Popolazione: numero più ampio di pazienti selezionati (100-200).

Fasi di Sviluppo di un farmaco (II)

Fase III -Trial clinici controllati -Obiettivi: **Efficacia e sicurezza a breve e lungo termine, comparata verso placebo o comparatore attivo, vantaggi rispetto ai farmaci già esistenti.** Popolazione: pazienti rappresentativi della popolazione target per la quale il farmaco sarà indicato (300-600).

Fase IV o studi post-marketing - Obiettivi: **conferma efficacia** da studi di fase precedente, efficacia e **sicurezza a lungo termine e su un campione di pazienti allargato.** Condizioni di **reale pratica clinica** (real world)

Il farmaco deve essere già oggetto nella stessa indicazione di studi clinici sperimentali (in corso o conclusi) di fase III o in casi particolari che pongano il paziente in pericolo di vita, di studi fase II già conclusi

Per utilizzo compassionevole:

Bisogna avere dei dati disponibili dalle sperimentazioni cliniche per poter formulare un corretto giudizio

Certificato di produzione secondo le norme GMP (devono essere prodotti correttamente, secondo la normativa)

In casi di **malattie rare o tumori rari** : sono sufficienti **dati di studi di fase 1** conclusi con documentata **attività** (non efficacia) e **sicurezza** e dosaggio, **in indicazioni anche diverse** purché giustificate da meccanismo di azione

Se sono disponibili solo dati di sperimentazioni **di fase I:**

richiesta da **medico di centro clinico** individuato **dalla regione** per trattamento di malattie rare o appartenente a rete nazionale tumori rari

Richiesta fatta a **Comitato Etico**
competente

Documenti necessari:

Motivazione, consenso informato,
dichiarazione azienda farmaceutica
per **fornitura prodotto**, modalità
raccolta dati

Il CE comunica a **AIFA** il parere
(AIFA può intervenire)

Aziende che iniziano expanded access (**programmi uso compassionevole**) informano AIFA su **inizio** e sulla **durata** della **fornitura gratuita** (**salvo** situazioni regolatorie o di sicurezza)- **informare AIFA** 30 giorni prima della **chiusura**

Dati possono essere utilizzati a **supporto** di dossier per autorizzazione al commercio del prodotto (insieme a quelli provenienti da sperimentazioni)

Segnalazioni di farmacovigilanza (**reazioni avverse**)

Domande?

Lorenzo Cottini

High Research

l.cottini@highresearch.it

02 66712580

www.highresearch.it

**AFI- (Associazione Farmaceutici dell'Industria società scientifica-
vice coordinatore gruppo ricerche cliniche)- www.afiscientifica.it**