

DURVALUMAB: USO COMPASSIONEVOLLE E MALATTIE RARE, L'ESPERIENZA DEL COMITATO ETICO DI AREA VASTA CENTRO (CEAVC) REGIONE TOSCANA

OBIETTIVO Analisi delle richieste di uso compassionevole (UC) sottomesse al CEAVC nel periodo Agosto 2021-Agosto 2022 ai sensi del DM 07/09/2017

INTRODUZIONE

Il DM 07/09/2017 disciplina l'uso terapeutico di medicinali per pazienti per i quali si ritiene non vi siano valide alternative terapeutiche. Le richieste UC sono valutate dal Comitato Etico sia da un punto di vista clinico che etico. L'UC rappresenta uno strumento importante anche per l'accesso a terapie per patologie rare. Il Testo Unico Malattie Rare ha riorganizzato a livello Nazionale l'assistenza e le cure terapeutiche per tali patologie, riconoscendo rara una malattia con una prevalenza inferiore a 5/10000.

METODI

Le richieste UC pervenute sono distinte in **Uso terapeutico nominale vs EAP**. Si valuta il tipo di principio attivo, l'area terapeutica maggiormente interessata, l'età media dei pazienti e solo per il Durvalumab l'esistenza di studi clinici sperimentali almeno di fase I già conclusi e che abbiano documentato l'attività e la sicurezza del medicinale, ad una determinata posologia, in linea al DM 07/09/2017. Si consultano i registri in formato elettronico, periodicamente aggiornati dalla segreteria del CEAVC.

RISULTATI

165 richieste totali di UC (87 per EAP e 78 per uso nominale). Le aree terapeutiche più rappresentate sono: Oncologia (68,5%), Neurologia (6,1%), Dermatologia (2,4%), altro (23,0%). Le richieste di Durvalumab, inibitore del PD-L1, sono il 6,7% del totale per l'indicazione prevista dalla lista programmi UC di Aifa.

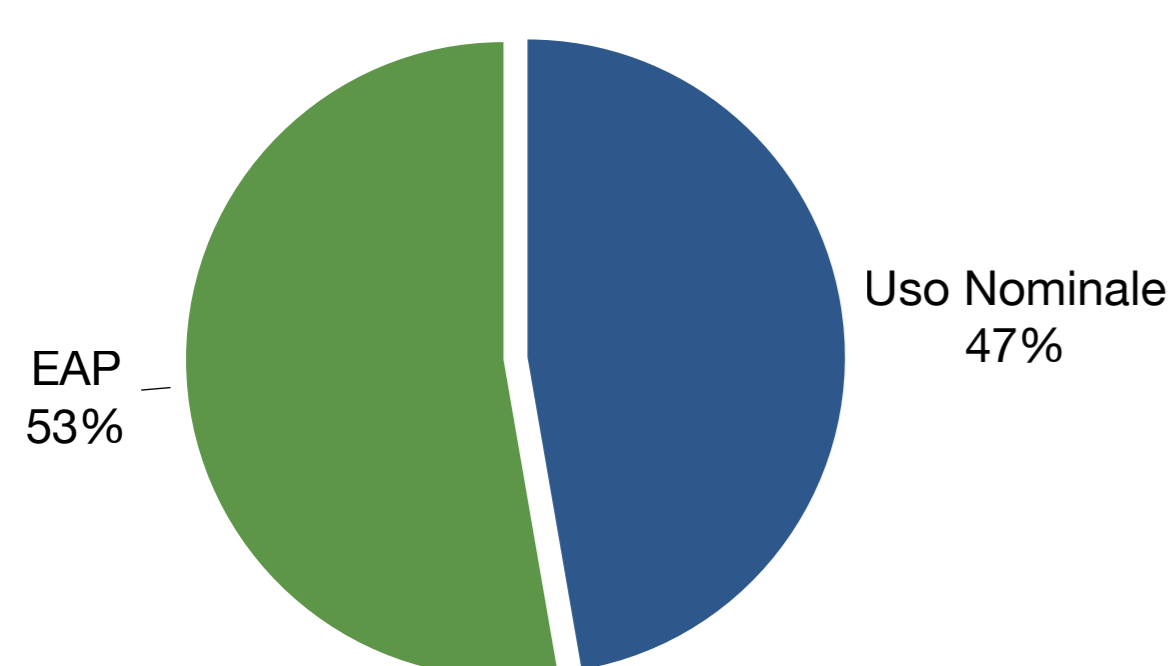


Programma AIFA in corso: trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma delle vie biliari metastatico o localmente avanzato in associazione a gemcitabina e cisplatino

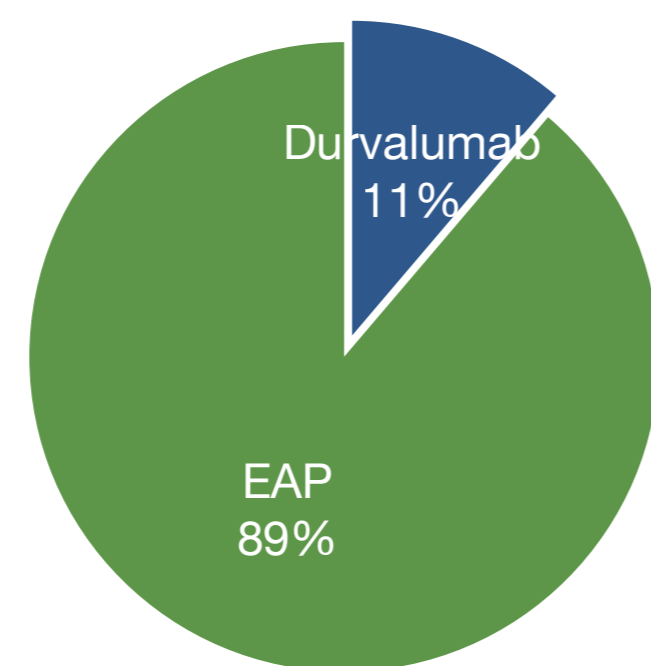


L'età media dei pazienti che hanno ricevuto una terapia con Durvalumab è di 66 anni

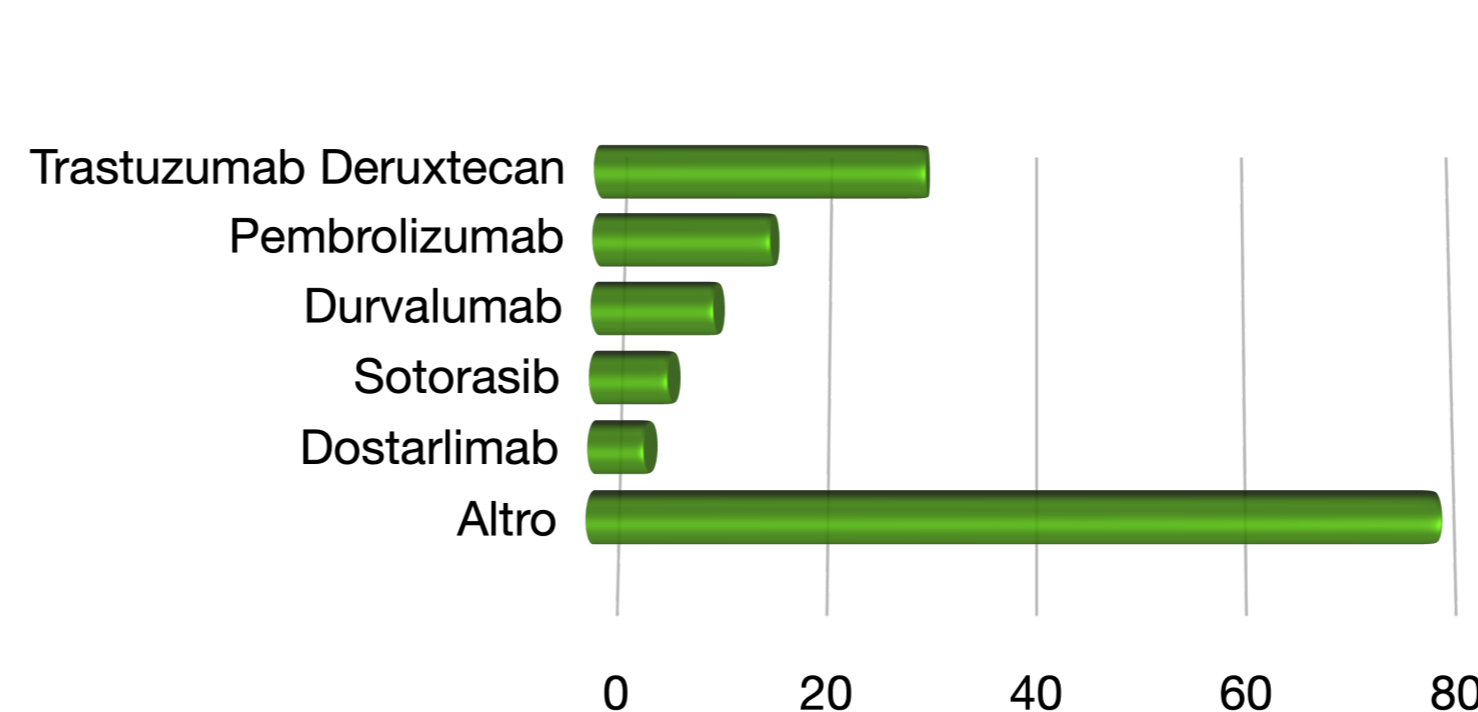
Tipologia di richieste UC



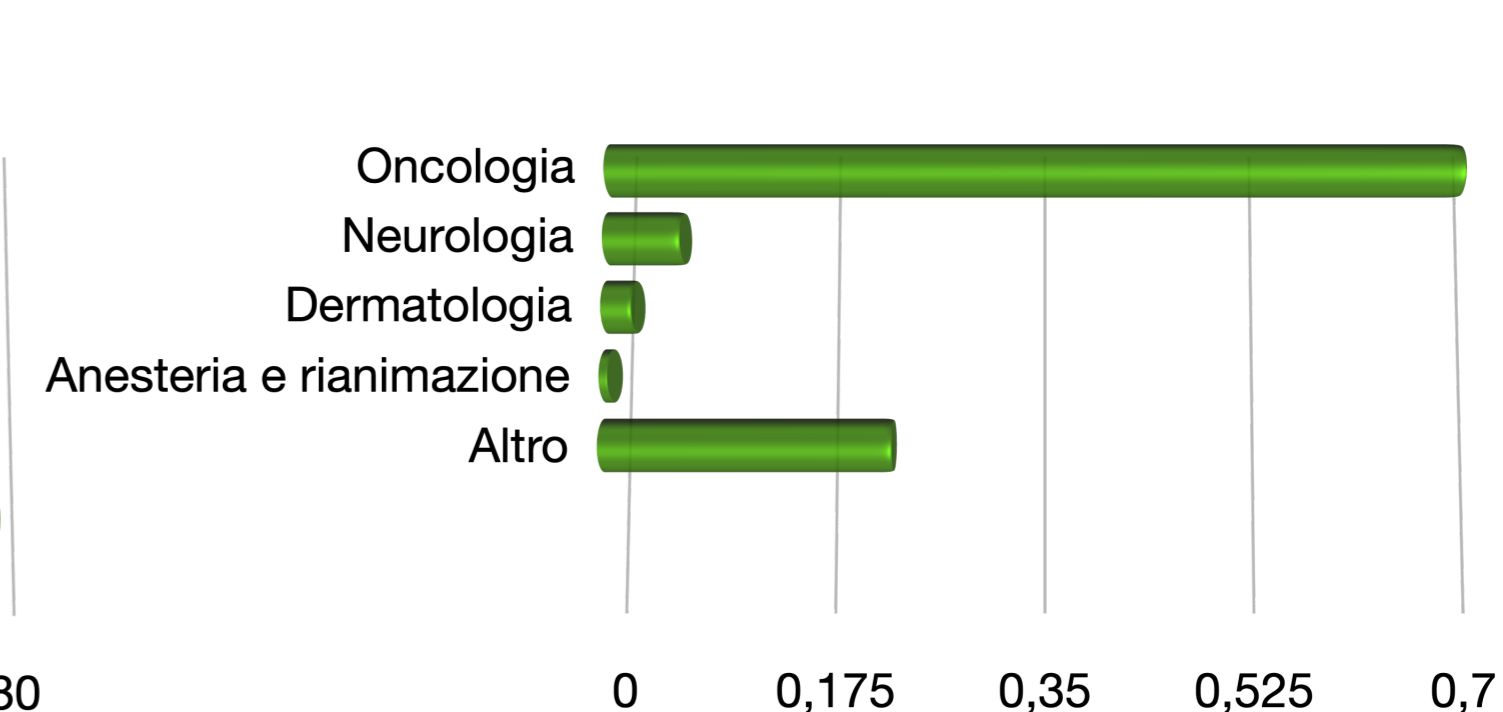
Richieste di Durvalumab



Principi Attivi



Aree terapeutiche



CONCLUSIONI

L'UC rappresenta uno strumento che garantisce l'accesso precoce a terapie farmacologiche per pazienti per i quali non è disponibile un'alternativa terapeutica. Ad esempio, il colangiocarcinoma è riconosciuto come malattia rara e il 70% dei pazienti con cancro delle vie biliari presentano una malattia avanzata alla diagnosi, con poche opzioni di trattamento. L'utilizzo del Durvalumab come UC, per il trattamento del biliary tract cancer (BTC) è in linea con gli ultimi risultati positivi dello studio di fase III TOPAZ-1 presentati all'European Society for Medical Oncology (ESMO) sulla base dei quali è auspicabile, a breve, un cambiamento nello *standard of care* per la cura di tale patologia.

AUTORI Esposito Perfetto A. (1), Pieri E. (1), Pasquini B. (1), Vietri M. (1)

(1) Segreteria Scientifica Comitato Etico Area Vasta Centro (CEAVC) Regione Toscana- Azienda Ospedaliero Universitaria Careggi (AOUC)