



Frente a guardia
Htal. Penna, CABA



Realidades Poco Frecuentes- El derecho a la salud es el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar.

Reunión informativa
“Evaluación de Tecnologías Sanitarias”
Comisión de Acción Social y Salud Pública
Honorable Cámara de Diputados de la Nación

11 de abril, 2023

Lic. Luciana Escati Peñaloza

Directora Ejecutiva

FADEPOF - Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes

direccion@fadepof.org.ar



Organización sin fines de lucro de **segundo grado**



86 miembros (organizaciones de primer grado), con representación de **+ 1.500 EPOF**



Trabajamos a nivel **provincial, nacional y en alianzas regionales y mundiales**

La **Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes (FADEPOF)** es una organización civil de **segundo grado, conformada por organizaciones y grupos de pacientes y/o familiares que trabajan con alguna enfermedad poco frecuente**. Todos los miembros de FADEPOF son organizaciones sin fines de lucro. Actualmente, FADEPOF cuenta con **más de 80 miembros distribuidos en la Argentina**.

FADEPOF enfoca sus esfuerzos en el fortalecimiento de sus miembros, transfiriendo herramientas y tecnología para potenciar sus acciones e impacto en la sociedad.

Desde hace más de una década, FADEPOF trabaja desarrollando alianzas a nivel nacional, regional y global, para mejorar las condiciones de nuestros miembros y sus pacientes.

FADEPOF trabaja para promover políticas públicas destinadas a mejorar la situación de los **3,6 millones de argentinos que viven con una enfermedad poco frecuente y sus familias**.

Mesa Directiva Nacional

Período 2022/ 2024



ROBERTA ANIDO

Presidente

Asociación Ayuda al Paciente con
Inmunodeficiencia Primaria-AAPIDP



SUSANA MARTA GIACHELLO

Vicepresidente

Asociación de Lucha contra la Esclerosis
Múltiple - ALCEM



ADRIANA VIRGINIA FELDMAN

Secretario

Fundación Argentina de Talasemia -
FUNDATAL



SERGIO FABIAN TRENTIN

Tesorero

Fundación Debra Argentina - DEBRA



VERONICA ACOSTA

Vocal Titular

Asociación Civil de Síndrome de Rett de
Argentina - ASIRA



VANESA BRIZUELA

Vocal Titular

Asociación Civil Fibrosis Pulmonar
Idiopática Argentina - AFIPIA



SANDRA VILCHES

Vocal Suplente

Fundación Lupus Córdoba

1. 11q Latinoamérica
2. Acción Mitocondrial Argentina
3. Acondroplasia Argentina
4. Actitud Dravet
5. Agrupación Patologías Endócrinas Poco Frecuentes - APEPOF
6. Alianza Lisosomal Argentina
7. Amigos Albinos de Córdoba
8. Asociacion Argentina de Angioedema Hereditario
9. Asociación Argentina de Disfonía Espasmódica
10. Asociación Argentina de EMTC (Enfermedad Mixta del Tejido Conectivo)
11. Asociacion Argentina de Esclerodermia Y Raynaud
12. Asociación Argentina De Fibrosis Quística
13. Asociacion Argentina de Histiocitosis
14. Asociación Argentina de Narcolepsia e Hipersomnias
15. Asociacion Argentina de Neurofibromatosis
16. Asociación Civil Argentina de Esclerosis Tuberosa
17. Asociación Civil Ayuda al Paciente con Inmunodeficiencia Primaria
18. Asociación Civil Creciendo
19. Asociación Civil de Prader Willi
20. Asociacion Civil de Sindrome de Rett de Argentina
21. Asociación Civil Displasia Ectodérmica Argentina
22. Asociación Civil Enfermos Lisosomales del NEA
23. Asociación Civil Esclerodermia y Raynaud
24. Asociación Civil Fibrosis Pulmonar Idiopática Argentina
25. Asociación Civil Fiebre Mediterránea Familiar de Argentina
26. Asociación Civil Hipertensión Pulmonar Argentina
27. Asociación Civil para el Enfermo de Psoriasis
28. Asociación Civil Resiliencia. Una batalla contra la Epilepsia Refractaria
30. Asociación de Apoyo al Paciente con Enfermedad de Wilson - Argentina
31. Asociacion de Lucha contra la Esclerosis Multiple
32. Asociación de Personas con Cáncer de Tiroides de La República Argentina
33. Asociación de Personas con Lipodistrofia en Argentina
34. Asociacion Distrofia Muscular
35. Asociacion Fenilcetonuria Argentina (FENI)
36. Asociación Jujena de Enfermedades Poco Frecuentes "AJEPoF"
37. Asociación Lupus Argentina
38. Asociación Miastenia Gravis Rosario Asociación de Ayuda Integral a los Pacientes de Miastenia Gravis
39. Asociación Mucopolisacaridosis Argentina
40. Asociación para el apoya a enfermos de Huntington
41. Asociación Sanfilippo Argentina
42. Asociación Xlh y otros raquitismos hereditarios
43. ATEAR Asociacion Civil
44. DIC Diabetes Insípida Central
45. Esclerosis Múltiple Argentina Asociación Civil sin Fines de Lucro
46. Fundación ACADIF - Guerreros Miotubulares
47. Fundación Alfa1 Argentina
48. Fundacion Argentina de Fibromialgia Dante Mainieri
49. Fundación Argentina de Talasemia
50. Fundación de Hemisferectomía
51. Fundación de la Hemofilia
52. Fundacion Debra Argentina
54. Fundación HD Lorena Scarafioca
55. Fundación Lautaro Te Necesita
56. Fundación Lupus Argentina
57. Fundación Mas Vida de Crohn & Colitis Ulcerosa
59. Grupo Argentina CLN2
60. Grupo Argentino de Amiloidosis
61. Grupo Argentino de Síndrome de Apert
62. Grupo Argentino de Uveitis
63. Grupo Charcot Marie Tooth
64. Grupo de Cadasil y Carasil de Venado Tuerto
65. Grupo de Hiperinsulinismo Congénito
66. Grupo de Macroglobulinemia De Waldenström
67. Grupo de Pacientes Chiari de Argentina
68. Grupo de pacientes con Ataxia Asociación Civil
69. Grupo de Pacientes de Enfermedad de Pompe
70. Grupo de Quistes de Tarlov
71. Grupo de Síndromes Edwards y Patau
72. Grupo MPS IV Argentina
73. Grupo MPS VI Argentina Pacientes y Familiares
74. Grupo Otopalato Digital tipo 2
75. Grupo Rohhad Argentina
76. Grupo Síndrome de Marfan y Trastornos Relacionados
77. Grupo Síndrome Goldenhar y Microtia
78. Grupo Syngap1
79. Grupo XYY
80. Marfan La Matanza
81. Nuestra Visión
82. Osteogénesis Imperfecta Oi Argentina
83. Red NOA de Neurofibromatosis
84. Retina Argentina
85. Síndorme de Behcet Argentina
86. Sudeck Argentina



Comité Asesor Interdisciplinario de Expertos - CAIE

El **CAIE** es un grupo interdisciplinario e independiente seleccionados y convocados por la Mesa Directiva Nacional en base a su experiencia en diferentes disciplinas. Su nombramiento es a título personal y honorario.

El **CAIE** brinda asesoramiento sobre asuntos relacionados con la elaboración de políticas socio-sanitarias, sobre enfermedades poco frecuentes, instrumentos y documentos políticos, incluidas directrices y recomendaciones, como así también proporcionar orientación, cooperación y consulta ante organismos a nivel federal, autoridades nacionales y otras partes interesadas incluidas las organizaciones de pacientes.



DRA. MARÍA INÉS BIANCO
Abogada con especialización en
Salud y Discapacidad



DR. HERNÁN AMARTINO
Jefe del Servicio de Neurología
Infantil del Hospital Universitario
Austral



DRA. PATRICIA ELMEAUDY
Médica Pediatra



LIC. FLORENCIA UGO
Licenciada en Psicología, Médica
Psiquiatra.



DR. OSVALDO PODHACER
Biólogo molecular argentino
especializado en terapias génicas
para el tratamiento del cáncer



DRA. CLAUDIA PERANDONES
Médica especialista en Genética
Médica, y Magister en Biología



DRA. ANDREA LLERA
Bioquímica y farmacéutica con
doctorado de la UBA



LIC. GUSTAVO AVERBUJ
Partner y Director Regional para
Latinoamerica de Ketchum Public
Relations



DRA. MARISA AIZEMBERG
Abogada graduada en la Universidad
de Buenos Aires

Qué son las enfermedades poco frecuentes

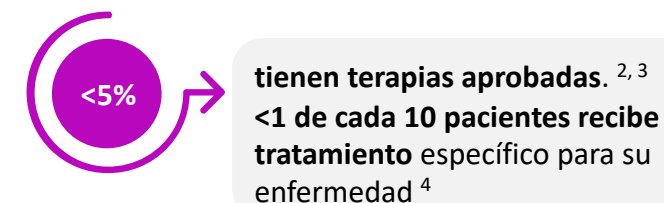
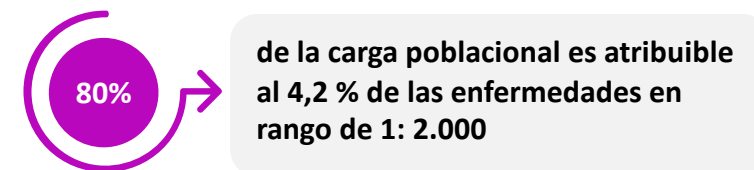
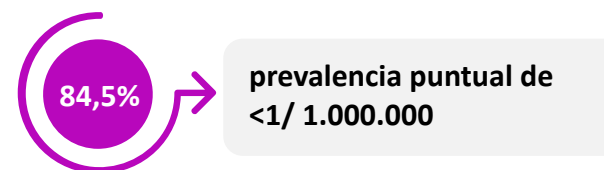


Referencias:

1. Tisdale A, Cuttillo CM, Nathan R, et al. La iniciativa IDeaS: estudio piloto para evaluar el impacto de las enfermedades raras en los pacientes y los sistemas de salud. Orphanet J Rare Dis . 2021;16(1):429. Publicado el 22 de octubre de 2021. doi:10.1186/s13023-021-02061-3
2. El poder de ser contado. <https://rare-x.org/case-studies/the-power-of-being-counted/>
3. Haendel M, Vasilevsky N, Unni D, et al. ¿Cuántas enfermedades raras hay?. Nat Rev Drug Discovery . 2020;19(2):77-78. doi:10.1038/d41573-019-00180-y
4. Nguengang Wakap S, Lambert DM, Olry A, et al. Estimación de la prevalencia puntual acumulada de enfermedades raras: análisis de la base de datos de Orphanet. Eur J Hum Genet . 2020;28(2):165-173. doi:10.1038/s41431-019-0508-0
5. Richter T, Nestler-Parr S, Babela R, Khan ZM, Tesoro T, Molsen E, Hughes DA; International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research Rare Disease Special Interest Group. Rare Disease Terminology and Definitions-A Systematic Global Review: Report of the ISPOR Rare Disease Special Interest Group. Value Health. 2015 Sep;18(6):906-14. doi: 10.1016/j.jval.2015.05.008. Epub 2015 Aug 18. PMID: 26409619.
6. Descripción operativa de EPOF. <https://www.rarediseasesinternational.org/description-for-rd/>

Qué son las enfermedades poco frecuentes

-  **Pequeño número de casos**
-  **Heterogeneidad clínica significativa**
-  **Dispersión geográfica (persona y recursos especializados)**
-  **Presentaciones clínicas sobreestimadas o subestimadas**

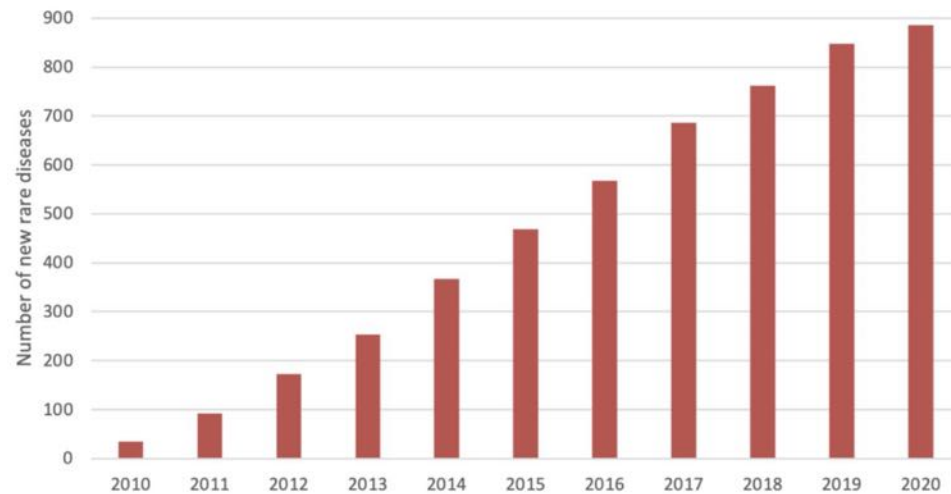


Referencias:

1. Nguengang Wakap S, Lambert DM, Olry A, et al. Estimación de la prevalencia puntual acumulada de enfermedades raras: análisis de la base de datos de Orphanet. Eur J Hum Genet. 2020;28(2):165-173. doi:10.1038/s41431-019-0508-0
2. Chan A, Chan V, Olsson S, et al. Acceso y necesidades insatisfechas de medicamentos huérfanos en 194 países y 6 áreas: una revisión de política global con análisis de contenido. Valora la Salud. 2020; 23 :1581–1590. doi: 10.1016/j.jval.2020.06.020.
3. Kaufman P, Pariser AR, Austin C. Del descubrimiento científico a los tratamientos para enfermedades raras: la visión del Centro Nacional para el Avance de las Ciencias Traslacionales, Oficina de Investigación de Enfermedades Raras. Dis. raras de Orphanet J. 2018; 13 :196. doi: 10.1186/s13023-018-0936-x.
4. Melnikova I. Enfermedades raras y medicamentos huérfanos . Nature Reviews Drug Discovery . 2012; 11 (4):267–8. 10.1038/nrd3654

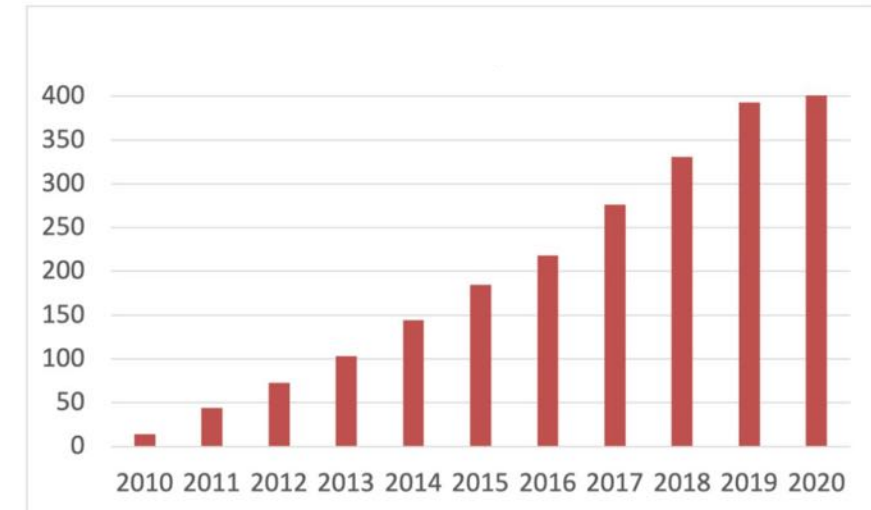
Qué son las enfermedades poco frecuentes

Número acumulado de nuevas EPOF por año desde 2010



Número de nuevas enfermedades raras extraídas de la **sección** “Nuevos síndromes” de **OrphaNews** anualmente. Esta sección presenta una lista de publicaciones revisadas por pares donde los autores describen nuevas enfermedades raras candidatas.

Número de terapias nuevas desde 2010

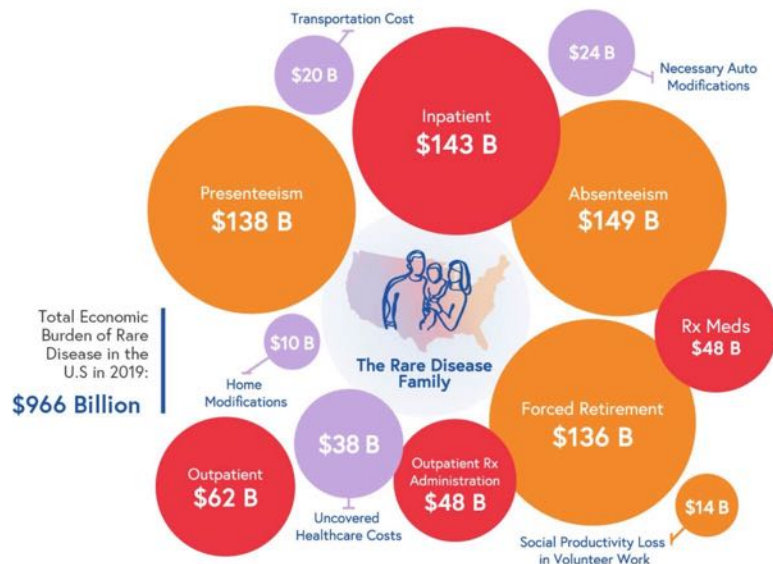


El número se calcula a partir de la información disponible en los sitios web de la **EMA** y la **FDA**. Un mismo medicamento aprobado tanto en la UE como en EE. UU. Solo se cuenta una vez. Un mismo medicamento se cuenta una vez por cada indicación para la que recibió una aprobación de comercialización. Todo medicamento que pierda la designación huérfana o la aprobación de comercialización para una indicación se eliminará del recuento.

Definición de droga huérfana **(no contemplado en la normativa Argentina)**

derecho a la salud enfermedades poco frecuentes

La carga económica de las enfermedades raras alcanzó casi \$ 1 billón en los EE. UU. en 2019



¿Qué impulsa los costos?

El estudio evaluó tres componentes de costos para determinar la carga económica total de las EPOF



Costos Médicos Directos

Ejemplos

- Atención hospitalaria o ambulatoria
- Visitas al médico
- Medicamentos Rx y su administración
- Equipo médico duradero

Los programas de seguros públicos y privados suelen pagar directamente a los proveedores y los pacientes son responsables de los copagos.



Costos indirectos: pérdida de productividad

Ejemplos

- jubilación forzosa
- Absentismo
- Presentismo (cuando los empleados no pueden funcionar completamente en el lugar de trabajo)
- Reducción en la participación comunitaria y servicio voluntario

Reduce los ingresos de los pacientes y cuidadores, al tiempo que reduce la productividad de los empleadores, las comunidades y la sociedad

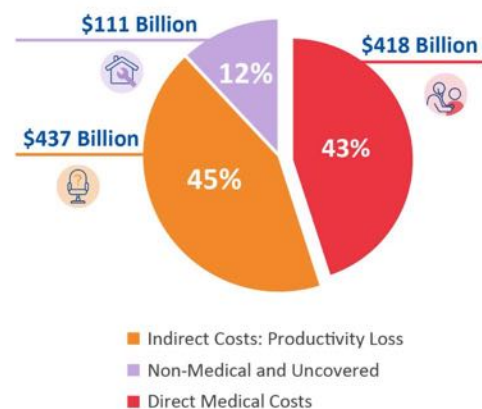


Costos de atención médica no médicos y no cubiertos

Ejemplos

- Modificaciones necesarias para el hogar o el automóvil
- Costos de transporte y educación
- cuidado diario pagado
- Servicios de atención médica no cubiertos por el seguro: tratamientos experimentales, alimentos médicos y más

Gastos de bolsillo absorbidos directamente por las familias que viven con ER



Los costos indirectos y no médicos impulsan la carga económica de la ER, superando los costos médicos directos

derecho a la salud enfermedades poco frecuentes



Costos indirectos: pérdida de productividad \$ 437 mil millones

La pérdida de productividad reveló un costo económico masivo para los pacientes, los cuidadores y los empleadores

“Equilibrar una carrera con la atención médica es difícil. Es posible que no pueda completar todo lo que le pide su gerente. Es posible que no avance en su posición rápidamente, si es que lo hace”.



Allison Bones
Madre de un niño que murió con una enfermedad rara



Costos de atención médica no médicos y no cubiertos \$111 mil millones

El estudio también midió la atención médica no médica y no cubierta: costos que incluyen cosas como alimentos médicos, modificaciones en el hogar y transporte

Además de los costos, la investigación capturó el largo proceso de diagnóstico que enfrentan los pacientes y sus familias



16.5 YEARS
Since first RD symptom (mean)

6.3 YEARS
Suffering without RD diagnosis (mean)

10.2 YEARS
Years since RD diagnosis (mean)

16.9 

Average number of specialists seen since first RD symptom



Steve Smith
Padre de un hijo con una enfermedad rara

“Si una familia no puede permitirse reparar una silla de ruedas eléctrica, comprar un audífono, arreglar dientes o viajar a especialistas, entonces la persona con una enfermedad rara recibe una atención inadecuada. Estos costos se acumulan y limitan las oportunidades educativas y profesionales, lo que dificulta la contribución a la sociedad”.



Costos médicos directos \$ 418 mil millones

En cuanto a los costos directos, la atención hospitalaria y ambulatoria son los principales generadores de costos por categoría

Direct Medical Costs Due to RD by Type of Service

CATEGORY	COST IN BILLIONS	\$
Inpatient	\$143 B	34.2%
Outpatient	\$62 B	14.8%
Other Ancillary	\$49 B	11.7%
Prescription Medication	\$48 B	11.5%
Outpatient Prescription Administration	\$48 B	11.4%
Non-Acute Inpatient	\$31 B	7.5%
Physician	\$31 B	7.4%
Durable Medical Equipment	\$4 B	1.1%
Caregiver	\$2 B	0.5%

“Los desafíos financieros son abrumadores e implacables. La búsqueda de un diagnóstico o tratamiento requiere navegar por un sistema médico complejo y luchar con las compañías de seguros mientras se intenta mantener un trabajo”.



Marissa Penrod
Madre de un hijo con una enfermedad rara



El estudio de **EveryLife Foundation** encuentra que la **atención hospitalaria y ambulatoria, no los medicamentos recetados**, son los principales costos médicos excesivos asociados con enfermedades poco frecuentes.



Las EPOF son un problema importante de salud pública y es fundamental que los **pacientes tengan acceso a terapias seguras y efectivas de la misma manera que otros con enfermedades más comunes.** ¹



La mayoría de la investigación se centran en el impacto económico focalizando la **discusión políticas y públicas** principalmente en los altos precios de sus tratamientos (costos directos). ²



Escaso número de comparadores activos. La mayoría de estas terapias **se lanzan sin ningún tratamiento previo** indicado para la misma condición. ^{1, 4}



El acceso está condicionado por el precio de las terapias y por los **mecanismos utilizados por los responsables de la toma de decisiones sanitarias para evaluarlas, reembolsarlas y financiarlas.** ^{1, 3, 4, 5}



Los procesos de precio y reembolso son desafiantes debido a las características inherentes de las EPOF, la **escasez de conocimiento y experiencia sobre la historia natural de estas condiciones.** ^{6, 7}

Referencias:

1. Dupont A, Van Wilder P. Acceso a medicamentos huérfanos a pesar de la mala calidad de la evidencia clínica. *Br J Clin Pharmacol*. 2011; **71** (4):488–496. doi: 10.1111/j.1365-2125.2010.03877.x.
2. Vogler S., Paris V., Ferrario A., Wirtz VJ, de Joncheere K., Schneider P., et al. (2017). ¿Cómo pueden las políticas de precios y reembolsos mejorar el acceso asequible a los medicamentos? Lecciones aprendidas de los países europeos . *aplicación Economía de la Salud. Política de salud* 15 (3), 307–321. 10.1007/s40258-016-0300-z
3. EUCERD (Comité de Expertos en Enfermedades Raras de la Unión Europea) *Recomendación del comité de expertos en enfermedades raras de la Unión Europea a la Comisión Europea y los Estados miembros sobre la mejora de las decisiones informadas basadas en el valor clínico añadido de los medicamentos huérfanos (CAVOMP) flujo de información*. 2012.
4. Comisión Europea. *Inventario de incentivos de la Unión y los Estados miembros para apoyar la investigación, el desarrollo y la disponibilidad de medicamentos huérfanos*. 2015.
5. Gammie T, Lu C, Babar ZD. Acceso a Medicamentos Huérfanos: Una Revisión Integral de Legislaciones, Regulaciones y Políticas en 35 Países. *Más uno*. 2015; **10** (10):e0140002. doi: 10.1371/journal.pone.0140002.
6. Morel T, Arickx F, Befrits G, Siviero P, van der Meijden C, Xoxi E, et al. Conciliar la incertidumbre de los costos y los resultados con la necesidad de acceso a medicamentos huérfanos: un estudio comparativo de acuerdos de entrada administrados en siete países europeos. *Dis. raras de Orphanet J*. 2013; **8** :198. doi: 10.1186/1750-1172-8-198.
7. Van den Aardweg S. HTA de medicamentos huérfanos en seis países: ¿justo, defectuoso o fallido? *Euro observador*. 2010; **12** (4):14–17.



Los ensayos clínicos son acotados debido a las **poblaciones pequeñas y heterogéneas**, generando dificultades en la identificación y el reclutamiento, y **la falta de puntos finales alternativos para predecir los resultados a más largo plazo**.⁸



Las ETS evalúan los medicamentos con incertidumbre probatoria (el beneficio para los pacientes, los sistemas de atención médica y la sociedad).^{6,7}



El precio por paciente es más alto a comparación de medicamentos para afecciones comunes, debido al **pequeño tamaño de la población objetivo**.⁹



Los medicamentos no logran alcanzar los umbrales aceptados, particularmente **cuando la prevalencia se encuentra en el extremo inferior del espectro de EPOF**.^{7,10}



La incertidumbre sobre el tamaño real de las poblaciones de pacientes crea un riesgo financiero para los pagadores y agrava las preocupaciones sobre el **costo continuo de financiar el número creciente de tratamientos para las EPOF**.^{11,12,13}

Referencias:

8. Kesselheim A, Myers J, Avorn J. Características de los ensayos clínicos para respaldar la aprobación de medicamentos huérfanos frente a no huérfanos para el cáncer. *JAMA*. 2011; **305** (22):2320–6. doi: 10.1001/jama.2011.769.
9. Simoens S, Picavet E, Dooms M, Cassiman D, Morel T. Evaluación de la rentabilidad de los medicamentos huérfanos: un enigma científico y político. *Appl Health Econ Política de Salud*. 2013; **11** :1–3. doi: 10.1007/s40258-012-0004-y.
10. Drummond L, Towse A. Políticas de medicamentos huérfanos: un caso adecuado para el tratamiento. *Eur J Economía de la Salud*. 2014; **15** :335–340. doi: 10.1007/s10198-014-0560-1.
11. Schey C, Milanova T, Hutchings A. Estimación del impacto presupuestario de los medicamentos huérfanos en Europa: 2010–2020. *Dis. raras de Orphanet J*. 2011; **6:62** . doi: 10.1186/1750-1172-6-62.
12. Rollet P, Lemoine A, Dunoyer M. Negocio sostenible de enfermedades raras y acceso a medicamentos: no hay tiempo para conceptos erróneos. *Dis. raras de Orphanet J*. 2013; **8** :109. doi: 10.1186/1750-1172-8-109.
13. Gutierrez L, Patris J, Hutchings A, Cowell W. Principios para una evaluación de valor coherente y financiación sostenible de medicamentos huérfanos en Europa. *Dis. raras de Orphanet J*. 2015; **10:53** . doi: 10.1186/s13023-015-0269-y.
14. Simoens S. Salud pública y prevención en Europa: ¿Es rentable? *J. Pharm. Servicio de Salud Res*. 2011; **2** :151–155. doi: 10.1111/j.1759-8893.2011.00052.x.

Números en Argentina

enfermedades poco frecuentes



**DEFINICIÓN 1 : 2.000
HABITANTES ¹**



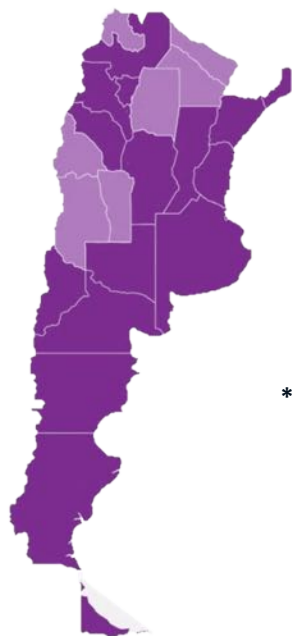
**+3,6 MILLONES DE PERSONAS
VIVEN CON UNA EPOF**



**EN LAS 24 JURISDICCIONES SE
HAN REPORTADO CASOS ²**



**EDAD PROMEDIO
29.5 AÑOS ²**



Ley Nac. EPOF 26.689 ¹



Ministerio de Salud
Argentina

***Prov. no adheridas:**

1. Chaco
2. Formosa
3. Jujuy
4. Mendoza
5. San Juan
6. San Luis
7. Santiago del Estero



Programa Nac. de EPOF ³



Listado de EPOF (Resol. 307/2023) ⁴



**5885 EPOF EN
LISTADO OFICIAL**



Registro Nacional de EPOF ⁵



Consejo Consultivo Honorario 



Dispensa de medicamentos ⁶:

1. **Miastenia Gravis** (Programa de Miastenia Gravis - MG)
2. **Atrofia Muscular Espinal (CONAME)** para Nusinersen y Resol . 21/23 para Zolgensma
3. **Fibrosis Quística (ReNaFQ)**
4. **Síndrome de Turner o monosomía del X**
5. **Insuficiencia renal crónica**
6. **Deficiencia congénita de hormona de crecimiento**
7. **Niños nacidos pequeños para la edad gestacional sin crecimiento compensatorio hasta los 4 años de vida**

para cobertura de
Hormona de crecimiento

Referencias:

1. Ley Nac. EPOF 26689 <https://www.argentina.gob.ar/normativa/nacional/ley-26689-185077>

2. Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes-FADEPOF. Estudio ENSERio LATAM Capítulo Argentina / contribuciones de Luciana Escati Peñaloza ... [et al.]. - 1a edición especial - Ciudad Autónoma de Buenos Aires : FADEPOF-Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes ; Totana : ALIBER- Alianza Iberoamericana de Enfermedades Raras o Poco Frecuentes, 2022. <https://fadepof.org.ar/recursos/noticias/archivos/2022062705470668668.pdf>

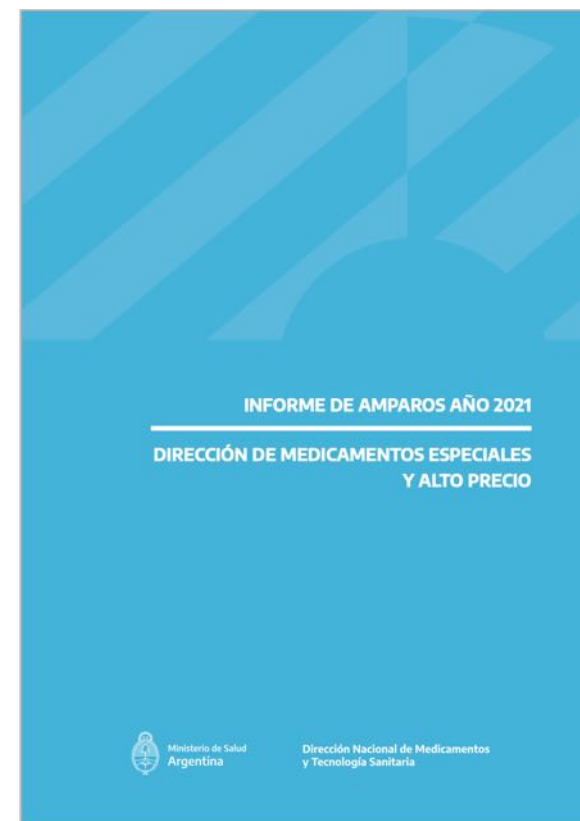
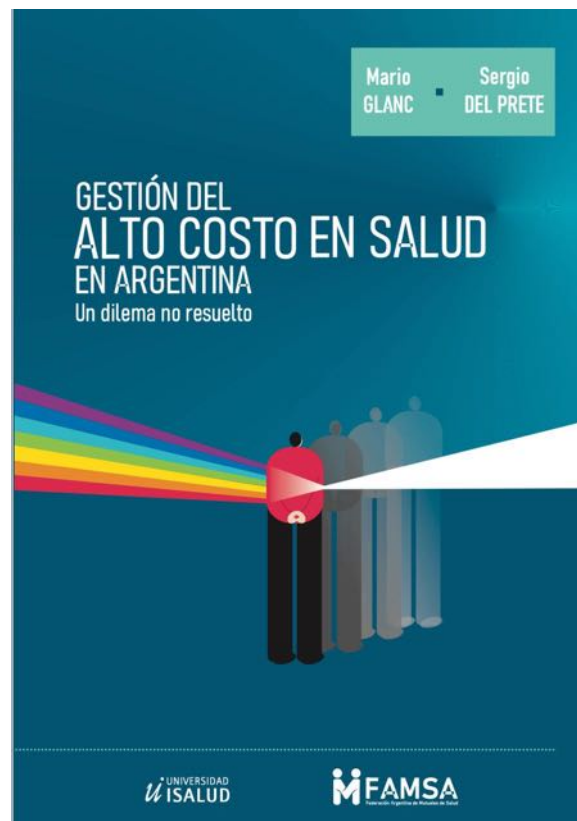
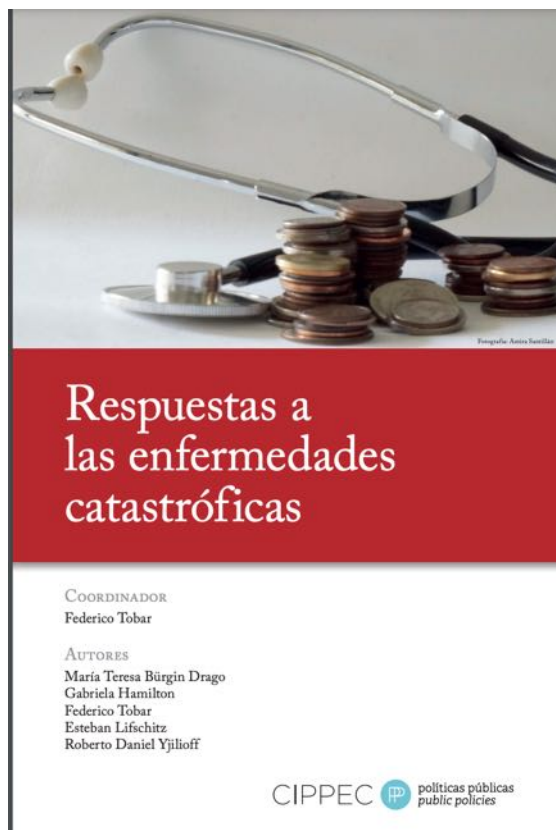
3. Programa Nac. de EPOF <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes>

4. Listado de EPOF <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes/listado>

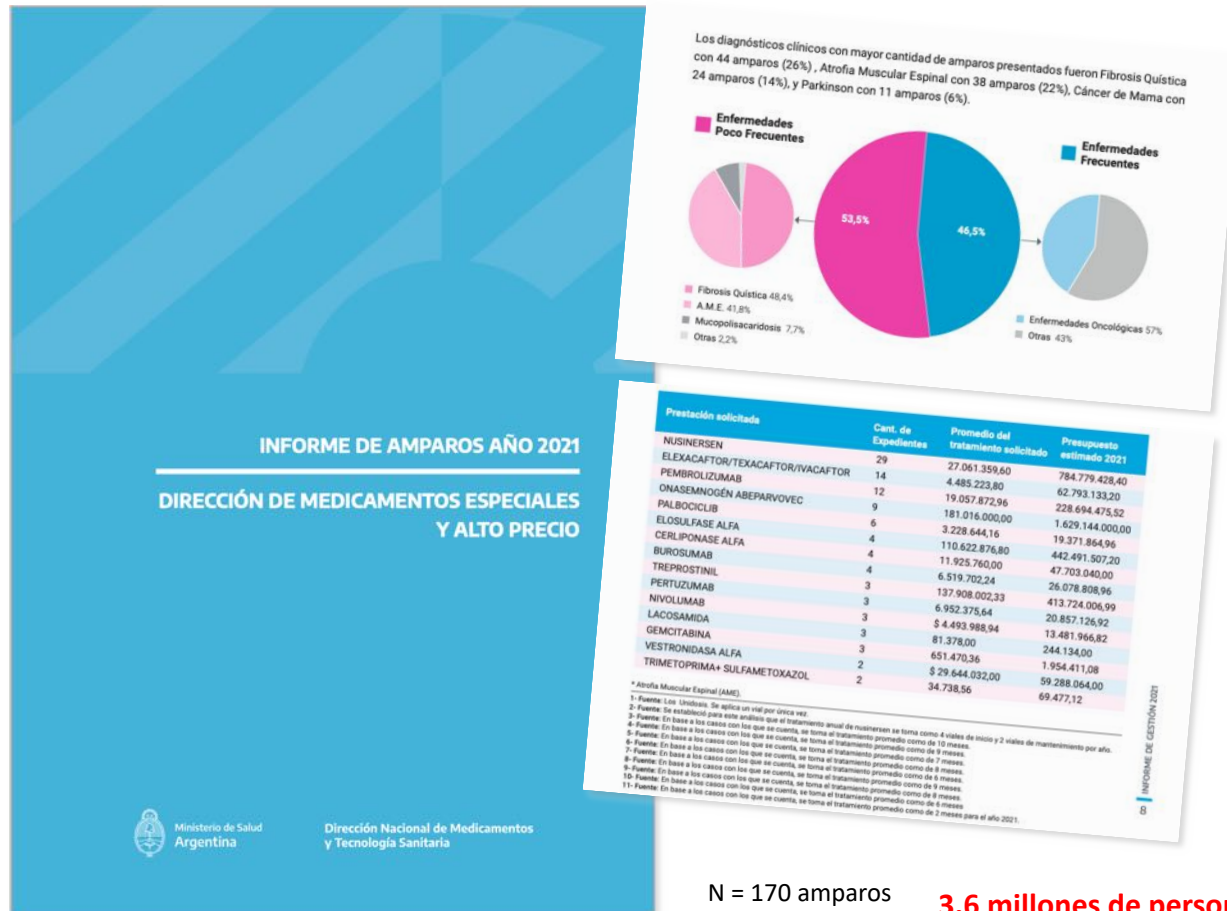
5. Registro Nacional de EPOF <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes/registro>

6. Programa Nacional de EPOF. Dispensa de medicamentos <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes/preguntas-frecuentes-sobre-epf/dispensa-de-medicamentos>

derecho a la salud enfermedades poco frecuentes



La tutela judicial del derecho a la salud



N = 170 amparos

**3.6 millones de personas
con EPOF y 5885 EPOF
listadas (Res. 307/2023)**



ELSEVIER

Available online at www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/vhri



Agnet y Judicialization en Salud en Argentina

Andrés Freiberg, MD, MPH, MRCPCH, HonMFPH^{1,*}, Jorge Nicolás Lafferriere, PhD²,
Martín Zambrano, PhD³

¹Universidad ISALUD, Buenos Aires, Argentina, y Reino Unido; ²Pontificia Universidad Católica, Profesor Regular, Universidad de Buenos Aires, Buenos Aires; ³Director de Investigación jurídica aplicada UCA, Buenos Aires, Argentina. Buenos Aires

ABSTRACT

Argentina considers its first National HTA Agency (AGNET) amidst expectations that it would stop “the scourge of judicialization”. We suspect this argument is counterintuitive: the creation of HTA Agencies, or Health Benefits Packages in the Region, whatever their breadth, have so far failed to contain judicialisation by themselves. We discuss that judicialization thrives not only because of the laws of the land, but also because the design and creation of these technical Agencies, informing benefits lists, has been largely divorced from the more difficult task of seeking system-wide priority-setting (PS) processes and institutions, capable of eliciting the social values on which difficult coverage decisions should rest. We propose that, in order for

explicit PS to gain a foothold in Argentina, a social “agreement on scarcity” has to be built first, consciously and openly, by (a) seeking more transparency in the way healthcare is financed across sub-sectors, with public access to auditable data; and (b) debating optimal levels of satisfaction of individual right to health, as rights of access, within the inevitable distributive conflict of a collective right to health and access, and never in isolation.

© 2018 ISPOR-The professional society for health economics and outcomes research. Published by Elsevier Inc.

Introduction

La creación de la futura Agencia Nacional de Evaluación de Tecnología Sanitaria (AGNET) en Argentina tiene lugar en medio de opiniones cruzadas. Asociaciones de pacientes y algunos profesionales ya manifestaron preocupación por potenciales “recortes” de prestaciones, y hasta un “robo al derecho a la salud”. Los proveedores temen nuevas barreras a la innovación, los financiadores esperan más orden, pero, sobre todo, reducir una creciente judicialización que los preocupa.^{1–3} Al momento, AGNET está planteada como organismo descentralizado dentro del Ministerio (ahora Secretaría) de Salud de la Nación, para evaluar tecnologías sanitarias (ETS) y recomendar a decisores, en sus respectivos subsectores, su inclusión o no, en un plan o listado referencial, como el actual PMO.¹⁰ Este rol es similar a otras agencias en la Región¹¹ especialmente en sus comienzos. Pero estas Agencias “clásicas” de ETS no contienen judicialización por sí mismas. En Colombia, la creación del IETS (2012) no redujo la incidencia de tutelas, en constante aumento.^{12–15} Regionalmente, la judicialización tampoco parece responder cuando estas agencias informan arreglos de cobertura intuitivamente más ordenados, como planes de beneficios en salud (PBS).^{3,4,16} En Argentina, 84% de 210 amparos recientemente estudiados por Pippo Briant,

Altuna et al¹⁶ fueron por intervenciones incluidas en el Programa Médico Obligatorio (PMO), expresamente considerado por jueces como “piso, no techo”.^{5–9,17} Algo similar ocurre en México y Costa Rica¹⁷ mientras Brasil intenta resolver más conflictos por vía administrativa.^{18–20}

En este artículo se entiende a judicialización como aquella resultante de litigios por cobertura (a través de instrumentos como amparos, medidas cautelares o tutelas). Asimismo, el derecho a la salud está encuadrado aquí en su principal acepción de derecho individual a la asistencia sanitaria.^{21–24}

El Planteo

Se postula que la creación de Agencias de ETS “típicas” como AGNET, es insuficiente para contener judicialización. El problema no es la evaluación de tecnologías, sino acordar la priorización explícita que debe ir acoplada. Para poder influir en judicialización, primero es necesario definir procesos transparentes de priorización, donde la Agencia de ETS es solo un paso más.¹⁶ Para ser transparentes, estos procesos de priorización necesitan antes ser aceptados en el marco de un genuino “acuerdo social de escasez”. Este consenso social depende de la percepción

* Address correspondence: to Dr. Andrés Freiberg, HTA and Health Economics, Universidad ISALUD, Buenos Aires, Argentina.

E-mails: andresfreiberg@hotmail.com, afreiberg@isalud.edu.ar

2212-1099/\$36.00 - see front matter © 2018 ISPOR-The professional society for health economics and outcomes research. Published by Elsevier Inc.

<https://doi.org/10.1016/j.vhri.2018.11.003>

La tutela judicial del derecho a la salud



El instituto también identificó **una doble situación**. Se explicó que **casi la mitad** de los juicios fueron por **medicamentos** que estaban listados en el **Programa Médico Obligatorio (PMO)** o en el **Sistema Único de Reintegros (SUR)**. Aunque con **distintos argumentos**, los pacientes recurrieron a **esa vía** porque se **les negaba el acceso**. En tanto, en casi un **30% de los amparos** no estaba aprobado **el medicamento** para la **comercialización en el país** en la **patología indicada**.



Buena práctica

- Evaluación por parte la CONETEC (Enero 2021 y actualización Agosto 2021)
- Tiempo de autorización para la comercialización por parte de ANMAT
- Acuerdo de riesgo compartido por parte del MINSAL

Año 2016

Discusión sobre proyectos de ETS



2018
CONETEC

CONETEC

Mesa de Pacientes

Agosto 2018 hasta diciembre 2020



LIC. LUCIANA ESCATI PEÑALOZA
Directora Ejecutiva FADEPOF



LIC. MARTIN PETROCCO
Director de Proyectos AEPSO



LIC. ALEJANDRA IGLESIAS
Presidente Asociación SOSTEN



Año 2023

Discusión sobre proyectos de ETS



- 4223-D-2022 – Diputado CHAHLA
- 4273-D-2022 – Diputado GOLLAN
- 5818-D-2022 – Diputada FEIN
- 0058-D-2023 - Dipuatdo MANZI

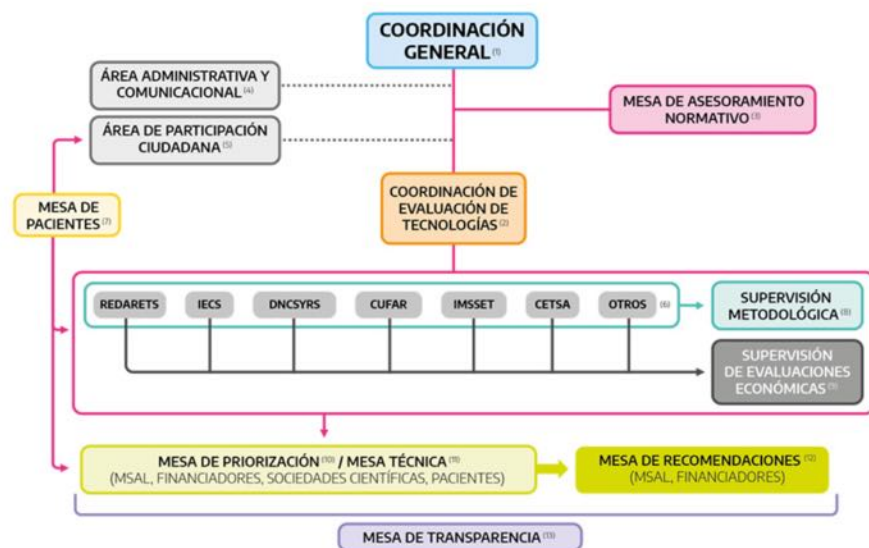


- 0002-S-2022 - Senador FIAD
- 939-S-22 - Senador WERETILNECK

Actuación en 2022/ 23

CONETEC

Estructura y flujo de trabajo CONETEC



La participación de todos los integrantes en la CONETEC es con carácter “ad honorem” y adaptada a los diferentes espacios de interacción donde sus aportes sean requeridos.

0 Evaluaciones Completas de ETS Pasan por un proceso público colaborativo

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°26
Mepolizumab para el tratamiento de asma grave eosinofílica
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Junio 2022

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°25
Adalimumab para Espondilitis Anquilosante
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Junio 2022

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°24
Nintedanib y Pirfenidona en Fibrosis Pulmonar Idiopática
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Junio 2022

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°23
Cladribina en Esclerosis Múltiple Remitente Recidivante de Alta Actividad
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Junio 2022

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°22
Pembrolizumab en primera línea de tratamiento para el cáncer de cabeza y cuello metastásico o recurrente
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Mayo 2022.

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°21
Avelumab como tratamiento de mantenimiento para cáncer urotelial metastásico o localmente avanzado
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Mayo 2022.

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°19
Durvalumab en el tratamiento de pacientes con cáncer de pulmón no células pequeñas localmente avanzado
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Mayo 2022.

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°20
Olaparib en mantenimiento de cáncer de ovario epitelial
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Mayo 2022.

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°18
Moduladores y potenciadores para el tratamiento de personas con fibrosis quística con mutaciones Clase II (F508del) en el CFTR
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Agosto 2022.

Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°17
Cannabidiol en epilepsia resistente a fármacos
Fecha de realización: Septiembre a Diciembre de 2021
Informe Final. Febrero 2023

! No se han realizado en el 2022 evaluaciones bajo la estructura y flujo sistemático. Se realizaron 10 publicaciones de informes.

1 Evaluación de Respuesta Rápida
No pasan por un proceso público colaborativo

19 Informes de Respuesta Ultrarrápida (en 1 día)
No pasan por un proceso público colaborativo

- 6 Actualizaciones basadas en evidencia
- COVID-19
- 11 Régimen de Acceso de Excepción a Medicamentos No Registrados (RAEM)
- 2 Actualizaciones basadas en evidencia Viruela Símica

Principal foco en impacto económico/ presupuestario, (sin garantía de período de negociación, ni los tiempos de revisión y re-evaluación').



Los informes no son claros en su redacción, ni comprensibles para la población gral., generando incertidumbre y temor.



La metodología de participación de la comunidad de pacientes y/o organizaciones representantes no logra ponderar el 'valor' en el resultado de la evaluación.



Los informes de ETS en Argentina, toman el rol de contención de gasto, convirtiéndose en una barrera más de acceso efectivo a la salud de la población objetivo de la tecnología. Decisión a cargo de los propios financiadores y el MINSAL (también pagador).



La CONETEC no resolvió la judicialización sino que sumó incertidumbre conceptual al proceso judicial. Ej. 'etapa experimental de la tecnología'.



La estructura de la CONETEC parece no haber permitido un número considerable de evaluaciones que permita una adecuada toma de decisión, incluso de MAP y/o innovadores.

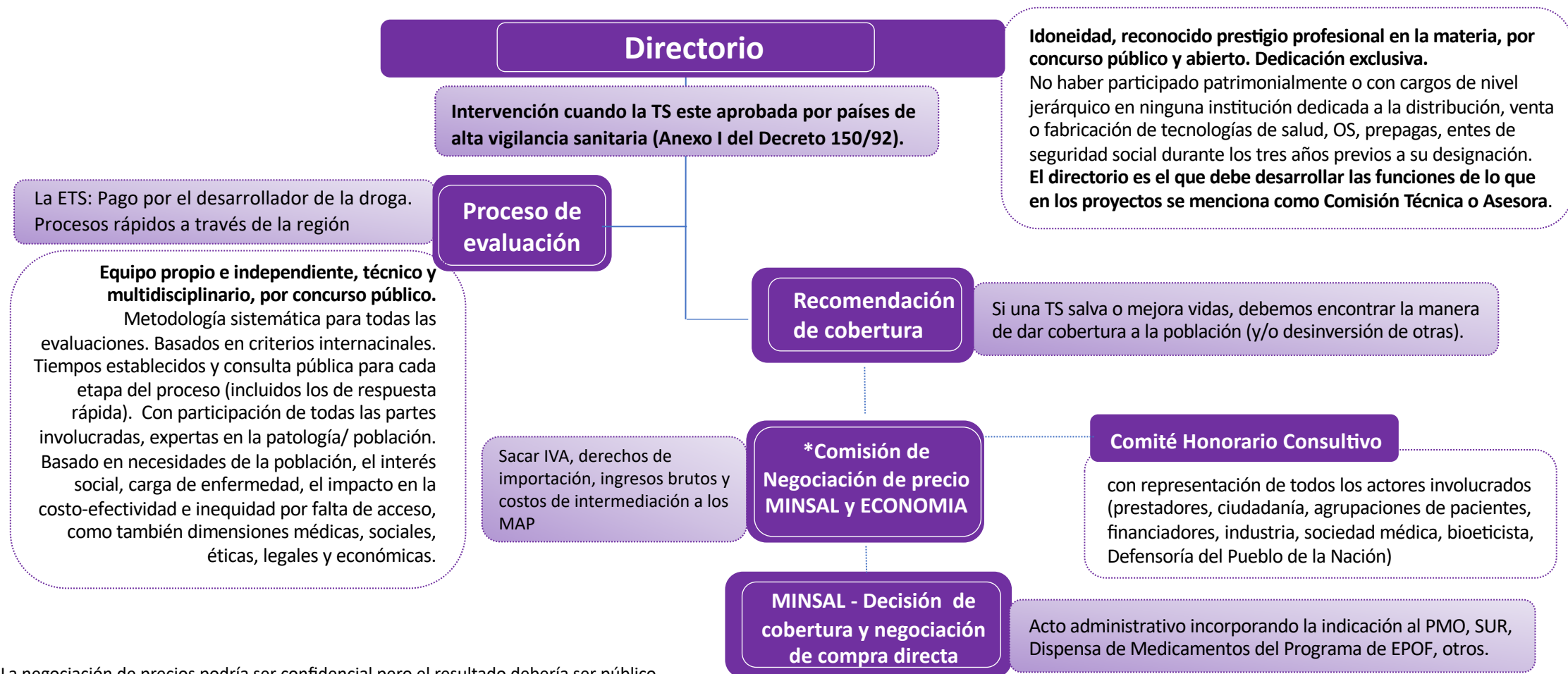


Decisión político comercial de ciertos efectores de salud:

- Rechazo de indicaciones determinadas (a partir de un valor establecido por el pagador)
- Prohibición de determinadas prescripciones (bajo amenazas de sacar al profesional de cartilla)
- Eliminación de cartilla de médicos prescriptores y/o establecimiento de atención



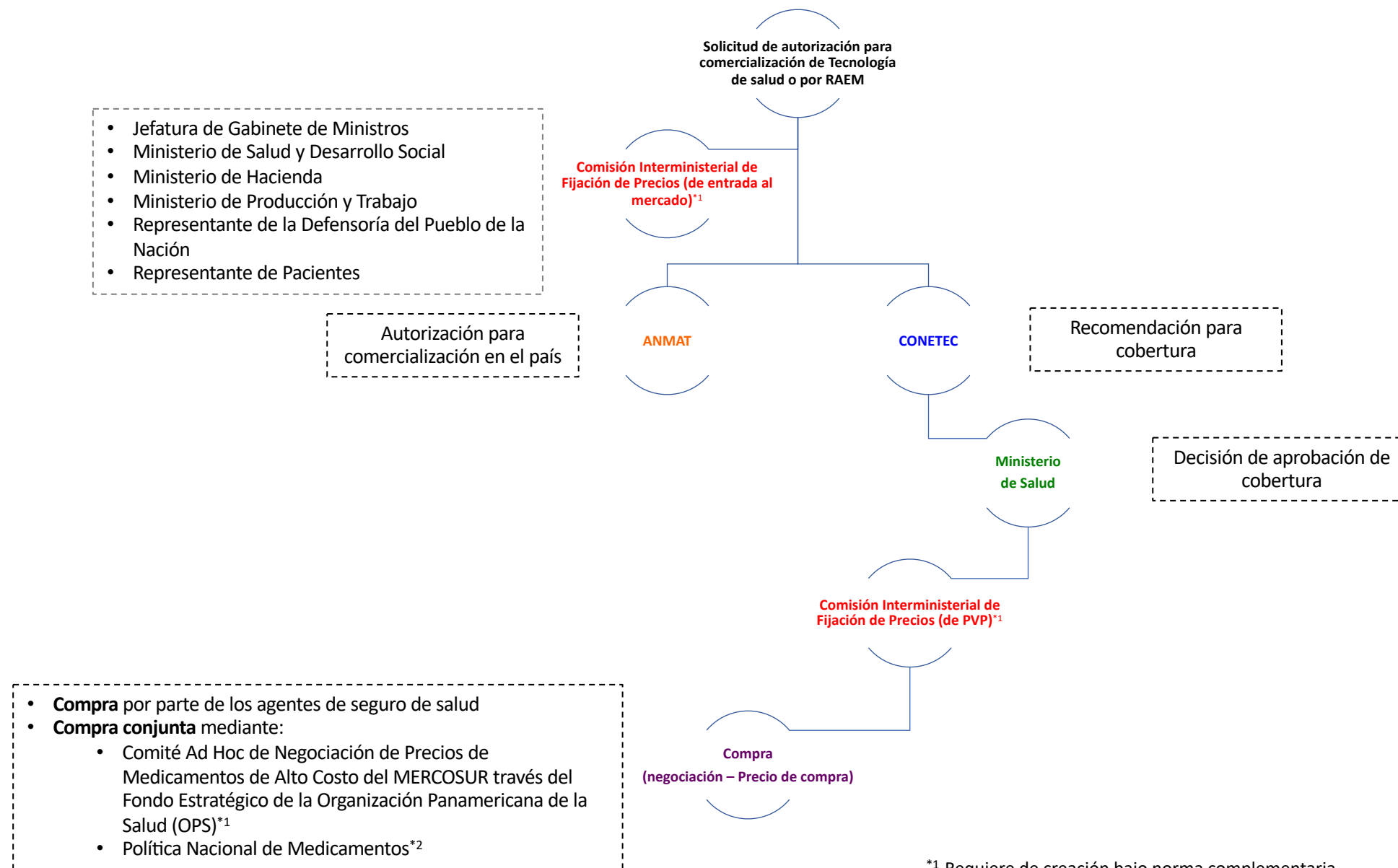
¿Cuál es la mejor TS disponible para la necesidad de una población específica que aporta beneficio adicional para obtener mejor salud (en comparación con el estándar de cuidado)? Y, ¿Cuál es la mejor manera para lograr acceso efectivo dentro del sistema de salud? >>> **evidencia científica y del mundo real**



*La negociación de precios podría ser confidencial pero el resultado debería ser público.

Proceso de ingreso de tecnologías sanitarias

Autores: Lic. Luciana Escati Peñaloza y Lic. Martín Petrocco
Noviembre 2018



*1 Requiere de creación bajo norma complementaria



FADEPOF

Federación Argentina de
Enfermedades Poco Frecuentes

www.fadepof.org.ar / info@fadepof.org.ar

Red APTA
Red Argentina de Pacientes
para Terapias Avanzadas



RARE
DISEASES
INTERNATIONAL

