



Comunicado de Imprensa

CNECV alerta para necessidade de padronização do uso *off-label* de medicamentos

Lisboa, 17 de maio de 2023 - O Conselho Nacional de Ética para as Ciências da Vida (CNECV) analisou as implicações éticas suscitadas pelo uso *off-label* de medicamentos, uma prática frequente na terapêutica nos diferentes sistemas de saúde, sublinhando que existe atualmente em Portugal uma “manifesta heterogeneidade de procedimentos”, que importa uniformizar.

O uso *off-label* de um medicamento refere-se a situações em que este é usado intencionalmente para uma finalidade médica, em condições não conformes com os termos da autorização de comercialização.

O Conselho recomenda que o uso *off-label* de medicamentos se pautem por procedimentos padronizados a nível nacional, quer no que respeita à sua avaliação prévia nos planos técnico-científico e ético por parte de comissões especializadas, quer no que respeita à obtenção do consentimento informado do doente. No momento da prescrição, o médico deve sempre assegurar-se de que a informação foi transmitida com eficácia e as premissas compreendidas, de modo que a decisão do doente ou do seu representante legal seja verdadeiramente informada. Aquando da dispensa do medicamento, o farmacêutico deve informar o doente ou o seu representante legal sobre a correta utilização *off-label* do medicamento e contribuir para promover a segurança e a efetividade da terapêutica.

O CNECV recomenda que o uso *off-label* de medicamentos seja restringido às situações em que, no conjunto dos medicamentos com Autorização de Introdução no Mercado, não exista um aprovado para a situação clínica do doente. Esta utilização deve apoiar-se em prova científica credível, permitindo perspetivar resultados terapêuticos com uma relação

benefício/risco favorável para o doente, e ser custo-efetiva, devendo ainda ser sempre instituída uma farmacovigilância ativa.

O CNECV identificou três situações distintas de uso *off-label* de medicamentos na prática clínica em Portugal, que configuram níveis de risco também distintos e justificam a adoção de abordagens e procedimentos diferenciados, de exigência ética proporcional ao seu crescente grau de incerteza e risco. Quando o uso *off-label* de um medicamento é apoiado em prova clínica reconhecida e se encontra plenamente instituído na prática clínica justifica-se que a sua utilização e os protocolos terapêuticos que a prevejam sejam objeto de procedimentos de aprovação simplificados. Quando respeita a um uso *off-label* pontual, num doente específico, de medicamentos presentes no mercado há vários anos, impõe-se que a avaliação prévia seja realizada caso a caso, tendo em conta a prova científica disponível e a condição clínica do doente. Por fim, quando o uso *off-label* envolve medicamentos inovadores no tratamento de doentes específicos, impõe-se igualmente que a avaliação prévia seja realizada caso a caso. Além disso, sendo os medicamentos inovadores em regra dispendiosos, impõe-se também que seja analisado o seu valor terapêutico acrescentado e o seu perfil de custo-efetividade.

Também a obtenção do consentimento informado do doente ou do seu representante legal poderá seguir procedimentos diferenciados em cada situação de uso *off-label* de medicamentos.

No seu parecer, o CNECV recomenda que a Comissão Nacional de Farmácia e Terapêutica assuma um papel ativo neste domínio, pronunciando-se sobre as diferentes utilizações *off-label* praticadas diariamente em Portugal, não somente a nível hospitalar, como também em ambulatório, sem prejuízo do importante papel já desempenhado pelas comissões de farmácia e terapêutica e pelas comissões de ética dos hospitais.

No que respeita ao ambulatório, o CNECV recomenda que as comissões de farmácia e terapêutica e as comissões de ética das Administrações Regionais de Saúde assumam responsabilidades de avaliação do uso *off-label* de medicamentos em condições equiparáveis ao contexto hospitalar.

Também as Ordens profissionais dos médicos e dos farmacêuticos, no âmbito da sua missão reguladora das boas práticas profissionais, devem assumir um papel mais ativo em

matéria de uso *off-label* de medicamentos, nomeadamente pronunciando-se e emitindo recomendações, nos planos técnico-científico, deontológico e ético.

Adicionalmente, o CNECV recomenda que os estudos experimentais relativos ao uso *off-label* de medicamentos, como os ensaios clínicos denominados “da iniciativa do investigador”, sejam promovidos e incentivados; sejam aperfeiçoados os incentivos já existentes a nível europeu e desenvolvidos outros complementares para estimular as companhias farmacêuticas a, sempre que se justifique, incluírem outras indicações terapêuticas e/ou outras condições de utilização dos medicamentos, diferentes das já aprovadas; e que as companhias farmacêuticas sejam desencorajadas de adotarem estratégias comerciais de segmentação do mercado.

Por fim, o CNECV recomenda a criação de uma plataforma eletrónica dedicada ao uso *off-label* de medicamentos, em que sejam registados os usos *off-label* de medicamentos, bem como os respetivos efeitos positivos e negativos, e com interoperacionalidade com os demais sistemas de informação em saúde.

O Conselho Nacional de Ética para as Ciências da Vida (CNECV) aprovou, por unanimidade, o Parecer Nº 123/CNECV/2023 sobre o uso *off-label* de medicamentos que pode consultar [aqui](#). Os relatores deste parecer são Carlos Maurício Barbosa, André Dias Pereira e Miguel Guimarães.

Para mais informações:

Ana Sofia Calaça – Assessora de Imprensa

Telemóvel: 919 845 272

Email: comunicacao@cnecv.pt