



### **STUDIO SUI FARMACI AD USO COMPASSIONEVOLE**

Il D.M. 8 maggio 2003, noto come Decreto uso compassionevole, stabilisce all'art.1 che "un medicinale 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. All'art. 2 dello stesso D.M. si chiarisce che "l'autorizzazione all'uso del medicinale di cui all'art. 1 può essere rilasciata soltanto qualora ricorrano le seguenti condizioni:

- a) il medicinale sia già oggetto, nella medesima specifica indicazione terapeutica, di studi clinici sperimentali, in corso o conclusi, di fase III o, in casi particolari di condizioni di malattia che pongano il paziente in pericolo di vita, di studi clinici già conclusi di fase II;
- b) i dati disponibili sulle sperimentazioni di cui alla lettera a) siano sufficienti per formulare un favorevole giudizio sull'efficacia e la tollerabilità del medicinale richiesto"

Nel caso sussistano le condizioni riportate negli artt. 1 e 2 sopra citati, la richiesta per un uso compassionevole deve essere corredata dai seguenti documenti per ogni singolo paziente per cui si fa la richiesta:

- 1) Lettera di trasmissione, indirizzata al Presidente del Comitato Etico Indipendente (Prof. Ernesto d'Aloja Comitato Etico Indipendente AOU di Cagliari – Via Ospedale n. 54 Cagliari) e alla Direzione Generale dell'Azienda di pertinenza, relativa alla richiesta di uso compassionevole del medicinale redatta e firmata dal medico prescrittore (considerato il responsabile locale della richiesta), con l'indicazione della struttura dove sarà eseguita la terapia;
- 2) Autorizzazione della Direzione Sanitaria dell'Azienda a cui afferisce il medico proscrittore;
- 3) Dichiarazione di assunzione di responsabilità per uso compassionevole a cura del medico proscrittore, firmata e datata;
- 4) Relazione clinica di motivazione del ricorso al medicinale sperimentale per lo specifico paziente dalla quale si evinca che il farmaco per il quale si fa richiesta di uso compassionevole rappresenti l'unica alternativa terapeutica;
- 5) Sinossi dello Studio in lingua italiana;
- 6) Protocollo d'uso del farmaco e schema terapeutico;
- 7) Lista delle informazioni da raccogliere durante lo Studio o scheda clinica per la raccolta dati (Case Report Form);
- 8) Informativa e modulo per il consenso informato nella lingua dei soggetti partecipanti riportante la versione e la data;
- 9) Informativa per i soggetti partecipanti sulle garanzie di riservatezza per la protezione dei dati personali, predisposta nel rispetto del Regolamento generale sulla protezione dei dati personali UE 2016/679 e del D.Lgs. 196/2003;
- 10) Nota informativa per il medico di Medicina Generale;
- 11) Dichiarazione di disponibilità della impresa produttrice alla fornitura gratuita del medicinale, con l'indicazione delle modalità di fornitura;
- 12) Documentazione relativa a studi clinici sperimentali di fase III, in corso o conclusi, o di fase II conclusi, (ai sensi dell'art. 2, comma 1, lettera a e b, D.M. 08.05.2003);
- 13) Curriculum vitae del medico prescrittore (Responsabile della terapia);
- 14) Dichiarazione che la documentazione fornita in formato elettronico corrisponde alla copia cartacea inviata;
- 15) Eventuale ulteriore documentazione a supporto dello Studio.