



Agenzia Italiana del Farmaco
AIFA

Roma 5 Aprile 2011

Dr. Marino Andolina
Dipartimento Trapianti
IRCCS Burlo Garofolo
Trieste

Prof. Andrea Biondi
Università Milano-Bicocca
Direttore, Dipartimento Pediatria
Osp. S. Gerardo
Via Pergolesi, 33
20052 Monza

N. S.T.B.G. 1446 P.....

Risposta al Foglio del.....

N.....

OGGETTO: Trattamento pazienti con terapia cellulare.

In merito alla richiesta pervenuta da codesto Istituto Burlo Garofalo in relazione alla possibilità di trattare pazienti con cellule prodotte alla Cell Factory autorizzata di Monza, si esprimono le seguenti considerazioni.

Il d.m. 5 dicembre 2006 regola il periodo transitorio per la produzione dei medicinali per terapia avanzata, ma non riguarda i medicinali per TA prodotti industrialmente e quelli per sperimentazioni cliniche per i quali rinvia alle rispettive norme che prevedono l'autorizzazione, bensì quelli per le finalità di cui all'art. 1, commi 3 e 4 dello stesso decreto, ossia i consolidati e quelli per uso compassionevole. Tale decreto rimane in vigore fino all'emanazione dei provvedimenti di attuazione di cui all'ultimo comma dell'art. 3 della direttiva 2001/83/CE, come modificato dall'art. 28, secondo comma, del Regolamento CE n. 1394/2007, che riguarda esclusivamente i medicinali per TA ad uso non ripetitivo (in relazione ai quali sono in fase avanzata di redazione le modalità per autorizzarne l'impiego), che quindi ancora non sono stati disciplinati.

Il d.m. 18 maggio 2010 ha, infatti, attuato la direttiva 2009/120/CE sulle terapie avanzate sostanzialmente sostituendo l'allegato 1, parte IV, del d.lgs. 219/2006 con riguardo al rilascio dell'AIC dei medicinali per TA aventi produzioni industriali.

Ne consegue che non è venuta meno la vigenza del d.m. 5 dicembre 2006, nonché della det. AIFA 21 giugno 2007 per effetto del d.m. 18 maggio 2010 in quanto disciplinano fattispecie tra loro diverse, seppure sempre relative a medicinali per TA e, rispettivamente, gli usi non ripetitivi e le produzioni industriali.

Non essendo stato ancora emanato alcun decreto (o determina) in relazione ai medicinali per TA ad uso non ripetitivo, è di conseguenza applicabile l'art. 1 comma 4, del citato d.m. 5 dicembre 2006.

Pertanto il caso in oggetto può rientrare nel comma 4 che così recita:

"Fermo restando il disposto di cui al comma 3, è consentito l'impiego dei medicinali di cui al comma 1 su singoli pazienti in mancanza di valida alternativa terapeutica, nei casi di urgenza ed emergenza che pongono il paziente in pericolo di vita o di grave danno per la salute nonché nei casi di grave patologia a rapida progressione, sotto la responsabilità del medico proscrittore e per quanto concerne la qualità del medicinale, sotto la responsabilità del direttore del laboratorio di produzione di tali medicinali purchè:

- a) Siano disponibili dati scientifici, che ne giustificano l'uso, pubblicati su accreditate riviste internazionali;
- b) Sia stato acquisito il consenso informato del paziente;
- c) Sia stato acquisito il parere favorevole del Comitato Etico di cui all'art. 6 del DL n. 211/2003 con specifica pronuncia sul rapporto fra benefici ipotizzabili ed i rischi prevedibili del trattamento proposto, nelle particolari condizioni del paziente;
- d) Siano utilizzati non a fini di lucro, prodotti preparati in laboratori in possesso dei requisiti di cui all'art. 2, anche nei casi di preparazioni standard e comunque nel rispetto dei requisiti di qualità farmaceutica approvati dall'Autorità competente, qualora il medicinale sia stato precedentemente utilizzato per sperimentazioni cliniche in Italia; se il medicinale non è stato sperimentato in Italia, dovrà essere assicurato il rispetto dei requisiti di qualità farmaceutica approvati dall'ISS, secondo modalità da stabilirsi con provvedimento del Presidente del medesimo istituto.

Si considera quindi possibile il trattamento richiesto nel rispetto delle condizioni suindicate.

A disposizione per eventuali chiarimenti, si porgono cordiali saluti.

Direttore Generale
Prof. Guido Rasi

