

# NUEVA NORMATIVA DE USO COMPASIVO Y "OFF LABEL"

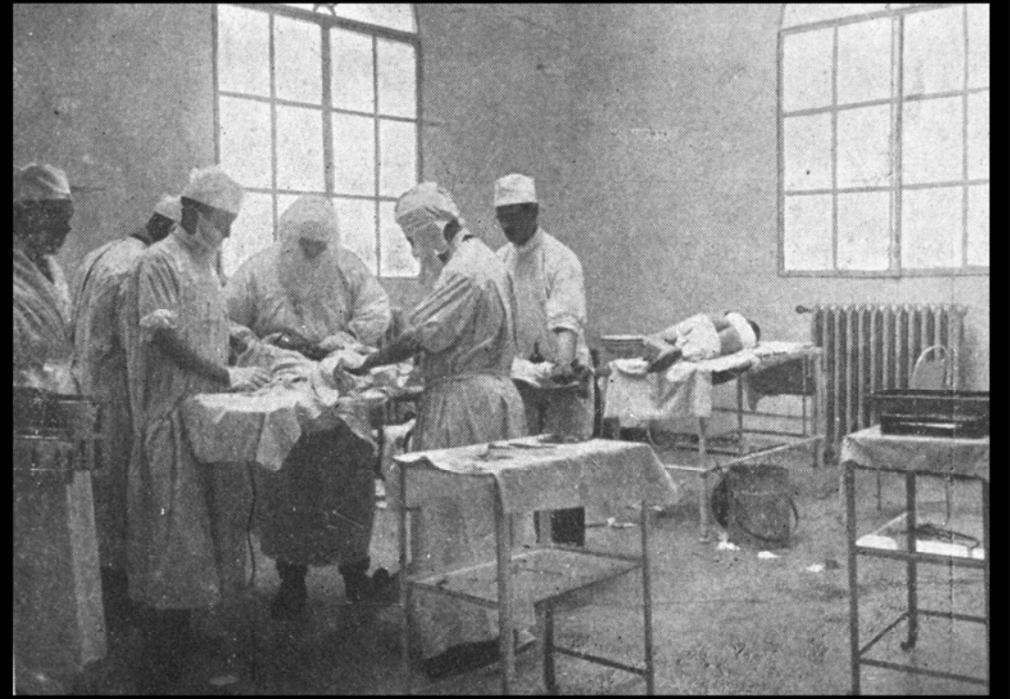
El caso de la Pediatría.  
Visión desde la gestión.



53 Congreso Nacional de la SEFH  
Valencia, 22 de octubre de 2008

Dr. Mariano Rigabert Antón





# 1. Antecedentes

- El 50-90 % de los fármacos utilizados en población pediátrica son de uso compasivo.

# 1. Antecedentes

- Los niños han sido excluidos de los EC
- Connotaciones éticas, técnicas y metodológicas de los EC pediátricos
- Los intereses del mercado han sido insuficientes
- Hasta ahora, la ausencia de legislación que asegure la investigación

# 1. Antecedentes

- En 1997, la Comisión Europea organiza en la EMEA una mesa redonda de expertos para analizar las necesidades de investigación en edad pediátrica.
- Una de sus conclusiones fue la necesidad de reforzar la legislación para estas edades, introduciendo una serie de incentivos para la comercialización de fármacos pediátricos.
- El objetivo del Reglamento Europeo 1901/2006 del CE y del PE sobre medicamentos pediátricos, es la de mejorar la salud de los niños promoviendo *una investigación* de calidad, mejorar la *información* sobre uso de los medicamentos y *garantizar la disponibilidad de medicamentos debidamente autorizados*.



[www.emea.europa.eu](http://www.emea.europa.eu)

# 1. Antecedentes

## ASPECTOS LEGALES DEL UC

1. Ley 29/2006, de garantías y uso racional de los medicamentos, que define la prescripción y la aplicación de medicamentos no autorizados a pacientes no incluidos en un ensayo clínico con el fin de atender como UC necesidades *especiales* de tratamientos de situaciones clínicas de pacientes *concretos* se regulará reglamentariamente con pleno respeto a lo establecido en la legislación vigente en materia de autonomía del paciente y de los derechos y obligaciones en materia de información y documentación clínica.

# 1. Antecedentes

## ASPECTOS LEGALES DEL UC

2. R.D. 223/2004 que regula los ensayos clínicos con medicamentos, indica que "se entiende por uso compasivo de medicamentos la utilización en pacientes *aislados* y al margen de un ensayo clínico de medicamentos en investigación, incluidas especialidades farmacéuticas para indicaciones o condiciones de uso distintas de las autorizadas cuando el médico, *bajo su exclusiva responsabilidad*, considere indispensable su utilización".

## 2. La visión del UC desde la Dirección

- Alto porcentaje del presupuesto
- Uso compasivo – “vía de entrada” al Hospital sin la evaluación de CFT
- Lapso de tiempo no siempre compatible con la realidad del paciente

## 2. La visión del UC desde la Dirección

- Una práctica no exenta de riesgos:
  - Sin la garantía que confiere la autorización
  - Escasez de datos de farmacocinética y farmacodinamia en las  $\neq$  subpoblaciones
  - Carencia de formas farmacéuticas

## 2. La visión del UC desde la Dirección

- La utilización de medicamentos de UC no indica que la práctica médica sea inapropiada.

No se han presentado suficientes EC a la agencia reguladora para obtener la indicación

## 2. La visión del UC desde la Dirección

- Elementos para la tramitación de un medicamento de UC:
  1. I. Clínico
  2. C.I.
  3. Autorización de la AGEMPS.  
Se añade I. técnico del S. Farmacia, que coordina y gestiona.

# 3. Consentimiento informado e información al paciente

 Hospital Infantil Universitario Niño Jesús  
Servicio de Farmacia

HOSPITAL INFANTIL UNIVERSITARIO NIÑO JESÚS  
SERVICIO DE FARMACIA

**CONSENTIMIENTO INFORMADO PARA EMPLEO DE MEDICAMENTOS DE USO COMPASIVO**  
Uso compasivo: Utilización de medicamentos para indicaciones o condiciones de uso diferentes de las autorizadas o de productos en fase de investigación clínica.

D.ª D. Nombre del paciente \_\_\_\_\_ de \_\_\_\_\_ años de edad,  
y D.ª D. \_\_\_\_\_ con D.N.I. \_\_\_\_\_ en  
calidad de \_\_\_\_\_ con el paciente \_\_\_\_\_ de nombre del paciente  
\_\_\_\_\_

**DECLARAR QUE:**

De/s D.ª D. \_\_\_\_\_ como médico especialista en  
\_\_\_\_\_ nos comunicas la necesidad de recibir tratamiento  
con \_\_\_\_\_.

De nos informas de que esta medicación no está autorizada (no es de uso habitual):  en la  
edad del paciente,  en la indicación en la que se va a emplear, o  está en fase de  
investigación clínica.

Asimismo de nos informas de los posibles beneficios: \_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_

de sus posibles efectos adversos: \_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_

de sus contraindicaciones (si fueran conocidas): \_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_

de sus alternativas: \_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_

recibir la medicación de voluntario y puedo renunciar a su administración en el momento  
que yo estime oportuno e in que aspectos en los cuidados médicos.

Fdo: el paciente,  
(si es mayor de 16 años)

Fdo: el padre/madre/tutor

Fdo: médico especialista

Recopiar fecha h, día, hora del paciente y Servicio de Farmacia - Folia 1 de 2

# Consentimiento informado e información al paciente

## Identificación del paciente y tutor

### **CONSENTIMIENTO INFORMADO PARA EMPLEO DE MEDICAMENTOS DE USO COMPASIVO**

Uso compasivo: Utilización de medicamentos para indicaciones o condiciones de uso distintas de las autorizadas o de productos en fase de investigación clínica.

D/D<sup>a</sup> (nombre del paciente) \_\_\_\_\_ de \_\_\_\_\_ años de edad,  
y D/D<sup>a</sup> \_\_\_\_\_ con D.N.I. \_\_\_\_\_, en  
calidad de (relación con el paciente) \_\_\_\_\_ de (nombre del paciente)  
\_\_\_\_\_

#### **DECLARAN QUE:**

Dr/a D/D<sup>a</sup> \_\_\_\_\_ como Médico Especialista en  
\_\_\_\_\_ nos comunica la necesidad de recibir tratamiento  
con \_\_\_\_\_.

Se nos informa de que esta medicación no está autorizada (marcar donde proceda):  en la  
edad del paciente,  en la indicación en la que se va a emplear, ó  está en fase de  
investigación clínica.

# Consentimiento informado e información al paciente

Explicar e informar *la necesidad* de la medicación

Asimismo se nos informa de los posibles beneficios: \_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

de sus posibles efectos adversos: \_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

de sus contraindicaciones (si fueran conocidas): \_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

de sus alternativas: \_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

El recibir la medicación es voluntario y puedo renunciar a su administración en el momento que yo estime oportuno sin que repercuta en los cuidados médicos.

# Consentimiento informado e información al paciente

Firma de los interesados, con posibilidad de renuncia

-----  
El recibir la medicación es voluntario y puedo renunciar a su administración en el momento que yo estime oportuno sin que repercuta en los cuidados médicos.

Fdo: el paciente.  
(si es mayor de 16 años)

Fdo el padre/madre/tutor

Fdo.Médico Especialista

# www.nppg.scot.nhs.uk

Neonatal and Paediatric Pharmacists Group - Windows Internet Explorer

http://www.nppg.scot.nhs.uk/

Neonatal and Paediatric Pharmacists Group

## Neonatal and Paediatric Pharmacists Group (NPPG)

The NPPG is here for you as a paediatric pharmacist whether it is your chosen specialty, just a part of your job or even if it is just an interest. Various specialist and geographical subgroups enable members with related interests to share information and formulate policy.

Other Sites

Back Home Next

Help Comments



- Admin & Membership Queries
- Conference
- Links
- Members
- Membership form
- Newsletters
- Education & Training
- Partners
- Protocols
- Research
- Standards
- Sub Groups
- Vacancies
- Miscellaneous
- Message Board



14 Autumn Conference  
14-16 November 2008  
Mandeville Hotel and Resort  
Birmngham

Newsletter Summer 2008

Vacancies - updated 13th Oct

Upcoming paediatric pharmacy courses

Pediatric Injectable Drugs Eighth Edition (The Teddy Bear Book) - correction

NPPG, in association with Mandeville Medicines, Awards 2008

2nd Congress of the European Academy of Paediatrics

CPPE Child health learning programmes (Members only)

Quick Links

- BNF for Children 2008
- Introduction to Paediatric Pharmaceutical Care
- NELH Digest 16th Oct
- Paed & Perinatal Drug Therapy
- Recent paediatric news 16th Oct
- Join NPPG or renew online
- Paediatric Minor Ailments Electronic Learning Package
- Marketing
- Patient Information Leaflets



UK medical search

What's New!  
16 Oct 2008



make medicines child size



FNPp FACULTY OF NEONATAL AND PAEDIATRIC PHARMACY



UNITE FOR CHILDREN  
UNITE AGAINST AIDS  
LEARN HOW TODAY >

## 4. El papel del farmacéutico

- Colaboración con el médico prescriptor
  - 1.- *Antes* de la prescripción: Integración del farmacéutico en las unidades de hospitalización y sesiones clínicas. Estudio de alternativas, coste-beneficio.. Información

# El papel del farmacéutico

- 2.- *Durante* la prescripción – validación:  
El farmacéutico debe acceder al diagnóstico principal, patologías asociadas, edad, peso, datos analíticos.. cuando no exista ese nivel de coordinación

# El papel del farmacéutico

3.- *Seguimiento* del tratamiento:

Notificación de reacciones adversas:

Seguridad en el uso del medicamento.

## 4. El papel del farmacéutico

- Información a la Dirección Médica
  - Descripción del fármaco
  - Indicaciones autorizadas
  - Evidencia disponible para el uso solicitado

## 4. El papel del farmacéutico

- Información a la Dirección Médica
  - Posibles alternativas
  - Evaluación económica
  - Experiencia previa en el centro
  - Casos urgentes: adelanto de medicación

## 4. El papel del farmacéutico

- Información a la Dirección Médica

Este informe es una herramienta que ayuda a la toma de decisión por parte de la Dirección.

## 4. El papel del farmacéutico

- Participación de los agentes implicados en la prescripción del UC, para buscar alternativas a las solicitudes denegadas



## 5. El futuro

- Necesidad de potenciar los organismos *evaluadores* ya existentes: CFT, grupos de trabajo (GENESIS, GEFP...)
- Grupos de trabajo interdisciplinarios específicos, con participación de farmacéuticos, médicos, investigadores.. en colaboración con la Administración
- Incentivar la *investigación*, con el fin de disponer de fuentes de información basadas en la evidencia científica, que den respuesta a las necesidades terapéuticas de esta población.

# GRACIAS POR SU ATENCIÓN

[farmac.hnjs@salud.madrid.org](mailto:farmac.hnjs@salud.madrid.org)

