

Off-label

Si definisce "off-label" l'impiego nella pratica clinica di farmaci già registrati ma usati in maniera non conforme a quanto previsto dal riassunto delle caratteristiche del prodotto autorizzato. L'uso off-label riguarda, molto spesso, molecole conosciute e utilizzate da tempo, per le quali le evidenze scientifiche suggeriscono un loro razionale uso anche in situazioni cliniche non approvate da un punto di vista regolatorio. Questa pratica è ampiamente diffusa in vari ambiti della medicina, quali, ad esempio, oncologia, reumatologia, neurologia e psichiatria e riguarda la popolazione adulta e quella pediatrica. In campo pediatrico, specialmente a livello neonatale, una cospicua parte delle prescrizioni sia in ospedale sia sul territorio sono off-label¹⁻³.

La normativa che regola l'uso off-label dei medicinali⁴ indica che il medico, nel prescrivere un farmaco, deve attenersi alle indicazioni terapeutiche, alle vie e alle modalità di somministrazione previste dall'autorizzazione all'immissione in commercio, in quanto tali modalità sono state valutate nella fase di sperimentazione del medicinale. Tuttavia la legge permette un uso "diverso" del farmaco qualora il medico curante, sulla base delle evidenze documentate in letteratura e in mancanza di alternative terapeutiche migliori, ritenga necessario somministrare un medicinale al di fuori delle indicazioni d'uso autorizzate.

La prescrizione di farmaci off-label è dunque consentita e disciplinata da un punto di vista normativo e rappresenta un'importante opportunità che può portare a progressi significativi nella conoscenza e nella terapia di alcune patologie.

D'altra parte, l'uso di farmaci off-label espone il paziente a rischi potenziali, considerato che l'efficacia e la sicurezza di questi farmaci sono state valutate in popolazioni diverse da quelle oggetto della prescrizione off-label⁵. Pertanto, è necessario che il medico, oltre ad avvalersi del consenso informato del paziente, spieghi il razionale della terapia, il rischio di possibili eventi avversi, e quali dati di efficacia sono effettivamente disponibili nell'uso off-label del farmaco che si intende somministrare.

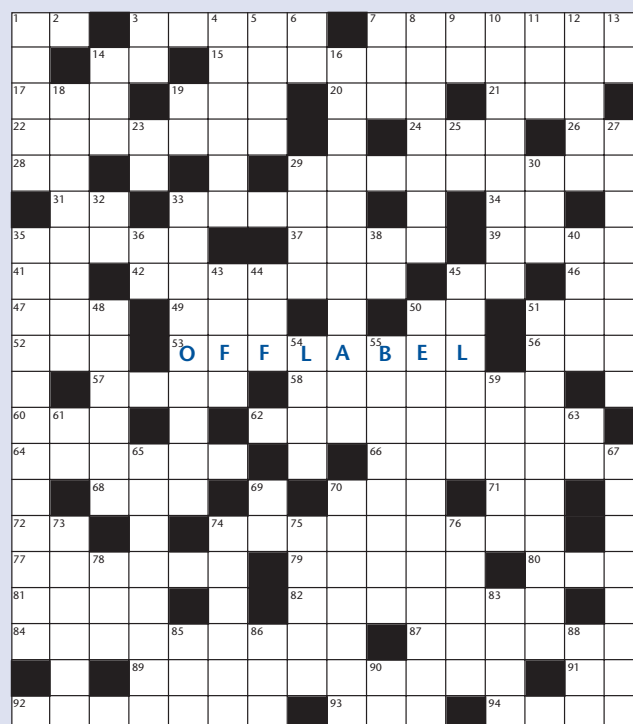
Lo stesso medico, in termini di responsabilità, non è agevolato nella decisione di usare farmaci al di là delle indicazioni registrate, elemento che rende più difficoltoso l'accesso a trattamenti che hanno

dimostrato di essere in grado di costituire una opzione terapeutica efficace per patologie gravi nei pazienti che non rispondono alle terapie correnti.

Sicurezza per il paziente, consenso informato (tanto più necessario quanto maggiori sono i rischi connessi all'assunzione del farmaco) e responsabilità del medico sono, quindi, le parole chiave attorno a cui ruota la questione dell'impiego dei farmaci off-label che in Italia non dispone ancora di linee-guida specifiche che ne disciplinino l'utilizzo e che definiscano un piano di risk management per il paziente. **if**

Bibliografia

1. Turner S, Longworth A, Nunn AJ, et al. Unlicensed drug use on paediatric wards. *BMJ* 1998; 316: 343-5.
2. Conroy S, McIntyre J, Choonara I. Unlicensed and off label use in neonates. *Arch Dis Child fetal Neonatal Ed* 1999; 80: F142-5.
3. McIntyre J, Conroy S, Avery A, et al. Unlicensed and off label prescribing of drugs in general practice. *Arch Dis Child* 2000; 83: 498-501.
4. Art. 3 D.Lgs. 17 febbraio 1998, n. 23, convertito, con modificazioni, nella Legge 8 aprile 1998, n. 94.1.
5. Neubert A, Dormann H, Weiss J, et al. The impact of unlicensed and off-label drug use on adverse drug reactions in paediatric patients. *Drug Saf* 2004; 27: 1059-67.



Pietro Dri

ORIZZONTALI

- 1 Una delle proiezioni della radiografia del torace (sigla)
- 3 Obiettivi
- 7 Lo è un disturbo non raro
- 14 Qualora
- 15 Una vasculite... nodosa
- 17 L'antiaggregante principe (sigla)
- 19 Scorre dopo... panta
- 20 Uomini religiosi
- 21 Grido di incitamento
- 22 C'è quella di cuore
- 24 Negazione palindroma
- 26 Reggio Calabria
- 28 Pronto soccorso d'oltreoceano (sigla)
- 29 Il più noto è Maradona
- 31 Pressione del sangue in cartella
- 33 C'è quello di clivaggio
- 34 Preposizione articolata
- 35 Quelle discali possono essere multiple
- 37 CEA e alfa-fetoproteina lo sono di tumore
- 39 A volte dopo il trenta
- 41 Gas nobile (simbolo)
- 42 Bonificare un tratto di mare dalle mine
- 45 Dittongo latino
- 46 Udine
- 47 Mezza glossina del sonno
- 49 Terzo latino
- 50 Bindi ex ministro della salute (iniziali)
- 51 Può essere sede di ragadi
- 52 Zingaro
- 53 Uso sperimentale di un farmaco per indicazioni diverse da quelle registrate**
- 56 Si usa anche per valutare gli organi parenchimatosi dell'addome
- 57 Voce d'incitamento
- 58 La fibrillazione più frequente
- 60 Quotidiano inglese... solare
- 62 Somministrare un farmaco con una siringa
- 64 Lungo digiuno
- 66 Nei prodotti dermatologici equivale

- all'eccipiente
- 68 Enzima bersaglio di farmaci antidepressivi (sigla)
- 70 Al posto di
- 71 Centimetri
- 72 Si misura con il termometro sotto il braccio (sigla)
- 74 Colei che fugge a ogni compagnia
- 77 Dicesi di malattia rara
- 79 L'uomo del Similaun
- 80 Titolo d'oltremanica
- 81 Asportazione di utero e ovaie in laparoscopia (sigla)
- 82 I sudditi di Priamo
- 84 Rimasti a bocca aperta
- 87 C'è anche quello indiano
- 89 Farmaco che ne sostituisce un altro con i medesimi effetti
- 91 Lionello attore (iniziali)
- 92 Per loro è nota la... signora di Dumas figlio
- 93 Filamenti fungini
- 94 Può essere displastico

VERTICALI

- 1 Lo sono per definizione le medicine
- 3 Sud Est
- 4 Lavorano in fabbrica
- 5 Possono essere di scarpe o di nervi cranici
- 6 All'interno
- 7 Così si chiama la femmina dello yak tibetano
- 8 Preceduto da in vale durante il viaggio
- 9 Si usa nell'anemia sideropenica (simbolo)
- 10 Un osso del cranio
- 11 Con CGIL e CISL
- 12 Mario Rigoni del Sergente nella neve
- 13 Infiammazione dell'orecchio esterno (sigla)
- 14 Società di un noto coro alpino
- 16 Devono esserlo i trattamenti da prescrivere al paziente
- 18 Stupito

- 19 La 486 che interrompe la gravidanza
- 23 Il nome scientifico della pianta da cui si deriva è *Camellia sinensis*
- 25 Acceso
- 27 Dotto che conduce la bile
- 29 Agenzia di notizie o tratto d'intestino
- 30 C'è quello epatico
- 32 Ancona
- 33 "Rivestimento" delle ossa
- 35 Battito prematuro
- 36 Insieme al PIN consente di accedere al Progetto ECCE dell'AIFA
- 38 La fine delle scie
- 40 Collinetta nel deserto
- 43 È l'agenzia italiana preposta ai farmaci (sigla)
- 44 Fattore gastrointestinale (sigla)
- 45 Possono esserlo alcuni foci aritmogeni
- 48 Il rapper più famoso
- 50 Ripetizione nell'errore
- 51 Presenza di una placca in un vaso
- 54 Fibre tessili
- 55 Tutela le nuove molecole
- 59 Ce ne sono di emostatici
- 61 Articolo per uomo
- 63 Precede Cid
- 65 Strumento per l'archiviazione dei dati di uno studio
- 67 Lamina ossea dei pesci
- 69 Poco
- 70 Sono una famiglia di farfalle
- 73 Schiena di maiale cotta arrosto
- 74 Sono anche piangenti
- 75 Quelle intestine non hanno a che fare con la medicina
- 76 Località nota per i bronzi
- 78 Grasso inglese
- 83 Gas luminoso
- 85 Preposizione articolata
- 86 Lo bloccano alcuni antipertensivi
- 88 L'undicesimo mese (abbr.)
- 90 Felix che insieme a Weil ideò la reazione per la diagnosi di tifo (iniziali)