

**SAÚDE, CIÊNCIAS DA VIDA E FARMACÊUTICO**

# Utilização de medicamentos em regime off-label

## Orientação da Comissão Nacional de Farmácia e Terapêutica n.º 19/março/2025

A Comissão Nacional de Farmácia e Terapêutica (“CNFT”), aprovou, no passado dia 14 de março de 2025, a Orientação n.º 19/março/2025, relativa à utilização de medicamentos em regime off-label.

A utilização off-label de medicamentos – utilização de um medicamento para uma indicação não aprovada ou num grupo etário, dosagem ou via de administração – tem assumido uma importância crescente na prática clínica. Esta relevância justifica-se pela complexidade, morosidade e custo financeiro associadas ao processo de avaliação técnico-científica de um medicamento ou de uma nova indicação terapêutica. A utilização off-label de medicamentos permite, assim, a utilização de medicamentos no tratamento de patologias para as quais o medicamento não tem uma indicação terapêutica aprovada.

Tendo em conta a crescente adoção da prescrição off-label e a ausência de regulamentação específica, a CNFT entendeu ser necessário emitir uma série de propostas que visam essencialmente contribuir para a uniformização da atuação das Comissões de Farmácia e Terapêutica Locais (“CFT Locais”) perante as solicitações de autorização de utilização de medicamentos em regime off-label que lhes são dirigidas.

Assim, a CNFT propõe o seguinte:

**Verificação de pressupostos para a utilização de medicamentos off-label**

O uso off-label de medicamentos é restrito e depende da verificação cumulativa dos seguintes pressupostos:

- Inexistência de um medicamento (substância ativa) com indicação aprovada para a situação clínica do doente ou o próprio uso off-label tem uma relação benefício-risco favorável em comparação com as alternativas disponíveis;
- O uso off-label assenta em evidência científica de que são esperados resultados terapêuticos com uma relação benefício-risco favorável para o doente com a utilização de medicamentos neste regime;
- Garantia de que é levada a cabo uma adequada monitorização do doente.

Eduardo Nogueira  
Pinto

Ricardo Rocha

José Martinho  
González

Equipa de Saúde,  
Ciências da Vida  
e Farmacêutico

### Classificação dos pedidos de utilização off-label

A CNFT propõe, ainda, que as CFT Locais classifiquem os pedidos de utilização off-label em três grupos distintos, consoante o caso concreto e as condições de utilização:

	Agrupamento	Consentimento
<b>Grupo 1</b>	<p>Uso off-label de Medicamentos:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>o Que possuam <b>provas clínicas reconhecidas</b> e um uso off-label plenamente instituído na prática clínica;</li> <li>o Cuja utilização em regime de off-label opere <b>há mais de 3 anos</b>;</li> <li>o Que possuam orientações terapêuticas de consenso publicadas, podendo ser considerado como <b>“uso estabelecido”</b>.</li> </ul>	<p>O processo de obtenção do consentimento do doente pode ser <b>simplificado</b>, com a sua forma <b>escrita limitada aos medicamentos (substâncias ativas) de uso hospitalar, mas procedendo-se sempre à anotação no respetivo processo clínico</b>.</p>
<b>Grupo 2</b>	<p>Medicamentos em utilização <b>há pelo menos três anos</b> para outras indicações e onde se considera, pela experiência de utilização, <b>haver um conhecimento adequado dos efeitos adversos e um custo negociado e aprovado pelo SNS</b>.</p>	<p>Deve haver <b>avaliação prévia da CFT e da Comissão de Ética (“CE”) Locais</b>, caso a caso, tendo em devida conta a prova científica disponível e a condição clínica do doente.</p> <p>O consentimento informado deve ser dado por <b>escrito</b>.</p>
<b>Grupo 3</b>	<p>Uso off-label de <b>medicamentos inovadores</b> (substâncias ativas), com complexidade significativa e escassez de dados relativos à segurança e efetividade.</p>	<p>É necessária uma <b>avaliação prévia da CFT e da CE, caso a caso</b>, tendo em devida conta a prova científica disponível e a condição clínica do doente.</p> <p>Sendo os medicamentos inovadores em regra dispendiosos, impõe-se que as CFT realizem não somente uma avaliação farmacoterapêutica, como também uma <b>avaliação económica</b> (custo-efetividade).</p> <p>O <b>consentimento</b> informado deve sempre ser dado por <b>escrito</b> e a decisão final, devidamente informada, deve ser <b>validada pelo Conselho de Administração</b> da entidade envolvida</p>

### Condições do circuito do medicamento em regime off-label

Para além dos pressupostos de cuja verificação depende o uso off-label de medicamentos e a respetiva categorização de cada pedido de utilização, a CNFT vem ainda indicar quais devem ser as condições a que o circuito do medicamento deve atender para se proceder à respetiva prescrição. Assim:

- o A prescrição, para utilização em contexto hospitalar ou dos cuidados de saúde primários, deve indicar que se trata de um uso off-label ficando essa informação registada no processo clínico do doente;
- o Na aprovação pelas CFT, a evidência científica ou a valorização de consenso clínico deve ser ponderada caso a caso no contexto específico da doença, dos objetivos a atingir e do doente;

**O farmacêutico deve ter em atenção a adequação da utilização off-label do medicamento em conformidade com os protocolos terapêuticos aprovados localmente. Na ausência de protocolo terapêutico, os pedidos devem ser remetidos à CFT e à CE locais para avaliação prévia.**

- Deve ser garantida uma adequada monitorização do doente que estabeleça no momento da aprovação, os indicadores de sucesso clínico e de risco que serão registados bem como os tempos de monitorização e informação à CFT local;
- O circuito local de decisão deve ser adaptado à maior ou menor urgência, dando resposta em tempo útil e prevendo mecanismos de exceção;
- Na validação do Grupo I, o farmacêutico deve ter em atenção a adequação da utilização off-label do medicamento em conformidade com os protocolos terapêuticos aprovados localmente. Na ausência de protocolo terapêutico, os pedidos devem ser remetidos à CFT e à CE locais para avaliação prévia;
- O farmacêutico deve-se dispor das condições necessárias para informar adequadamente o doente acerca da correta utilização, nomeadamente acedendo à informação clínica relevante, no momento da dispensa;
- O profissional de saúde que realiza a administração deverá ter conhecimento de que se trata de um uso off label e consciente da necessidade de vigilância de reações adversas não habituais e as medidas adequadas ao seu controlo. ■