



**República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional**  
1983/2023 - 40 AÑOS DE DEMOCRACIA

### **Carátula Expediente**

**Número:**

**Referencia:** Carátula del expediente EX-2023-64143632- -APN-DD#MS

---

Expediente: EX-2023-64143632- -APN-DD#MS

Fecha Caratulación: 05/06/2023

Usuario Caratulación: Carolina Cid (CCID)

Usuario Solicitante: Carolina Cid (CCID)

Código Trámite: GENE00128 - Pedido de Informe

Descripción: Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes e/Solicitud de evaluación de tecnologías sanitarias para ser incorporadas al PROGRAMA NACIONAL DE SEGUIMIENTO DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS TUTELADAS (Resol. 1380/2020)

Email: direccion@fadepof.org.ar

Teléfono: ---

Motivo de Solicitud de Caratulación: Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes e/Solicitud de evaluación de tecnologías sanitarias para ser incorporadas al PROGRAMA NACIONAL DE SEGUIMIENTO DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS TUTELADAS (Resol. 1380/2020)

CABA, 2 junio 2023

**Ministerio de Salud de la Nación**  
**DIRECCIÓN DE COBERTURA DE ALTO PRECIO**  
**Dra. Natalia Messina**  
**S. \_\_\_\_\_ / \_\_\_\_\_ D.**

**Ref.: Solicitud de evaluación de tecnologías sanitarias para ser incorporadas al PROGRAMA NACIONAL DE SEGUIMIENTO DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS TUTELADAS (Resol. 1380/2020).**

Nos dirigimos a Ud. en nombre de la FADEPOF - Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes, en virtud de lo conversado con la dirección, y con el fin de solicitar sean evaluadas más tecnologías sanitarias para ser incorporadas al PROGRAMA NACIONAL DE SEGUIMIENTO DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS TUTELADAS (Resolución 1380/2020), dando continuidad sostenida a las estrategias de abordaje integral que garantizan a la población el acceso a la salud de calidad y que facilitan la aplicación de criterios de asignación adecuada en el uso de los recursos sanitarios, tal lo instrumentado en la Resolución 21/2023 que representa un hito para nuestro país.

A continuación, se presentan 9 tecnologías sanitarias que reúnen los criterios de elegibilidad establecidos en el Art. 2 de la Resolución 1380/2020, y que son postuladas para efectuar la solicitada evaluación por parte de la dirección. A saber:

Tipo tecnología	Nombre comercial	Patología	Prevalencia	Laboratorio
Voretigene neparvovec (producto de terapia génica)	Luxturna	Amaurosis congénita de Leber o Retinosis Pigmentaria tipo 20 por el gen RPE65	ACL 1-9 / 100.000 <sup>1</sup> RP 1-5 / 10.000 <sup>2</sup>	Novartis
Vosoritida	Voxzogo	Acondroplasia	Incidencia: 1/25.000 nacidos vivos en todo el mundo <sup>3</sup>	Biomarín
Pegcetacoplan	EMPAVELI	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna (HPN)	1-9 / 100.000 <sup>4</sup>	Pint Pharma
Berotralstat	ORLADEYO	Angioedema Hereditario (AEH)	1-9 / 100.000 <sup>5</sup>	Pint Pharma
Eladocagén exuparvovec (producto de terapia génica)	UPSTAZA	Deficiencia de L-aminoácido	<1 / 1.000.000 <sup>6</sup>	PTC Therapeutics

<sup>1</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=ES&data\\_id=3243&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=Amaurosis-congenita-de-Leber-&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=Pat&Enfermedad\(es\)/grupo%20de%20enfermedades=Amaurosis-congenita-de-Leber&title=Amaurosis%20cong%20E9nita%20de%20Leber&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=3243&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=Amaurosis-congenita-de-Leber-&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedad(es)/grupo%20de%20enfermedades=Amaurosis-congenita-de-Leber&title=Amaurosis%20cong%20E9nita%20de%20Leber&search=Disease_Search_Simple)

<sup>2</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=ES&data\\_id=659&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=Retinosis-pigmentaria&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=Pat&Enfermedad\(es\)/grupo%20de%20enfermedades=Retinosis-pigmentaria&title=Retinosis%20pigmentaria&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=659&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=Retinosis-pigmentaria&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedad(es)/grupo%20de%20enfermedades=Retinosis-pigmentaria&title=Retinosis%20pigmentaria&search=Disease_Search_Simple)

<sup>3</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=ES&data\\_id=148&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=acondroplasia&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=Pat&Enfermedad\(es\)/grupo%20de%20enfermedades=Acondroplasia&title=Acondroplasia&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=148&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=acondroplasia&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedad(es)/grupo%20de%20enfermedades=Acondroplasia&title=Acondroplasia&search=Disease_Search_Simple)

<sup>4</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=ES&data\\_id=21&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=Hemoglobinuria-Parox-stica-Nocturna-&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=Pat&Enfermedad\(es\)/grupo%20de%20enfermedades=Hemoglobinuria-parox-stica-nocturna&title=Hemoglobinuria%20parox%20EDstica%20nocturna&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=21&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=Hemoglobinuria-Parox-stica-Nocturna-&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedad(es)/grupo%20de%20enfermedades=Hemoglobinuria-parox-stica-nocturna&title=Hemoglobinuria%20parox%20EDstica%20nocturna&search=Disease_Search_Simple)

<sup>5</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/OC\\_Exp.php?lng=ES&Expert=91378](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/OC_Exp.php?lng=ES&Expert=91378)

<sup>6</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=ES&data\\_id=10397&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=35708&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=ORPHA&Enfermedad\(es\)/grupo%20de%20enfermedades=Deficiencia-de-L-amino-cido-arom-tico-decarboxilasa&title=Deficiencia%20de%20L-amino%E1cido%20arom%E1tico%20decarboxilasa&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=10397&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=35708&Disease_Disease_Search_diseaseType=ORPHA&Enfermedad(es)/grupo%20de%20enfermedades=Deficiencia-de-L-amino-cido-arom-tico-decarboxilasa&title=Deficiencia%20de%20L-amino%E1cido%20arom%E1tico%20decarboxilasa&search=Disease_Search_Simple)



		aromático decarboxilasa		
Oleogel-S10 (extracto de corteza de abedul)	FILSUVEZ	Epidermólisis bullosa (EB) distrófica y juntural en pacientes de 6 meses o más	EB distrófica: 1-9 / 1.000.000 <sup>7</sup> EB juntural: <1 / 1.000.000 <sup>8</sup>	Amryt Pharma
Beremagene geperpavec (terapia génica tópica)	VYJUVEK	Pacientes de 6 meses de edad y mayores con epidermólisis ampollosa distrófica con mutación(es) en el gen de la cadena alfa 1 del colágeno tipo VII (COL7A1).	EB distrófica: 1-9 / 1.000.000 <sup>9</sup>	Krystal Biotech, Inc.
Larotrectinib	VITRAKVI	Tumor agnóstica en pacientes adultos y pediátricos diagnosticados con la fusión NTRK	0,3% de la población oncológica	Bayer
Valoctocogén roxaparvec (producto de terapia génica)	ROCTAVIAN	Hemofilia A grave en adultos sin antecedentes de inhibidores del factor VIII y sin anticuerpos específicos contra el virus adenoasociado de serotipo 5 (AAV5) detectables.	1-9 / 100.000 <sup>10</sup>	Biomarin

Por lo expuesto, solicitamos su pronta intervención, quedando a disposición. Sin otro particular, la saludamos muy cordialmente.

Lic. Luciana Escati Peñalosa  
Directora Ejecutiva  
Cel.: +54911 3590.1221  
Email: [direccion@fadepof.org.ar](mailto:direccion@fadepof.org.ar)

Roberta Anido de Pena  
Presidente  
Cel.: +54911 4415.4415  
Email: [presidente@fadepof.org.ar](mailto:presidente@fadepof.org.ar)

<sup>7</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=ES&data\\_id=8623&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=Epiderm-lisis-bullosa-distr-fica&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=Pat&Enfermedad\(es\)/grupo%20de%20enfermedades=Epiderm-lisis-ampollosa-distr-fica&title=Epiderm%F3lisis%20ampollosa%20distr%F3fica&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=8623&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=Epiderm-lisis-bullosa-distr-fica&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedad(es)/grupo%20de%20enfermedades=Epiderm-lisis-ampollosa-distr-fica&title=Epiderm%F3lisis%20ampollosa%20distr%F3fica&search=Disease_Search_Simple)

<sup>8</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=ES&data\\_id=8622&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=Epiderm-lisis-bullosa-juntural&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=Pat&Enfermedad\(es\)/grupo%20de%20enfermedades=Epiderm-lisis-ampollosa-juntural&title=Epiderm%F3lisis%20ampollosa%20juntural&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=8622&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=Epiderm-lisis-bullosa-juntural&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedad(es)/grupo%20de%20enfermedades=Epiderm-lisis-ampollosa-juntural&title=Epiderm%F3lisis%20ampollosa%20juntural&search=Disease_Search_Simple)

<sup>9</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=ES&data\\_id=8623&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=Epiderm-lisis-bullosa-distr-fica&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=Pat&Enfermedad\(es\)/grupo%20de%20enfermedades=Epiderm-lisis-ampollosa-distr-fica&title=Epiderm%F3lisis%20ampollosa%20distr%F3fica&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=8623&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=Epiderm-lisis-bullosa-distr-fica&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedad(es)/grupo%20de%20enfermedades=Epiderm-lisis-ampollosa-distr-fica&title=Epiderm%F3lisis%20ampollosa%20distr%F3fica&search=Disease_Search_Simple)

<sup>10</sup> Orphanet [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=ES&data\\_id=17872&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=hemofilia-A&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=Pat&Enfermedad\(es\)/grupo%20de%20enfermedades=Hemofilia-A-grave&title=Hemofilia%20A%20grave&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=17872&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=hemofilia-A&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedad(es)/grupo%20de%20enfermedades=Hemofilia-A-grave&title=Hemofilia%20A%20grave&search=Disease_Search_Simple)