



Ministero del Lavoro  
e delle Politiche Sociali

Iniziativa finanziata  
dal Ministero del Lavoro  
e delle Politiche Sociali  
Legge 383/2000  
lettera d) annualità 2012

determinazione  
**RARA**



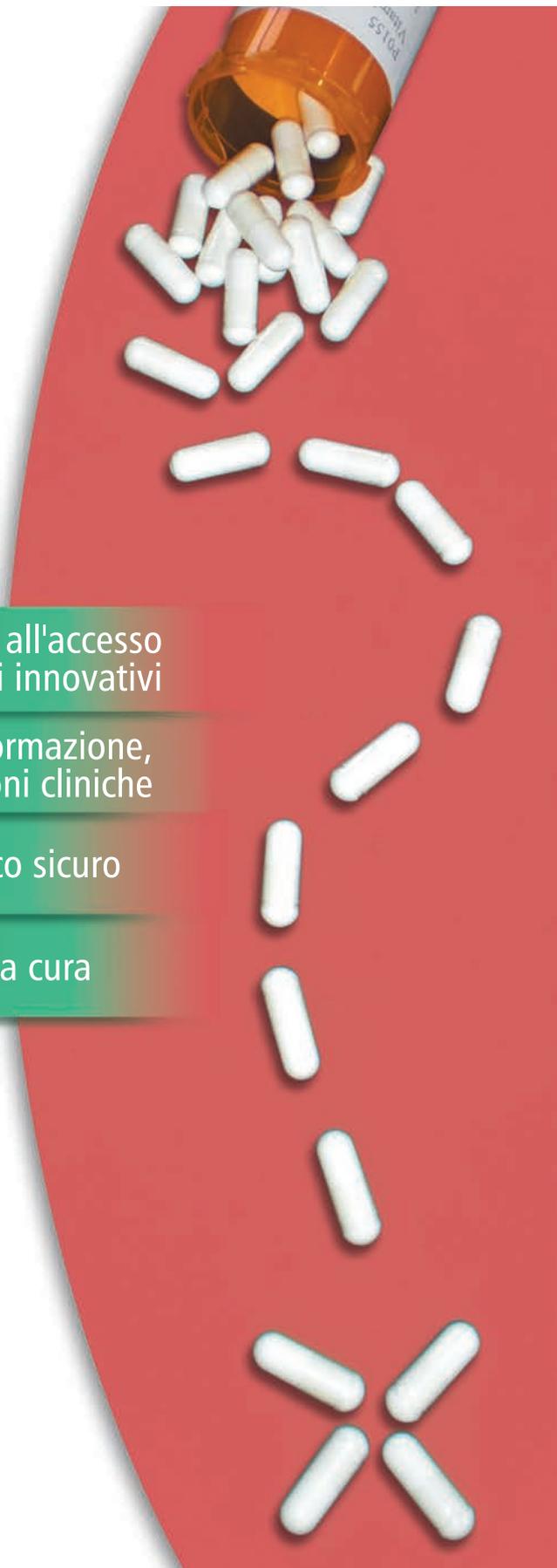
DIRITTI E PERCORSI  
DI ACCESSO AL FARMACO:  
UN ITER INFORMATIVO

promossa da:

**UNIAMO**

FEDERAZIONE ITALIANA  
MALATTIE RARE  
ONLUS

## Diritti ed accesso al farmaco: iter informativo



## Come si classificano i farmaci?

### Farmaci in classe A:

salvavita, gratuiti per il cittadino per le indicazioni terapeutiche autorizzate, anche se le Regioni possono decidere se applicarvi un ticket, per confezione venduta o per ricetta;

### Farmaci in Classe C:

a totale carico del cittadino. Nella classe C si includono sia prodotti medicinali con obbligo di prescrizione che medicinali la cui vendita non è vincolata alla presentazione di una ricetta medica, che comprendono i prodotti senza obbligo di prescrizione che i prodotti da banco.

### Farmaci in classe H:

Erogabili solo in ambito ospedaliero, per la loro alta innovatività o per caratteristiche farmacologiche.

### Farmaci equivalenti:

quando il brevetto di un prodotto medicinale scade, il farmaco può venir prodotto e commercializzato da un'azienda autorizzata, diversa dalla casa madre. La nuova azienda farmaceutica produttrice deve documentare e comprovare al Ministero della salute l'uguale efficacia rispetto alla specialità medicinale alla quale corrisponde, la bioequivalenza.



*Per saperne di più:*

[www.ferderfarmaco.it](http://www.ferderfarmaco.it)

[www.agenziafarmaco.gov.it](http://www.agenziafarmaco.gov.it)

\* AIFA, l'Agenzia Italiana del Farmaco è il braccio tecnico del Ministero della Salute che si dedica alle politiche del farmaco, dal suo sviluppo alla farmacovigilanza. È l'Agenzia regolatoria del farmaco deputata ad garantire la sicurezza del farmaco e dei dispositivi medici.

*Le corsie "preferenziali" per le persone affette da patologie rare*

## Se non c'è valida alternativa terapeutica: Legge n. 648/1996

La Legge 648/96 consente l'erogazione di alcuni medicinali a totale carico del Sistema sanitario nazionale, qualora non esista valida alternativa terapeutica, quali:

- medicinali innovativi la cui commercializzazione è autorizzata all'estero ma non sul territorio nazionale;



- medicinali non ancora autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica di cui siano disponibili risultati positivi di studi clinici di Fase II;
- medicinali da impiegare per un'indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata (uso off-label) di cui siano già disponibili risultati di studi clinici di Fase II purché si diano le seguenti condizioni specifiche
  - I prodotti medici e le relative indicazioni di utilizzo siano inserite nell'elenco predisposto e periodicamente aggiornato dalla Commissione Tecnico-Scientifica dell'AIFA.
  - La prescrizione dei farmaci inseriti sia stata effettuata sulla base di un piano terapeutico predisposto dal **Centro prescrittore**.
  - Il paziente è previamente informato della tipologia di trattamento terapeutico proposto e dei rischi e benefici implicati.
  - È documentato il **consenso informato del paziente**: il paziente deve essere consapevole che assumere un prodotto medicinale non validato per l'indicazione proposta implica assumere un trattamento rispetto a cui non esistono ancora dati completi

L'inserimento nell'elenco viene effettuato dall'AIFA su richiesta documentata da parte di associazioni dei malati, società scientifiche, aziende sanitarie, università o su indicazione della Commissione Tecnico Scientifica dell'AIFA, dopo attenta valutazione di:

- Una relazione di carattere scientifico sulla patologia che ne rappresenti la gravità e l'assenza di una valida alternativa terapeutica;
- Il numero di soggetti interessati al trattamento (sul territorio nazionale),
- Il completamento favorevole di studi clinici di Fase I e II (per l'indicazione richiesta)
- La descrizione del piano terapeutico,
- L'ammontare previsto della spesa derivante,
- Lo stato autorizzativo del medicinale in Italia ed all'estero con indicazioni dell'azienda produttrice o fornitrice.

La 648 può essere utilizzata, quindi, a fronte di evidenze scientifiche forti e/o di processi autorizzativi centralizzati o nazionali, avviati o in fase istruttoria, per garantire una precoce disponibilità di accesso a terapie valide per una comunità di pazienti.



## Fuori indicazione: Legge Di Bella

La prescrizione di un prodotto medicinale per

- **un'indicazione,**
- **una via/modalità di somministrazione o di utilizzazione diverse da quelle autorizzate** è possibile e normata dalla Legge 8 aprile 1998, n. 94 ("Legge Di Bella"). La Legge Di Bella ammette una prescrizione di prodotti medicinali fuori indicazione (cosiddetto uso off-label di un farmaco) in casi singoli e sotto particolari condizioni:
  - Il **medico prescrittore** sotto la sua diretta responsabilità e sulla base di dati documentabili dimostra che il paziente non può essere diversamente trattato e che l'impiego fuori indicazione sia noto ed accreditato sulla base di pubblicazioni scientifiche internazionali.
  - Il paziente è previamente informato della tipologia di trattamento terapeutico proposto e dei rischi e benefici implicati.



- È documentato il **consenso informato del paziente**: il paziente deve essere consapevole che assumere un prodotto medicinale non validato per l'indicazione proposta implica assumere un trattamento rispetto a cui non esistono ancora dati completi sulla sicurezza ed efficacia.
- Si garantisce uno stretto monitoraggio del paziente

Questa norma non riconosce il diritto del paziente all'erogazione del farmaco a carico del SSN.

## I farmaci orfani\* come speranza di cura: Legge 326/2003, Art. 48 (Fondo AIFA)

La legge istitutiva dell'AIFA dispone di un fondo nazionale per l'impiego di farmaci orfani per le malattie rare e di medicinali in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie, alimentato dal 5% delle spese annuali per le attività di promozione delle aziende farmaceutiche (seminari, workshops, ecc.): il 50% dell'importo è dedicato all'acquisto di farmaci orfani per malattie rare e di farmaci non ancora autorizzati e per il restante 50% alla ricerca sull'uso dei farmaci.

Come si può accedere al Fondo?

Tramite le Regioni che inviano ad AIFA le istanze documentate dei Centri di riferimento che hanno in carica il paziente, o direttamente tramite i singoli Centri con in copia-conoscenza la propria Regione. La documentazione necessaria per la richiesta di accesso al fondo prevede per ciascun paziente:

- richiesta formale,
- letteratura scientifica a supporto,
- breve relazione clinica con piano terapeutico.

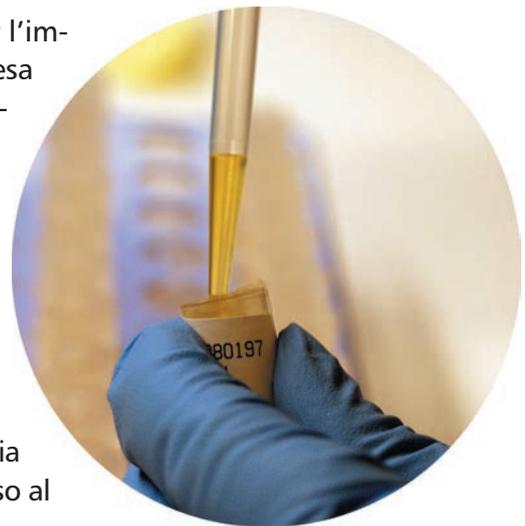
L'istanza viene valutata dalla Commissione consultiva Tecnico Scientifica dell'AIFA che esprime il parere, previa verifica dell'esistenza delle condizioni previste dalla legge. L'acquisto del prodotto viene rimborsato dall'AIFA all'azienda farmaceutica, sulla base dei quantitativi indicati dal medico richiedente.

*\* Farmaco/Prodotto orfano, potenzialmente utile per la cura di una persona affetta da patologia rara, ma data l'esiguità della popolazione cui sarebbe destinato e la conseguente scarsa remuneratività, di limitato interesse per l'industria. In Unione Europea dal 2000 vige un regolamento che incentiva la ricerca e la commercializzazione grazie ad un iter accelerato e agevolato di designazione.*

## Uso terapeutico di un medicinale ancora sottoposto a sperimentazione clinica o cosiddetto "uso compassionevole", DM 8 maggio 2003

In Italia quando una persona è affetta da patologie gravi o rare, o è in condizioni morbose che la pongono in pericolo di vita, qualora non esistano valide alternative terapeutiche, è possibile un utilizzo anticipato o allargato di un farmaco sottoposto a sperimentazione con dati favorevoli di studi in Fase III o in Fase II, in condizioni particolari,

- su richiesta motivata e con assunzione di responsabilità da parte del medico,
- stante la preventiva dichiarata disponibilità dell'azienda produttrice di fornitura gratuita del far-



maco, per un uso nominale su un singolo paziente non incluso nella sperimentazione, o per più pazienti che hanno partecipato alla sperimentazione clinica ottenendo risultati così positivi, sotto il profilo dell'efficacia e tollerabilità, da configurare la necessità di un tempestivo utilizzo,

- previo parere favorevole all'uso da parte del Comitato Etico nel cui ambito di competenza si è originata la richiesta stessa,
- con notifica parallela al Ministero della salute - Direzione generale valutazione medicinali e farmacovigilanza – Ufficio sperimentazione clinica,
- e a seguito dell'espressione del consenso informato del paziente.

Questa tipologia di accesso, al di fuori di uno studio clinico e prima dell'approvazione alla commercializzazione da parte dell'autorità regolatoria competente, viene comunemente definito "uso compassionevole" e ha una forte valenza etica: offre ad una persona che non ha altre opzioni terapeutiche, un'opzione di cura altrimenti indisponibile con un farmaco sperimentale, ma con dati di tollerabilità e di efficacia già comprovati.

### Principali requisiti per un accesso anticipato al farmaco sulla base delle diverse normative vigenti

Requisito	Legge 648/96	Legge 326/2003	DM. 8 maggio 2003	Legge 94/98
Mancanza di valida alternativa terapeutica	Si	Non esplicitato	Si	Si
Consenso informato del paziente	Si	Non esplicitato	Si	Si
Documentazione scientifica a supporto	Risultati studi di fase II (per farmaci in sperimentazione)	Relazione clinica del paziente	Studi di fase III, o in casi particolari di condizioni di morbosità che pongano il paziente in pericolo di vita, studi clinici già conclusi di fase II	Almeno risultati studi di fase II, positivamente conclusi
Assunzione di responsabilità del medico	Si	Non esplicitato	Si	Si
Trasmissione dei dati di monitoraggio	AIFA e assessorato regionale (solo per lista "classica" o "storica")		Notifica della documentazione relativa alle richieste di medicinali formulate ai sensi del DM 8/5/2003 e approvate dal Comitato Etico locale	
Contribuente al costo della terapia	SSN	AIFA	Fornitura gratuita da parte dell'Azienda Farmaceutica	Cittadino, tranne in caso di ricovero



## Legge 16 maggio 2014 n. 79: un nuovo corso per i farmaci fuori indicazione?

Le corsie preferenziali fino ad oggi previste per prescrivere in via eccezionale un farmaco fuori indicazione avevano come discriminante l'impossibilità di una valida alternativa terapeutica. La Legge varata poche settimane fa inserisce una grande variazione: anche in presenza di una valida alternativa terapeutica nell'ambito dei farmaci autorizzati, è possibile inserire nella Lista 648 farmaci che possono essere utilizzati per una indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata purché tale indicazione sia nota e conforme a ricerche condotte nell'ambito della comunità scientifica nazionale e internazionale, secondo parametri di economicità ed appropriatezza. L'inserimento può avvenire solo dopo una valutazione dell'AIFA, con conseguente erogazione a carico del SSN. In caso di inserimento di un medicinale *off-label* nella Lista 648, l'AIFA dovrà attivare idonei strumenti di monitoraggio a tutela della sicurezza dei pazienti.

### Che accade quando un medicinale non è in commercio?

Se un medicinale non è registrato in Italia ma regolarmente autorizzato in un Paese estero, non sostituibile con altri medicinali in commercio in Italia, e il medico responsabile del paziente valuta quella terapia determinate per il paziente, previa

- assunzione di responsabilità da parte del medico,
- espressione del consenso informato del paziente,

è possibile richiedere l'importazione del medicinale secondo le indicazioni previste dal DM 11 febbraio 1997.

Il farmaco potrà essere impiegato solo sulla base delle indicazioni terapeutiche autorizzate dal Paese di provenienza. L'onere della spesa per l'acquisto di medicinali non registrati in Italia è a carico dell'assistito a meno che il farmaco non venga impiegato in ambito ospedaliero.



*segreteria organizzativa:*  
UNIAMO F.I.M.R. o.n.l.u.s.  
San Marco 1737 - 30124 Venezia  
Tel. e Fax 041 2410886  
segreteria@uniamo.org  
www.uniamo.org

**UNIAMO**  
FEDERAZIONE ITALIANA  
MALATTIE RARE  
ONLUS

