# RICHIESTE USO COMPASSIONEVOLE DI FARMACI NELL'AREA VASTA CENTRO DI REGIONE TOSCANA NEL PERIODO GENNAIO 2020 - AGOSTO 2021

Autori: Esposito Perfetto A (1), Vietri M (1), Lupi C (1), Pieri E (1), Benemei S (1) per Comitato Etico Area Vasta Centro
1) Segreteria Scientifica del Comitato Etico di Area Vasta Centro - Regione Toscana - Azienda Ospedaliero Universitaria Careggi

Sifact SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACIA CLINICA E TERAPIA
IX Congresso SIFACT 2021

**OBIETTIVO:** Analizzare le caratteristiche (es. area terapeutica, farmaco) delle richieste di parere per uso terapeutico di farmaci ai sensi del DM 07/09/2017 sottomesse al CEAVC nel gennaio 2020 - agosto 2021

## INTRODUZIONE

**Il Decreto Ministeriale 07/09/2017** disciplina l'uso terapeutico di medicinali, forniti gratuitamente dalle aziende farmaceutiche, per pazienti per cui si ritiene non vi siano valide alternative terapeutiche e si vogliano quindi utilizzare:

- Medicinali in sperimentazione clinica
- Medicinali per indicazioni diverse AIC
- Medicinali con AIC non disponibili in Italia

## METODI

La segreteria del CEAVC compila un registro elettronico delle richieste di parere pervenute; per l'analisi in oggetto si analizzano le seguenti variabili:

Tipologia di farmaco richiesto;
Uso terapeutico nominale
vs. expanded access program ed area terapeutica

| Data richiesta | Farmaco | ID CINECA | Azienda farmaceutica | ID paziente | SOD/DAI/UO | Presidio Ospedaliero | Indicazione richiesta d'uso compassionevole | Programma AIFA | Parere revisore | Data approvazione | Ordinaria/ Straordinaria | Data invio verbale | Data invio AIFA | Inserimento condivisa |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 01 13 | Lorlatinib | 13140 | Pfizer | | SODc Oncologia Medica e Clinica | AOUC | Adenocarcinoma del polmone con riarrangiamento ALK | si | Vasile | 01 15 | Straordinaria | 01 18 | 01 20 | completo |
| 01 14 | Pembrolizumab | NA | Merck | | SODc Oncologia Medica e Clinica | AOUC | Adenocarcinoma del colon metastatico non pretrattato in stadio IV con fenotipo MSI-H/dMMR (microsatellite instability high/mismatch repair deficient) | si | Pozzessere | 01 15 | Straordinaria | 01 18 | 01 20 | completo |
| 01 14 | Ibrutinib | NA | Janssen | | SODc Ematologia | AOUC | Linfoma diffuso a grandi cellule B con coinvolgimento del SNC, RR dopo trapianto allogenico. | no | Sant'Antonio | 01 15 | Straordinaria | 01 15 | 01 20 | completo |
| 01 22 | Olaparib | NA | Astrazeneca | | SODc Oncologia Medica e Clinica | AOUC | Adenocarcinoma pancreatico metastatico con mutazione germinale BRCA non progredito dopo la prima linea di trattamento a base di platino | si | Vasile | 01 26 | Straordinaria | 01 27 | 01 28 | completo |
| 01 25 | Plasma iperimmune | NA | NA | | SOC Medicina | PO San Jacopo, Pistoia | COVID-19 | no | Bussotti | 01 27 | Straordinaria | 01 27 | NA | completo |
| 02 11 | Luspatercept | NA | Celgene BMS | | SODc Ematologia | AOUC | Trattamento dell'anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindrome mielodisplastica a rischio basso in paziente che presenta sideroblasti ad anello con risposta insoddisfacente a terapia con eritropoietina | si | Sant'Antonio | 02 16 | Ordinaria | 02 19 | 02 24 | completo |
| 02 15 | Plasma iperimmune | NA | NA | | UO Malattie Infettive | AOUC | Paziente immunocompromesso (s. di Churg Strauss) SARS-CoV-2 positivo | NA | Bussotti | 02 16 | Ordinaria | 02 17 | NA | completo |
| 02 16 | Venetoclax + Navitoclax | NA | Abbvie | | SODc Ematologia | AOUC | Linfoma mantellare e leucemia linfoblastica acuta. | no | Sant'Antonio | 02 24 | Straordinaria | 02 26 | 03 01 | completo |
| 02 17 | Avelumab | NA | MERCK SERONNO | | SODc Oncologia Medica e Clinica | AOUC | Trattamento di mantenimento di prima linea di paziente con carcinoma uroteliale metastatico, libero da progressione a seguito di chemioterapia a base di platino | si | Vasile | 02 24 | Straordinaria | 03 01 | 03 01 | completo |
| 02 17 | Avelumab | NA | MERCK SERONNO | | SODc Oncologia Medica e Clinica | AOUC | Trattamento di mantenimento di prima linea di paziente con carcinoma uroteliale metastatico, libero da progressione a seguito di chemioterapia a base di platino | si | Vasile | 02 24 | Straordinaria | 03 01 | 03 01 | completo |
| 02 17 | Trastuzumab emtansine | 16272 | Roche | | SOD Radioterapia | AOUC | Carcinoma mammario HER2+ in stadio iniziale con malattia invasiva residua | si | Pozzessere | 02 24 | Straordinaria | 02 25 | 02 26 | completo |
| 02 17 | Dostarlimab | NA | Clinigen | | SOC Oncologia Medica | PO Santo Stefano, Prato | Carcinoma endometriale avanzato con deficit del sistema di mismatch repair (dMMR)/elevata instabilità dei microsatelliti (MSI-H) progredito dopo un precedente trattamento chemioterapico con un regime a base di | si | Antonuzzo | 02 24 | Straordinaria | 02 26 | 03 01 | completo |
| 02 18 | Cefiderocol | NA | Shionogi | | SOD Malattie Infettive e Tropicali | AOUC | Polmonite da A. Baumanii mutiresistente | si | Blanc | 02 24 | Straordinaria | 02 26 | 03 01 | completo |
| 02 19 | Luspatercept | NA | Celgene BMS | | SODc Ematologia | AOUC | Trattamento dell'anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindrome mielodisplastica a rischio basso in paziente che presenta sideroblasti ad anello con risposta insoddisfacente a terapia con eritropoietina | si | Sant'Antonio | 02 24 | Straordinaria | 02 24 | 03 01 | completo |
| 02 22 | Luspatercept | NA | Celgene BMS | | SODc Ematologia | AOUC | Trattamento dell'anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindrome mielodisplastica a rischio basso in paziente che presenta sideroblasti ad anello con risposta insoddisfacente a terapia con eritropoietina | si | Sant'Antonio | 02 24 | Straordinaria | 02 24 | 03 01 | completo |
| 02 22 | Mobocertinib | NA | Takeda | | SODc Oncologia Medica e Clinica | AOUC | Adenocarcinoma polmonare con mutazione esone 20 dopo progressione a precedente linea chemioterapica | no | Pozzessere | 02 24 | Straordinaria | 02 25 | 03 01 | completo |

## RISULTATI

Il CEAVC valuta solo richieste di parere per uso terapeutico per pazienti adulti

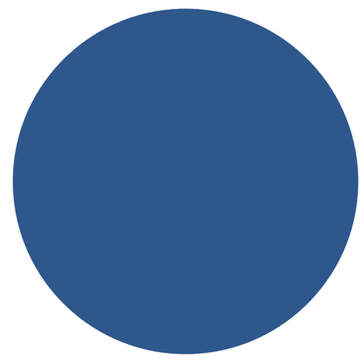
- **64** Farmaci per Covid-19
- **27** Trastuzumab emtansine
- **19** Avelumab
- **18** Trastuzumab deruxtecan

- **54** Remdesivir
- **10** Richieste di Plasma Iperimmune
- Cancro mammario HER2+ in stadio iniziale con malattia invasiva residua
- Carcinoma uroteliale metastatico libero da progressione dopo chemioterapia a base di platino
- Cancro della mammella HER2-positivo metastatico

### Aree terapeutiche maggiormente coinvolte

- Oncologia
- Ematologia
- Malattie infettive

### Richieste di uso compassionevole nel periodo gennaio 2020 - agosto 2021



296 richieste di uso compassionevole

195/296 sono richieste per expanded access program

**DISCUSSIONE E CONCLUSIONI:**
Il DM 07/09/2017 consente l'accesso a farmaci che altrimenti non sarebbero a disposizione dei pazienti. Nell'esperienza locale dell'ultimo biennio, la maggior parte delle richieste sono da ricondurre a expanded access program. Rilevante è stato anche l'utilizzo di questo istituto normativo per il trattamento di pazienti affetti da COVID-19 con farmaci già disponibili per altra indicazione. L'analisi delle caratteristiche delle richieste di parere è utile per comprendere l'impatto potenziale della normativa attuale nella pratica clinica.