

La gestione dei farmaci off label

Parzianello A, Arbo A.

SSD Farmacia, IRCCS materno infantile Burlo Garofolo, Trieste

Per “utilizzo off label” si intende l'utilizzo di un farmaco al di fuori delle condizioni autorizzate e indicate nel Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP) per quanto riguarda l'indicazione terapeutica, il dosaggio, la modalità e la via di somministrazione, la formulazione e la popolazione target del farmaco. Secondo quanto stabilito dalla Legge 94/98 art.3, comma 2 (ex Legge Di Bella), un medico ha facoltà di prescrivere un farmaco off label, sotto la sua responsabilità e previo consenso del paziente, qualora non sussista una valida alternativa terapeutica, purché l'impiego sia noto e conforme a lavori apparsi su pubblicazioni scientifiche accreditate in campo internazionale.

La percentuale di ricorso a prescrizioni off label in ambito pediatrico negli ospedali è molto varia. Il range spazia **dal 13% al 69%** del totale delle prescrizioni, come riportato nel Documento di valutazione della Comunità Europea del 2017 circa le prescrizioni off label in ambito pediatrico [1]. Il ricorso a questa procedura non è un evento così raro considerando l'assenza di farmaci immessi sul mercato autorizzati in questa popolazione target, tenuto conto della complessità della sperimentazione clinica in ambito pediatrico.

La possibilità di cura attraverso l'utilizzo di farmaci in off label è di estrema importanza anche qualora il paziente sia affetto da **malattia rara**.

Circa l'80% delle malattie rare sono di origine genetica e quasi il 90% può esordire durante l'infanzia [2]. Ad oggi sono ancora molte le malattie rare senza un percorso terapeutico stabilito: per questi pazienti l'accesso alle cure attraverso un utilizzo «off label» può rappresentare un'importante possibilità terapeutica.

Infine, se da una parte si può considerare la prescrizione dei farmaci off label come **una grande opportunità di cura e di conoscenza e progresso nelle terapie di certe patologie**, dall'altra non si può non evidenziare **la possibilità di esporre il paziente a potenziali rischi inattesi, tenuto conto della scarsità dei dati e studi clinici ad hoc**.

Gestione di un caso particolare «off label» presso l'IRCCS Burlo Garofolo:

Paziente, patologia rara e farmaco



- Paziente > 6 anni di età con fibrosi cistica
- In terapia anche con ivacaftor
- Omozigosi per la mutazione in indicazione
- **Soggetto a trapianto di organo**
- **Richiesta di Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor**

Tutto in indicazione, ma...

RCP – AVVERTENZE SPECIALI

Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor in associazione a IVA **non è stato studiato** in pazienti con FC sottoposti a trapianto d'organo. **Pertanto, l'uso in pazienti sottoposti a trapianto non è raccomandato.**

ALTRE EVENTUALI MODALITA' DI ACCESSO AL FARMACO?

USO COMPASSIONevole

D.M. 7 settembre 2017

FONDO AIFA del 5%

L.326/2003 art.38

>> L'USO NON E' RACCOMANDATO <<

SICUREZZA DELLA CURA ?

IN SITUAZIONI DI EMERGENZA
ESISTE UN TEMPO LIMITATO PER
INDAGARE LA SICUREZZA DELLA
TERAPIA

RESPONSABILITA' DI CHI ?

CONTROINDICAZIONE ?

USO OFF LABEL ?

TEMPISTICHE ?

Attualmente in FVG le informazioni riguardanti le terapie off label restano disponibili solo livello **delle singole aziende**: non vi è condivisione dei risultati clinici. Resta carente, pertanto, la possibilità di un confronto sistematico dei risultati clinici e della sicurezza delle cure. Al fine di alimentare un **flusso di informazioni condivise** tra i professionisti delle diverse strutture coinvolte e quindi migliorare le informazioni relative a sicurezza efficacia delle terapie off label, sarebbe opportuno creare una piattaforma condivisa almeno a livello regionale.

Riassumendo, i vantaggi di una maggior condivisione delle informazioni circa le terapie prescritte in regime off label per i singoli casi possono essere:

- **Condivisione** dell'iter decisionale
- Aggiornamento **in tempo reale** dell'efficacia della terapia
- Maggiori informazioni sulla **sicurezza** della terapia
- Incremento delle **evidenze** a supporto dell'utilizzo off label

[1] European Commission, 2017. Study on off-label use of medicinal products in the European Union.

[2] European Commission, 2020. Joint evaluation of Regulation (EC) No 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use and Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products.