



**Regione del Veneto**  
**Istituto Oncologico Veneto**

**UOC FARMACIA**  
**Segreteria Tecnico-Scientifica**  
**Comitato Etico Sperimentazioni Cliniche**

**ISTRUZIONE OPERATIVA**  
**USO TERAPEUTICO DI MEDICINALE SOTTOPOSTO A**  
**SPERIMENTAZIONE CLINICA**  
**(COSIDDETTO 'USO COMPASSIONEVOLE')**

		<b>pag. 1</b>	<b>di 5</b>
<b>Codice:</b>	<b>I_FAR_IO03</b>		
<b>Revisione:</b>	<b>00</b>		
<b>Data emissione:</b>	<b>01/06/2022</b>		
<b>Data entrata in vigore:</b>	<b>01/06/2022</b>		
<b>Redazione:</b> <b>Segreteria scientifica Comitato Etico</b> <b>Sperimentazioni Cliniche</b>	<b>Giorgia Zorzetto</b> <b>Eleonora Martin</b>		
<b>Verifica:</b> <b>Referente Qualità UOC Farmacia</b>	<b>Elena Berti</b>		
<b>Approvazione ed emissione:</b> <b>Direttore UOC Farmacia</b> <b>Responsabile Segreteria Scientifica</b> <b>Comitato Etico Sperimentazioni</b> <b>Cliniche</b>	<b>Marina Coppola</b>		
<b>Responsabile di processo:</b>	<b>Segreteria Tecnico Scientifica Comitato Etico</b> <b>Sperimentazioni Cliniche</b>		

*Il presente documento è proprietà dell'Istituto Oncologico Veneto e ne è vietata ogni forma di divulgazione non espressamente autorizzata*

## Sommario

1	Scopo e campo di applicazione .....	2
2	Riferimenti .....	2
3	Riepilogo delle revisioni .....	2
4	Termini, definizioni e abbreviazioni .....	2
5	Modalità operative .....	3
5.1	Generalità.....	3
5.2	Richiesta farmaci a uso compassionevole .....	4
6	Allegati .....	5

## 1 Scopo e campo di applicazione

Scopo della presente istruzione operativa è quello di descrivere le procedure necessarie per la richiesta di farmaco/i sottoposto/i a sperimentazione, da utilizzarsi secondo quanto previsto dal DM 07/09/2017.

La presente istruzione operativa si applica per la richiesta di uso terapeutico di medicinali sottoposti a sperimentazione clinica (cosiddetto 'uso compassionevole').

## 2 Riferimenti

Riferimenti	<ul style="list-style-type: none"><li>DM 07/09/2017 "Disciplina dell'uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica".</li><li>Nota Regione prot. N. 520732 del 13/12/2017</li></ul>
-------------	---

## 3 Riepilogo delle revisioni

Revisione	Data emissione	Oggetto della revisione
00	01/06/2022	Prima emissione

## 4 Termini, definizioni e abbreviazioni

**CESC:** Comitato Etico per la Sperimentazione Clinica

**GMP:** Good Manufacturing Practices

**Malattia rara:** malattia la cui prevalenza non superi la soglia di cinque casi su diecimila persone (5/10.000), 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.

*Il presente documento è proprietà dell'Istituto Oncologico Veneto e ne è vietata ogni forma di divulgazione non espressamente autorizzata*

**Programma di Uso Terapeutico:** impiego di medicinali nell'ambito dell'uso compassionevole in più pazienti, sulla base di un protocollo clinico definito e identico per tutti i pazienti.

**STS:** Segreteria Tecnico-Scientifica

**Tumori rari:** tumori con incidenza inferiore a 6/100.000/anno.

**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.

## 5 Modalità operative

### 5.1 Generalità

L'uso dei medicinali oggetto della procedura è richiesto per il trattamento di pazienti affetti da patologie gravi, malattie rare, tumori rari o in condizioni di malattia che li pongano in pericolo di vita, per i quali non siano disponibili valide alternative terapeutiche o che non possano essere inclusi in una sperimentazione clinica o, ai fini della continuità terapeutica, per i pazienti già trattati con beneficio clinico nell'ambito di una sperimentazione già conclusa.

La richiesta di autorizzazione a tale uso è possibile solo quando vengono rispettate le seguenti condizioni:

- il medicinale è già oggetto, nella medesima specifica indicazione terapeutica, di studi clinici sperimentali in corso o conclusi di fase III o solo nei **casi particolari di condizioni di malattia che pongono il paziente in pericolo di vita, di studi clinici già conclusi di fase II** che diano dati sufficienti per formulare un favorevole giudizio sull'efficacia e la tollerabilità del medicinale richiesto;
- il medicinale è provvisto di Certificazione di produzione secondo le norme di buona fabbricazione (GMP);
- in caso di malattie rare o tumori rari devono essere disponibili **studi clinici sperimentali almeno di fase I**, già conclusi o che abbiano documentato l'attività e la sicurezza del medicinale, ad una determinata dose e scheda di somministrazione, in indicazioni anche diverse da quella per la quale si richiede l'uso compassionevole. In tal caso la possibilità di ottenere un beneficio clinico dal medicinale deve essere ragionevolmente fondata in base al meccanismo d'azione e agli effetti farmacodinamici del medicinale.

La richiesta può essere fatta per:

- un singolo paziente non trattato nell'ambito di studi clinici per uso nominale all'interno di programmi di uso terapeutico;
- pazienti che hanno precedentemente partecipato ad una sperimentazione clinica che ha dimostrato un profilo di tollerabilità, sicurezza ed efficacia tali da configurare un'indicazione di continuità terapeutica anche a conclusione dello studio clinico.

La richiesta può essere presentata:

- dal medico per il singolo paziente non trattato nell'ambito di studi clinici, per uso nominale o nell'ambito di programmi di uso terapeutico;

*Il presente documento è proprietà dell'Istituto Oncologico Veneto e ne è vietata ogni forma di divulgazione non espressamente autorizzata*

- da più medici operanti in diversi centri o da gruppi collaborativi multicentrici;
- dal medico o da gruppi collaborativi per pazienti che hanno partecipato ad una sperimentazione clinica che ha dimostrato un profilo di tollerabilità, sicurezza ed efficacia tali da configurare un'indicazione di continuità terapeutica, anche a conclusione dello studio clinico;
- in caso di malattie rare o tumori rari, la richiesta di medicinali, per i quali sono disponibili solo studi clinici sperimentali di fase I, è presentata dal medico che dirige il centro clinico individuato dalla Regione per il trattamento delle malattie rare o il centro clinico appartenente alla Rete nazionale dei tumori rari.

## **5.2 Richiesta farmaci a uso compassionevole**

La richiesta deve essere sottoposta alla valutazione del CESC IOV inviando all'indirizzo [comitato.etico@iov.veneto.it](mailto:comitato.etico@iov.veneto.it) la seguente documentazione:

### **1. Modulo di richiesta al Comitato Etico di uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica e dichiarazione di assunzione di responsabilità (Allegato 1).**

### **2. Protocollo – Relazione clinica del paziente**

Devono essere presenti ed adeguatamente documentati TUTTI i seguenti elementi come previsto dal DM 07/09/2017 (art.4 comma 1):

- Motivazione clinica della richiesta;
- Schema posologico e modalità di somministrazione di cui è stata dimostrata sicurezza e attività nelle sperimentazioni cliniche sulle quali si fonda la richiesta;
- Dati pertinenti relativi alla sicurezza, alla tollerabilità e all'efficacia;
- Grado di comparabilità dei pazienti inclusi nelle sperimentazioni cliniche e di coloro per i quali è formulata la richiesta o, per le sole malattie e tumori rari, la sussistenza almeno di un comune meccanismo d'azione che renda prevedibile un beneficio clinico sulla base delle evidenze disponibili per il medicinale.

La relazione clinica del paziente dev'essere dettagliata e il medico, oltre ad indicare le motivazioni che hanno portato alla richiesta del farmaco, deve specificare lo stato clinico del paziente, ECOG, il motivo del carattere di urgenza, e ogni altra informazione ritenuta utile ai fini della valutazione.

### **3. Scheda/modalità di raccolta dati (CRF)**

### **4. Dichiarazione di disponibilità dell'azienda produttrice alla fornitura gratuita del medicinale (Allegato 2 - Facsimile)**

### **5. Foglio informativo e Modulo di consenso per il paziente (Allegato 3), costituito dalle seguenti parti:**

#### **A. Foglio informativo relativo all'uso compassionevole e Modulo di consenso**

*Il presente documento è proprietà dell'Istituto Oncologico Veneto e ne è vietata ogni forma di divulgazione non espressamente autorizzata*

B. Informativa e manifestazione del consenso al trattamento dei dati personali (Da compilarsi solo nel caso in cui la ditta non abbia già provveduto a fornire il modulo informativo sul trattamento dei dati personali).

**6. Scheda tecnica o Investigator's Brochure del farmaco o Letteratura** che riporti almeno uno studio in cui è stato somministrato il farmaco in oggetto a pazienti comparabili a quelli cui si intende somministrare lo stesso farmaco.

Il clinico è tenuto, inoltre, a compilare la 'Checklist - DECRETO 7 settembre 2017' (Allegato 4) scrivendo per ciascuna voce il documento di riferimento.

Il 'Modulo di richiesta al Comitato Etico di uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica e dichiarazione di assunzione di responsabilità' (Allegato 1) deve essere protocollato e inviato tramite mail alla STS CESC IOV all'indirizzo [comitato.etico@iov.veneto.it](mailto:comitato.etico@iov.veneto.it) con allegata tutta la documentazione prevista.

Tutti gli allegati sono disponibili anche sulla pagina web CESC IOV all'indirizzo <https://www.ioveneto.it/ricerca/comitato-etico-sperimentazioni-cliniche/>.

La STS, verificata la completezza della documentazione presentata, invierà via mail i documenti ricevuti ai componenti del CESC per la valutazione della domanda e della relativa documentazione a supporto, nelle seguenti giornate a cadenza settimanale:

- Lunedì → Parere dei componenti CESC espresso entro Mercoledì ore 9.00
- Giovedì → Parere dei componenti CESC espresso entro Sabato ore 9.00.

La STS, ricevuto il parere da parte dei componenti il CESC, in numero almeno pari alla metà più uno, redige e invia la lettera protocollata del parere espresso, a firma del Presidente del CESC, al medico richiedente e, per conoscenza, all'UOC Farmacia IOV nelle seguenti giornate:

- Mercoledì (per le richieste inviate il lunedì)
- Lunedì (per le richieste inviate il giovedì).

Successivamente, la STS trasmetterà all'Ufficio Sperimentazione Clinica dell'AIFA per via telematica all'indirizzo di posta elettronica [usocompassionevole@aifa.gov.it](mailto:usocompassionevole@aifa.gov.it) il parere, corredato dalla relativa documentazione, entro tre giorni dalla data nella quale è stato emesso.

A partire dal 1 gennaio 2018 **tutti i protocolli di uso terapeutico** ai sensi del DM 7/9/2017 devono essere inseriti nel Registro Regionale CE Online (Nota Regione prot. N. 520732 del 13/12/2017).

## 6 Allegati

**Allegato 1:** Modulo di richiesta al Comitato Etico di uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica e dichiarazione di assunzione di responsabilità (Mod01-I\_FAR\_IO03)

**Allegato 2:** Facsimile Dichiarazione di disponibilità dell'azienda produttrice alla fornitura gratuita del medicinale (Mod02-I\_FAR\_IO03)

**Allegato 3:** Foglio informativo e Modulo di consenso per il paziente (Mod03-I\_FAR\_IO03)

**Allegato 4:** Checklist - DECRETO 7 settembre 2017 (Mod04-I\_FAR\_IO03)

*Il presente documento è proprietà dell'Istituto Oncologico Veneto e ne è vietata ogni forma di divulgazione non espressamente autorizzata*