

# UTILIZACIÓN DE MEDICAMENTOS EN SITUACIONES ESPECIALES EN EL SERVICIO MURCIANO DE SALUD

**Aprobado por: Comisión Regional de Farmacia y Terapéutica  
Consejería de Salud – Región de Murcia  
8 de noviembre de 2019**

Corrección de errores de fecha 7 de febrero de 2020

**Código: CRFT/DOC/MSE/1.0/112019**

## 1. Introducción

---

Acceder a un medicamento no comercializado en España, a una nueva molécula en fase de investigación o al uso de un fármaco en una indicación inicialmente no prevista son situaciones “especiales” que se presentan con relativa frecuencia en nuestro ámbito.

El Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales incorpora a nuestro ordenamiento jurídico lo establecido en el Reglamento (CE) 726/2004 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 31 de marzo de 2004, por el que se establecen procedimientos comunitarios para la autorización y el control de los medicamentos de uso humano y veterinario y por el que se crea la Agencia Europea de Medicamentos (EMA). Esta norma pretende armonizar en los Estados miembros los criterios y condiciones para el uso compasivo de nuevos medicamentos antes de su autorización, y contempla un procedimiento de consulta al Comité de Medicamentos de Uso Humano de la EMA, recogiendo la posibilidad de elaborar protocolos de utilización para garantizar la equidad en el acceso a estos medicamentos en la Unión Europea. Estos protocolos agilizarán los trámites administrativos en las situaciones clínicas comprometidas, ya que los pacientes que cumplan los requisitos en ellos señalados podrán acceder al medicamento sin necesidad de una autorización individualizada.

En todos los casos de uso de medicamentos en condiciones especiales se debe aplicar estrictamente lo establecido por la Ley 41/2002, de 14 de noviembre, básica reguladora de la autonomía del paciente y de derechos y obligaciones en materia de información y documentación clínica, que

establece el derecho del paciente a decidir libremente, después de recibir la información adecuada, entre las opciones clínicas disponibles y establece las condiciones para obtener el consentimiento del paciente tras proporcionarle la información pertinente.

La normativa también recoge que la cobertura de la responsabilidad por los daños derivados de los supuestos en ella previstos se regirá por lo dispuesto en el artículo 46 de la Ley 44/2003, de 21 de noviembre, de ordenación de las profesiones sanitarias.

Del mismo modo, el Real Decreto 1718/2010, de 17 de diciembre, sobre receta médica y órdenes de dispensación, establece en su artículo 17.6 las condiciones de utilización, por los hospitales del Sistema Nacional de Salud, de medicamentos no incluidos en la financiación.

Podemos establecer varias categorías para estas situaciones:

**1. Uso compasivo de medicamentos en investigación:** utilización de un medicamento antes de su autorización en España en pacientes que padecen una enfermedad crónica o gravemente debilitante o que se considera pone en peligro su vida y que no pueden ser tratados satisfactoriamente con un medicamento autorizado. El medicamento de que se trate deberá estar sujeto a una solicitud de autorización de comercialización, o bien deberá estar siendo sometido a ensayos clínicos.

El uso compasivo es lo que se conoce en el mundo como acceso precoz (antes de la autorización) a los medicamentos. El acceso precoz engloba realmente el uso compasivo individual, el uso compasivo de cohorte (o autorización temporal de uso) y el acceso expandido (ensayos clínicos con criterios de inclusión menos estrictos). Por las

características de estas situaciones, el uso compasivo se circunscribe al ámbito hospitalario.

- 2. Uso de medicamentos en condiciones diferentes de las autorizadas (Off-Label):** el uso de medicamentos en condiciones distintas de las incluidas en la ficha técnica autorizada.

La utilización de medicamentos autorizados en condiciones diferentes a las establecidas en su ficha técnica, tendrá carácter excepcional y se limitará a las situaciones en las que se carezca de alternativas terapéuticas autorizadas para un determinado paciente, respetando en su caso las restricciones que se hayan establecido ligadas a la prescripción y/o dispensación del medicamento y el protocolo terapéutico asistencial del centro sanitario.

- 3. Acceso a medicamentos no autorizados en España (Extranjeros):** utilización de medicamentos autorizados en otros países pero no autorizados en España, cuando no cumplan con la definición de uso compasivo de medicamentos en investigación.

Los medicamentos extranjeros vienen a cubrir tres necesidades especiales: (a) medicamentos que no están autorizados en España (y nunca lo han estado), aunque sí pueden estar o haber estado autorizados sus principios activos y ser necesaria otra forma farmacéutica no disponible en España, (b) medicamentos que están autorizados en España pero que tienen problemas de suministro y que temporalmente se importan como medicamentos extranjeros para cubrir esa necesidad puntual, y (c) medicamentos que estando autorizados en España, generalmente por problemas de calidad o pérdida de interés comercial, no se han comercializado o han dejado

de comercializarse en España siendo necesaria su importación como medicamento extranjero.

La legislación limita el uso de cada una de ellas para aquellas situaciones excepcionales en las que no existe ninguna otra alternativa terapéutica comercializada y contempla dos situaciones distintas para cada una de ellas, el uso individual o aquellas situaciones en que pueda existir un uso colectivo (que la legislación denomina, respectivamente, autorización temporal de uso, protocolo de uso o recomendaciones de uso).

**El uso de medicamentos después de la autorización de comercialización y hasta la decisión de precio/financiación** puede ser considerado como una cuarta categoría y representa uno de los mayores problemas, especialmente en el caso de medicamentos huérfanos y oncológicos.

El mayor problema actualmente es la gestión de los medicamentos entre el periodo de autorización y la decisión de precio y financiación por dos hechos: (a) por un lado, pese a que el número de nuevos pacientes/año se mantiene estable, crece el número de autorizaciones totales por las continuaciones de tratamiento dado que los medicamentos no terminan de estar comercializados de forma efectiva; (b) por otro, mientras que hay programas de acceso precoz en los que el titular no empieza a cobrar por el medicamento hasta que existe esta decisión sobre precio y financiación, otros cobran el medicamento desde la primera comercialización en el mundo (EEUU, generalmente) o Europa (Alemania, generalmente), lo cual termina aumentando el coste en estos programas debido a que el precio en el país de origen es más caro.

Por todo ello, la Comisión Regional de Farmacia y Terapéutica (CRFT) de la Región de Murcia cree conveniente establecer y aclarar los procedimientos a seguir por los facultativos y centros sanitarios del Servicio Murciano de Salud (SMS) para la utilización de los medicamentos en situaciones especiales.

## **2. Uso compasivo de medicamentos en investigación\*.**

\*Incluido el acceso expandido a medicamentos en investigación.

El centro hospitalario solicitará el acceso a medicamentos en investigación de forma individualizada a la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, previo visto bueno de la Dirección del centro.

Previamente a la solicitud, el centro hospitalario requerirá un compromiso del Titular de Autorización de Comercialización (TAC) de que, una vez finalizado el periodo de utilización del medicamento en situación de uso compasivo, se continuará con la financiación por parte del TAC hasta que el Servicio Clínico solicitante decida suspender dicho tratamiento.

La solicitud se acompañará de la siguiente documentación:

a) El informe clínico del médico responsable en el que se justifique la necesidad del medicamento para el paciente. El informe deberá adjuntar la documentación que apoye la necesidad de administrar el medicamento al paciente (motivo por el que no puede tratarse de forma satisfactoria con las alternativas terapéuticas autorizadas, datos que apoyan el uso del medicamento para el paciente y razones por las cuales el paciente no puede ser incluido en un ensayo clínico). Deberá indicarse la duración prevista del tratamiento.

b) La conformidad del promotor de los ensayos clínicos o del solicitante de la autorización de comercialización en los casos que así lo requiera.

c) El número de envases requeridos.

El consentimiento informado del paciente o de su representante, si bien será imprescindible antes de la administración del medicamento, no formará parte de la solicitud de autorización a la Agencia. En dicha información deberá constar la posibilidad de la no continuación del tratamiento en los casos en que varíe la situación administrativa del medicamento.

En el caso de que la solicitud no reúna los requisitos establecidos, se requerirá al solicitante para que subsane las deficiencias en el plazo máximo de 10 días, con indicación de que si así no lo hiciera se le tendrá por desistido de su solicitud.

Cuando la Agencia considere que no puede autorizarse el acceso individualizado, deberá ponerlo en conocimiento del solicitante, a fin de que en un plazo de 10 días pueda efectuar las alegaciones y aportar la documentación que estime oportuna.

### **3. Uso de medicamentos en condiciones diferentes de las autorizadas (Off-Label).**

---

El Real Decreto-ley 16/2012, de 20 de abril, de medidas urgentes para garantizar la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud y mejorar la calidad y seguridad de sus prestaciones establece en su artículo 4 que la prescripción de un medicamento para su utilización en condiciones diferentes a las establecidas en su ficha técnica deberá ser autorizada previamente por la comisión responsable de los protocolos terapéuticos u órgano colegiado equivalente en cada comunidad autónoma.

La utilización de medicamentos autorizados en condiciones diferentes a las establecidas en su ficha técnica, tendrá carácter excepcional y se

limitará a las situaciones en las que se carezca de alternativas terapéuticas autorizadas para un determinado paciente, respetando en su caso las restricciones que se hayan establecido ligadas a la prescripción y/o dispensación del medicamento y el protocolo o recomendación terapéutica asistencial del centro sanitario o al establecido por la Comisión.

Este procedimiento es de aplicación a todas las situaciones en las que se utilicen medicamentos autorizados en condiciones diferentes a las establecidas en su ficha técnica, independientemente del nivel asistencial implicado.

La solicitud de utilización de medicamentos en condiciones diferentes a las establecidas en su ficha técnica, la realizará el médico responsable del tratamiento con la especificación de que en el caso de medicamentos que tengan establecido un control sanitario (visado), la solicitud se realizará exclusivamente por médicos de la especialidad que en su caso corresponda.

Sin perjuicio del código interno de cada unidad o servicio, todas las solicitudes deben identificarse, por parte de los Servicios de Farmacia o unidades de visado correspondiente, con un código de 10 dígitos siguiendo las siguientes normas:

\* Posiciones 1-4: año en el que se realiza la solicitud

\* Posiciones 5-6 (una de estas cinco opciones):

- AX (siendo X el número de la correspondiente Área de Salud)
- V1 (unidad de visado Murcia)
- V2 (unidad de visado Cartagena)

- V3 (unidad de visado Lorca)
- SM (salud mental)

\* Posiciones 7-10: número secuencial de 4 dígitos iniciado cada año

La solicitud se realizará de acuerdo con el modelo ya establecido por la CRFT, y deberá dirigirse al Servicio de Farmacia de Área o Servicio competente en materia de visado, según corresponda, debiendo acompañarse de la siguiente documentación:

a). Informe que justifique convenientemente la necesidad del uso del medicamento explicando detalladamente los casos estudiados, resultados obtenidos, la bibliografía que aporte evidencia científica sobre el tema y la pauta a seguir en el tratamiento con la excepción contemplada en el párrafo siguiente. Incluirá la propuesta de parámetros y periodicidad para el seguimiento de resultados del tratamiento.

En el caso de tratamientos que se realicen en el marco de un protocolo o de una recomendación de uso validada por la CRFT, el informe requerido será sustituido por dicho protocolo o recomendación, bajo el que se va a realizar el tratamiento al igual que la propuesta de criterios y periodo de evaluación de resultados por parte del facultativo prescriptor, en caso de que estén establecidos en el citado protocolo o recomendación.

En el caso de medicamentos que tengan establecido un control sanitario (visado), el Servicio competente en materia de visado recabará el informe de validación por parte del Centro de Información y Evaluación de Medicamentos y Productos Sanitarios (CIEMPS) que será

requisito indispensable para el visado de recetas y deberá acompañarse a la solicitud.

b). Consentimiento informado justificando haber informado al paciente o a sus representantes legales (antes de la administración del medicamento), especialmente, de los posibles beneficios y los riesgos potenciales. La información deberá alcanzar el objetivo terapéutico, tratamiento, beneficios esperados, incomodidades y riesgos derivados del mismo, posibles acontecimientos adversos, tratamientos alternativos disponibles, carácter voluntario de la aceptación al tratamiento. Este consentimiento informado se incorporará a la historia clínica del paciente. La información al paciente y obtención del consentimiento no implica la utilización del medicamento, al requerirse, para ello, la autorización previa.

El responsable del tratamiento deberá respetar en su caso las restricciones que se hayan establecido ligadas a la prescripción y/o dispensación del medicamento y el protocolo terapéutico asistencial del centro sanitario, notificando las sospechas de reacciones adversas de acuerdo a lo previsto en el Real Decreto 577/2013, de 26 de julio, por el que se regula la farmacovigilancia de medicamentos de uso humano.

Los nuevos tratamientos instaurados de uso en condiciones diferentes de las autorizadas serán objeto de seguimiento por parte del facultativo prescriptor, conforme a los parámetros y periodicidad establecidos en el informe. Asimismo, el facultativo prescriptor incluirá obligatoriamente en la historia clínica los resultados obtenidos para posibilitar su seguimiento.

En su ámbito de actuación, los Servicios de Farmacia de Área recibirán copia de toda la documentación que acredite el cumplimiento de los

apartados anteriores a los efectos de:

- Validar, mediante la cumplimentación de un informe, las condiciones ligadas a la prescripción y/o dispensación del medicamento sustentada en la mejor evidencia disponible y al protocolo terapéutico asistencial de centro sanitario o de la AEMPS si lo hubiera.
- Disponer de un adecuado registro sobre el uso de medicamentos fuera de indicación.

El Servicio de Farmacia, comprobada la completitud de contenidos y requisitos de la solicitud, recabará la conformidad o disconformidad escrita de la Dirección Médica del Área de Salud que acompañará al expediente.

Los Servicios de Farmacia o en su caso, visado remitirán los expedientes de solicitud a la Secretaría de la CRFT para su autorización. A los efectos de mejorar la eficiencia en la tramitación de determinadas situaciones se podrá delegar la competencia de autorización en la Comisión Permanente de la CRFT, en las Comisiones de Farmacia de Área o en otras Comisiones Asesoras existentes en la Región. En los casos en los que se disponga de un protocolo y/o recomendación validado por la CRFT esta autorización será efectiva tras la correspondiente verificación por parte de los Servicios de Farmacia o Unidad de Visado de que su utilización cumple lo indicado en estos documentos. Los protocolos y/o recomendaciones validados se enviarán por parte del Secretario de la CRFT a las Comisiones de Farmacia de Área y al Servicio Murciano de Salud y tendrán carácter vinculante.

Los protocolos terapéutico asistenciales de los hospitales para la utilización de medicamentos en condiciones diferentes a las establecidas en su ficha técnica y sus actualizaciones serán remitidos a la CRFT y

validados por ella, que a su vez los remitirá, si procede, al Servicio de Inspección de Prestaciones Asistenciales.

Los Servicios de Farmacia de las Áreas y el Servicio responsable del visado remitirán semestralmente a la CRFT un informe que relacione todos los tratamientos con medicamentos en condiciones diferentes a las autorizadas en su ficha técnica que se hayan producido en su ámbito. Este dato se pondrá en conocimiento de la Dirección General competente en materia de política farmacéutica, desde donde se analizará la información agrupada sobre uso de medicamentos fuera de ficha técnica en la Región.

La documentación generada en este procedimiento, que sea necesaria para garantizar el cumplimiento de la normativa legal, se archivará en la historia clínica o expediente de cada uno de los pacientes.

#### **4. Acceso a medicamentos extranjeros.**

---

1. La solicitud de acceso individualizado a un medicamento no autorizado en España se presentará a la Agencia a través de las Consejerías de Sanidad o centros designados por estas o de la dirección del centro hospitalario, y deberá acompañarse de la siguiente documentación:

a) Prescripción facultativa del medicamento acompañada de un informe clínico que motive la necesidad del tratamiento para el paciente y especifique la duración estimada de tratamiento.

b) El número de envases requeridos.

c) Documentación científica que sustente el uso del medicamento para la indicación terapéutica solicitada, en los casos excepcionales en que esta difiera de la recogida en la ficha técnica del país de origen, junto con la conformidad del laboratorio titular si así se requiere. Cuando resulte

necesaria la obtención de un medicamento no autorizado en España por causa de desabastecimiento de la alternativa autorizada en España, la Agencia podrá autorizar la importación del mismo sin necesidad de que la solicitud se acompañe de la documentación contemplada en el presente apartado.

2. El consentimiento informado del paciente o de su representante, si bien será imprescindible antes de la administración del medicamento, no formará parte de la solicitud de autorización a la Agencia.

3. En el caso de que la solicitud no reúna los requisitos establecidos, se requerirá al solicitante para que subsane las deficiencias en el plazo máximo de 10 días, con indicación de que si así no lo hiciera se le tendrá por desistido de su solicitud.

4. Cuando la Agencia considere que no puede autorizarse el acceso individualizado, deberá ponerlo en conocimiento del solicitante, a fin de que en un plazo de 10 días pueda efectuar las alegaciones y aportar la documentación que estime oportuna.

5. En el caso de que el medicamento solicitado suponga un alto impacto sanitario, social o económico, previamente a la solicitud a la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, se obtendrá la validación de esa solicitud por parte de la Comisión Regional de Farmacia y Terapéutica. A los efectos de mejorar la eficiencia en la tramitación, la CRFT utilizará preferentemente métodos telemáticos para dicha validación.

## **5. Uso de medicamentos con indicación autorizada y no financiados por el Sistema Nacional de Salud.**

---

Podemos encontrarnos con diversas situaciones:

### **A) Medicamentos con Resolución expresa de NO FINANCIACION en todas o en alguna de sus indicaciones.**

Estos medicamentos o sus indicaciones incluidas en la resolución negativa en ningún caso podrán ser financiados con fondos públicos, por tanto, no se debe tramitar su solicitud.

Exclusivamente por motivos de interés sanitario o de salud pública, debidamente justificados, el Pleno de la Comisión Regional de Farmacia y Terapéutica podrá validar la utilización de medicamentos en esta situación previa solicitud de la Dirección General de Asistencia Sanitaria del Servicio Murciano de Salud o de la Dirección General de Planificación, Investigación, Farmacia y Atención al Ciudadano de la Consejería de Salud.

### **B) Medicamentos excluidos de la financiación según los artículos 92.2 y 93.2 del Real Decreto Legislativo 1/2015.**

El Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad revisará los grupos, subgrupos, categorías y/o clases de medicamentos cuya financiación no se estime necesaria para cubrir las necesidades sanitarias básicas de la población española.

En todo caso, no se incluirán en la prestación farmacéutica medicamentos no sujetos a prescripción médica, medicamentos que no se utilicen para el tratamiento de una patología claramente determinada, ni los productos de utilización cosmética, dietéticos, aguas minerales, elixires, dentífricos y otros productos similares. Tampoco se financiarán los medicamentos

indicados en el tratamiento de síndromes y/o síntomas de gravedad menor, ni aquellos que, aun habiendo sido autorizados de acuerdo a la normativa vigente en su momento, no respondan a las necesidades terapéuticas actuales, entendiéndose por tal un balance beneficio/riesgo desfavorable en las enfermedades para las que estén indicados

La motivación de la exclusión responderá a alguno de los siguientes criterios:

- a) El establecimiento de precios seleccionados.
- b) La convivencia con un medicamento no sujeto a prescripción médica con la que comparte principio activo y dosis.
- c) La consideración del medicamento como susceptible de publicitarse, directamente al público, en la Unión Europea.
- d) Que el principio activo cuente con un perfil de seguridad y eficacia favorable y suficientemente documentado a través de años de experiencia y un uso extenso.
- e) Por estar indicados en el tratamiento de síntomas menores.
- f) Por cumplir cualquiera de los criterios de no inclusión en financiación pública recogido en el artículo 92.2.

Estos medicamentos solo podrán ser utilizados en el ámbito hospitalario.

La solicitud se dirigirá a la Comisión de Farmacia del Área de Salud a la que corresponda el hospital, que tomará la decisión de acuerdo a los procedimientos que al efecto deberán tener establecidas dichas Comisiones.

### **C) Medicamentos en proceso de financiación.**

Estos medicamentos, con carácter general, no se podrán utilizar en el Servicio Murciano de Salud. Excepcionalmente, podrá valorarse su utilización en pacientes concretos siempre que cumplan las siguientes condiciones y se pueda demostrar la existencia de un beneficio con la correspondiente escala de medición:

1. La solicitud se realizará por el facultativo, con el visto bueno del Jefe o Responsable del Servicio tras revisión en Sesión Clínica, y deberá dirigirse al Servicio de Farmacia de Área, debiendo acompañarse de la siguiente documentación:

- a) Informe que justifique convenientemente la necesidad del uso del medicamento explicando detalladamente los casos estudiados, resultados obtenidos, la bibliografía que aporte evidencia científica sobre el tema, la duración prevista y la pauta a seguir en el tratamiento. Incluirá la propuesta de parámetros y periodicidad para el seguimiento de resultados del tratamiento. En todo caso, el informe deberá contemplar si el paciente cumple con los mismos criterios de inclusión que los pacientes incluidos en el estudio clínico pivotal que se utilizó para su autorización de comercialización, la existencia de alternativas terapéuticas financiadas, si supone aportación clínica relevante para el paciente, si presenta un perfil de seguridad aceptable para el paciente y si la esperanza de vida es superior al tiempo de la obtención del beneficio clínico esperado.

En el caso de fármacos oncológicos se valorarán aquellos con una evidencia clínica contrastada y siempre que cumplan los datos de los ensayos pivotaes. Para la valoración de la evidencia clínica

contrastada se utilizarán la escala de magnitud del beneficio clínico propuesta por la Sociedad Europea de Oncología Médica (ESMO) de manera que se valorará el uso de aquellos fármacos para el tratamiento adyuvante de tumores con score A y B y para el tratamiento de tumores metastásicos con score 4 y 5.

- b) Consentimiento informado justificando haber informado al paciente o a sus representantes legales (antes de la administración del medicamento), especialmente, que el medicamento no se encuentra financiado por el Sistema Nacional de Salud así como de los posibles beneficios y los riesgos potenciales. La información deberá alcanzar el objetivo terapéutico, tratamiento, beneficios esperados, incomodidades y riesgos derivados del mismo, posibles acontecimientos adversos, tratamientos alternativos disponibles, carácter voluntario de la aceptación al tratamiento y deberá constar la posibilidad de la no continuación del tratamiento en los casos en que varíe la situación administrativa del medicamento. Este consentimiento informado se incorporará a la historia clínica del paciente. La información al paciente y obtención del consentimiento no implica la utilización del medicamento, al requerirse, para ello, la autorización previa.
2. El Servicio de Farmacia de Área elaborará un informe en el que se verifique que la solicitud cumple con todos los criterios anteriores e incluirá los aspectos económicos de la solicitud, posicionándose explícitamente sobre la conveniencia o no de iniciar el tratamiento.
  3. El Servicio de Farmacia del Área enviará toda esta documentación, junto con la validación y el posicionamiento explícito de la Dirección

Médica del Centro, a la secretaria de la Comisión Regional de Farmacia y Terapéutica para que el Pleno de dicha Comisión emita un dictamen favorable o desfavorable sobre la solicitud. En función de la urgencia o el riesgo para el paciente, la Comisión podrá determinar el método utilizado para la emisión del dictamen, esto es, presencial o telemáticamente.

4. Previamente a la emisión del Dictamen, la Secretaría de la CRFT remitirá al Servicio de Gestión Farmacéutica del SMS el nombre del medicamento, tiempo previsto de tratamiento, el titular de autorización de comercialización e indicación por la que se solicita el medicamento.
5. El Servicio de Gestión Farmacéutica del SMS podrá acordar con el Titular de Autorización de Comercialización del medicamento las condiciones económicas de la posible adquisición del mismo durante el tiempo de duración del tratamiento. El SGF comunicará a la secretaria de la CRFT las condiciones de pago acordadas.

La imposibilidad de acordar estas condiciones podrá ser motivo de denegación de la solicitud.

6. Una vez emitido el Dictamen, este se comunicará al Facultativo prescriptor, al Servicio de Farmacia del Área y a la Dirección Médica del Centro.