

FORMACIÓN CONTINUADA

PARA FARMACÉUTICOS DE HOSPITAL

2.5

USO COMPASIVO.

Dra. M^a Antonia Monedero Mateo

Jefe de Servicio de Asistencia Farmacéutica.
Dirección General de Farmacia
y Productos Sanitarios. Madrid.



sani-red



SUMARIO

1. **Introducción**
2. **Conceptos a tener en cuenta**
 - 2.1. Producto en investigación.
 - 2.2. Evaluación experimental.
 - 2.3. Ensayo clínico.
 - 2.4. Consentimiento informado.
 - 2.5. Uso compasivo.
3. **Base Legal para la autorización de tratamientos compasivos**
 - 3.1. La Ley 25/1990, del Medicamento.
 - 3.2. El Real Decreto 561/1993, por el que se establecen los requisitos para la realización de ensayos clínicos con medicamentos.
4. **Procedimiento**
 - 4.1. ¿Quién puede solicitar tratamientos compasivos?
 - 4.2. Metodología
5. **Conclusiones**

1. Introducción

En la actualidad estamos asistiendo a un cambio espectacular en el campo terapéutico con la aparición de técnicas de reproducción a través de ingeniería genética, que está modificando vertiginosamente los principios de la farmacología y la terapéutica.

La creciente capacidad de intervención que tienen la ciencia y tecnología médicas en la salud y mayor expectativa de vida de las personas, ha dado lugar a nuevos planteamientos en el tratamiento de las enfermedades.

Ante el poder engrandecido del médico basado en la ética médica hipocrática según la cual es el médico el único capaz de conocer el orden natural de la salud, y por tanto el único que sabe lo que debe hacerse cuando ese orden natural se pierde y aparece la enfermedad, los ciudadanos empiezan a reivindicar su participación activa en el proceso de toma de decisiones clínicas que afectan a su propia salud y a su propia vida, a exigir información sobre aquello que les va a aplicar y a exigir que se cuenta con su autorización.

La estrategia para la investigación y desarrollo de medicamentos, la actitud del médico ante el paciente, e incluso los planteamientos de las autoridades reguladoras, ya no puede sustentarse en los principios clásicos que emana-

ron de la revolución farmacológica de los años sesenta. Sin embargo, esta nueva actitud debería basarse en el conocimiento de la historia y evitar así repetir errores pasados. El principio básico de que toda nueva arma terapéutica debe evaluarse mediante ensayos clínicos controlados, debe seguirse respetando, aun admitiendo que su metodología debe acomodarse a los nuevos acontecimientos.

El respeto por las personas requiere que los sujetos, en el grado que ellos sean capaces, deben tener oportunidad de elegir que ocurrirá o no con ellos.

Esta oportunidad se le ofrece cuando es adoptado un modelo adecuado de consentimiento informado.

2. Conceptos a tener en cuenta

2.1. Producto en investigación

Se denomina producto en fase de investigación clínica aquel que ha sido calificado como tal por la Dirección General de Farmacia y Productos Sanitarios en el artículo 9 del Real Decreto 561/1993 de 16 de abril por el que se establecen los requisitos para la realización de ensayos clínicos con medicamentos. Con esta calificación se pretende velar por la seguridad e integridad física de los individuos que participan en un programa de investigación.

2.2. Evaluación Experimental

Dentro de las consideraciones generales del citado Real Decreto 561/1993 el artículo 2 punto 3, dice que se considerará siempre evaluación experimental aquel estudio en el que se utilice una sustancia no autorizada como especialidad farmacéutica o bien se utilice una especialidad farmacéutica en condiciones de uso distinto a las autorizadas.

2.3. Ensayo Clínico

No se considera ensayo clínico la administración de la sustancia o medicamento a un solo paciente en el ámbito de la práctica médica habitual con el único propósito de conseguir un beneficio para el mismo. El artículo 2 punto 4 del Real Decreto 561/1993, establece que: la práctica médica y la libertad profesional de prescripción del médico no ampararán, en ningún caso, ensayos clínicos no autorizados, ni la utilización de remedios secretos o no declarados a la autoridad sanitaria.

2.4. Consentimiento Informado

El Consentimiento informado es el procedimiento que garantiza que el sujeto ha expresado voluntariamente su intención de participar en un ensayo clínico o en la aplicación de un tratamiento de uso compasivo, después de haber comprendido la información que se le ha dado acerca de los objetivos del estudio, beneficios, incomodidades y riesgos previstos, alternativas posibles, así como derechos y responsabilidades (punto 3 artículo 12, Real Decreto 561/1993). En los casos de pacientes

menores de edad o de incapacitados, éste lo otorgara su representante legal.

2.5. Uso Compasivo

La denominación de "Tratamiento compasivo" puede resultar un elemento de confusión al calificar la naturaleza de un tratamiento. Induce a pensar en tratamientos paliativos, altruistas o placebos, y la realidad que al tratarse de una traducción literal del término en inglés, no se ajusta al concepto en español.

Realmente el tratamiento compasivo consiste en la utilización en pacientes aislados y al margen de un ensayo clínico, de productos en fase de investigación clínica o también la utilización de especialidades farmacéuticas para indicaciones o condiciones de uso distintas de las autorizadas, cuando el médico, bajo su exclusiva responsabilidad, considera indispensable su utilización (Art. 23, Real Decreto 561/1993, punto 1).

El farmacéutico del Servicio de Farmacia Hospitalaria se encuentra en una difícil situación frente a las solicitudes de permisos de tratamientos de uso compasivo, tiene que actuar como mediador, entre el prescriptor, la compañía farmacéutica, el órgano gestor del propio hospital y el Ministerio de Sanidad y Consumo. A nadie puede pasar desapercibido que es una pesada labor, que requiere gran dedicación para coordinar, orientar, informar, gestionar la solicitud y por último, lograr un uso racional del medicamento.

3. Base legal para la autorización de Tratamientos Compasivos

Hace ya algunos años, en la Dirección General de Farmacia y Productos Sanitarios, se detectó que en muchas ocasiones, algunos médicos, bien por informaciones recibidas a través de una publicación o comunicaciones presentadas en Congresos, aplicaban terapias con medicamentos en fase de investigación, fuera del contexto de un ensayo clínico.

3.1. La ley 25/1990 del Medicamento

3.1.1. El artículo 38.

Recoge los requisitos sanitarios para la autorización de productos en fase de investigación, y en su apartado 5, se refiere a los tratamientos compasivos de la siguiente forma “Excepcionalmente, el Ministerio de Sanidad y Consumo podrá conceder autorización, con las condiciones que en ella se expresen, para la prescripción y la aplicación de productos en fase de investigación clínica a pacientes no incluidos en un ensayo clínico, cuando el médico, bajo su exclusiva responsabilidad y con el consentimiento expreso del paciente, considere indispensable tratarles con ellos y justifique ante la autoridad sanitaria los motivos por los que decide tal tratamiento”.

3.2. El Real Decreto 561/1993, por el que se establecen los requisitos para la realización de Ensayos clínicos con medicamentos.

3.2.1.- Artículo 23.

Además de definir lo que es un tratamiento compasivo, establece la documentación que se necesita para utilizar un medicamento bajo las condiciones de uso compasivo y que en resumen consiste en además del informe en el que el médico justifique la necesidad del tratamiento, el consentimiento informado del paciente, el visto bueno del Director del centro hospitalario y la autorización de la Dirección General de Farmacia y Productos Sanitarios para cada caso concreto.

3.2.2.- Artículo 34.

Dice que toda continuación de la administración de productos de ensayo clínico una vez finalizado éste, mientras no esté autorizado el medicamento para esas condiciones de uso, se regirá por las normas establecidas para el uso compasivo en el artículo 23 de este Real Decreto

Estas dos normas, son las que regulan los tratamientos compasivos, herramienta legal que debe darse a conocer a los prescriptores para demostrarles la necesidad de utilizar esta vía cuando consideran necesario aplicar un tratamiento no autorizado y no pueda ser incluido el paciente en un E C, que viene

de alguna manera a defenderle legalmente en caso de ocurrir un acontecimiento adverso y ser denunciado por el paciente o su familia.

4. Procedimiento

4.1. ¿Quién puede solicitar tratamientos compasivos?

Los tratamientos compasivos los pueden solicitar los médicos especialistas del ámbito hospitalario a través de los Servicios de Farmacia de los Hospitales, para pacientes en régimen interno o ambulatorio.

4.2. Metodología

A la solicitud, dirigida a la Dirección General de Farmacia y Productos Sanitarios, se deberá adjuntar lo siguiente:

- ✓ Informe clínico y justificación correspondiente del médico especialista responsable del tratamiento, en el que consten al menos las terapias anteriores utilizadas, los motivos por los que no se utilizan las alternativas terapéuticas, si existen.
- ✓ Visto Bueno del Director Médico del hospital.
- ✓ Consentimiento informado del paciente, cada vez debe ser más completo teniendo en cuenta las directrices

actuales de carácter ético. En especial en el caso del paciente oncológico la voluntad del mismo con conocimiento de los sufrimientos que afectarán a su calidad de vida. Deben ser criterios de decisión del propio paciente y no de su familia ni de su médico. En el caso del paciente esté incapacitado para ello o se trate de menor de edad, será el representante legal quien lo otorgue.

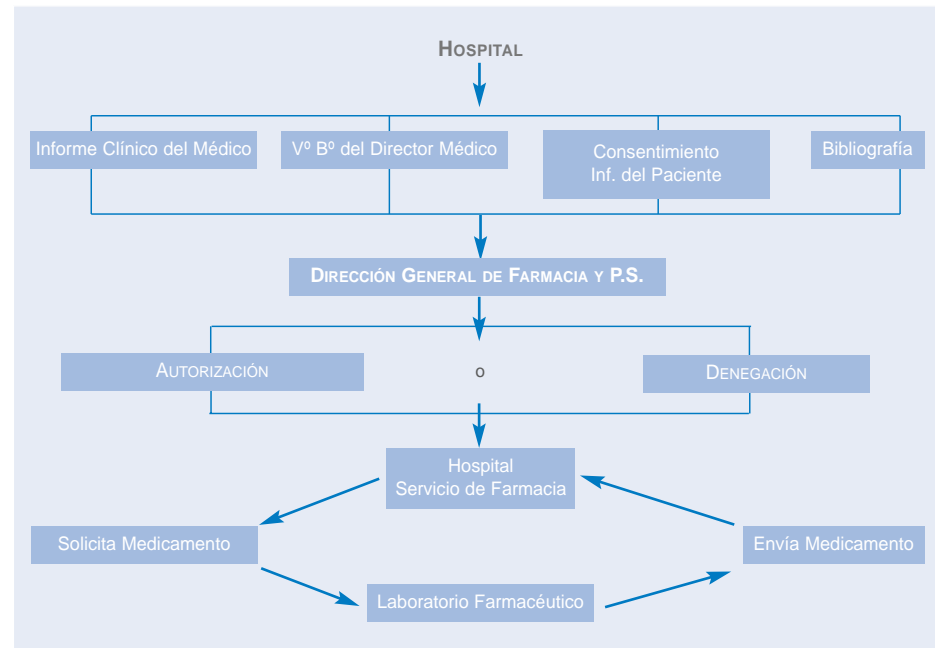
- ✓ Bibliografía o reseña bibliográfica del producto, que indique en que fase de investigación clínica se encuentra y en la indicación para la que se solicita. Grado de utilización así como datos de eficacia que se observen en el mismo o datos preliminares de eficacia y seguridad. Incluso estudios comparativos si existen.

- ✓ Motivos por los que el paciente, en el caso de que exista un Ensayo Clínico autorizado, no puede ser incluido en el mismo.

A la vista de la solicitud y de la documentación aportada, con el visto bueno de la Subdirección General de Asistencia y Prestación Farmacéutica, la Dirección General de Farmacia y Productos Sanitarios procede, en el caso de que estime pertinente, a su autorización.

Los tratamientos compasivos no pueden ser dispensados con receta médica. Este documento es utilizado para la prescrip-

Cuadro I: Procedimiento



ción de medicamentos, en las indicaciones para los que han sido autorizada su comercialización por el Ministerio de Sanidad y Consumo.

Aunque el desarrollo de un nuevo fármaco antineoplásico en Oncología debe cubrir, al igual que cualquier otro fármaco, una serie de etapas que aporten una evidencia lo más precisa sobre la seguridad y eficacia, existen una serie de cuestiones de tipo ético que deben estar presentes y considerarse a la hora de evaluar su aplicación.

En general los medicamentos antineoplásicos poseen una elevada toxicidad derivada de su mecanismo de acción, por lo

que su administración solo está justificada si de ello se deriva algún beneficio.

5. Conclusiones

En ningún caso la aplicación de tratamientos compasivos debe considerarse como una obligación del médico, inherente al compromiso deontológico que le vincula con su paciente, y el no aplicarlos tampoco implica desatención o abandono.

Adoptar por simple desesperación la utilización de medicamentos de uso compasivo, sin someterlo al rigor metodológico de cualquier investigación clínica menos-

caba la objetividad del médico para valorar sus efectos. Tendiendo a convertirse en un placebo no para el paciente sino para el propio médico.

Como es bien sabido, los estudios no controlados tienden a sobrevalorar los resultados, y en ocasiones, al no considerar otros factores, pueden dar lugar a falsas expectativas.

En el caso de que existieran bases fisiopatológicas y resultados preliminares que sugieran la eficacia de un medicamento en una patología determinada, pero que, sin embargo, no ha sido demostrada de forma concluyente, debería iniciarse un Ensayo Clínico para este fin. Para ello deberá utilizarse la metodología del Ensayo Clínico que es la única que permite la obtención de resultados concluyentes.

El Uso compasivo, se debe limitar a los pacientes que estimando puedan obtener un beneficio clínico, no cumplan los criterios de inclusión en el correspondiente Ensayo Clínico.

El número de tratamientos compasivos va incrementándose considerablemente. No parece razonable utilizar ampliamente la vía del Uso compasivo en aquellos casos que existe la necesidad de realizar una investigación más amplia, hasta obtener la evidencia en cuanto a eficacia del producto en investigación.

Como puede apreciarse, la autorización de uso compasivo no supone la eva-

luación de un medicamento ni mucho menos aún, un dictamen sobre su eficacia. Tampoco supone su incorporación a las prestaciones del Sistema Nacional de Salud, ya que se requiere por igual para la asistencia pública que para la privada. Únicamente cabe entenderla como una cautela administrativa que permita garantizar que este tipo de tratamientos, de eficacia poco conocida o insuficientemente demostrada, sólo se practican en un marco de los postulados éticos exigibles a la investigación clínica.

El uso compasivo de un medicamento debe fundamentarse en postulados éticos e indicios de efectividad tan sólidos como los que se requieren para la autorización de un ensayo clínico.

La ausencia de "otra cosa mejor" no justifica la utilización en la práctica clínica de tecnologías incipientes y no contrastadas.

La metodología que se vaya a aplicar en la utilización de un tratamiento compasivo debe ser lo más próxima posible a la seguida en la correspondiente investigación clínica.

La libertad de prescripción de un médico sólo alcanza a los tratamientos de seguridad y eficacia reconocidos oficialmente.

La facultad prescriptora del médico en el caso del uso compasivo esta subordinada a: su asunción de responsabilidad.

Bibliografía

**Ley 25/1990, de 20 de diciembre,
del Medicamento.**

(BOE nº 306, 22 diciembre).

**Real Decreto 561/1993, de 15 de abril, por el que
se establecen los requisitos para la realización de
ensayos clínicos con medicamentos.**

(BOE nº114, 13 de mayo).

M^a Antonia Monedero.

Conferencia "Uso Compasivo".

Santiago de Compostela. Noviembre 1997.