Farmacia Hospitalaria xxx (xxxx) xxx–xxx

Farmacia HOSPITALARIA
Órgano oficial de expresión científica de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria
www.elsevier.es/farmaciahospitalaria

Original breve

Uso de medicamentos fuera de indicación autorizada en un hospital de tercer nivel: perspectiva de 5 años

Lupe Rodríguez-de Francisco*, Ángela María Villalba-Moreno y Eva Rocío Alfaro-Lara

Servicio de Farmacia, Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla, España

INFORMACIÓN DEL ARTÍCULO

Historia del artículo:
Recibido el 24 de febrero de 2025
Aceptado el 29 de mayo de 2025
On-line el xxxx

Palabras clave:
Uso off-label
Comisión de farmacia y terapéutica
Medicina basada en la evidencia
Utilización de medicamentos

RESUMEN

Introducción: el uso *off-label* de medicamentos requiere respaldo científico para equilibrar el balance riesgo/beneficio, limitándose a casos excepcionales en los que no existen alternativas terapéuticas.
Métodos: estudio descriptivo retrospectivo de los informes de la Comisión de Farmacia y Terapéutica, entre 2018 y 2022, en un hospital de tercer nivel. Se analizaron las solicitudes, los medicamentos, el dictamen final y los motivos, el nivel de evidencia y el impacto económico.
Resultados: se analizaron 124 informes, destacando enfermedades oncohematológicas (41,9%) y autoinmunes (27,4%) como principales indicaciones. Oncología (37,1%) y Pediatría (18,5%) fueron los principales solicitantes, con un 87,9% de medicamentos antineoplásicos e inmunomoduladores. El 74,2% de las solicitudes fueron aprobadas por falta de alternativas y evidencia sólida (ensayos fase II-III), mientras que el 25,8% fueron denegadas por disponibilidad de opciones terapéuticas o evidencia insuficiente. En cuanto al coste, el 53% de los fármacos oncohematológicos tenían un precio comprendido entre 10.000 y 50.000 €/tratamiento, y el 62,1% de los no oncohematológicos entre 1.000 y 10.000 €/año. La aprobación de los tratamientos rechazados habría generado un gasto adicional de 2.272.603 €.
Conclusión: se evidenció un aumento de hasta 4 veces en la evaluación de medicamentos de uso *off-label*, con una alta tasa de aprobación.
© 2025 Los Autores. Publicado por Elsevier España, S.L.U. en nombre de Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (S.E.F.H). Este es un artículo Open Access bajo la licencia CC BY-NC-ND (http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/).

Authorization of off-label drugs in a tertiary hospital: 5-year perspective

Keywords:
Off-label use
Pharmacy and Therapeutics Committee
Evidence based medicine
Drug utilization

ABSTRACT

Introduction: The off-label use of drugs requires scientific support to balance risk/benefit, being limited to exceptional cases in which there are no therapeutic alternatives.
Methods: Retrospective descriptive study of the reports of the Pharmacy and Therapeutics Committee between 2018 and 2022 in a third level hospital; analyzing the requests, drugs, final opinion, reasons, level of evidence and economic impact.
Results: A total of 124 reports were analyzed, highlighting oncohematological (41.9%) and autoimmune (27.4%) diseases as main indications. Oncology (37.1%) and Pediatrics (18.5%) were the main applicants, with 87.9% for antineoplastic and immunomodulatory drugs. A total of 74.2% of the applications were approved due to lack of alternatives and solid evidence (phase II-III trials), while 25.8% were denied due to the availability of therapeutic options or insufficient evidence. In terms of cost, 53% of oncohematological drugs cost between €10,000–50,000/treatment and 62.1% of non-oncohematological drugs cost between €1,000–10,000/year. Approval of the rejected treatments would have generated an additional expenditure of €2,272,603.
Conclusion: An increase of up to four times in the evaluation of *off-label* use drugs was evidenced, with a high approval rate.
© 2025 The Author(s). Published by Elsevier España, S.L.U. on behalf of Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (S.E.F.H). This is an open access article under the CC BY-NC-ND license (http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/).

* Autor para correspondencia.
Correo electrónico: luperdefrancisco@gmail.com (L. Rodríguez-de Francisco).

https://doi.org/10.1016/j.farma.2025.05.018
1130-6343/© 2025 Los Autores. Publicado por Elsevier España, S.L.U. en nombre de Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (S.E.F.H). Este es un artículo Open Access bajo la licencia CC BY-NC-ND (http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/).

Cómo citar este artículo: Rodríguez-de Francisco L, et al.. Uso de medicamentos fuera de indicación autorizada en un hospital de tercer nivel: perspectiva de 5 años. Farmacia Hospitalaria. 2025. https://doi.org/10.1016/j.farma.2025.05.018

Introducción

Los medicamentos de uso *off-label* hacen referencia al uso en población, posología o indicación diferentes a la aprobada en la ficha técnica, siendo esta última la más común[1,2]. Se trata de una práctica clínica considerada una alternativa terapéutica que debe estar respaldada por evidencia científica que demuestre una relación beneficio/riesgo favorable[3,4]. Entre las causas se encuentra la baja representatividad o exclusión de ciertas minorías en ensayos clínicos (EECC), como es el caso de los pacientes pediátricos, geriátricos o embarazadas[5]. Por otro lado, la demora en la publicación de los resultados de los EECC o en la autorización por las agencias reguladoras[1]. Otro motivo es el desinterés de los laboratorios para solicitar la autorización de nuevas indicaciones, debido al bajo coste de fármacos ya comercializados para dichas indicaciones, o el reducido *target* de pacientes[1,3]. Por último, las situaciones terminales pueden motivar la prescripción de un fármaco de uso *off-label* [5].

En consecuencia, las áreas más prevalentes son pediatría, psiquiatría y oncohematología[6]. La población pediátrica se encuentra infrarepresentada en EECC, debido al alto coste, el bajo rendimiento y las implicaciones éticas[7]. Los pacientes psiquiátricos también arrastran cuestiones éticas, lo que disminuye su inclusión en EECC[6,8]. Mientras que los pacientes oncohematológicos suelen agotar las líneas de tratamiento estándar y, debido a la gravedad de la enfermedad, se facilita el acceso a fármacos con beneficio clínico, aunque no estén aprobados[4].

En España, el Real Decreto 1015/2009 regula los medicamentos en situaciones especiales, donde se recoge que el uso de medicamentos en condiciones diferentes a las autorizadas tiene carácter excepcional y se restringe a situaciones con ausencia de alternativas autorizadas[2,6]. El médico debe justificar su uso, e informar al paciente de la relación riesgo/beneficio, obteniendo su consentimiento según la Ley 41/2002[9], y la Comisión de Farmacia y Terapéutica (CFT) es quien asume la evaluación de cada solicitud[2]. Los farmacéuticos miembros elaboran un informe con propuesta de resolución, según la situación clínica del paciente, la evidencia científica, la disponibilidad de alternativas (autorizadas o no), el coste y la conveniencia. La decisión final se toma mediante votación del resto de vocales de la CFT.

El objetivo de este estudio es analizar los casos de uso *off-label* solicitados a la CFT entre 2018 y 2022, así como sus resoluciones y el grado de evidencia en el que se sustentaron las decisiones finales.

Métodos

Se realizó un estudio descriptivo retrospectivo de los informes realizados por la CFT, en relación a las características de las solicitudes, los medicamentos y el dictamen final. Respecto a las solicitudes, se recogió: número total de peticiones, año de solicitud, sexo y edad del paciente, tipo de indicación terapéutica y servicio peticionario. Respecto al medicamento solicitado, se registró: clasificación ATC, tipo de dispensación, condición de seguimiento adicional y medicamento huérfano, y año de autorización. También se calculó el coste del tratamiento, de forma anual para medicamentos no oncohematológicos, y el del tratamiento completo para fármacos oncohematológicos. En referencia al dictamen, se recogió la decisión final y el motivo. En el caso de solicitudes aprobadas se categorizaron en: a) por ausencia de terapias autorizadas, y b) por ausencia de terapias autorizadas y no autorizadas; y en el caso de solicitudes denegadas: a) disponibilidad de alternativa en el arsenal terapéutico (autorizadas u *off-label*), b) falta de evidencia que avale un beneficio/riesgo favorable, c) relación coste/beneficio desfavorable. Por último, se analizó el nivel de evidencia que sustentó la decisión.

Resultados

Se localizaron 124 informes correspondientes a 50 fármacos en 74 indicaciones distintas. La distribución en los diferentes años fue la siguiente: 13 informes en 2018, 12 en 2019, 16 en 2020, 32 en 2021 y 51 en 2022.

Las características de las solicitudes, y de los medicamentos solicitados, están recogidas en la tabla 1. Las indicaciones más comunes fueron enfermedades oncohematológicas (41,9%), autoinmunes (27,4%) y hematológicas (10,5%). Los principales servicios solicitantes fueron oncología (37,1%) y pediatría (18,5%). La mayoría de los medicamentos (87,9%) pertenecían al grupo L (antineoplásicos e inmunomoduladores).

Tabla 1
Características de las solicitudes de medicamentos de uso *off-label* evaluados (2018–2022)

	Solicitados	Aprobados
	n (%)	n (%)
Total	124 (100)	92 (74,2)
Año de solicitud		
2018	13 (10,5)	6 (46,2)
2019	12 (9,7)	10 (83,3)
2020	16 (12,9)	13 (81,3)
2021	32 (25,8)	23 (71,9)
2022	51 (41,1)	40 (78,4)
Sexo del paciente		
Mujer	114 (91,9)	83 (72,8)
Hombre	10 (8,1)	9 (90,0)
Edad del paciente		
Media	40	37
0–18 años	31 (25,0)	26 (83,9)
19–30 años	13 (10,5)	10 (76,9)
31–50 años	31 (25,0)	24 (77,4)
51–65 años	31 (25,0)	19 (61,3)
66–80 años	16 (12,9)	13 (81,3)
>80 años	2 (1,6)	0 (0)
Indicación terapéutica		
Oncológica	52 (41,9)	35 (67,3)
Autoinmune	34 (27,4)	29 (85,3)
Hematológica	13 (10,5)	9 (69,2)
Dermatológica	9 (7,3)	5 (55,6)
Infecciosa	7 (5,6)	7 (100)
Neurológica	5 (4,0)	3 (60,0)
Cardiovascular	4 (3,2)	4 (100)
Servicio peticionario		
Oncología médica	46 (37,1)	31 (67,4)
Pediatría	23 (18,5)	19 (82,6)
Dermatología	18 (14,5)	12 (66,7)
Hematología	15 (12,1)	12 (80,0)
Nefrología	11 (8,9)	10 (90,9)
Digestivo	2 (1,6)	0 (0)
Enfermedades infecciosas	2 (1,6)	2 (100)
Neurología	2 (1,6)	2 (100)
Salud mental	2 (1,6)	1 (50,0)
Traumatología	1 (0,8)	1 (100)
Urología	1 (0,8)	1 (100)
Medicina interna	1 (0,8)	1 (100)
Características del medicamento solicitado		
Clasificación ATC		
L: Antineoplásicos e inmunomoduladores	109 (87,9)	78 (71,6)
J: Antiinfecciosos para uso sistémico	4 (3,2)	4 (100)
N: Sistema nervioso	3 (2,4)	2 (66,7)
V: Varios	3 (2,4)	3 (100)
B: Sangres y órganos hematopoyéticos	2 (1,6)	2 (100)
M: Sistema musculoesquelético	2 (1,6)	2 (100)
R: Sistema respiratorio	1 (0,8)	1 (100)
Tipo de dispensación		
DH	64 (51,6)	43 (67,2)
H	60 (48,4)	49 (81,7)
Seguimiento adicional	40 (32,3)	24 (60,0)
Medicamento huérfano	16 (12,9)	14 (87,5)
Año de autorización del medicamento		
1995–1999	9 (7,3)	9 (100)
2000–2004	13 (10,5)	12 (92,3)
2005–2009	23 (18,5)	19 (82,6)
2010–2014	21 (16,9)	16 (76,2)
2014–2020	56 (45,2)	35 (62,5)
2020–2022	2 (1,6)	1 (50,0)

H: uso hospitalario. DH: diagnóstico hospitalario.

Tabla 2
Resoluciones de las solicitudes tras la evaluación por Comisión de Farmacia, motivos y base de evidencia

	Solicitados		Aprobados		No aprobados	
	n	%	n	%	n	%
Total	124	100	92	74,2	32	25,8
Motivo de decisión de aprobación						
a) ausencia de terapias autorizadas (aunque con disponibilidad de otras terapias de uso *off-label*)	29	23,4	29	31,5	–	–
b) ausencia de terapias autorizadas y no autorizadas	63	50,8	63	68,5	–	–
Motivo de decisión de rechazo						
a) disponibilidad de alternativa en el arsenal terapéutico	20	16,1	–	–	20	62,5
b) falta de evidencia que avale un beneficio/riesgo favorable	10	8,1	–	–	10	31,3
c) relación coste/beneficio desfavorable	2	1,6	–	–	2	6,3
Tipo de evidencia que sustenta la decisión						
- EECC fase III	45	36,3	32	34,8	13	40,6
- EECC fase II	30	24,2	21	22,8	9	28,1
- EECC fase I-II	5	4,0	3	3,3	2	6,3
- EECC fase I	1	0,8	1	1,1	0	0,0
- Estudio observacional	8	6,5	7	7,6	1	3,1
- Serie de casos	33	26,6	27	29,3	6	18,8
- Casos clínicos	0	0,0	0	0,0	0	0,0
- Sin evidencia	2	1,6	1	1,1	1	3,1

EECC: ensayos clínicos.

Tabla 3
Impacto económico de las solicitudes de medicamentos de uso *off-label* y tasa de aprobación

Tratamientos oncohematológicos				
	Solicitados		**Autorizados**	
	n	**%**	**n**	**%**
Total	66	53,2	44	47,8
Coste del tratamiento completo (€)				
10–100	0	0,0	0	0,0
100–1.000	3	4,5	3	6,8
1.000–10.000	8	12,1	5	11,4
10.000–50.000	35	53,0	23	52,3
50.000–100.000	16	24,2	12	29,5
>100.000	4	6,1	0	0,0
Tratamientos no oncohematológicos				
	Solicitados		**Autorizados**	
	n	**%**	**n**	**%**
Total	58	46,8	48	52,2
Coste anual (€)				
10–100	2	3,4	2	4,2
100–1.000	4	6,9	4	8,3
1.000–10.000	36	62,1	31	64,6
10.000–50.000	10	17,2	7	14,6
50.000–100.000	5	8,6	4	8,3
>100.000	1	1,7	0	0,0

De los 124 informes de evaluación, 92 (74,2%) obtuvieron un dictamen favorable (tabla 2). De estos, el 68,5% fueron aprobados por falta de alternativas autorizadas, mientras que el 31,5% restantes fueron aprobados a pesar de la disponibilidad de otras terapias *off-label*. El 34,8% de las aprobaciones se basaron en EECC fase III, seguidas de series de casos (29,3%) y EECC fase II (22,8%).

De las 32 (25,8%) solicitudes no aprobadas, 20 (62,5%) fueron rechazadas por alternativas terapéuticas disponibles, 10 (31,3%) por falta de evidencia que avale el beneficio/riesgo favorable, y 2 (6,3%) por una relación coste/beneficio desfavorable. El 40,6% de las solicitudes no aprobadas se sustentaban en EECC fase III, el 28,1% en EECC fase II y el 18,8% en series de casos.

Sobre el impacto económico de la aprobación vía *off-label* (tabla 3), en el caso de los fármacos oncohematológicos, la mayoría de peticiones (53%) se sitúan entre los 10.000 y 50.000 €/tratamiento completo. Respecto a la tasa de aprobación, de las 66 solicitudes, se aprobaron 44. En el caso de los tratamientos no oncohematológicos, se registraron 58 solicitudes, de las cuales se aprobaron 48, situándose la mayoría entre los 1.000 y 10.000 €/año (62,1%). Se presentaron 5 solicitudes de alto impacto económico, superiores a 100.000 €, 4 de ellos de tratamientos oncohematológicos. Ninguna fue autorizada. El cálculo total del impacto presupuestario de los medicamentos aprobados asciende a 2.265.670 €. Se estimó que los tratamientos rechazados, de haber sido aprobados, habrían supuesto un gasto adicional de 2.272.603 €, incrementando el gasto total hasta los 4.538.274 €.

En la tabla 4 se resumen los fármacos solicitados con más frecuencia, su indicación y la resolución. Según el orden decreciente, se encuentran: rituximab, baricitinib, dupilumab, pazopanib, pembrolizumab, cabozantinib, eculizumab, sorafenib y vedolizumab.

Discusión

En este estudio, se observa un notable aumento de la actividad evaluadora, llegando a cuadruplicar el número de solicitudes, debido posiblemente a la incorporación de nuevos fármacos[10] y a la aparición de nuevas enfermedades, donde destacamos la pandemia por COVID-19 en 2020[11]. De los medicamentos solicitados, la mayoría pertenecían al grupo L de la clasificación ATC, con indicaciones en enfermedades oncohematológicas y autoinmunes y pertenecientes a los servicios de oncología médica y pediatría, datos alineados con el estudio de Pérez-Moreno et al.[1], realizado en el mismo hospital en 2009–2011. La mayor parte de los fármacos solicitados para enfermedades autoinmunes pertenecían al servicio de pediatría, justificado por tratarse de un centro referente en enfermedades autoinmunes pediátricas.

Los resultados muestran una alta tasa de autorización, cerca del 75%, lo que evidencia que la vía de solicitud de medicamentos de uso *off-label* continúa siendo una herramienta clave una década después de la publicación del RD 1015/2009[2]. El estudio de Pérez-Moreno et al.[1] muestra resultados similares, lo que podría explicarse por la complejidad de pacientes en un hospital de tercer nivel. En las decisiones de aprobación se observa una tendencia a autorizar fármacos para indicaciones sin opciones de tratamiento o con alternativas limitadas. Por el contrario, las solicitudes con alternativas disponibles o con una relación coste-beneficio desfavorable tienden a ser rechazadas. Por otro lado, destaca que incluso con evidencia científica de bajo nivel, la tasa de aprobación es elevada, probablemente debido a la ausencia de alternativas en pacientes que han agotado todas las opciones terapéuticas. Si analizamos la evidencia dentro del grupo de peticiones denegadas, se basa principalmente en EECC fase II-III. Este grupo se corresponde con aquellas peticiones que son denegadas, a pesar de estar respaldadas con evidencia científica, por disponer de alternativas terapéuticas que aún no se habían probado en el paciente con una adecuada relación coste-beneficio.

Otro aspecto a destacar es el coste de los fármacos. Los tratamientos con menor coste tienen mayor tasa de aprobación, mientras que los de mayor impacto económico, superior a 100.000 €, ninguna fue aprobada. Como cabría esperar, en estos casos se prioriza aún más el nivel de evidencia y la disponibilidad de alternativas. En el ámbito de los medicamentos oncohematológicos, la mayoría de los fármacos autorizados presentan un coste promedio de 10.000–50.000 €/tratamiento. Este rango se alinea con el estudio publicado por González-Morcillo et al.[12], quienes analizaron la relación coste-efectividad de fármacos de uso *off-label*, principalmente del área de oncohematología, identificando un coste promedio por solicitud de 16.288 €/solicitud. Por el contrario, los fármacos no oncohematológicos tienen costes promedio significativamente más bajos, entre 1.000 y 10.000 €/año.

Aunque las peticiones de fármacos oncohematológicos superaron en número a las de los no oncohematológicos, la tasa de autorización fue

Tabla 4
Medicamentos más solicitados: indicaciones, decisión final, justificación y evidencia

Fármaco	Número de solicitudes	Año de solicitud	Indicaciones	Decisión final	Motivo de decisión	Tipo de evidencia
Rituximab	8	2020	Nefropatía membranosa	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase III
		2020				
		2021	Síndrome nefrótico secundario a enfermedad de cambios mínimos (EMC)	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	Estudios observacionales
		2021				
		2021	Síndrome nefrótico secundario a enfermedad injerto contra huésped (EICH)	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	Estudios observacionales
		2021	Glomerulonefritis pauciinmune	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles, con alternativas de uso *off-label*	Serie de casos
		2021	Polineuropatía desmielinizante idiopática crónica (PDIC)	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles, con alternativas de uso *off-label*	Serie de casos
		2022	Encefalitis autoinmune	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	Estudios observacionales
Baricitinib	5	2020	Síndrome de dermatosis neutrofílica atípica-lipodistrofia-temperatura elevada (CANDLE)	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles, con alternativas de uso *off-label*	Serie de casos
		2021			Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	
		2021	Infección por COVID-19	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase I-II
		2022				EECC fase III
		2022	Vitíligo	No autorizado	Alternativa disponible en el arsenal terapéutico	Serie de casos
Dupilumab	5	2021	Prurigo nodular	No autorizado	Falta de evidencia que avale un beneficio/riesgo favorable	Serie de casos
		2021	Urticaria crónica	No autorizado	Falta de evidencia que avale un beneficio/riesgo favorable	Serie de casos
		2022	Epidermólisis ampollosa distrófica recesiva pruriginosa persistente	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	Serie de casos
		2022				
		2022		No autorizado	Alternativa disponible en el arsenal terapéutico	
Pazopanib	5	2019	Cáncer de páncreas	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase II
		2021	Carcinoma papilar de tiroides metastásico	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase II
		2022	Tumor del estroma gastrointestinal (GIST)	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles, con alternativas de uso *off-label*	EECC fase II
		2022				
		2022	Tumor fibroso solitario	No autorizado	Alternativa disponible en el arsenal terapéutico	EECC fase II
Pembrolizumab	5	2019	Cáncer de pulmón no microcítico de tipo carcinoma sarcomatoide	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase III
		2019	Cáncer de cuello uterino	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase II
		2022				
		2022	Carcinoma epidermoide cutáneo	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles, con alternativas de uso *off-label*	EECC fase III
		2022		No autorizado	Alternativa disponible en el arsenal terapéutico	
Cabozantinib	4	2018	Hepatocarcinoma	No autorizado	Alternativa disponible en el arsenal terapéutico	EECC fase III
		2021	Carcinoma papilar de tiroides metastásico	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase III
		2021	Osteosarcoma	No autorizado	Alternativa disponible en el arsenal terapéutico	EECC fase II
		2021	Sarcoma de Ewing	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase II
Eculizumab	4	2020	Glomerulopatía C3	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	Estudios observacionales
		2022	Daño endotelial postrasplante de precursores hematopoyéticos (TPH)	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	Serie de casos
		2022	Nefropatía IgA	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	Serie de casos
		2022	Rechazo agudo mediado por anticuerpos	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	Serie de casos
Sorafenib	4	2018	Osteosarcoma	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase II
		2022				
		2021	Tumor desmoide	No autorizado	Alternativa disponible en el arsenal terapéutico	EECC fase III
		2022		Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	
Vedolizumab	3	2018	Enfermedad injerto contra huésped (EICH) digestivo postrasplante de precursores hematopoyéticos (TPH)	Autorizado	Ausencia de terapias disponibles y ausencia de otras alternativas	EECC fase II
		2019				Serie de casos
		2021				EECC fase II

EECC: ensayos clínicos.

significativamente mayor para los medicamentos no oncohematológicos (66% vs. 82%, respectivamente). Esta diferencia podría estar vinculada al mayor coste asociado a los tratamientos oncohematológicos, donde su uso requiere mayor respaldo científico.

En términos de impacto presupuestario, la aprobación de 92 de las 124 peticiones supuso un ahorro de 2,2 millones de euros. Por lo que las políticas de evaluación y selección de medicamentos en la gestión hospitalaria no solo minimizan la exposición de los pacientes a tratamientos con respaldo científico limitado, sino que también optimizan los recursos disponibles al priorizar opciones más eficientes.

Responsabilidades éticas

Este caso se apela a lo señalado por el Comité Internacional de Editores de Revistas Médicas (ICMJE).

Financiación

Los autores declaran no haber recibido financiación para la elaboración de este trabajo.

Declaración de autoría

Lupe Rodríguez-de Francisco realizó la redacción del manuscrito; Ángela María Villalba-Moreno y Eva Rocío Alfaro-Lara revisaron críticamente el contenido intelectual del manuscrito y aprobaron la versión final que se presentará; Lupe Rodríguez-de Francisco presentó el manuscrito.

Conflicto de intereses

Los autores declaran no tener ningún conflicto de intereses.

Declaración de contribución de autoría CRediT

Lupe Rodríguez-de Francisco: Writing – review & editing, Writing – original draft, Formal analysis, Data curation. **Ángela María Villalba-Moreno:** Validation, Supervision, Conceptualization. **Eva Rocío Alfaro-Lara:** Validation, Supervision, Conceptualization.

Bibliografía

1. Pérez-Moreno MA, Villalba-Moreno AM, Santos-Ramos B, Marín-Gil R, Varela-Aguilar JM, Torelló-Iserte J, et al. Autorización de usos de medicamentos fuera de indicación en un hospital de tercer nivel. Rev Calidad Asistencial. 2013;28(1):12–8. doi:10.1016/j.cali.2012.05.005.
2. Ministerio de Sanidad y Política Social. Boletín Oficial del Estado. Real Decreto 1015/2009, de 19 junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales. [consultado 20 Feb 2025]. Disponible en: https://www.boe.es/eli/es/rd/2009/06/19/1015.
3. Zarkavelis G, Amylidi AL, Verbaanderd C, Cherny NI, Metaxas Y, de Vries EGE et al. Off-label despite high-level evidence: a clinical practice review of commonly used off-patent cancer medicines. ESMO Open. 2023;8(1):100604. doi:10.1016/j.esmoop.2022.100604
4. Ibáñez C, Fontanals S, Mesia R, Clopés A. Comments on «off-label despite high-level evidence: a clinical practice review of commonly used off-patent cancer medicines». ESMO Open. 2023;8(3):101212. doi:10.1016/j.esmoop.2023.101212.
5. Fontanals S, Esteve A, González A, Ibáñez C, Martínez J, Mesía R, et al. Real-world treatment outcomes of medicines used in special situations (off-label and compassionate use) in oncology and hematology: a retrospective study from a comprehensive cancer institution. Cancer Med. 2023;12(16):17112–25. doi:10.1002/cam4.6360.
6. Arocas Casañ V, Mateo Carmona J, García Molina O, de Palencia F, Espinosa MÁ, Blázquez Álvarez MJ, et al. Off-label prescription of drugs at hospital. Farm Hosp. 2016;40(2):63–71. doi:10.7399/fh.2016.40.2.9268.
7. Petkova V, Georgieva D, Dimitrov M, Nikolova I. Off-label prescribing in pediatric population-literature review for 2012–2022. Pharmaceutics. 2023;15(12):2652. doi:10.3390/pharmaceutics15122652.
8. Irwin KE, Moy B, Fields LE, Callaway CA, Park ER, Wirth L. Expanding access to cancer clinical trials for patients with mental illness. J Clin Oncol. 2019;37(18):1524–8. doi:10.1200/JCO.18.01881.
9. 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. BOE, n.° 274 de 15 de noviembre de 2002. [consultado 20 Feb 2025]. Disponible en: https://www.boe.es/eli/es/l/2002/11/14/41/con.
10. Piñeiro Pérez R, Ruiz Antorán MB, Avendaño Solá C, Román Riechmann E, Cabrera García L, Cilleruelo Ortega MJ, et al. Conocimiento sobre el uso de fármacos off-label en Pediatría. Resultados de una encuesta pediátrica nacional 2012–2013 (estudio OL-PED). An Pediatr (Barc). 2014;81(1):16–21. doi:10.1016/j.anpedi.2013.10.004.
11. Blanco-Reina E, Muñoz-García A, Cárdenas-Aranzana MJ, Ocaña-Riola R, Del Prado-Llergo JR. Assessment of off-label prescribing: profile, evidence and evolution. Farm Hosp. 2017;41(4):458–69. doi:10.7399/fh.2017.41.4.10562.
12. González-Morcillo G, Calderón-Hernanz B, Rodríguez-Camacho JM. Cost-effectiveness of drug therapy prescribed in special situations at hospital. Farm Hosp. 2020;44(6):272–8. doi:10.7399/fh.11451.