

# Analisi delle prescrizioni off-label in oncoematologia

GIULIA PIERFELICE (1) | CATERINA DE STEFANO (1) | IRENE MARTENS (1) | FRANCESCA TOMBARI (1) | ALESSANDRA STANCARI (1)

1) Farmacia Clinica Produzione e Ricerca, IRCCS Azienda Ospedaliero-Universitaria Sant'Orsola-Malpighi, Bologna

## Obiettivo

Scopo della nostra indagine è stato analizzare le richieste di utilizzo off-label effettuate in campo oncoematologico da gennaio 2022 a giugno 2022 e pervenute all'Unità di Farmacia Clinica Produzione e Ricerca, valutandone ragioni e caratteristiche nel profilo prescrittivo.

## Introduzione

L'uso off-label regolamentato dalla Legge 94/98 consente, in mancanza di alternative terapeutiche valide e sulla base di evidenze scientifiche, la prescrizione di un medicinale al di fuori delle condizioni d'uso autorizzate. Il ricorso a questo tipo di prescrizione è particolarmente diffuso tra le popolazioni adulta e pediatrica in ambito oncoematologico, dove più spesso si presenta l'esigenza di garantire un'opportunità terapeutica per patologie gravi non responsive agli approcci farmacologici approvati.

## Metodi

Sono state raccolte le richieste di utilizzo off-label, pervenute nel periodo compreso tra gennaio 2022 e giugno 2022. Di ciascuna prescrizione sono stati valutati: principio attivo oggetto della richiesta, tipologia di off-label, indicazione terapeutica, sesso ed età del paziente. I dati ricavati sono stati stratificati ed elaborati mediante l'utilizzo di Microsoft Excel.

## Risultati

Sono state effettuate 71 prescrizioni off-label, di cui 54 per indicazione, 12 per età e 5 per età e indicazione. I principi attivi prescritti sono stati 26.

La **Tabella 1** mostra i principi attivi maggiormente prescritti (49,3% del totale delle richieste), specificando per ciascuno il numero di richieste, la motivazione terapeutica e l'età del paziente; la **Tabella 2**, invece, indica e quantifica le indicazioni terapeutiche per le quali sono state effettuate più richieste.

Tabella 1

PRINCIPIO ATTIVO	N° RICHIESTE	MOTIVAZIONI TERAPEUTICHE	ETÀ
RUXOLITINIB	12	Trattamento di GVHD acuta refrattaria a terapia con cortisone	11 ADULTI 1 PEDIATRICO
NAB-PACLITAXEL	12	Precedente reazione di ipersensibilità ai taxani	ADULTI
AZACITIDINA	6	Profilassi della ricaduta in LMA post HSCT	ADULTI
PEMBROLIZUMAB	3	Trattamento del PMBL	ADULTI
	2	Trattamento in monoterapia dell'adenocarcinoma della cervice metastatico	

Tabella 2

MOTIVAZIONI TERAPEUTICHE	N° RICHIESTE
Trattamento di GVHD post trapianto allogenico di cellule staminali emopoietiche	15
Precedente reazione di ipersensibilità ai taxani	12
Trattamento di leucemia linfoblastica acuta ricaduta/recidivata	5
Profilassi di riattivazione del CMV in paziente pediatrico sottoposto a HSCT	4
Trattamento di leucemia mieloide acuta recidivata/refrattaria	3
Riduzione della cardiotossicità in paziente con Linfoma di Hodgkin	3

## Conclusioni

Alla luce dei risultati ottenuti, emergono l'elevato numero di richieste off-label effettuate in campo oncoematologico nella breve finestra temporale selezionata e l'impiego ripetuto di alcuni farmaci per determinate criticità terapeutiche. In questa prospettiva, la valutazione degli esiti dei trattamenti autorizzati e avviati e la prosecuzione del monitoraggio delle richieste off-label nell'ambito clinico considerato potrebbero aprire la strada ad una eventuale richiesta di inserimento in Lista 648/96.