

Prescrizione off-label: un'assunzione di responsabilità

Maria Rosa Luppino¹

Nell'accezione comune, la prescrizione al di fuori delle indicazioni terapeutiche autorizzate viene definita "off-label". In realtà, la normativa in vigore nel nostro Paese definisce "off-label" l'impiego di un farmaco non solo in termini di indicazioni terapeutiche ma anche di posologie non previste, secondo modalità di somministrazione non formalmente autorizzate oppure di prescrizioni in popolazioni di età non comprese o addirittura controindicate nell'ambito del Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP), ossia della scheda tecnica.

Tale materia, in Italia, è regolamentata da normative ben precise che individuano sostanzialmente due modalità principali attraverso le quali, in mancanza di valide alternative terapeutiche, può essere effettuata una prescrizione off-label:

- Legge n. 648/1996;
- Legge 94/1998.

La netta distinzione tra i due atti normativi può essere individuata, innanzitutto, nella rimborsabilità al cittadino della prescrizione off-label, che, nel caso della prima norma, viene consentita solo se il principio attivo rientra negli elenchi periodicamente aggiornati dalla Agenzia regolatoria (AIFA) mentre con la seconda non può essere implementata. Va da sé che, per entrambe le tipologie di prescrizione, è perentorio rendere consapevole il paziente dei possibili rischi o dell'assoluta incertezza che sottende la prescrizione off-label attraverso la sottoscrizione del cosiddetto "consenso informato". Se da un lato, tuttavia, il prescrittore che ritiene opportuno somministrare un farmaco incluso negli elenchi AIFA ai sensi della Legge

n. 648/1996 può sentirsi legittimato alla prescrizione stessa dall'Autorità regolatoria che ha già valutato le evidenze disponibili, la Legge n. 94/1998 lascia al medico la responsabilità piena della scelta terapeutica.

A questo proposito, tra le situazioni cliniche nelle quali più frequentemente si registra l'uso off-label va rilevato sicuramente l'impiego nella popolazione pediatrica di farmaci autorizzati nella popolazione adulta. Ciò avviene a causa dell'esiguità e, in certi casi, della mancanza assoluta di sperimentazioni cliniche condotte in questo target di pazienti. A questo proposito, si pensi al paziente pediatrico affetto da patologie di tipo psichiatrico per il quale le opzioni terapeutiche disponibili, tra cui alcune sono propriamente off-label, sono state oggetto a più riprese di comunicazioni da parte delle Agenzie regolatorie. Questo è il caso della classe terapeutica degli antidepressivi SSRI (inibitori selettivi del reuptake della serotonina), il cui utilizzo soprattutto nella popolazione pediatrica è stato correlato all'aumento del rischio di sviluppare comportamenti autolesivi o suicidari.

Altro target di popolazione "trascurato" potrebbe essere considerato quello costituito dalle donne in gravidanza, per le quali la maggior parte dei farmaci è controindicata a causa del potenziale teratogeno. Può anche accadere che nell'ambito della medesima classe terapeutica, l'uso di alcuni principi attivi sia regolarmente autorizzato in gravidanza mentre altri non lo siano. Emblematico il caso delle eparine a basso peso molecolare. Mentre, infatti, per nadroparina, parnaparina e reviparina (e dalteparina solo

¹ Dirigente Farmacista,
Azienda ULSS 20, Verona

Corresponding author
Dott.ssa Maria Rosa Luppino
mluppino@unime.it

per la formulazione da 100.000 UI/4 ml) i rispettivi RCP riportano chiaramente la controindicazione d'uso in gravidanza, per tutte le altre EPBM, nella sezione gravidanza, si raccomanda cautela e/o la verifica della assoluta necessità della prescrizione ma non una controindicazione formale.

Le incertezze sulla sicurezza di impiego, come evidenziato nei casi sopra citati dovrebbero indurre il prescrittore a una maggiore cautela nella sua scelta terapeutica soprattutto se sono a disposizione alternative, con un rapporto rischio/beneficio meno sfavorevole.

Per chi desidera approfondire



Prescrizione off-label. Normative e applicazioni (formato ebook)

Achille Patrizio Caputi, Maria Rosa Luppino

Prezzo: 11,28 €

ISBN 978-88-8968-866-3

Acquistabile su www.edizioniseed.it

Aggiornato ad aprile 2011

Le domande che il medico si pone in relazione alla prescrizione dei farmaci in modalità off-label, ossia al di fuori di quanto previsto dal Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto autorizzato, sono numerose e spesso non è semplice trovare le risposte.

A partire dalle normative che regolano la prescrizione off-label, il testo fornisce indicazioni per usare i farmaci in modo consapevole, sulla base delle evidenze scientifiche e in modo conforme a quanto stabilito dalle Leggi italiane.

Alcuni esempi, nell'ambito della pediatria, dell'oncologia e della psichiatria, ne chiariscono l'uso corretto nella pratica clinica.