

OFF-LABEL IMPORTAZIONE DI MEDICINALI MALATTIE RARE

LAURA POGGI
DIPARTIMENTO DEL FARMACO ASL VCO
Torino 28 febbraio 2014

AREA REGIONALE SIFO PIEMONTE E VALLE D'AOSTA

**“Malattie rare, malattie del metabolismo, importazione
medicinali esteri e prescrizioni off-label”**

COORDINATORE:
DOTT.SSA LAURA POGGI – ASL VCO

COMPONENTI DELL'AREA

Burlando Mara	MOLINETTE
Capano Federica	SAN LUIGI ORBASSANO
Cestino Daniela	MOLINETTE
Crosasso Paola	MOLINETTE
De Magistris Paolo	SAN GIOVANNI BOSCO
Donato Francesca	SANT'ANNA
Filieri Andrea	S. LUIGI
Ghiardi Antonella	ASL TO4 IVREA
Marella Carlotta	ASL VCO- OMEGNA
Marone Isabella	ASL BI
Milone Valeria	SAN GIOVANNI BOSCO
Pardossi Stefania	MAURIZIANO
Peila Emanuela	ASL TO5
Pellegrino Giorgia	CN 1
Pisciotta Antonino	ASL CN1
<i>Poggi Laura</i>	<i>ASL VCO- OMEGNA</i>
Scaldaferri Matilde	MOLINETTE
Vittoni Alessandra	ASL VCO- OMEGNA

PROGETTO APPROPRIATEZZA PRESCRITTIVA NELLE MALATTIE RARE

Tavola rotonda con CMID per definizione dei criteri di appropriatezza

Analisi prescrizioni territoriali

Valutazione appropriatezza delle prescrizioni

Lettera informativa per i MMG



CRONOPROGRAMMA progetto GALENICI PER MALATTIE RARE

Completamento repertorio preparazioni galeniche

Registrazione dei galenici nel File F

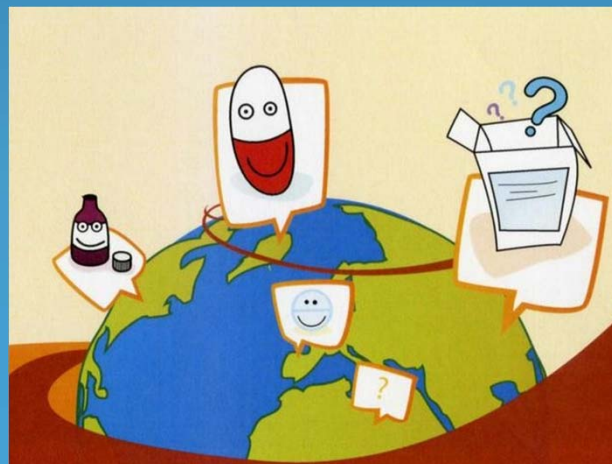
Tariffazione dei galenici prodotti dalle Farmacie
Ospedaliere, con inserimento onorario farmacista



CRONOPROGRAMMA progetto IMPORTAZIONE MEDICINALI ESTERI

Condivisione esperienze e informazioni relative alle procedure di importazione e ai costi

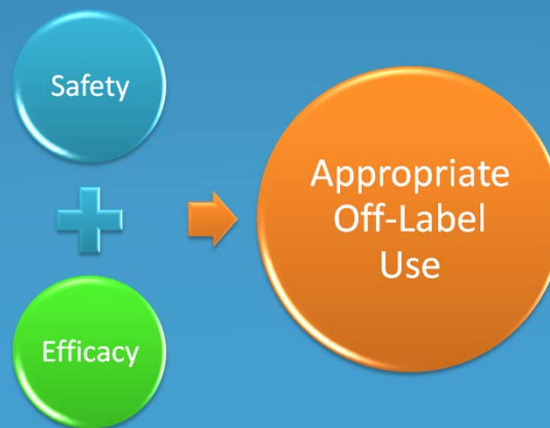
Quesito all'AIFA sulla possibilità di scambio di prodotti importati tra le ASR



CRONOPROGRAMMA progetto OFF-LABEL

Ricognizione referenti delle CFI aziendali

Creazione database off-label approvati dalle CFI della regione



GRUPPO SIFO

PERCHE'? A fronte di una situazione normativa spesso complessa e frammentaria, i farmacisti hanno un ruolo professionale che combina competenze scientifiche e normative e anche una funzione «trasversale» per cui possono contribuire efficacemente alla definizione degli iter operativi e procedurali



- 
- ❖ **IL FARMACISTA HA UN RUOLO RILEVANTE ED UNA RESPONSABILITA' DIRETTA**
 - ❖ **LA NORMATIVA E' COMPLESSA E DEVE ESSERE BEN CONOSCIUTA**
 - ❖ **IN MOLTI CASI SI TRATTA DI TERAPIE URGENTI E SALVAVITA**
 - ❖ **I COSTI SONO MOLTO SPESSO ELEVATI**

IMPORTAZIONE DI MEDICINALI DALL'ESTERO

L'importazione di medicinali dall'estero è giustificata da oggettivi caratteri di eccezionalità

L'impiego del farmaco deve avvenire nel rispetto:

- della normativa vigente in Italia
- delle condizioni di uso autorizzate nel Paese di provenienza e solo per le indicazioni terapeutiche per le quali risulta registrato all'estero



La Farmacia dell'ASL in condizioni eccezionali e per motivate esigenze può importare medicinali non registrati in Italia o carenti sul territorio nazionale

Per lo sdoganamento si avvale della collaborazione delle Ditte Farmaceutiche Produttrici o delle Ditte Intermediarie in base alla normativa vigente

L'importazione viene effettuata su richiesta del Medico per acquisti destinati:

- a pazienti già individuati**
- a costituire scorta di Reparto**

Per entrambi i casi i quantitativi non devono essere superiori a 90 giorni di terapia per paziente

MODULISTICA

- **Richiesta del medico prescrittore ai sensi del D.M. 11 febbraio 1997**
- **Registrazione N-SIS da parte dello spedizioniere**
- **Documenti di trasporto**
- **Fattura o proforma invoice**

RESPONSABILITA'

il Medico è responsabile della richiesta

dichiara di utilizzare il medicinale sotto la sua diretta responsabilità dopo aver ottenuto il consenso informato del paziente

il Farmacista è responsabile delle procedure di importazione

MEDICINALI NON REGISTRATI IN ITALIA

MEDICINALI CARENTI



Medicinali NON Registrati in Italia

Definizione

L'importazione di medicinali ai sensi del D.M. 11 febbraio 1997 riguarda:

- l'introduzione in Italia di medicinali regolarmente registrati in Paesi esteri, ma privi di autorizzazione all'immissione in commercio in Italia

Medicinali NON Registrati in Italia

Caratteristiche

- **medicinale con AIC nel Paese di provenienza**
- **non sostituibile per il successo terapeutico con altri medicinali in commercio in Italia**
- **utilizzabile per le stesse indicazioni previste dall'AIC del Paese di provenienza**
- **per un periodo massimo di 90 giorni di terapia**

Medicinali NON Registrati in Italia

Competenza autorizzativa

- **Per vaccini ed emoderivati: AIFA**
- **Per stupefacenti: Ministero della Salute – Ufficio Centrale Stupefacenti**
- **Per altro: Uffici di Sanità Marittima e Aerea di Frontiera (USMAF)**

MEDICINALI CARENTI

Per medicinale carente si intende un “medicinale non disponibile o reperibile in commercio su tutto il territorio nazionale in quanto il titolare A.I.C. non ne assicura la fornitura appropriata e continua in modo da soddisfare le esigenze dei pazienti”.

La carenza sul mercato di un farmaco può essere determinata da svariati fattori:

- irreperibilità del principio attivo
- problemi legati alla produzione, alla distribuzione, alla commercializzazione
- provvedimenti a carattere regolatorio
- imprevista aumentata richiesta del medicinale, emergenze sanitarie nei Paesi di produzione o in altri Paesi.

Medicinali Carenti

Caratteristiche:

- **medicinale con AIC italiano**
- **commercializzato in Italia**
- **manca di analogo terapeutico in commercio in Italia**

Medicinali Carenti

AIFA

1. **Raccoglie segnalazioni di carenza** (aziende titolari AIC, pazienti, associazioni, ASL, autorità)
2. **Accerta effettività e entità delle carenza**
3. **Determina livello di criticità, verificando la tipologia della carenza, se esistano prodotti analoghi**
4. **Prende i necessari contatti con le aziende titolari di AIC, gli altri produttori, gli utilizzatori**
5. **Autorizzazione all'importazione concessa al titolare AIC e alla singola struttura sanitaria**
6. **Prende provvedimenti specifici (determinazioni, razionalizzazione d'uso)**

Medicinali Carenti

Competenza autorizzativa:

- **AIFA - Ufficio Qualità dei Prodotti**

Ripresa distribuzione:

La Società titolare dell'AIC deve comunicare tempestivamente la ripresa della regolare distribuzione del farmaco carente

Medicinali NON Registrati in Italia

IMPORTAZIONE FARMACI AI SENSI DEL DM 11.2.1997

(INTRODUZIONE IN ITALIA DI FARMACI POSTI REGOLARMENTE IN VENDITA IN PAESI ESTERI, MA CHE NON HANNO AIC IN ITALIA)

NORMATIVA

- **DM 11 FEBBRAIO 1997 (BINDI)**
art. 1 e 2 Un medico che ritiene opportuno sottoporre un proprio paziente al trattamento terapeutico con un medicinale, regolarmente autorizzato in un paese estero, invia apposita richiesta al Ministero della Sanità – USMAF, nonché alla corrispondente dogana, ai fini dell'ottenimento del NOS all'importazione

Medicinali NON Registrati in Italia

art.5 L'onere della spesa non deve essere imputato all'assistenza farmaceutica tranne il caso in cui l'acquisto venga richiesto da una struttura ospedaliera per l'impiego in ambito ospedaliero.



Medicinali NON Registrati in Italia

- NOTA 13.02.2000 del Ministero della Salute (Nello Martini)

Con oggetto: farmaci importati, utilizzo domiciliare.

Rettifica l'art 5 del Decreto 11.2.1997, specificando che, nell'ottica di promuovere ed assicurare la continuità assistenziale, la possibilità della fornitura gratuita non deve essere preclusa ai pazienti che iniziano la terapia in una struttura ospedaliera e che necessitano poi di continuare a domicilio.

Sempre in questa nota si precisa che sono erogabili a totale carico del SSN anche i medicinali esteri inseriti nell'elenco predisposto ai sensi della L 648/96 per le patologie indicate

Medicinali NON Registrati in Italia

- D.M. 20.04.2005 (SIRCHIA)

Modifica l'art 2 comma 1 del DM del 1997: modifica a 90 gg (da 30) il periodo di trattamento per il quale è valida la richiesta d'importazione; questo per assicurare la continuità terapeutica nei pazienti affetti da patologie croniche

Medicinali NON Registrati in Italia

- D.M. 31.01.2006 (STORACE)

Modifica al DM 11.02.1997

viene inserito il comma 1 bis all'art. 2 per sottolineare che il ricorso a farmaci non autorizzati deve essere rigorosamente subordinato ai soli casi di concreta, effettiva necessità e che inoltre l'impiego del farmaco deve avvenire nel rispetto, oltre che della normativa in vigore in Italia, delle condizioni d'uso autorizzate nel paese di provenienza

Medicinali NON Registrati in Italia

- D.M. 16.11.2007 (TURCO)

Modifica al DM 11.2.1997

l'art 5 viene così modificato: fatto salvo quanto previsto dalla Legge 648/96, l'onere della spesa per l'acquisto dei medicinali importati non deve essere imputato a fondi pubblici tranne il caso in cui l'acquisto medesimo venga richiesto da una struttura ospedaliera.

La L. 648/96 infatti consente di erogare a carico del SSN, quando non vi è valida alternativa terapeutica (previo parere della CTS – AIFA), medicinali innovativi in commercio in altri Stati, medicinali ancora non autorizzati ma sottoposti a Sperimentazione e medicinali da impiegare per un'indicazione diversa da quella autorizzata.

Medicinali Carenti

MEDICINALI CARENTI

(FARMACI MOMENTANEAMENTE IRREPERIBILI IN COMMERCIO SU TUTTO IL TERRITORIO NAZIONALE)

DM 11.5.2001 (VERONESI)

Il Ministero della Salute con questo Decreto definisce nello specifico le procedure da applicare in caso di temporanea carenza di specialità medicinali nel mercato nazionale, quindi farmaci con AIC italiano, commercializzati in Italia e che non hanno un analogo terapeutico in commercio in Italia.

Il Ministero provvede ad attivare contestualmente una serie di azioni al fine di assicurare una disponibilità sostitutiva del farmaco carente.

I problemi di carenza dei medicinali sono gestiti dall'ufficio qualità dei prodotti insieme al servizio informazione sui farmaci dell'AIFA

Medicinali Carenti

Esistono diverse tipologie di “acquisto” che possiamo incontrare quando abbiamo a che fare con farmaci carenti:

A. IMPORTAZIONE CON ITER E SPESA A CARICO DELL'ASL:

La competenza autorizzativa per l'importazione è dell'ufficio qualità dei prodotti dell'AIFA che rilascia il nulla osta all'importazione. Il medico deve compilare un modulo dove richiede l'autorizzazione all'importazione all'AIFA. Tale modulo è firmato dal medico (responsabile della richiesta) ma anche dal farmacista in quanto è il responsabile della procedura d'importazione.

Una volta ottenuto il N.O. la farmacia provvede ad emettere l'ordine di acquisto all'estero.

Medicinali Carenti

B. IMPORTAZIONE SEGUITA DALLA DITTA PRODUTTRICE E SPESA A CARICO DELL'ASL

Il medicinale è depositato in Italia, una Ditta italiana autorizzata segue l'iter di importazione mentre l'ASL si occupa solo dell'ordine direttamente alla Ditta depositaria italiana utilizzando, di norma, un modulo specifico per ogni farmaco stilato da AIFA.

Le ditte mandano ad AIFA trimestralmente i dati riepilogativi di distribuzione e così pure gli acquirenti (ASL/ospedali).

Medicinali Carenti

C. IMPORTAZIONE SEGUITA DALLA DITTA PRODUTTRICE CON FORNITURA GRATUITA ALL'ASL/OSPEDALE

La Ditta produttrice è autorizzata all'importazione dall'estero e alla cessione gratuita del medicinale non reperibile sul territorio nazionale ma prodotto in altro paese UE. Anche in questo caso, come nel precedente, vengono compilati appositi moduli e si ha lo stesso obbligo di comunicazione dei dati ad AIFA

Altri Casi

MEDICINALI PER SPERIMENTAZIONE CLINICA

Medicinali con o senza AIC in fase di sperimentazione registrata nell'Osservatorio Nazionale sulle sperimentazioni Cliniche dei Medicinali.

In questo caso il medico utilizzatore deve compilare un modulo di richiesta particolare e allegare il parere favorevole del comitato etico.

FS-IMP_P18_06a
rev. 0 dal 11/4/07

FAC SIMILE PER IMPORTATORE-RICHIESTA RILASCIO NOS PER FARMACO PER SPERIMENTAZIONE

Le richieste di Nulla Osta Sanitario rivolte a questo Ufficio DEVONO essere presentate SU CARTA INTESTATA DELL'IMPORTATORE, DATATE, FIRMATE E TIMBRATE.

Su ciascuna richiesta deve essere chiaramente espressa la seguente dicitura:

Oggetto:	Richiesta di importazione di farmaco per sperimentazione clinica
Il sottoscritto Dr./Prof.:operante presso :
	chiede di importare
	<u>il seguente medicinale</u> (specificare nome commerciale e principio attivo)
Forma farmaceutica: Dosaggio specialità:..... Confezione da:.....
Quantità: Prodotto dalla ditta:.....
Il prodotto sarà utilizzato la seguente sperimentazione..... avendo ottenuto parere favorevole del Comitato Etico, e non sarà in nessun modo messo in commercio. Il farmaco sarà custodito presso la Farmacia ospedaliera e sarà eventualmente smaltito secondo la normativa vigente.	
La sperimentazione è stata adeguatamente registrata presso l'Agenzia Italiana del Farmaco, ai sensi della normativa vigente.	
Si allega copia del parere favorevole del Comitato Etico rilasciato in data.....	

Inoltre devono essere riportate in modo schematico le seguenti indicazioni relative all'importazione:

- numero di AWB/lettera di vettura della spedizione
- eventuale modalità di conservazione all'arrivo con eventuale indicazione di deperibilità e temperatura di conservazione

Allegati:

- riferimento alla fattura/pro-forma invoice
- copia del parere favorevole del Comitato Etico

La richiesta deve essere scritta a macchina o al computer su carta intestata, datata, firmata, timbrata e indirizzata a:

MINISTERO DELLA SALUTE
UFFICIO DI SANITÀ AEREA
AEROPORTO DI**

** a seconda della sede di riferimento indicare Aeroporto di Malpensa, Linate, Orio al Serio, Brescia Montichiari o Torino Caselle

A piè di pagina è obbligatorio riportare integralmente sulla richiesta la seguente dicitura:

- | | |
|-----------------------|--|
| Il sottoscritto | è consapevole: |
| - | di essere penalmente sanzionabile se rilascia falsa dichiarazione (art. 76 D.P.R. 445/2000); |
| - | di decadere dai benefici conseguiti a seguito di un provvedimento adottato sulla base delle false dichiarazioni art. 75 D.P.R. 445/2000; |
| - | che l'Amministrazione si riserva di controllare la veridicità delle dichiarazioni rese (art. 71 D.P.R. n. 445/2000). |
| - | che i dati forniti dal dichiarante saranno utilizzati solo ai fini del procedimento richiesto (D.L.vo n° 196/2003). |

IMPORTAZIONE PER USO TERAPEUTICO DI MEDICINALE SOTTOPOSTO A SPERIMENTAZIONE CLINICA (USO COMPASSIONEVOL)

Questo tipo di importazione è normata dal
DM 08.5.2003 modificato dal DM
07.11.2009

Altri Casi

Medicinale (privo di AIC per quell'indicazione) da utilizzarsi, in assenza di alternativa terapeutica, per grave patologia – m. rara – condizioni che pongono in pericolo di vita i pazienti. Tale medicinale, sottoposto a sperimentazione clinica in Italia o all'estero può essere importato e destinato all'utilizzo al di fuori di una sperimentazione in 2 casi ben precisi:

- 1 per l'indicazione che si sta sperimentando se in fase III, in corso o conclusa, in Italia o all'estero**
- 2. per l'indicazione che si sta sperimentando se in fase II già conclusa, in casi particolari di condizioni di malattia che pongano il paziente in pericolo di vita**

Altri Casi

In questo caso il medico utilizzatore deve compilare un modulo di richiesta particolare (simile al precedente) e allegare il parere favorevole del comitato etico. La Ditta produttrice sulla base di un protocollo approvato dal comitato etico e notificato all'AIFA, cede il farmaco gratuitamente.

FS-IMP_P18_06a
rev. 0 dal 11/4/07

FAC SIMILE PER IMPORTATORE-RICHIESTA RILASCIO NOS PER FARMACO PER USO COMPASSIONEVOLAI AI SENSI DEL D.M. 8 MAGGIO 2003

Le richieste di Nulla Osta Sanitario rivolte a questo Ufficio DEVONO essere presentate SU CARTA INTESATA DELL'IMPORTATORE, DATATE, FIRMAE E TIMBRATE.

Su ciascuna richiesta deve essere chiaramente espressa la seguente dicitura:

Oggetto: **Richiesta di importazione di farmaco per uso compassionevole ai sensi del D.M. 8/5/2003**

Il sottoscritto Dr./Prof.:operante presso :
chiede di importare

il seguente medicinale (specificare nome commerciale e principio attivo)
Forma farmaceutica: Dosaggio specialità: Confezione da:
Quantità: Prodotto dalla ditta:
e registrato nel Paese di provenienza per la seguente patologia:

Il prodotto sarà utilizzato nei seguenti pazienti:
affetti da avendo ottenuto parere favorevole del Comitato Etico, e non sarà in nessun modo messo in commercio.

Il farmaco sarà custodito presso la Farmacia ospedaliera e sarà eventualmente smaltito secondo la normativa vigente.
Si allega copia del parere favorevole del Comitato Etico rilasciato in data:

Inoltre devono essere riportate in modo schematico le seguenti indicazioni relative all'importazione:

- numero di AWB/lettera di vettura della spedizione
- eventuale modalità di conservazione all'arrivo con eventuale indicazione di deperibilità e temperatura di conservazione

Allegati:

- riferimento alla fattura/pro-forma invoice
- copia del parere favorevole del Comitato Etico

La richiesta deve essere scritta a macchina o al computer su carta intestata, datata, firmata, timbrata e indirizzata a:

MINISTERO DELLA SALUTE
UFFICIO DI SANITÀ AEREA
AEROPORTO DI**

** a seconda della sede di riferimento indicare Aeroporto di Malpensa, Linate, Orio al Serio, Brescia Montichiari o Torino Caselle

A piè di pagina è obbligatorio riportare integralmente sulla richiesta la seguente dicitura:

- Il sottoscritto è consapevole:
- di essere penalmente sanzionabile se rilascia falsa dichiarazione (art. 76 D.P.R. 445/2000);
 - di decadere dai benefici conseguiti a seguito di un provvedimento adottato sulla base delle false dichiarazioni art. 75 D.P.R. 445/2000);
 - che l'Amministrazione si riserva di controllare la veridicità delle dichiarazioni rese (art. 71 D.P.R. n. 445/2000).
 - che i dati forniti dal dichiarante saranno utilizzati solo ai fini del procedimento richiesto (D.L.vo n° 196/2003).

MALATTIE RARE

Malattie rare (orfane) = malattie che hanno una prevalenza inferiore a 5 per 10.000 abitanti

L'OMS sostiene che le malattie e le sindromi considerate *rare* siano ~ 5.000 di cui la maggioranza causate da anomalie genetiche

Mancano dati precisi sulla frequenza di queste malattie perchè non esiste un efficiente sistema di notificazione dei casi

Attualmente non esiste un'unica classificazione esauriente delle malattie rare né a livello Nazionale, né a livello Europeo

LEGISLAZIONE NAZIONALE

PSN 1998 - 2000

D.L.vo n.124 /1998



DM n. 279 maggio 2001

Istituzione di una Rete Nazionale dedicata alle MR

- ✓ prevenzione
- ✓ sorveglianza
- ✓ miglioramento interventi di diagnosi e terapia
- ✓ promuovere informazione e formazione

Presidi accreditati, abilitati dalle Regioni ad erogare prestazioni finalizzate a diagnosi e trattamento delle MR secondo protocolli clinici concordati



RETE NAZIONALE

Registro Nazionale delle MR



dati complessivi su diffusione e distribuzione delle MR

miglioramento della conoscenza riguardo a cause e fattori di rischio ad esse associate

MALATTIE RARE

Con DM 279/2001 è istituita a livello nazionale la rete delle malattie rare; la regione Piemonte con DGR 22-11870 del marzo 2004 istituisce la Rete Regionale per prevenzione, sorveglianza, diagnosi e terapia delle Malattie Rare con costituzione c/o l'ASL 4 di TO del Centro Regionale di coordinamento.

LEGISLAZIONE REGIONALE

Giunta Regionale



DGR n.22-1870
Marzo 2004

Rete Regionale per MR composta da presidi sanitari regionali e ne costituisce c/o la ASL 4 di Torino il centro di coordinamento.

La regione Piemonte coinvolge tutte le ASL e le ASO presenti nel territorio permettendo un'assistenza diffusa ed omogenea. Tutti i presidi partecipano alla Rete Regionale attraverso la segnalazione al Registro Regionale dei pazienti affetti da MR.



DGR n.38-15326
12 aprile 2005

Istituisce un Tavolo Tecnico Specialistico, formato dai referenti delle ASO, per supportare il Centro Regionale di coordinamento nel lavoro di monitoraggio delle MR sul territorio piemontese.

MALATTIE RARE

In seguito alla succitata DGR, una nota (ottobre 2005) dell'assessore della Regione Piemonte a titolo "erogazione assistenza farmaceutica a pz affetti da M. rare" specifica che *" per quanto concerne l'assistenza farmaceutica...[omissis]....è riconosciuta ai pazienti l'erogazione in regime di SSR di tutti i farmaci (sono esclusi parafarmaci o altri prodotti) necessari, compresi quelli in fascia C, dei medicinali innovativi la cui commercializzazione è autorizzata in altri Stati ma non ancora nel territorio nazionale...[omissis]...."*.

Circolare Regione Piemonte del 13-06-2007

“erogazione farmaci per i pazienti affetti da MR”:

L'erogazione dei farmaci è vincolata alla stesura del PT, di validità massima di 12 mesi. Vista l'atipicità delle terapie per le MR, è riconosciuta ai pazienti l'erogazione in regime di SSR, oltre a tutti gli altri farmaci prescritti, anche di:

farmaci classe C


farmaci innovativi non autorizzati in Italia ma in altri Stati

farmaci utilizzati al di fuori delle indicazioni autorizzate

preparati galenici

dispensati esclusivamente dai Servizi Farmaceutici Regionali

E' escluso ogni prodotto non registrato come specialità medicinale

- 
- ▶ è opportuno che il primo ciclo di terapia sia erogato dal Centro specialistico prescrittore così da fornire le dovute informazioni sul trattamento al paziente e accordare all'Asl di residenza i tempi tecnici di approvvigionamento
 - ▶ per facilitare la raccolta dati, la Regione ha realizzato un applicativo informatico che permette la gestione delle schede di segnalazione di MR e dei relativi PT che possono essere stampati su una modulistica standard unica per tutta la Regione

Per monitorare l' utilizzo dei farmaci erogati, controllare la spesa e verificare l'appropriatezza delle indicazioni e del trattamento occorre che :

1. Si utilizzino esclusivamente i PT regionali compilati con il programma informatizzato



applicativo che permetterà l'accesso diretto dei SFR ai PT dei pazienti residenti nell'Asl

2. Si sottopongano all'esame del Centro di Coordinamento (ASL 4) gli eventuali PT di altre Regioni, o Stati; quest'ultimo provvederà a verificare l'accreditamento del Centro prescrittore e l'appropriatezza della prescrizione. In questo caso lo stesso Centro si farà carico dell'inserimento dei dati nel Registro Regionale
3. Si provveda a inserire tutti i farmaci erogati nel File F

OFF-LABEL

Utilizzo di terapie farmacologiche per:

- **indicazioni dosaggio**
- **frequenza di somministrazione**
- **durata**
- **via di somministrazione**

diverse da quelle autorizzate

Legge 648/96 (art. 1 comma 4)

Qualora non esista valida alternativa terapeutica, sono erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale:

medicinali innovativi la cui commercializzazione e' autorizzata in altri Stati ma non sul territorio nazionale

medicinali non ancora autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica

medicinali da impiegare per un'indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata

inseriti in apposito elenco predisposto e periodicamente aggiornato dall'A.I.F.A.

Legge 94/98 (Art. 3 comma 2 - Legge Di Bella)

In singoli casi il medico, sotto la sua diretta responsabilità e previa informazione del paziente e acquisizione del consenso dello stesso, può:

impiegare un medicinale prodotto industrialmente per un'indicazione o una via di somministrazione o una modalità di somministrazione o di utilizzazione diversa da quella autorizzata, ovvero riconosciuta agli effetti dell'applicazione dell'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, qualora il medico stesso ritenga, in base a dati documentabili, che il paziente non possa essere utilmente trattato con medicinali per i quali sia già approvata quella indicazione terapeutica o quella via o modalità di somministrazione e purché tale impiego sia noto e conforme a lavori apparsi su pubblicazioni scientifiche accreditate in campo internazionale.

L' erogazione dei medicinali non potrà in nessun caso essere a carico del Servizio Sanitario Nazionale

D.M. 08 maggio 2003 (uso compassionevole)

**Alle condizioni previste dal D.M. 08 maggio 2003
un medicinale prodotto in stabilimento farmaceutico,
sottoposto a sperimentazione clinica sul territorio italiano o
in Paese estero, privo dell'autorizzazione, può essere
richiesto all'impresa produttrice per uso al di fuori della
sperimentazione clinica quando**

**non esista valida alternativa terapeutica al trattamento di
patologie gravi, o di malattie rare o di condizioni di malattia
che pongono il paziente in pericolo di vita**

Il medicinale è fornito gratuitamente dall'impresa autorizzata.

Legge Finanziaria 2007

(art. 1, comma 796 lettera Z)

Il ricorso con carattere diffuso e sistematico a terapie farmacologiche

a carico del Servizio Sanitario Nazionale

(fatto salvo quanto previsto dalla L. 648/96)

al di fuori delle condizioni A.I.C. non è possibile per la cura di patologie

per le quali risultino autorizzati farmaci recanti specifica indicazione al trattamento

L'individuazione dei responsabili dei procedimenti applicativi di tale disposizione è demandata alle Regioni anche sotto il profilo della responsabilità amministrativa per danno erariale



Regione Piemonte

La Regione Piemonte pone a carico dei Direttori Sanitari delle Aziende Sanitarie Regionali tale responsabilità

Impregiudicati eventuali profili di responsabilità personale del singolo medico prescrittore

La Regione Piemonte dispone che:

i trattamenti off-label devono essere effettuati attraverso l'erogazione diretta da parte delle A.S.L. – secondo i procedimenti applicativi individuati dai Direttori Sanitari

ciascuna A.S.L. deve monitorare:

farmaco utilizzato

motivo della prescrizione (distinguendo tra "Assenza di farmaci autorizzati" e "Farmaco da utilizzare fuori dell'A.I.C.")

patologia trattata

costo relativo

Procedure operative da adottare per l'utilizzo di medicinali "off-label" in ambito ospedaliero ed ambulatoriale dei servizi dell'A.S.L. VCO

Usi diffusi e sistematici

Il Direttore S.O.C./S.S. presenta richiesta alla D.S.O. vistata dal Direttore del Dipartimento (secondo la modulistica predefinita) completa di letteratura scientifica a supporto

→ *Studi randomizzati*

→ *Metanalisi*

→ *Studi clinici*

→ *Case reports*

- La D.S.O. trasmette la documentazione alla C.F.I.
- La C.F.I. valuta l'appropriatezza prescrittiva emanando un provvedimento

Il medico prescrittore che abbia disatteso quanto previsto dalla procedura operativa incorrerà in un'eventuale responsabilità personale in merito al danno erariale

Procedure operative da adottare per l'utilizzo di medicinali "off-label" in ambito ospedaliero ed ambulatoriale dei servizi dell'A.S.L. VCO

Uso per singolo paziente

Il Direttore S.O.C./S.S. presenta richiesta alla Farmacia (secondo la modulistica predefinita) completa di

→ *letteratura scientifica a supporto*

- *Studi randomizzati*
- *Metanalisi*
- *Studi clinici*
- *Case reports*

→ *relazione dettagliata sul paziente*

La Farmacia Ospedaliera o Territoriale trasmette la documentazione alla C.F.I.

La Farmacia erogherà il farmaco acquisito il parere favorevole della C.F.I.

→ *in caso di urgenza la Farmacia erogherà il farmaco ed il medico richiedente informerà il paziente che nel caso non pervenisse il benestare della C.F.I. il trattamento non potrà essere proseguito a carico del SSN*

Off-label autorizzato in regime ambulatoriale

→ *la farmacia si farà carico della dispensazione*

Il medico prescrittore che abbia disatteso quanto previsto dalla procedura operativa incorrerà in un'eventuale responsabilità personale in merito al danno erariale

«Se tu hai una mela e io ho una mela e ce la scambiamo, allora tu ed io abbiamo sempre una mela per uno. Ma se tu hai un'idea ed io ho un'idea e ce la scambiamo, allora abbiamo entrambi due idee»

George Bernard Show

GRAZIE PER L'ATTENZIONE!!

