

## Cómo citar este documento:

Carrión, J; Males, A; Pino-Ramírez, G (Septiembre, 2016) Análisis Normativo de las Enfermedades Raras en Iberoamérica. Hallazgos preliminares. En: A. Toledo (Presidencia) IV Encuentro Iberoamericano de Enfermedades Raras de ALIBER. Montevideo, Uruguay. Disponible en: <http://aliber.org/web/download/2016-marco-normativo-ib>

**Este documento tiene licencia CC BY, el beneficiario de la licencia tiene el derecho de copiar, distribuir, exhibir y representar la obra y hacer obras derivadas siempre y cuando reconozca y cite la obra de la forma especificada por el autor o el licenciante.**

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ANÁLISIS NORMATIVO DE LAS ENFERMEDADES RARAS EN LATINOAMÉRICA

## Hallazgos preliminares

JUAN CARRIÓN - Presidente ALIBER

ALICIA MARÍA MALES - Fundación CroniCare Colombia

GLORIA PINO RAMÍREZ – Directora de ALIBER

Montevideo, 20 de septiembre de 2.016

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ¿CÓMO? , ¿CUÁNDO? , ¿DONDE?

- \* Se estructuró una entrevista con 6 preguntas abiertas que buscaron adelantar un estudio preliminar con la participación de entidades de países pertenecientes a la Alianza, con el ánimo de identificar la normatividad sobre EERR en Iberoamérica.
- \* El instrumento se aplicó durante los meses de junio a septiembre de 2.016.
- \* Países participantes: Argentina, Brasil, Chile, Colombia, Ecuador, España, Guatemala, México, Perú, Portugal, Uruguay y Venezuela.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ENTIDADES PARTICIPANTES

**ARGENTINA:** Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes - [FADEPOF](#)

**BRASIL:**

- Associação dos Familiares, Amigos e Portadores de Doenças Raras - [AFAG](#)

- Associação Paulista dos Familiares e Amigos dos Portadores de Mucopolissacaridoses e Doença Raras - [APMPS DR](#)

**CHILE:** Fundación Chilena de Pacientes de Enfermedades Lisosomales - [FELCH](#)

**COLOMBIA:** Fundación [CroniCare](#)

**ECUADOR:** Fundación Ecuatoriana de Pacientes con Enfermedades de Depósito Lisosomal - [FEPEL DASHA](#)

**ESPAÑA:**

- Federación Española de Enfermedades Raras - [FEDER](#)

- Asociación de enfermedades raras - [DGENES](#)

- Asociación de familiares y afectados de lipodistrofias - [AELIP](#)

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ENTIDADES PARTICIPANTES

**GUATEMALA:** Asociación en Pro de Niños con Trastornos del Crecimiento y Enfermedades Raras – [PROCRECE](#)

**MÉXICO:** Organización Mexicana de Enfermedades Raras – [OMER](#)

**PERÚ:** Federación Peruana de Enfermedades Raras – [FEPER](#)

## **PORTUGAL:**

-Federação de Doenças Raras de Portugal – [FEDRA](#)

- Associação Nacional de Deficiências Mentais e Raras – [RARISSIMAS](#)

**URUGUAY:** Asociación Todos Unidos Enfermedades Raras Uruguay – [ATUERU](#)

## **VENEZUELA:**

- Mundo Marfan Latino

- Asociación Venezolana de Pacientes con Enfermedades Lisosomales – [AVEPEL](#)

- Asociación Civil Humberto DaSilva

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# INSTRUMENTO

Los ejes tenidos en cuenta para la elaboración del estudio fueron los siguientes:

- 1- Leyes de referencia de Enfermedades Raras - EERR
- 2- Nomenclatura y definición de las EERR
- 3- Instituciones que aseguran el derecho a la salud
- 4- Nomenclatura y definición de las Medicamentos Huérfanos
- 5- Procedimientos de acceso a Medicamentos Huérfanos
- 6- Problemas de acceso a Medicamentos Huérfanos

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ARGENTINA



## LEYES DE REFERENCIA:

- \* Ley Nacional N° 26.689 “Plan de asistencia integral a personas con enfermedades poco frecuentes” del 29 de julio del 2011 (Reglamentada en mayo de 2015)
- \* Resolución Ministerial N° 2329/2014 “Programa Nacional de Enfermedades poco Frecuentes y Anomalías Congénitas” del año 2014

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Enfermedades Poco Frecuentes : Aquellas cuya prevalencia en la población es igual o inferior a una en dos mil (1 en 2000) personas, referida a la situación epidemiológica nacional.





# ARGENTINA



## INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:

\*Las personas con Obra Social (a través de un aporte retenido del salario) o Servicio de Medicina Prepaga (por aportes voluntarios), están cubiertos según establece el Programa Médico Obligatorio.

\* Si la persona carece de cobertura de salud (no pertenece a ninguna entidad Prepaga u Obra Social) y está en situación de vulnerabilidad (social, estado de pobreza, falta de recursos para acceder a un seguro de salud): La cobertura pública e integral, será obligación del Estado y deberá éste proveer el medicamento.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Medicamentos huérfanos o drogas huérfanas: Se toma la definición aplicada internacionalmente para los medicamentos destinados a las EPOF.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ARGENTINA



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* La Disposición N° 840/95 autoriza y reglamenta la importación de medicamentos que no se comercializan en el país y que resultan irremplazables para el tratamiento del paciente “Régimen de importación de medicamentos de uso compasivo”.

\* La Disposición N° 4622/12 crea el Registro de Especialidades Medicinales de la Anmat “Bajo Condiciones Especiales”.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ARGENTINA



## **PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

- \* Por ser un país federal, es necesaria la Adhesión de cada provincia a la Ley nacional N°26.689, para que su obligatoriedad alcance a las Obras Sociales provinciales. Marcando esto una diferencia en cuanto a derechos, según el lugar de residencia.
- \* Existe abundante Normativa pero los Programas no funcionan satisfactoriamente, y los Agentes de Salud (O.S. y Pre Pagas) suelen cuestionar las coberturas de medicamentos – sobre todo de alto costo -, accesos a diagnósticos y en el día a día, muchas veces es necesario llegar a la judicialización.
- \* Otra traba importante es el desconocimiento de los derechos. Es imprescindible conocerlos, para poder hacerlos valer.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# BRASIL



## LEYES DE REFERENCIA:

\* Decreto 199/14 – Política Nacional de Atención Integral a Personas con Enfermedades Raras, aprobó las Directrices para la Atención Integral a Personas con Enfermedades Raras en el Sistema Único de Salud (SUS) y el establecimiento de costos de incentivos financieros.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Enfermedades Raras: Aquellas que se presentan en 65 personas por cada 100.000 habitantes ó 1,3 de cada 2000 personas.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# BRASIL



## **INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:**

- \* La Secretaría de Salud de los Estados
- \* Las Secretarías Municipales de Salud
- \* Las Defensorías Públicas de Justicia: La mayoría de las veces que no tienen los medicamentos en los protocolos de salud, o el acceso no es asegurado, está el papel fundamental de la justicia de formar defensa pública de los derechos
- \* Las asociaciones de pacientes

Y nacionalmente están:

- \* Las Secretarías de atención a personas con deficiencias
- \* Las Comisiones de defensa de los derechos de personas con deficiencias
- \* La Comisión de derechos humanos y minorías.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# BRASIL



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Medicamentos Excepcionales o de alto costo: Aquellos que no están incluidos en la relaciones de medicamentos esenciales, denominado Rename, todos los que no están en esta lista son medicamentos excepcionales, son medicamentos para enfermedades crónicas y raras.

## **PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

- \* El criterio principal es el Diagnóstico
- \* El acompañamiento, monitorización y demás parámetros dependiendo de la provincia, pero hay algo que es nacional que son los protocolos, referidos a las alternativas terapéuticas.



# BRASIL



## **PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* Si el medicamento está en el protocolo, tienen que tener un informe de Solicitud de Medicamentos Excepcionales: LME y es necesario que el medicamento haga parte del protocolo, el informe tiene que estar muy bien escrito, la receta médica tiene que estar en 2 guías, el nombre del paciente tiene que estar muy claro, el paciente debe tener la tarjeta nacional de salud, para que tenga acceso a hospitales públicos, tiene que tener todos los exámenes completos que demuestren la enfermedad.

## **PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

- \* La falta de disponibilidad de los medicamentos ya comprendidos en el protocolo, la dificultad para efectuar la compra, cuando los medicamentos no están en las farmacias.
- \* La falta de inclusión, aprobación y comercialización en los medicamentos en Brasil.



# CHILE



## LEYES DE REFERENCIA:

\* Ley Ricarte Soto de diciembre de 2015, es promovida para medicamentos de alto costo; contempla diagnóstico, tratamiento y seguimiento de enfermedades de alto costo.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Enfermedades poco frecuentes, minoritarias, raras o huérfanas: Aquellas con una prevalencia menor a 5 casos por cada 10.000 habitantes.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# CHILE



## INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:

- \* El Ministerio de Salud
- \* El Fondo Nacional de Medicamentos FONASA
- \* El Servicio Nacional de Discapacidad SENADIS, pertenece al Ministerio de Desarrollo Social: que proporciona ayudas técnicas (Sillas de ruedas para los pacientes).

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Medicamentos huérfanos o de alto costo, Producto farmacéutico huérfano o droga huérfana: Aquellos medicamentos dedicados al diagnóstico, prevención o tratamiento de una enfermedad poco frecuente o de un padecimiento cuya etiología presenta una frecuencia equivalente.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# CHILE



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* El Ministerio de Salud, tiene unas comisiones que evalúan a las personas que requieren medicamentos, el Ministerio aprueba y el Fondo Nacional de Salud FONASA compra.

\* La Ley Ricarte Soto permite que tanto el sector privado como las Fuerzas Armadas FFAA tengan acceso a los medicamentos mediante el Fondo Nacional de Salud FONASA; FONASA es el ente que administra los fondos.

## PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* Desde que está la ley han disminuido, pero cuando las enfermedades son de muy baja prevalencia no los reciben. A veces los que pacientes tienen salud privada demandan a la Institución de Salud Previsional ISAPRE y reciben la medicación.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# COLOMBIA



## LEYES DE REFERENCIA:

\*Ley 1392 de 2010: Reconoce las enfermedades huérfanas como de especial interés y adopta normas tendientes a garantizar la protección social por parte del Estado colombiano a la población que padece de enfermedades huérfanas y sus cuidadores.

\* El Parágrafo 3° de artículo 15 de la ley 1751 de 2015, Ley Estatutaria de salud: Regula el derecho fundamental a la salud y se dictan otras disposiciones: “Bajo ninguna circunstancia deberá entenderse que los criterios de exclusión definidos en el presente artículo, afectarán el acceso a tratamientos a las personas que sufren enfermedades raras o huérfanas”.

\* La Circular externa 011 del 10 de junio de 2016: Da instrucciones para la atención de enfermedades huérfanas.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# COLOMBIA



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Enfermedades Huérfanas: Aquellas crónicamente debilitantes, graves, que amenazan la vida y con una prevalencia menor de 1 por cada 2.000 personas, comprenden, las enfermedades raras, las ultrahuérfanas y olvidadas.

## **INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:**

- \* El Ministerio de Seguridad Social y Salud
- \* La Superintendencia Nacional de Salud
- \* La Procuraduría General de la Nación
- \* La Defensoría del Pueblo

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# COLOMBIA



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Medicamentos Vitales No Disponibles: Aquellos indispensables e irremplazables para salvaguardar la vida o aliviar el sufrimiento de un paciente o un grupo de pacientes y que, por condiciones de baja rentabilidad en su comercialización, no se encuentran disponibles en el país, o las cantidades no son suficientes.

## **PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* Fórmula (prescripción) expedida por médico especialista junto con resumen de historia clínica y formato de medicamentos no POS (osea los no incluidos en el plan obligatorio de salud), donde se justifique muy bien la necesidad del medicamento para el tratamiento de la enfermedad del paciente.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# COLOMBIA



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

- \* Se lleva la documentación a la EPS (Entidad Promotora de Salud) encargada del aseguramiento en salud del paciente para que la solicitud sea sometida a la reunión del CTC (Comité Técnico Científico), instancia encargada de aprobar o rechazar la solicitud.
- \* Si la solicitud es aceptada, la EPS se encargará de coordinar la búsqueda y compra del medicamento.
- \* Si la solicitud es rechazada, el paciente podrá disponer de los recursos constitucionales del Derecho de Petición y la Acción de Tutela para lograr la entrega de los medicamentos.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# COLOMBIA



## **PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* El alto costo de los medicamentos dificulta el acceso por parte de los pacientes, los costos se justifican en los elevados costos de investigación y el desarrollo de un mercado reducido.

\* No se han desarrollado mecanismos de incentivos y subsidios para su investigación, producción y comercialización; mecanismos que han mostrado ser efectivos en otros países como Estados Unidos y la Unión Europea.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ECUADOR



## LEYES DE REFERENCIA:

Normativa inserta en la Ley Orgánica Reformatoria a la Ley Orgánica de la Salud, Ley 67: Incluye el tratamiento de las EERR o huérfanas, y catastróficas. Para que sea operativa se requiere el reglamento, que sería relativo a la ley orgánica toda; se requiere desarrollarla o separarla de la Discapacidad.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Enfermedades Raras o Huérfanas y Catastróficas : Aquellas Cuya prevalencia es menor de 1 de cada 10.000 habitantes.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ECUADOR



## INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:

- \* Los Hospitales públicos o del Estado
- \* El Seguro Social, cuando el empleado está afiliado todos los hijos menores de edad están amparados, en este caso el IESS es el responsable de darle el tratamiento de alto costo.
- \* Los Seguros Privados son la tercera unidad, consagrada en la Ley de Solidaridad para Enfermedades Pre existentes, contempla a los prestadores privados de servicios de salud.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ECUADOR



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

No se habla de medicamentos huérfanos, aún sólo se están priorizando los medicamentos frecuentes y sus compras son por licitación en grandes lotes.

No existe una definición.

## **PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* En cada hospital el médico debería hacer una guía de seguimiento para que el Ministerio haga la compra; sin embargo, es un procedimiento muy engorroso durante el cual el paciente puede fallecer.

\* Por ahora solo hay tratamiento para MPS I, Fabry, Gaucher, Niemann Pick, que se ha logrado mediante ayuda humanitaria. Actualmente el Estado está comprando estos medicamentos.



# ECUADOR



## **PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* No hay una buena regulación para medicamentos de alto costo, pues debido a decreto presidencial no pueden ingresar los medicamentos. Se compran mediante licitaciones y no puede decidirse la compra de estos medicamentos con base a lo que sea menos costoso.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## LEYES DE REFERENCIA:

A nivel Estatal:

- \* Orden SCO/3158/2003, de 7 de noviembre, por la que se crea el Instituto de Investigación de Enfermedades Raras
- \* Orden SAS/2007/2009, de 20 de julio, por la que se crea y regula el Centro de Referencia Estatal de Atención a Personas con Enfermedades Raras y sus Familias, en Burgos
- \* Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud. Este documento fue aprobado por el Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud el 3 de junio de 2009

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## LEYES DE REFERENCIA:

- \* Resolución de 18 de enero de 2011, del Instituto de Salud Carlos III, por la que se publica el Convenio de colaboración con la Junta de Comunidades de Castilla-La Mancha, para el desarrollo de actividades relacionadas con el registro de enfermedades raras
- \* Informe de Seguimiento de la Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud. Año 2012
- \* Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud. Este documento fue aprobado por el Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud el 11 de junio de 2014

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## LEYES DE REFERENCIA:

- \* Acuerdo de la Comisión de Prestaciones, Aseguramiento y Financiación para el tratamiento a pacientes con Epidermólisis bullosa adoptado en la sesión plenaria del Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud, celebrada el 29 de Julio 2015.
- \* Real Decreto 1091/2015, de 4 de diciembre, por el que se crea y regula el Registro Estatal de Enfermedades Raras.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Enfermedades Raras, Poco Frecuentes o Minoritarias: Aquellas que afectan a un número limitado de la población total, definido en Europa como menos de 1 por cada 2.000 ciudadanos (EC Regulation on Orphan Medicinal Products). Como resultado, se estima que, entre el 6 y el 8% de la población mundial estaría afectada por estas enfermedades, o sea más de 3 millones de españoles, 30 millones de europeos, 25 millones de norteamericanos y 42 millones en Iberoamérica.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## **INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:**

- \* El Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad (MSSSI), principal órgano para a la gestión sanitaria a nivel nacional.
- \* Las competencias autonómicas, por su parte, responden a las Consejerías de Sanidad.
- \* FEDER consiguió posicionarse como el interlocutor principal ante la Administración para garantizar que se asegure el derecho a la salud de los pacientes con enfermedades poco frecuentes.

## **INSTITUCIONES NACIONALES**

- \* Instituto de Investigación de Enfermedades Raras (IIER), forma parte de la estructura del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII) desde noviembre de 2003 bajo la dependencia de la Subdirección General de Servicios Aplicados, Formación e Investigación.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:

\*CIBERER: El CIBER de Enfermedades Raras, es uno de los nueve consorcios públicos establecidos por iniciativa del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII); creado para servir de referencia, coordinar y potenciar la investigación sobre las enfermedades raras en España.

\* CREER: El Centro de Referencia Estatal de Atención a Personas con Enfermedades Raras y sus Familias de Burgos, dependiente del Imsero, se presenta como un centro avanzado en la promoción, desarrollo y difusión de conocimientos, experiencias innovadoras y métodos de atención a personas con enfermedades raras, y de alta especialización en servicios de apoyo a familias y cuidadores y en servicios de prevención, promoción de la autonomía personal y participación social de las personas con dichas enfermedades.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Medicamentos Huérfanos: Productos destinados al diagnóstico, prevención o tratamiento de una afección que ponga en peligro la vida o conlleve una incapacidad grave y crónica que no afecte a más de 5 de cada 10.000 individuos, y que resulte improbable que, sin incentivos, la comercialización de dicho medicamento en la comunidad genere suficientes beneficios para justificar la inversión necesaria y que los beneficios sean significativos para las personas afectadas por la enfermedad de que se trate.

## **PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* Fórmula (prescripción) expedida por médico especialista junto con resumen de historia clínica y formato de medicamentos no POS (osea los no incluidos en el plan obligatorio de salud), donde se justifique muy bien la necesidad del medicamento para el tratamiento de la enfermedad del paciente.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

- \* El procedimiento ordinario para el acceso a medicamentos huérfanos, en cuanto a las condiciones de prescripción y dispensación, normalmente responde a uso hospitalario, muy pocos cuentan con dispensación en oficinas de farmacia.
- \* Existen diferentes vías para acceder a medicamentos huérfanos en condiciones especiales, lo que implica que los pacientes puedan utilizar un tratamiento antes de su autorización a nivel nacional o en condiciones distintas a las incluidas en la ficha técnica autorizada.
- \* Hay tres vías diferentes de acceso: La primera es el uso compasivo de medicamentos en fase de investigación clínica en pacientes que no formen parte de un ensayo clínico. Esta opción se abre a aquellos pacientes que conviven con una enfermedad crónica o gravemente debilitante que puede poner en peligro su vida y para la que no existe tratamiento satisfactorio con un medicamento autorizado. En este sentido, el uso de estos medicamentos puede efectuarse mediante autorización de acceso individualizado o a través de una autorización temporal de utilización.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* Otra de las vías es el uso de medicamentos en condiciones diferentes a las autorizadas (también denominado off-label). Esto significa que las personas pueden usar un tratamiento en condiciones distintas a las fijadas en la ficha técnica autorizada con un carácter excepcional y siempre atendiendo a las restricciones establecidas.

\*Por último, los pacientes pueden tener acceso a medicamentos autorizados en otros países aunque no lo estén en España y cuando no cumplan con la definición de uso compasivo. Para ello, es necesario que no exista una alternativa adecuada para ese paciente en España y que estando autorizados aún no se encuentren comercializados.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## **PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* Una vez los medicamentos se han autorizado por la Agencia Europea del Medicamento (EMA), la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), a petición de los laboratorios titulares de los medicamentos, asigna el Código Nacional en España. Posteriormente, la Dirección General de Cartera Básica de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia, del Ministerio de Sanidad, resuelve la fijación de financiación y precio tras la propuesta realizada por el laboratorio en acuerdo con la Comisión Interministerial de Precios (CIPM).

\* Este procedimiento da lugar a una fragmentación respecto a unos países u otros. Y es que, a pesar de que la autorización de un medicamento huérfano sea otorgada por la Unión Europea (UE), las decisiones sobre su precio y reembolso se realizan a nivel nacional, lo que produce diferentes precios entre los estados miembros.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# ESPAÑA



## **PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

A nivel nacional y en la actualidad, se ha otorgado Código Nacional al 85% de los medicamentos huérfanos autorizados aprobados por la EMA. No obstante, en los últimos años, el tanto por ciento de los medicamentos que han recibido denegación de financiación ha pasado de un 5% al 22%, lo que ha aumentado la distancia entre los que se encuentran autorizados por la EMA y los comercializados en España. Como resultado, tan sólo el 57% de los medicamentos huérfanos autorizados por la Agencia Europea del Medicamento llegan a comercializarse en España.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# GUATEMALA



## LEYES DE REFERENCIA:

\* No existe Ley específica para EERR, en 2013 se propuso una iniciativa de ley que aún no se ha aprobado.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Enfermedades raras, huérfanas o poco frecuentes: Síndromes y patologías que se representan con muy poca frecuencia, que afecta a 5 de cada 10.000 individuos, es decir, a menos del 0.05% de la población, y la cual requiere de esfuerzos especiales unificados para poder combatirla.



# GUATEMALA



## **INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:**

\* Instituto Guatemalteco de Seguridad Social: Ellos tienen la obligación de proveer los medicamentos, los niños tienen cobertura hasta los 7 años, sin embargo, los diagnósticos se retrasan.

\* Quienes logran los tratamientos luego de los 7 años es porque solicitan un amparo ante la Corte de Constitucionalidad, para recibirlo. Si este procedimiento no logra su cometido se hace a través OPS, quienes respaldan las solicitudes.

## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Medicamentos huérfanos, de alto costo: Aún no tienen una definición establecida.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# GUATEMALA



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* Si el paciente es menor de 7 años se le proporciona el medicamento hasta los 21 años, luego de eso la familia debe buscarlo. Con la excepción de Fibrosis Quística y Esclerosis Múltiple quienes han conseguido la medicación de por vida, proporcionado por el Instituto Guatemalteco de Seguridad Social IGSS.

\* Hay un programa del Hospital Roosevelt que proporcionan tratamiento para problemas del crecimiento, pero no tiene amplia cobertura.

• Si tiene más de 7 y no fue atendido en la Seguridad Social, se acude a organizaciones de pacientes, que piden el apoyo de la Procuraduría General de la Nación; un procurador va con la familia visitan a médicos y al IGSS y se ponen de acuerdo si le dan o no el medicamento, si se deniega se acude al amparo.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# GUATEMALA



## **PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* Los principales problemas para el acceso a estos medicamentos están relacionados con lo estricto que es el procedimiento establecido para obtenerlos, por lo anterior, en la actualidad se están haciendo reformas al código de salud, con la petición y apoyo de varias organizaciones activistas, defensores de la vida y la salud.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# MÉXICO



## LEYES DE REFERENCIA:

\* No hay leyes para EERR, se está trabajando en este momento en el proyecto del consejo nacional de enfermedades raras, iniciativa del gobierno federal.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Enfermedades Raras: Aquella que se presenta en 5 personas por cada 50.000 nacidos vivos.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS  
*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# MÉXICO



## **INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:**

- \* Está el Instituto mejicano de seguridad social (IMSS): Que atiende a los obreros por medio de aportaciones del obrero y el patrón.
- \* El Instituto de seguridad social al servicio de los trabajadores del estado (ISSSTE): Instancia federal, servicio de salud otorgado por prestación sindical, sólo para empleados federales.
- \* Secretaría de la Defensa Nacional (SEDENA): Régimen castrense.
- \* Servicios de Salud de Trabajadores de la Industria Petrolera (PEMEX): Prestación laboral otorgada por el sindicato.
- \* Secretaría de Salud, a partir de algo que se denomina Seguro Popular: Atiende a población abierta.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# MÉXICO



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Medicamentos Huérfanos: Aquellos Son aquellos que tratan una patología denominada rara o poco frecuente, son de desarrollo biotecnológico.

## **PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* En el Instituto Mexicano de Seguro Social una vez que se presenta la sospecha y se tiene el diagnóstico se convoca a reunión de expertos para poder analizar el caso y corroborar el diagnóstico para poder decidir si se autoriza o no, se basan en criterios internacionales para medir el nivel de afectación, sobre todo la de tipo neurológico, de fenotipo severo, de gran discapacidad intelectual y orgánica; se basan en fármaco-economía, es un sistema muy cruel basado en efecto-beneficio.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# MÉXICO



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* En el Seguro Social, todos aquellos pacientes que sean candidatos a medicamentos o tratamientos y rebasen los 10 años de edad, no acceden a los medicamentos, de ésta manera, si tienen 10 años o más al momento de acceder al diagnóstico, no logran acceder al tratamiento pero si se les diagnostica antes de los 10 años de edad, acceden al tratamiento de por vida.

\* La norma de acceder a los medicamentos antes de los 10 años de edad, solo aplica para Seguro Popular, el resto de las instituciones no tienen esta restricción de edad.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# MÉXICO



## PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* Los problemas son básicamente dilatorios porque el grupo de expertos solo es convocado a sesionar cada 6 meses, si la solicitud de medicamentos para un paciente específico no entra en la primera sesión, hay que esperar hasta los próximos 6 meses para que la revisen.

\* Si ya recetaron al paciente y su solicitud no alcanza a entrar en el análisis del grupo de expertos, puede esperar hasta un año, luego de ser evaluada en esta instancia, pasa al área de finanzas donde se demora hasta 6 meses más, lo que traduce que el proceso puede llegar a completar hasta año y medio. El área financiera busca cómo comprar los medicamentos.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# MÉXICO



## PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

- \* En ocasiones cuando el paciente logra obtener la autorización de los medicamentos, ya ha pasado tanto tiempo que no se los entregan porque han alcanzado el tope de los 10 años, es una situación maliciosa, una trampa dilatoria para no efectuar la entrega.
- \* Respecto a esto, un paciente iba a interponer una queja ante la Corte Interamericana de Derechos Humanos pero lo detuvieron porque podían tomar represalias contra la población, además, la Corte no es vinculatoria, solo da recomendaciones, entonces la medida podría ser contraproducente.
- \* Por lo anterior, se está trabajando desde hace 4 años en este tema para romper con esta barrera de acceso, ahora, se tiene mucha esperanza con el concejo de enfermedades raras, que vinculará, vigilará y acortará tiempos.



# PERÚ



## LEYES DE REFERENCIA:

- \* Ley N° 29698, del 04 de junio del año 2011: Declara de interés nacional y preferente atención el tratamiento de personas que padecen de Enfermedades Raras o Huérfanas.
- \* Resolución Ministerial N° 579-2011/MINSA del 22 de julio de 2011, donde el Ministerio de Salud (MINSA) estableció que el último día de febrero de cada año se celebre el "Día Nacional de las Enfermedades Raras o Huérfanas en el Perú".
- \* Ley N° 29698, del 04 de junio del año 2011, que declara de interés nacional y preferente atención el tratamiento de personas que padecen de Enfermedades Raras o Huérfanas.
- \* El 22 de julio de 2011, el Ministerio de Salud (MINSA) emitió la Resolución Ministerial N° 579-2011/MINSA, estableciendo que el último día de febrero de cada año se celebre el "Día Nacional de las Enfermedades Raras o Huérfanas en el Perú".

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS  
*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# PERÚ



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Enfermedades Raras o Huérfanas: Aquellas enfermedades con peligro de muerte o invalidez crónica, que tienen una frecuencia baja, presentan muchas dificultades para ser diagnosticadas y efectuar su seguimiento, tienen un origen desconocido en la mayoría de los casos que conllevan múltiples problemas sociales y con escasos datos epidemiológicos.

## **INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:**

- \* ESSALUD (Seguro Social)
- \* SIS (Seguro Integral de Salud)
- \* Los Servicios de Salud de las Fuerzas Armadas y Policiales

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS  
*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# PERÚ



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Medicamentos Huérfanos: Aquellos que se utilizan para la prevención, diagnóstico o tratamiento de enfermedades raras o huérfanas.

## **PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

A través de las instituciones de salud antes mencionadas, sobre todo ESSALUD. A veces por personas que pueden hacerlos traer del extranjero o a través de Laboratorios que pactan con los sistemas de salud.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# PERÚ



## PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

- \* Son de costo muy excesivo.
- \* Algunos no se venden en el Perú.
- \* Algunos no están dentro de los requerimientos principales de los sistemas de salud.
- \* “Falta de presupuesto” de los sistemas de salud para adquirir estos medicamentos.
- \* Muchos medicamentos son desconocidos para los sistemas de salud.
- \* Desabastecimiento de estos medicamentos en farmacias y hospitales.
- \* A veces desaparecen del mercado por su bajo consumo a causa de su excesivo precio o pocos pacientes, las importadoras ven perdida.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# PORTUGAL

## LEYES DE REFERENCIA:

Fue el segundo país de Europa en aprobar un Programa Nacional para Enfermedades Raras, lo hizo en Noviembre de 2009. El gobierno de ese entonces, desde el Ministerio de la Salud invitó por primera vez a las asociaciones de pacientes, en este caso FEDRA para elaborarlo en conjunto.

FEDRA a intentando en los años posteriores, extender esa misma iniciativa a los demás ministerios por considerar que las enfermedades raras son una problemática transversal y multidisciplinar. Así mismo, después de años de negociaciones, Portugal a través de la ley, publica decreto que establece la Estrategia Integrada para las Enfermedades Raras, ahora con la participación del Ministerio de la salud, Seguridad Social y Educación, en febrero de 2015.



ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# PORTUGAL



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Enfermedades Raras: Es la que afecta por lo menos a una en cada 2000 personas (1:10000), siguiendo la misma definición, se puede estimar que Portugal tiene entre 600 mil a 800 mil personas afectadas, estando esto entre el 6% al 8% de su población total.

## **INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:**

- \* Las instituciones que aseguran la salud a los portadores de enfermedades raras son en la mayoría de los casos, los servicios públicos, como hospitales y centros de proximidad.
- \* Después fue creado hace dos años la Casa dos Marcos, rompiendo el clasicismo de la respuesta y creando un nuevo modelo integrado; La Casa dos Marcos tiene un modelo único en el mundo, que ha hecho reflexionar a Portugal sobre cual es la mejor forma de hacer la gestión integrada de los pacientes y cuál es el mejor modelo de financiación.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# PORTUGAL



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Medicamentos Huérfanos: Está alineado con la definición de Europa, por cuanto un Medicamento Huérfano es un producto médico destinado a la prevención, diagnóstico y tratamiento de enfermedades muy graves, que constituyen por si solas, riesgo para la vida y que son raras.

## **PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

\* El acceso a los medicamentos huérfanos es en principio centralizado porque la dificultad para las aprobaciones y reembolsos de los medicamentos huérfanos es muy grande.



# PORTUGAL



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

- \* Existen 2 vías de acceso a un medicamento huérfano:
  - Por AUE – Autorización de Utilización Excepcional, figura legal que permite a un paciente tener acceso inmediato a los medicamentos (a través del hospital) cuando y sólo cuando, no hay aprobación de compra por el gobierno de Portugal, mas se encuentra autorizada su venta excepcional.
  - Por venta centralizada, cuando el mismo producto ha sido aprobado centralizadamente y está disponible para todos los pacientes que lo necesitan y siempre que cumplan con los criterios para su toma (a través del hospital).
  
- \* Portugal no tiene medicamentos huérfanos en venta en farmacias de oficina, sólo son prescritos en farmacias hospitalarias.



# PORTUGAL



## PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* Los problemas de acceso a este tipo de medicamentos que se dirigen a un grupo muy pequeño de pacientes es mayor cuanto menor número de personas afectadas. Los costos de estos productos son mayores cuanto menor es el número de personas afectadas, lo que causa un enorme desafío a los demás gobiernos, los pacientes y sus representantes.

\* FEDRA permanece trabajando con los demás gobiernos para encontrar mecanismos o adaptar otros europeos, para que el acceso sea un derecho de los pacientes, más todos sabemos que los procesos de negociación entre los gobiernos y la industria son tensos y demoran años.

\* Esta cuestión es ambigua en el sentido en que cuanto menos personas afectan las enfermedades, mayor presión ejerce la industria sobre los gobiernos, consiguiendo durante las negociaciones vender sus productos a través de la excepción, la Autorización de Utilización Excepcional.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# PORTUGAL

## PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* Hoy en día, con este mecanismo de adquisición de excepción, en que la Industria Farmacéutica vende sus productos a los costos que considera justos, debido a los sub presupuestos de los hospitales, su venta no es posible a los pacientes quienes se encuentran en espera de su tratamiento por años!

\* Las asociaciones de pacientes hacen lo que pueden para superar este problema tan grave, pero el nuevo gobierno ha eliminado los grupos de trabajo que habían sido convocados, con lo que la situación se ha tornado mucho más tensa y también demorada



ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# URUGUAY



## LEYES DE REFERENCIA:

\* No hay leyes para enfermedades raras.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Enfermedades Raras: Son aquellas que se presentan con una prevalencia de 5 casos, cada 10.000 habitantes .

## INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:

\* El Ministerio de Salud Pública.

\* En segunda instancia están las Organizaciones Prestadoras de Salud tanto públicas y privadas.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# URUGUAY



## **NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:**

Medicamentos Costosos: No tienen una definición específica.

## **PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:**

- \* Existe una organización que se llama Fondo Nacional de Recursos; cuando la persona está afiliada a un prestador público o privado, ya tiene el diagnóstico y requiere un medicamento de alto costo, se solicita al Fondo Nacional de Recursos que maneja protocolos y pautas desde el punto de vista médico para dar curso a la aprobación. Este ente da el medicamento, sin embargo, el trámite dura entre 6 meses a un año.
- \* A través de la ordenanza # 882 del Ministerio de Salud que cubre los medicamentos que no integran el formulario terapéutico de los prestadores; cuando una institución de salud no tiene la obligación de dar los medicamentos porque éstos no integran el formulario terapéutico, las personas tienen que ir por el camino de la ordenanza, proceso que demora de 6 meses a un año.
- \* El recurso de amparo, la vía jurídica.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# URUGUAY



## PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

- \* El diagnóstico es tardío
- \* La medicación no entra en los protocolos de indicación de medicación
- \* Los procedimientos son muy largos, el tiempo de acceso al medicamento es bastante prolongado
- \* Hay diferencias entre el acceso de quienes viven en la capital y quienes residen fuera de la capital, en el interior del país.
- \* El costo, es una gran dificultad asumirlo de forma particular.



# VENEZUELA



## LEYES DE REFERENCIA:

\* No tiene una ley específica que regule lo relativo a las EERR, sin embargo, hay otros instrumentos legales que pueden ser de utilidad para los afectados.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Se utilizan EERR y EPOF indistintamente: Al carecer de marco legal específico no hay una definición establecida.



# VENEZUELA



## INSTITUCIONES QUE ASEGURAN EL DERECHO A LA SALUD:

\* La administración de salud recae en el Ministerio del Poder Popular para la Salud y sus dependencias (hospitales y las redes de atención ambulatoria).

\* Lo relativo a los medicamentos huérfanos depende del Instituto Venezolano de los Seguros Sociales, adscrito al Ministerio del Poder Popular para el Proceso Social de Trabajo, que administra las farmacias de alto costo.

## NOMENCLATURA Y DEFINICIÓN:

Medicamentos Huérfanos: No existe marco legal, no existe nomenclatura estandarizada.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# VENEZUELA



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* En agosto del 2006 cuando fue aprobado el tratamiento para el Síndrome de Hunter, se siguieron los siguientes pasos:

A.- Informar al IVSS de la existencia del medicamento y laboratorio que lo producía. Empezando una relación laboral de más de un año y que culminó felizmente en 2.008 para 10 pacientes que se fueron conociendo a través de la publicidad en TV, prensa y radio y que acudieron al IVSS.

B.- Documentación Legal:

1. Demostrar que el medicamento no se produce en el país y por ende solicitar la Certificación ante el Ministerio del Poder Popular para las Industrias Ligeras y Comercio, la cual fue aprobada.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# VENEZUELA



## PROCEDIMIENTO DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

2. Solicitar el permiso de Importación ante el Ministerio de Salud, creando la ficha del producto Elaprase en Venezuela. Este permiso fue otorgado en ese momento, sólo para el primer paciente Venezolano que se conocía con la enfermedad.

3. Una vez que el IVSS empezó a traer el Elaprase, los pacientes acudían a los hospitales o centros pilotos, donde el genetista los examinaba, se tomaban las muestras de sangre para el diagnóstico exacto, y de manera sencilla el paciente empezaba su tratamiento, así mismo ocurre con las otras patologías de deposito lisosomal: Enfermedad de Gaucher y Fabry, Síndrome de Hurley o MPS I.

4. Actualmente los distribuidores, el Instituto Venezolano de los Seguros Sociales - IVSS y los laboratorios son los encargados del proceso.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# VENEZUELA



## PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* 4.443 personas con hemofilia y otros problemas hematológicos no cuentan con factores para la coagulación de la sangre. La interrupción del suministro se debe al propósito de no agotar las existencias, lo cual los expone a episodios hemorrágicos y, por tanto, a que sus vidas estén en riesgo.

\* Hay dificultades para recibir inmunización contra neumococos, hepatitis B y el virus de la influenza, que frecuentemente es indicada como estrategia de prevención en diversas enfermedades poco frecuentes.

\* Los 95 pacientes con Enfermedad de Gaucher, que constituyen el grupo más numeroso de los afectados por estas patologías, tienen tres meses sin tratamiento.

• En los últimos tres años les han cambiado dos veces de tratamiento (Cerezyme, VPRIV), sin haber recibido explicaciones del porqué de los cambios y de sus posibles consecuencias. Los pacientes experimentan incertidumbre ante la falta de información oficial por parte del Ministerio del Poder Popular para la Salud y el Instituto Venezolano de los Seguros Sociales sobre la disponibilidad de los medicamentos en el futuro cercano.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# VENEZUELA



## PROBLEMAS DE ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

\* En el caso de pacientes con enfermedades de baja prevalencia cuya vida no depende de medicamentos huérfanos, pero si de tratamientos como antihipertensivos, antiarritmicos, o de cirugías especializadas como es el caso del Síndrome de Marfan, la situación es igual de complicada. En los últimos dos años han fallecido tres pacientes por no haber sido operados para reparar su aorta. Las máquinas de circulación extracorpórea de los hospitales públicos, indispensables para realizar tales cirugías, están dañadas desde hace más de dos años. Como en el caso de los pacientes con enfermedades de depósito lisosomal, los afectados de Marfan no reciben ninguna explicación y muchas veces son referidos de un hospital a otro durante meses, sin recibir el tratamiento adecuado, hasta que fallecen. Quienes no requieren cirugía inmediata están igualmente expuestos a un riesgo de muerte dado que medicamentos como Losartan Potásico, Atenolol, Amiodarona, Warfarina Sódica y otros similares, esenciales para el control de su patología son muy difíciles de conseguir.

\* Agregando a la difícil situación de salud, la escases y alto costo de pañales, centros de cama, suplementos alimenticios como Sustagen, Ensure y Pediasure.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





## CONCLUSION EJE 1: Leyes de referencia de Enfermedades Raras - EERRR

\* De los 12 países pertenecientes a la Alianza Iberoamericana de Enfermedades Raras que se tomaron como muestra:

- 2 han logrado avances importantes en cuanto a sanción y reglamentación de leyes, registros, decretos, resoluciones, órdenes ministeriales, programas y estrategias se refiere; es el caso de **España y Portugal**, países que se han convertido en un norte para las entidades que a nivel Iberoamericano han emprendido el camino de normativizar los procesos relacionados con el asegurar los derechos en salud de la población con EERR.

- 6 de los países analizados han iniciado diversos procesos encaminados hacia la sanción y reglamentación de leyes que cobijen a la comunidad de personas con diagnóstico de EERR y faciliten su inclusión igualitaria al sistema de salud de sus respectivos países, es el caso de **Argentina, Brasil, Chile, Colombia, Ecuador y Perú**; sin embargo, en la mayoría de los casos este proceso va a mitad de camino debido a que pese a están sancionadas las leyes de EERR, no han logrado su total reglamentación.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





## CONCLUSION EJE 1: Leyes de referencia de Enfermedades Raras - EERRR

-Si bien existen iniciativas particulares y colectivas en 4 países respecto a dar curso a la reglamentación del acceso a la salud por parte de las personas afectadas con EERR, en igualdad de condiciones que las personas diagnosticadas con enfermedades de mayor prevalencia, los esfuerzos están en una fase preliminar pues no han logrado obtener el respaldo que se requiere por parte de los entes tomadores de decisión para dar curso a estas iniciativas, es el caso de **Guatemala, México, Uruguay y Venezuela.**

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





## CONCLUSION EJE 2: Nomenclatura y definición de las EERR

- \* El término mayormente acuñado por las entidades de los países invitados a participar del presente estudio es el enunciado por la Organización Mundial de la Salud – OMS, que define que las enfermedades raras afectan a 1 de cada 2.000 habitantes y se estima que entre el 6 y el 8% de la población convive con éstas Enfermedades Raras. En la actualidad se conocen más de 7.000 de éstas Enfermedades.
- \* Encontramos así que entre los 12 países analizados para efectos del estudio, el término utilizado es el de Enfermedad Rara en el caso de **Brasil, España, México, Portugal y Uruguay**
- \* Hallamos casos de países en los que no existe una definición exacta para estas patologías, sino que les llaman indistintamente Enfermedad Rara, Huérfana o Poco Frecuentes como es el caso de **Guatemala, Perú y Venezuela.**
- \* Así mismo se evidenciaron casos de países que utilizan términos particulares para definirlos, es el caso de **Argentina** que les llama exclusivamente Enfermedades Poco Frecuentes, de **Chile** que agrega el término Enfermedades de Alto Costo y Minoritarias, y **Ecuador** que les llama además Enfermedades Catastróficas por vincularla con el tema de alto costo.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





## CONCLUSION EJE 3: Instituciones que aseguran el derecho a la salud

- \* Observamos como en la totalidad de los países participantes en el estudio, la responsabilidad es asumida **por el estado**, a través de diversos entes como los Ministerios de Seguridad Social y Salud, las Secretarías de Salud, las Defensorías Públicas de Justicia, la Superintendencia Nacional de Salud y la Procuraduría General de la Nación.
- \* En segunda instancia están las **Organizaciones Prestadoras de Salud tanto públicas y privadas** (Hospitales y las Redes de Atención Ambulatoria).
- \* Existen iniciativas privadas a resaltar como el caso de **Portugal** donde la Casa dos Marcos, crea un nuevo modelo integrado único en el mundo, que lleva a reflexionar sobre cuál es la mejor forma de hacer la gestión integrada de los pacientes.
- \* En países como **Chile** está reglamentada la entrega de los medicamentos a través de fondos nacionales establecidos para tal fin.



## CONCLUSION EJE 3: Instituciones que aseguran el derecho a la salud

- \* En el caso de **Venezuela** lo relativo a los medicamentos huérfanos depende del Instituto Venezolano de los Seguros Sociales, adscrito al Ministerio del Poder Popular para el Proceso Social de Trabajo, que administra las farmacias de alto costo.
- \* En casos como el de **Brasil**, el papel de las organizaciones de pacientes cobra un papel preponderante a la hora de lograr la asegurar el derecho a la salud de la población.
- \* En el caso de **Guatemala** los pacientes tienen cobertura sólo hasta los 7 años de edad, posterior a ésta edad solicitan un amparo ante la Corte de Constitucionalidad, para recibirlo. Si este procedimiento no logra su cometido se hace a través de la Organización Panamericana de la Salud - OPS.



## CONCLUSION EJE 4: Nomenclatura y definición de las Medicamentos Huérfanos

- \* El término utilizado por el mayor número de países es Medicamento Huérfano, este es el caso de **Argentina, España, Guatemala, México, Portugal, Perú y Venezuela**
- \* También es utilizado el término de medicamentos excepcionales en **Brasil**, droga huérfana en **Chile**, medicamentos vitales no disponibles en **Colombia** y medicamentos costosos en **Uruguay**.
- \* Como único caso encontramos que en **Ecuador** no se habla de medicamentos huérfanos, pues aún están priorizando los medicamentos frecuentes y sus compras son por licitación en grandes lotes.
- \* Así mismo respecto a las definiciones de estos medicamentos, **Argentina, Chile, México y Perú**, hacen referencia a que son aquellos que son dedicados al diagnóstico, prevención o tratamiento de una enfermedad poco frecuente.
- \* En países como **Ecuador, Guatemala y Venezuela** no los identifican con una definición establecida.



## CONCLUSION EJE 4: Nomenclatura y definición de los Medicamentos Huérfanos

- \* Encontramos casos cuya definición se enmarca en la pertenencia o no a un listado como es el caso de **Brasil** que los define como aquellos que no se encuentran en las relaciones de medicamentos esenciales que maneja el Estado.
- \* Aspectos de mayor trascendencia como el caso de **Colombia** que los enuncia como aquellos indispensables e irremplazables para salvaguardar la vida o aliviar el sufrimiento de un paciente.
- \* Independientemente de la acepción utilizada para describirlos, los Medicamentos Huérfanos son asociados con **alto costo, poca disponibilidad y dificultad en el proceso de su consecución**, lo cual conlleva a que los afectados por EERR desarrollen toda una serie de iniciativas en pro de lograr que los entes tomadores de decisión posibiliten su importación y distribución.
- \* Éstos procesos son en gran medida apoyados por las casas farmacéuticas que propenden por apoyar la organización de los pacientes en pro de viabilizar de forma efectiva la distribución de los medicamentos.



## CONCLUSION EJE 5: Procedimientos de acceso a Medicamentos Huérfanos

- \* La consecución de Medicamentos Huérfanos en Iberoamérica tiene como conector la **poca o nula disponibilidad** de los mismos, aún cuando hay países donde se ha desarrollado una ley específica para reglamentar su adquisición como es el caso de **Argentina**.
- \* En el caso de **España**, han delimitado varias vías de acceso a ellos dependiendo de si el medicamento es de uso compasivo, de manejo off label o si se usa en otros países y no existen otras alternativas terapéuticas para la enfermedad en el país.
- \* Respecto al caso de **Guatemala**, el paciente dese ser diagnosticado antes de los 7 años para que le entreguen el medicamento hasta los 21 años.
- \* En **México**, el paciente debe tener menos de 10 años al momento de ser diagnosticado para que le sea entregado el medicamento bajo autorización de la junta de expertos del Seguro Popular.



## CONCLUSION EJE 5: Procedimientos de acceso a Medicamentos Huérfanos

- \* Encontramos que en casos como el de **Brasil**, donde los medicamentos deben estar dentro del protocolo y tener el informe de solicitud de medicamentos excepcionales.
- \* Caso similar caso al de **Uruguay**, donde el medicamento debe estar incluido en el formulario terapéutico de los prestadores para que sea adquirido a través del fondo nacional de recursos. En caso contrario los pacientes acuden a la vía jurídica para poder adquirir sus medicamentos.

Si la persona se asiste en el Centro de Referencia – CRENADECER y el medicamento no es cubierto por el Fondo Nacional de Recursos pero hay evidencias de su efectividad, la asistencia es integral y los medicamentos son financiados por el Instituto de Seguridad Social con cargo a su presupuesto.

- \* En países como **Chile** la aprobación corre directamente por parte del Ministerio de Salud y la compra se realiza a través del Fondo Nacional de Salud.
- \* Caso similar al de **Ecuador**, donde la compra también se realiza a través del Ministerio, sin embargo, ante la demora del trámite los pacientes de enfermedades como MPS I, Fabry, Gaucher y Niemann Pick, se han volcado a solicitar ayuda humanitaria para lograr que el Estado gestione la compra de los medicamentos.



## CONCLUSION EJE 5: Procedimientos de acceso a Medicamentos Huérfanos

- \* En el caso de **Colombia**, el Estado da el cubrimiento de los medicamentos a través de las aseguradoras en salud y los recursos constitucionales como el Derecho de Petición y la Acción de Tutela.
- \* Respecto a **Portugal**, son entregados por Autorización de Utilización Excepcional a través del hospital, cuando no es aprobada la compra por parte del gobierno o por medio de venta centralizada; cuando éste ha sido aprobado centralizadamente y está disponible para todos los pacientes que lo necesitan.
- \* Independientemente de cuáles sean las vías de acceso para lograr la entrega efectiva de un Medicamento Huérfano, los procesos positivos se han obtenido a través de la gestión realizada por las personas afectadas con EERR quienes han llegado incluso a instancias de interponer acciones jurídicas en contra del Estado para obtener respuesta a su necesidad de tratamiento.



## CONCLUSION EJE 6: Problemas de acceso a Medicamentos Huérfanos

- \* El principal problema identificado para la consecución de los medicamentos huérfanos es el **costo y el abastecimiento de los mismos**, podría esperarse que en el caso de **Argentina, Chile, España y Portugal** que ya tienen normatividad sobre el tema, la entrega de éstos medicamentos tenga la cobertura esperada, sin embargo, encontramos que los programas no funcionan satisfactoriamente.
- \* En algunos casos deben llegar a la judicialización como es el caso de **Argentina y Chile**.
- \* Tan sólo el 57% de los medicamentos huérfanos autorizados por la Agencia Europea del Medicamento llegan a comercializarse en el caso de **España**.
- \* Existen casos donde el gobierno ha eliminado los grupos de trabajo que desde las asociaciones de pacientes habían sido convocados para trabajar el tema como en **Portugal**.



## CONCLUSION EJE 6: Problemas de acceso a Medicamentos Huérfanos

\* **Colombia y Perú** enuncian como principal barrera de acceso el factor costo, debido a que se justifican en los elevados costos de investigación y por ende desarrollan un mercado reducido en el caso de **Colombia** y donde por el bajo consumo de los medicamentos a causa de su excesivo precio o los pocos pacientes, las importadoras ven pérdida en este proceso y optan por discontinuarlos del mercado en el caso de **Perú**.

\* Subyace además el tema de la falta de disponibilidad de los medicamentos ya comprendidos en los protocolos establecidos y la burocratización en el caso de **Brasil** donde así el paciente tenga los medios para comprarlo, sin una autorización no lo puede adquirir.

\* En el caso de **Uruguay** los medicamentos no entran en los protocolos de indicación de medicación y los procedimientos de acceso al medicamento son muy prolongados.

Cuando los pacientes se asisten en el CRENADECER, el acceso a los medicamentos es un poco más sencillo aunque el factor económico muchas veces incide en la toma de decisiones.



## CONCLUSION EJE 6: Problemas de acceso a Medicamentos Huérfanos

\* Difiere el caso de **Guatemala y México** donde los principales problemas de acceso están relacionados con lo estricto que es el procedimiento para obtenerlos en **Guatemala** y lo dilatorio que se torna el mismo en México, donde se pueden demorar hasta un año y medio para autorizar y entregar los medicamentos al paciente.

\* Por último encontramos el caso de **Ecuador y Venezuela** donde el tema se ve mediado por los factores políticos de cada país, en Ecuador debido a decreto presidencial no pueden ingresar los medicamentos a libre demanda sino que se compran mediante licitaciones; el caso de Venezuela puede tornarse el más complejo de Iberoamérica porque en el conflicto interno que permea directa y generalmente el sector salud, se encuentran casos donde no cuentan con factores para la coagulación de la sangre, tienen dificultades para recibir inmunización contra neumococos, hepatitis B y el virus de la influenza, que frecuentemente es indicada como estrategia de prevención en diversas enfermedades poco frecuentes.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





## HALLAZGOS PRINCIPALES

Podemos concluir que los países se pueden dividir en 3 grandes categorías:

- Países con logros importantes a nivel de legislación sobre EERR \*

- Países en construcción de normatividad sobre EERR \*\*

- Países en despertar legislativo sobre EERR \*\*\*

\* Entre los países identificados con logros significativos a nivel de normatividad se encuentran **España y Portugal**, que han tenido desde las asociaciones de pacientes un espacio de involucramiento junto con los entes gubernamentales en la toma de decisiones que favorecen a la población de personas con diagnóstico de Enfermedades Raras.

\* El caso de países como **Argentina, Brasil, Chile, Colombia, Ecuador y Perú** que se encuentran en vías de reglamentar leyes que pretenden dar una cobertura total a las necesidades de los pacientes con éstas enfermedades, sin embargo no han encontrado el respaldo de las instancias políticas en la medida que se espera debería tener esta temática.

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





## HALLAZGOS PRINCIPALES

\* Por último, nos encontramos casos como el de **Guatemala, México, Uruguay y Venezuela** que se encuentran trabajando en iniciativas que apuntan al desarrollo de la normatividad sobre EERR y que aunque han tenido logros importantes a nivel de casos particulares, requieren de mayor impulso e intervención por parte de sus respectivos gobiernos, esto, porque las instancias a las que hay llegado parten preponderantemente de la comunidad de personas afectadas a través de las asociaciones que los agremian e incluso por medio de procesos particulares, pero la respuesta de los entes gubernamentales no sólo no está siendo efectiva sino que se torna nula en algunos casos.



## PROPUESTA DE INTERVENCIÓN DESDE ALIBER

- \* El anterior análisis permite a la Alianza Iberoamericana de Enfermedades Raras – ALIBER, tener un diagnóstico social cercano a la realidad Iberoamericana que a las EERR se refiere, que apuntará a la realización de una propuesta de intervención como plan de acción, que responda a las necesidades identificadas en los países que están en vías de desarrollo de políticas que favorezcan a la población de personas con EERR
- \* Así mismo potencializará la celebración de acuerdos con los órganos de decisión de cada país (Ministerios de Sanidad), desde el eje de acción política de la Alianza, que permitirán tener espacios de encuentro y construcción mutua.



## PROPUESTA DE INTERVENCIÓN DESDE ALIBER

- \* Se necesita el concurso de los representantes de las diferentes organizaciones de pacientes que a nivel Iberoamericano pueden incentivar con sus experiencias de éxito la conformación de un grupo de trabajo que busque y logre replicar las iniciativas, en los países que tienen ésta tarea pendiente.
- \* **La Alianza deberá propiciar la instauración y/o fortalecimiento de un Marco Normativo en cada uno de los países que hacen parte de la misma.**





# Agradecimientos

- Esta investigación fue parcialmente financiada con fondos otorgados por Pfizer, FRFA#\_2016060936012

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*





# Contactos



**Juan Carrión Tudela**

Presidente de ALIBER [presidencia@aliber.org](mailto:presidencia@aliber.org)

+34 690 945 233



**Gloria Pino Ramírez**

Directora Ejecutiva [direccion@aliber.org](mailto:direccion@aliber.org)

+34 722 643 492



**Alicia Males**

Técnico voluntario

[aliciamales@aliber.org](mailto:aliciamales@aliber.org)

ALIANZA IBEROAMERICANA DE ENFERMEDADES RARAS

*La red de esperanza por las Enfermedades Raras en Iberoamérica*

