



Associazione Farmaceutici Industria
Società Scientifica

COMUNICATO STAMPA

Il progetto CURa per ridisegnare l'uso compassionevole in Italia in cinque mosse

Presentato un Position Paper per semplificare la burocrazia, favorire l'uniformità nel garantire la continuità terapeutica e trasformare l'accesso precoce ai farmaci

Roma, 8 luglio 2026 - Un'evoluzione strategica, per garantire equità e sostenibilità del percorso terapeutico ai pazienti con bisogni clinici insoddisfatti. L'attuale impianto normativo sull'uso compassionevole dei farmaci in Italia richiede una trasformazione, se si vuole garantire veramente una continuità assistenziale e uno sviluppo clinico delle terapie.

L'uso compassionevole è l'accesso gratuito a un farmaco non ancora commercializzato (o autorizzato per un'altra indicazione) per pazienti con una patologia grave e senza valide alternative terapeutiche, quando il medico ritiene che possa esserci un beneficio clinico. In Italia è regolato dal DM 7 settembre 2017 e richiede il parere favorevole del Comitato Etico e la fornitura gratuita da parte dell'azienda produttrice.

Per promuovere una evoluzione scientifica e regolatoria, **l'Associazione Farmaceutici Industria (AFI) Società scientifica ETS** ha presentato oggi in una conferenza stampa il **progetto CURa (Compassionate Use Reshape)**, realizzato con il supporto non condizionante di Roche e il contributo operativo di IQVIA.

Nell'ambito del progetto, è stato messo a punto un Position Paper con proposte concrete per una governance dell'uso compassionevole moderna, sinergica e orientata al valore complessivo per la salute pubblica.

Cinque direttrici d'intervento. Il documento, frutto di interviste strutturate a Comitati Etici, società scientifiche, istituzioni, associazioni pazienti, study coordinator e aziende farmaceutiche, **individua cinque direttrici di intervento** su cui si articola la proposta di aggiornamento normativo.

La **prima** riguarda la **semplificazione e l'efficienza operativa**, attraverso la razionalizzazione dei processi autorizzativi e l'introduzione di un'approvazione centralizzata dei programmi, che ridurrebbe drasticamente gli oneri burocratici oggi a carico di centri e aziende.

La **seconda** punta alla certezza del quadro normativo, limitando la discrezionalità interpretativa tra Comitati Etici, Regioni e Centri, a partire da una **revisione della definizione di "patologie gravi" e di "assenza di valida alternativa terapeutica"**.

Quale **terza** direttrice, il documento guarda alla governance coordinata e strutturata tra centri clinici, aziende farmaceutiche e AIFA, con **flussi documentali più snelli**, attraverso template standard nazionali per consenso informato, motivazione clinica e gratuity letter, e procedure di importazione semplificate.



Associazione Farmaceutici Industria
Società Scientifica

La **quarta** è dedicata all'uniformità nella continuità terapeutica, con l'introduzione di **parametri nazionali chiari** per il passaggio dei pazienti dalla chiusura del programma di uso terapeutico all'effettiva rimborsabilità del farmaco, evitando interruzioni del trattamento.

Infine, la **quinta** riguarda la gestione delle casistiche complesse, in particolare l'uso di medicinali in combinazione (terapie add-on o backbone) per le quali il Position Paper propone una chiara attribuzione delle responsabilità economiche e operative tra le aziende titolari e le strutture sanitarie coinvolte.

A queste proposte, gli estensori del Position Paper **affiancano l'indicazione di rafforzare la farmacovigilanza**, allineandola alle Good Pharmacovigilance Practices Europee, e di strutturare una **raccolta dati più sistematica dei programmi di uso terapeutico**, anche attraverso modelli di consenso ampio (broad consent) e l'attivazione di registri AIFA pre-approval, così da trasformare l'esperienza clinica maturata in questi percorsi in evidenze utili alle future decisioni regolatorie.

"Le azioni che la politica può mettere in campo sono molteplici. Una delle principali priorità consiste senza dubbio nello stabilire procedure rapide per l'accesso precoce (early access) ai nuovi farmaci autorizzati dall'EMA che presentano determinate caratteristiche", ha osservato la Senatrice **Elisa Pirro**, Componente della Commissione Affari Sociali del Senato. "In questo senso, negli ultimi anni sono state presentate diverse proposte al Ministero della Salute. Un tentativo concreto è attualmente in corso attraverso il disegno di legge di delega farmaceutica, all'attenzione del Senato proprio in queste settimane per il voto sugli emendamenti, anche se purtroppo non emerge una forte volontà di accogliere tali istanze. Sebbene l'uso compassionevole possa rivelarsi utile in alcuni casi specifici per ovviare alla carenza di procedure di early access, esso non rappresenta la risposta definitiva a questioni che andrebbero invece affrontate in modo omogeneo e uniforme su tutto il territorio nazionale. Il vero nodo centrale è garantire procedure identiche in ogni regione, evitando che il CAP di residenza crei inaccettabili discriminazioni tra pazienti di serie A e di serie B".

"L'accesso precoce dei medicinali è fondamentale in una società che voglia dirsi avanzata. Il disegno di legge delega per il riordino della legislazione farmaceutica va in questo senso e parallelamente appare necessario modificare decreti ministeriali emessi quando la ricerca non aveva ancora immaginato nuove prospettive terapeutiche. Il Position Paper evidenzia aree di miglioramento che potrebbero essere facilmente risolte modificando il DM 7.9.2017 in materia. Sarebbe auspicabile integrare alcuni aspetti allora non considerati, come la gestione dei medicinali da somministrare in aggiunta e non in sostituzione delle vecchie terapie, oltre a prevedere flussi diversi e più snelli per i programmi rispetto agli usi nominali. Semplificare e armonizzare la documentazione da presentare ai Comitati Etici potrebbe facilitare e velocizzare il lavoro di tutti senza ridurre le tutele dei pazienti ma garantendo loro un accesso più veloce.", ha spiegato **Paola Minghetti**, Vice Presidente di AFI.



Associazione Farmaceutici Industria
Società Scientifica

"L'esperienza degli ultimi anni ha evidenziato come la disciplina degli usi compassionevoli non risponda più pienamente alle esigenze attuali, sia in termini di accesso dei pazienti ai trattamenti, sia di semplificazione delle procedure e monitoraggio delle evidenze. Parallelamente, il quadro regolatorio delle sperimentazioni cliniche si è evoluto in modo significativo, garantendo il massimo livello di tutela in termini di sicurezza per i pazienti e ampliando le possibilità di raccolta dei dati", ha affermato **Sandra Petraglia**, Direttore dell'Ufficio Accessi Precoci dell'AIFA. "Poiché gli usi compassionevoli – ha aggiunto – consentono un accesso anticipato a medicinali ancora non autorizzati, è ragionevole pensare che il trasferimento anche agli usi compassionevoli dell'assetto regolatorio per le sperimentazioni cliniche possa consentire di raggiungere l'obiettivo della semplificazione burocratica con elevati standard di sicurezza e un monitoraggio strutturato, in grado di generare anche solide evidenze sull'impiego dei medicinali nella pratica clinica".

"In oncologia, il fattore tempo è quasi sempre determinante. Da qui, l'esigenza di avere strumenti efficaci e sicuri per un accesso rapido e precoce alle terapie innovative", ha commentato **Massimo Di Maio**, presidente nazionale di Aiom. Secondo una recente indagine condotta dall'Associazione, il 29% degli oncologi ha avuto difficoltà nella gestione delle richieste di accesso a programmi di uso compassionevole o nominale. Per garantire la tempestività delle cure", ha aggiunto, "è urgente superare un carico burocratico oggi eccessivo: sosteniamo con forza la proposta di un'approvazione centralizzata dei programmi e l'uso di template standard nazionali per accelerare l'iter dei Comitati Etici. Inoltre è importante evitare che si verifichino interruzioni nel percorso del paziente: servono raccomandazioni nazionali per favorire uniformità nel garantire la continuità terapeutica, nel delicato passaggio dalla fornitura gratuita alla rimborsabilità SSN. Il tutto supportato da una raccolta dati clinici strutturata e armonizzata, indispensabile per generare evidenze reali sull'efficacia dei farmaci nella pratica quotidiana".

"L'uso compassionevole rimane uno strumento eccezionale di accesso precoce che trae la motivazione principale nel rispondere a bisogni clinici importanti insoddisfatti, piuttosto che favorire solamente l'innovazione in via generalizzata o fungere da estensione della sperimentazione clinica. È mia valutazione personale che difficilmente possa diventare una fase ordinaria nello sviluppo di un farmaco, ma per assolvere bene alle importanti funzioni oggi riconosciute dall'attuale quadro normativo, servono i correttivi proposti nel documento. A cominciare da una raccolta strutturata di dati clinici che possa supportare le valutazioni sperimentali e regolatorie, ed all'armonizzazione delle procedure a livello nazionale, per evitare disparità di comportamenti tra Regioni ed Aziende che possano ostacolare l'accesso equo ai programmi di uso compassionevole" ha osservato **Paolo Schincariol**, membro del Comitato scientifico della Società Italiana di Farmacia Clinica e Terapia (SIFACT).