

**SOBRE LOS PROYECTOS DE LEY ESTATUTARIA 209/SENADO-
267/CAMARA DE 2013 QUE CURSA EN LAS COMISIONES PRIMERA DE
CAMARA Y SENADO DE LA REPUBLICA
“POR MEDIO DE LA CUAL SE REGULA EL DERECHO FUNDAMENTAL A
LA SALUD Y SE DICTAN OTRAS DISPOSICIONES”**

***VIOLACION DEL DERECHO A LA VIDA Y LA SALUD DE LOS AFECTADOS
POR ENFERMEDADES RARAS POR LOS ARTICULOS 15-16 DE LOS
PROYECTOS
“PRESTACIONES DE SALUD”***

**Bogotá
Junio 17 de 2013**

INTRODUCCION

Hemos reiterado nuestra posición frente a la discusión del proyecto de Ley Estatutaria en cuanto a la alta vulnerabilidad en la que se encuentra la población de afectados con Enfermedades Raras, situación que como ya lo hemos dicho, se agrava porque el Estado no dispone de las políticas que permitan paliar de manera específica las necesidades particulares de salud y protección social de esta población.

Aunque es evidente que el Estado tiene un compromiso de brindar protección especial a aquellas personas que se encuentran en un estado de debilidad manifiesta, o en condición de vulnerabilidad como es el caso de los afectados con Enfermedades Raras, lo que estamos viendo con la Reforma, es todo lo contrario, al incluir medidas que indudablemente apoyarán la contención del gasto en salud, pero que irremediamente violan los derechos de quienes tienen precisamente menos oportunidades para gozar efectivamente del Derecho a la vida y a la salud en condiciones de igualdad material.

LOS ARTICULOS 15 Y 16 DE LOS PROYECTOS DE LEY ESTATUTARIA ESTABLECEN CRITERIOS DE EXCLUSION QUE AFECTAN GRAVEMENTE LOS DERECHOS FUNDAMENTALES DE LOS AFECTADOS CON ENFERMEDADES RARAS

Dice el mencionado Artículo:

Prestaciones de salud. *El Sistema garantizará el derecho fundamental a la salud a través de prestación de servicios y tecnologías, estructurados sobre una concepción integral de la salud, que incluya su promoción, la prevención, la paliación, la atención de la enfermedad y rehabilitación de sus secuelas.*

En todo caso, los recursos públicos asignados a la salud no podrán destinarse a financiar servicios y tecnologías en los que se advierta alguno de los siguientes criterios:

- a) Que tengan como finalidad principal un propósito cosmético o suntuario no relacionado con la recuperación o mantenimiento de la capacidad funcional o vital de las personas;*
- b) Que no exista evidencia científica sobre su seguridad y eficacia clínica;*
- c) Que no exista evidencia científica sobre su efectividad clínica;*
- d) Que su uso no haya sido autorizado por la autoridad competente;*
- e) Que se encuentren en fase de experimentación.*

Los servicios o tecnologías que cumplan con esos criterios serán explícitamente excluidos por el Ministerio de Salud y Protección Social o la autoridad competente que determine la Ley ordinaria, previo un procedimiento técnico-científico, de carácter público, colectivo, participativo y transparente. En cualquier caso, se deberá evaluar y considerar el criterio de expertos independientes de alto nivel, de las asociaciones profesionales de la especialidad correspondiente y de los pacientes que serían potencialmente afectados con la decisión de exclusión. Las decisiones de exclusión no podrán resultar en el fraccionamiento de un servicio de salud previamente cubierto, y ser contrarias al principio de integralidad.

Parágrafo 1. *Contra el acto administrativo que decida sobre la exclusión de un servicio o tecnología de salud procederá el recurso de reconsideración ante el mismo órgano que lo profirió. El recurso será decidido en un período no superior a veinte (20) días calendario.*

Parágrafo 2. *Una vez excluido el servicio o tecnología la autoridad competente deberá informar de dicha determinación a los Jueces de la República.*

Parágrafo tercero. *El Ministerio de Salud y Protección Social tendrá hasta dos años para implementar lo señalado en el presente artículo. En este lapso el Ministerio podrá desarrollar el mecanismo técnico, participativo y transparente para excluir servicio o tecnologías de salud.*

ANÁLISIS DEL LITERAL C “QUE NO EXISTA EVIDENCIA CIENTÍFICA SOBRE SU EFECTIVIDAD CLÍNICA”

¿Qué es Efectividad Clínica?

La efectividad clínica se define como:

*Grado con el que una intervención específica, un procedimiento, un régimen o un servicio, logra lo que se espera de él en circunstancias ordinarias de aplicación. Más específicamente la evaluación del balance beneficios / riesgos de una intervención, en un enclave clínico concreto, utilizando medidas de resultado de importancia para el paciente (por ej. habilidad para realizar las actividades de la vida diaria, prolongación de la vida, etc.)*¹

¹ International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA). Health

En pocas palabras la efectividad clínica es capaz de medir a través de la recolección de evidencia y acerca de una terapia específica - después de que ya se ha demostrado su eficacia y seguridad en Ensayos Clínicos con pacientes y después de ser aprobada por la entidad regulatoria del país correspondiente-, si ésta realmente funciona en condiciones menores a las ideales o en entornos no controlados. Esta medición debe incluir medidas de funcionamiento de la persona, o calidad de vida.

La Efectividad Clínica requiere de Estudios sobre la población que usa el medicamento o la Terapia, llamados Estudios Fase IV que requieren:

1. La aplicación de instrumentos y métodos básicos de estudio de los problemas de los pacientes y poblaciones con el objeto de minimizar los sesgos que conlleva la sola intuición clínica o la experiencia no sistematizada en la toma de decisiones
2. Facilitar la práctica médica basada en la mejor evidencia disponible,
3. Evaluar el verdadero impacto de las intervenciones en la modificación de la historia natural de las enfermedades
4. Optimizar la instrumentación de Programas que maximicen los beneficios sociales en la definición de Políticas o Servicios de Salud.

Esto quiere decir la contratación, inversión de recursos, talento humano, investigación, revisión retrospectiva, análisis de casos, revisión de evidencia científica para lograr la realización de esos estudios en la población de Enfermedades Raras.

SITUACIÓN EN EL MUNDO Y EN COLOMBIA DE ESTUDIOS DE EFECTIVIDAD CLÍNICA EN ENFERMEDADES RARAS

En Colombia y en muchos países del mundo los pacientes con Enfermedades Raras tienen acceso a medicamentos Huérfanos cuya eficacia y seguridad está comprobada, además de tener el aval de la Entidad Regulatoria, pero sin estudios de efectividad clínica.

Tanto las Entidades Regulatorias, como científicas y organizaciones de pacientes reconocen en el mundo los retos de realizar Estudios en afectados de enfermedades raras.

La FDA (Entidad Regulatoria de medicamentos Estadounidense) reconoce que hay retos en el Adelanto de Estudios Clínicos en los Programas de Desarrollo de medicamentos para Enfermedades Raras, mencionando los siguientes:

- *Pocos pacientes disponibles para los estudios*
- *Las ER son frecuentemente crónicas, progresivas, limitantes de la vida, amenazantes y con necesidades médicas desconocidas*
- *Hay un numero muy heterogéneo de desordenes*
- *El comportamiento de las enfermedades es heterogéneo aun dentro de los grupos afectados por la misma enfermedad.*
- *La Historia Natural de estas enfermedades frecuentemente no es conocida del todo o se conoce apenas parcialmente.*
- *Se carece de criterios claros de valoración, medidas de resultado, herramientas, instrumentos y biomarcadores.*²

NORD- la Organización de Enfermedades raras en Norteamérica dice al respecto:

“Actualmente hay aprobados menos de 400 Terapias para 7000 enfermedades Raras que afectan a mas de 30 millones de Estadounidenses...los retos que los desarrolladores de estas terapias para las Enfermedades raras enfrentan, son muy diversas, desde la dificultad en obtener recursos de inversión para el desarrollo, hasta entender el curso natural de estas enfermedades para poder diseñar los estudios clínicos mas efectivos.”

EURORDIS – La Organización Europea de Enfermedades Raras, establece también las dificultades para realizar estudios con afectados de ER debido a :

- *La falta de pacientes – el poco reconocimiento y la visibilidad de las enfermedades raras*
- *La falta de investigación, regulación y atención médica efectiva*
- *Experiencia y recursos (materiales, humanos, financieros) limitados.*
- *Menos investigadores*
- *Investigación fragmentada*
- *Se requiere de la cooperación interdisciplinaria para la investigación*
- *La falta de conocimiento para llevar a cabo ensayos pequeños*
- *Marco legislativo insuficiente*
- *Tanto los patrocinadores, médicos y organizaciones de pacientes necesitan más ayuda.*³

² FDA. Considerations for Clinical Trial Designs in Rare Diseases.

³ Eurordis Charter For Clinical Trials In Rare Diseases. Disponible en: http://www.efgcp.be/Downloads/PP_CE_Eurordis_Charter_Pogany.pdf

Sobre los Estudios de Efectividad Clínica para Enfermedades raras el Instituto Nacional de Salud de los Estados Unidos- NIH observa:

“ Las comunidades medicas y regulatorias entienden los retos especiales inherentes al desarrollo de tratamientos para Enfermedades raras. Ellas también deben reconocer la necesidad de flexibilidad en los diseños de los ensayos clínicos y el hecho de que los pacientes con estos desordenes están dispuestos a aceptar un riesgo razonable en retorno por la esperanza de un tratamiento efectivo”...

....“La FDA con frecuencia especifica los requisitos de estudio post-comercialización (fase IV) para evaluar más a fondo un fármaco aprobado y obtener más información acerca de la seguridad o la eficacia o ambos. ... la Ley de Modernización de la FDA (PL 105-115) requirió a esta entidad para establecer un sistema de seguimiento y presentación de informes públicos en el cumplimiento de los compromisos y los requisitos de estudio post-comercialización. La agencia publicó normas de aplicación de este sistema en el año 2000 (65 Fed.. Reg. 64607). Aunque el estudio de cumplimiento de Normas es importante, el comité no pudo investigar este resultado para los medicamentos huérfanos.”⁴

EL ESTADO COLOMBIANO NO PROVEE LAS GARANTÍAS PARA QUE ESTOS ESTUDIOS DE EFECTIVIDAD CLINICA SEAN REALIZADOS A NIVEL NACIONAL YA QUE:

- NO EXISTE el censo de afectados con Enfermedades raras en Colombia
- FALTAN ENSAYOS CLÍNICOS Y LOS MÉDICOS NO ESTÁN CONCIENCIADOS. En el mundo suele haber menos información sobre la efectividad de las terapias en escenarios de atención reales y locales –ste aspecto es todavía más relevante en el caso de los tratamientos para Enfermedades Raras en cuanto a la cantidad de estudios de efectividad clínica y el conocimiento de los profesionales-
- NO EXISTE UNA COMISIÓN DE EFECTIVIDAD CLÍNICA que defina las patologías y los protocolos de inclusión e exclusión de los tratamientos de ER de acuerdo a las evidencias científicas.

⁴ NIH. Development of New Therapeutic Drugs and Biologics for Rare Diseases
<https://rarediseases.info.nih.gov/files/Jenkins.pdf>

- NO EXISTEN PROTOCOLOS de inclusión y exclusión, los cuales son la piedra angular para la organización de un esquema de protección social de las enfermedades raras.
- NO EXISTE EL equipo de especialistas, con un sistema de supervisión terapéutica, en identificar y evaluar a los pacientes que requieren tratamientos para enfermedades de “baja prevalencia” o “enfermedades raras”.
- NO EXISTEN LOS MODELOS DE ATENCIÓN de estos casos que se ajusten a normativas y reportes científicamente comprobados.
- NO HAY FACILIDAD EN EL CASO DE LAS ENFERMEDADES RARAS (genéticas y metabólicas) para reclutar pacientes para los ensayos.
- EXISTE POCA CLARIDAD SOBRE CUÁLES SON LAS MEJORES PRÁCTICAS PARA EVALUAR LOS TRATAMIENTOS PARA ENFERMEDADES RARAS. El reto es complementar la información cuantitativa. Aun no se han identificado en el mundo para la mayoría de tratamientos de ER “la diferencia mínima que los pacientes aprecian de sus síntomas, en focus group, por ejemplo”.⁵
- NO HAY en el presupuesto nacional programas en los que se financien la investigación y tratamiento de estas patologías.
- AUSENCIA TOTAL O PARCIAL de datos en las historias clínicas (que en ocasiones serían necesarios para poder efectuar un correcto análisis, sobre todo datos de utilización de recursos), y por otra parte un problema inherente a su diseño, como es la posibilidad de que aparezcan sesgos y factores de confusión no controlados a la hora de evaluar la efectividad de las opciones estudiadas. El mayor inconveniente es que muchas veces los datos de consumo de recursos sólo se habrán recogido parcialmente, siendo difícil poder efectuar un análisis preciso y válido.
- NO EXISTE UNA POLÍTICA SISTEMATIZADA y equitativa de pautar tratamientos, y unificar criterios de otorgamiento y de rechazo para Enfermedades Raras.

⁵ <http://enfermedades-raras.diariomedico.com/2012/06/28/area-cientifica/especialidades/enfermedades-raras/es-necesario-mas-rigor-practica-clinica-abordar-patologias-raras>

- Por lo tanto actualmente NO HAY GARANTIAS acerca de que el proceso mediante el cual se toman las decisiones de exclusión cumpla efectivamente con los criterios de justicia que incluyen la transparencia y la aplicación de criterios de Equidad.

Estos estudios se pueden realizar en el exterior, pero la evidencia llegaría a Colombia demasiado tarde para muchos de los afectados, quienes morirían sin recibir la Terapia – por solo citar un ejemplo, el cribado para las enfermedades metabólicas hereditarias en los recién nacidos comenzó a principios de los años 50, pero los estudios de Eficacia Clínica de esta intervención apenas aparecen hasta el año 2013- aun así muchos niños han salvado sus vidas gracias a esta intervención preventiva que permitió que recibieran tratamientos a tiempo para sus dolencias genéticas.

Es así que:

- Eficacia" y "efectividad" clínica son términos aparentemente iguales. Sin embargo, el Ministerio y el IETS reconocen una gran diferencia entre estos términos que es la misma empleada en evaluación de tecnologías de salud, epidemiología y administración en salud.
- Para poder excluir un medicamento que no demuestre efectividad clínica, se debería en primer lugar, asegurar que esos estudios estuvieran disponibles para la Entidad o Grupo tomador de decisión.
- Estos estudios efectivamente no están disponibles, así que no puede el Gobierno Nacional establecer un Criterio de exclusión para tratamientos que ya demostraron eficacia y seguridad pero que no cuentan con estudios de efectividad clínica, teniendo en cuenta que ni mundialmente ni en Colombia hay el suficiente avance ni recursos para realizar rápidamente los estudios de efectividad clínica para las Terapias existentes en Enfermedades Raras. Esto quiere decir que se impone un requisito de exclusión que de entrada está viciado pues no tiene ninguna garantía de cumplimiento.
- El Gobierno Nacional debe determinar a los actores responsables y los recursos asignados para la ejecución de programas de seguimiento cuyos resultados constituirán la base las Evaluaciones de Efectividad Clínica y mientras tanto garantizar el acceso al medicamento a quien lo necesite.
- El Congreso no debe caer en la falacia de que el beneficio sobre muy pocos pacientes (efectos no detectados por estudios clínicos pre-registro) limite el derecho fundamental a la salud de los muchos pacientes en los

- que el producto ya demostró su capacidad de salvar vidas y mejorar la salud en forma segura.
- Algunos técnicos querrán soportar la necesidad del **literal c)** para aumentar la calidad de lo que se paga en el sistema. Sin embargo, la pregunta sobre los posibles efectos de una tecnología en la vida real (en poblaciones especiales o cuando no se usa la tecnología según lo estudiado) puede ser resuelta mediante otras opciones diferentes a la restricción del acceso efectivo de la población que la necesita: por ejemplo, fármaco-vigilancia y de ser necesario ajustes posteriores en el registro sanitario.

¿QUÉ PASARÁ CON LOS AFECTADOS CON ENFERMEDADES RARAS SI EL GOBIERNO DECIDE EXCLUIR LOS TRATAMIENTOS QUE NO TENGAN EVIDENCIA DE EFECTIVIDAD CLÍNICA?

1. Mientras EFICACIA **literal b** del art. 15)-16) es la capacidad de lograr el efecto deseado en CONDICIONES CONTROLADAS, la EFECTIVIDAD (**literal c** del mismo art.), habla de la capacidad de lograr los resultado en CONDICIONES REALES DE USO. Este último literal excluye de la cobertura del Sistema de Salud las tecnologías sobre las cuales NO existe evidencia científica sobre la Efectividad Clínica.
2. La exclusión prevista en el **literal c** del artículo 15-16 afecta gravemente el acceso a nuevas tecnologías sanitarias para los pacientes con Enfermedades Raras, siendo altamente regresivo y atentando contra el principio de progresividad ya que se impedirá el acceso real y oportuno a tecnologías que hayan demostrado salvar vidas o mejorar la calidad de vida en una forma segura.
3. Los estudios de efectividad clínica en Enfermedades Raras no están siendo realizados de manera rápida y sistemática para todas las Terapias disponibles en el mundo, pueden tomar varios años y tienen especiales dificultades de implementación en afectados por Enfermedades Raras. Así mismo Colombia no brinda las garantías necesarias para hacer esos estudios para los afectados en nuestro país.
4. A este efecto, se restringiría gravemente el acceso a nuevas tecnologías e inclusive a las existentes a las cuales ya se accede en Colombia, ya que frente a la disponibilidad para la cura o tratamiento de una enfermedad con una tecnología nueva y registrada en Colombia (que

tenga comprobada su Seguridad y Eficacia), un paciente no podrá acceder dentro del sistema de salud a dicho tratamiento, aún por vía de la Tutela, hasta que se desarrollen los estudios de efectividad, sin importar si la tecnología está disponible.

Supongamos que se descubre una Terapia de Reemplazo Enzimático, Terapia que según los estudios pre-registro (los mas exigentes) se demuestra que puede tratar en forma segura una enfermedad rara degenerativa del Sistema Nervioso llamada Leucodistrofia Metacromática, altamente discapacitante, grave y que amenaza la vida.

La terapia es aprobada por las autoridades regulatorias más estrictas del mundo (FDA y EMA en Estados Unidos y Europa, así como el INVIMA) y un especialista colombiano la prescribe en Laura, paciente de 2 años con Leucodistrofia Metacromática detectada tempranamente y que aun no presenta síntomas de regresión motora.

Si el artículo c) del numeral 15 pasa, el Congreso estaría negando a esta niña colombiana, la posibilidad de ejercer efectivamente su Derecho Fundamental a la vida, dado que el sistema no cubriría el costo de este medicamento hasta que no se terminen los estudios post-registro varios años después, con el sufrimiento de las secuelas de pérdida de las funciones vitales, calidad de vida, carga social familiar, muerte y coste para el sistema.

Para hacer los estudios de Efectividad Clínica de esta Terapia se necesitaría esperar a la realización de estudios en otros países con los suficientes recursos y capacidad técnica, reuniendo varios centros de investigación y especialistas, además de la dificultad para reunir la cantidad de pacientes requerida por el estudio, con una enfermedad que como la descrita en este caso, tiene una prevalencia de 1 caso en 765 mil personas.

PROPUESTA

Artículo 15-16. Adicionar PARAGRAFO 4 así:

Parágrafo Cuarto: *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.*

Los mencionados Artículos quedarían entonces del siguiente tenor

Artículo 15. Prestaciones de salud. *El Sistema garantizará el derecho fundamental a la salud a través de prestación de servicios y tecnologías, estructurados sobre una concepción integral de la salud, que incluya su promoción, la prevención, la paliación, la atención de la enfermedad y rehabilitación de sus secuelas.*

En todo caso, los recursos públicos asignados a la salud no podrán destinarse a financiar servicios y tecnologías en los que se advierta alguno de los siguientes criterios:

- a) Que tengan como finalidad principal un propósito cosmético o suntuario no relacionado con la recuperación o mantenimiento de la capacidad funcional o vital de las personas;*
- b) Que no exista evidencia científica sobre su seguridad y eficacia clínica;*
- c) Que no exista evidencia científica sobre su efectividad clínica;*
- d) Que su uso no haya sido autorizado por la autoridad competente;*
- e) Que se encuentren en fase de experimentación.*

Los servicios o tecnologías que cumplan con esos criterios serán explícitamente excluidos por el Ministerio de Salud y Protección Social o la autoridad competente que determine la Ley ordinaria, previo un procedimiento técnico-científico, de carácter público, colectivo, participativo y transparente. En cualquier caso, se deberá evaluar y considerar el criterio de expertos independientes de alto nivel, de las asociaciones profesionales de la especialidad correspondiente y de los pacientes que serían potencialmente afectados con la decisión de exclusión. Las decisiones de exclusión no podrán resultar en el fraccionamiento de un servicio de salud previamente cubierto, y ser contrarias al principio de integralidad.

Parágrafo 1. *Contra el acto administrativo que decida sobre la exclusión de un servicio o tecnología de salud procederá el recurso de reconsideración ante el mismo órgano que lo profirió. El recurso será decidido en un período no superior a veinte (20) días calendario.*

Parágrafo 2. Una vez excluido el servicio o tecnología la autoridad competente deberá informar de dicha determinación a los Jueces de la República.

Parágrafo tercero. *El Ministerio de Salud y Protección Social tendrá hasta dos años para implementar lo señalado en el presente artículo. En este lapso el Ministerio podrá desarrollar el mecanismo técnico, participativo y transparente para excluir servicio o tecnologías de salud.*

Parágrafo Cuarto *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.*

Artículo 16. Prestaciones de salud. *El Sistema garantizará el derecho fundamental a la salud a través de prestación de servicios y tecnologías, estructurados sobre una concepción integral de la salud, que incluya su promoción, la prevención, la paliación, la atención de la enfermedad y rehabilitación de sus secuelas.*

En todo caso, los recursos públicos asignados a la salud no podrán destinarse a financiar servicios y tecnologías en los que se advierta alguno de los siguientes criterios:

- a) Que tengan como finalidad principal un propósito cosmético o suntuario no relacionado con la recuperación o mantenimiento de la capacidad funcional o vital de las personas;*
- b) Que no exista evidencia científica sobre su seguridad y eficacia clínica;*
- c) Que no exista evidencia científica sobre su efectividad clínica;*
- d) Que su uso no haya sido autorizado por la autoridad competente;*
- e) Que se encuentren en fase de experimentación.*

Los servicios o tecnologías que cumplan con esos criterios serán explícitamente excluidos por el Ministerio de Salud y Protección Social o la autoridad competente que determine la Ley ordinaria, previo un procedimiento técnico-científico, de carácter público, colectivo, participativo y transparente. En cualquier caso, se deberá evaluar y considerar el criterio de expertos independientes de alto nivel, de las asociaciones profesionales de la especialidad correspondiente y de los pacientes que serían potencialmente afectados con la decisión de exclusión. Las decisiones de exclusión no podrán resultar en el fraccionamiento de un servicio de salud previamente cubierto, y ser contrarias al principio de integralidad.

Parágrafo 1. *Contra el acto administrativo que decida sobre la exclusión de un servicio o tecnología de salud procederá el recurso de reconsideración ante el mismo órgano que*

lo profirió. El recurso será decidido en un período no superior a veinte (20) días calendario.

Parágrafo 2. Una vez excluido el servicio o tecnología la autoridad competente deberá informar de dicha determinación a los Jueces de la República.

***Parágrafo tercero.** El Ministerio de Salud y Protección Social tendrá hasta dos años para implementar lo señalado en el presente artículo. En este lapso el Ministerio podrá desarrollar el mecanismo técnico, participativo y transparente para excluir servicio o tecnologías de salud.*

***Parágrafo Cuarto** 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.*