



RESOLUCIÓN 2022IR-1171-21 del Ararteko, de 25 de abril de 2022, por la que concluye su actuación en una queja en la que se cuestionaba la negativa de Osakidetza a financiar el tratamiento mediante "Atalureno" de un paciente aquejado de "Síndrome de Duchenne".

Antecedentes

1.- El Ararteko admitió a trámite una queja en la que la persona interesada exponía que su hijo menor de edad padece distrofia muscular de Duchenne y que estaba siendo tratado de manera habitual en el Servicio de Neurología del Hospital de Cruces y en el del Hospital Sant Joan de Deu de Barcelona.

Según la documentación aportada por la madre, con el objeto de mejorar el pronóstico de su enfermedad, el Servicio de Pediatría del Hospital de Cruces había recomendado el tratamiento de su hijo con el medicamento Atalureno, pero la solicitud, finalmente, fue denegada por la Dirección Médica del propio hospital.

La promotora de la queja cuestionaba tal denegación porque tenía conocimiento de que en el sistema sanitario vasco el tratamiento citado se estaba dispensando y financiando a otros menores aquejados de la misma patología.

2.- Solicitada información al respecto de la Dirección General de Osakidetza, mediante escrito de su directora se trasladó a esta institución el informe emitido por la Dirección Médica de la OSI EE-Cruces (avalado tanto por el director de Asistencia Sanitaria (DAS), como por el director de Farmacia del Departamento de Salud) en el que se señala lo siguiente:

"El tratamiento al que se hace referencia, Atalureno, es un medicamento que no está comercializado en España y tiene resolución de NO financiación en el Sistema Nacional de Salud desde abril del 2016.

En informe de la Agencia Española del Medicamento de junio del 2017, se ratifica en la no financiación porque las evidencias de eficacia son frágiles dado que no ha demostrado efecto sobre el curso y la progresión de la enfermedad.

Con posterioridad, este medicamento ha vuelto a analizarse en varias ocasiones en la COMISIÓN INTERMINISTERIAL DE PRECIOS DE MEDICAMENTOS Y PRODUCTOS SANITARIOS (CIPM), siendo la última la correspondiente a octubre de 2019; tras dicha comisión, el medicamento continúa con Resolución de no inclusión en la prestación farmacéutica del SNS debido a las incertidumbres existentes respecto a la eficacia del medicamento.

Con fecha 11 de abril de 2019, la Dirección General de Cartera Básica de Servicios del Sistema Nacional de Salud (SNS) y Farmacia del Ministerio de Sanidad emitió, tras consulta a la Abogacía del Estado, un 'Informe sobre la Financiación Pública de Medicamentos con Resolución expresa de no inclusión en la Prestación Farmacéutica del SNS' y establece las siguientes conclusiones:

- a. Los medicamentos que han obtenido una resolución expresa de no financiación son medicamentos que no están incluidos en la prestación farmacéutica del SNS y por tanto no se incluyen en la cartera común de servicios del SNS.
- b. Las Comunidades Autónomas y las entidades gestoras no pueden incluir en su cartera de servicios, y por tanto no pueden financiar con fondos públicos, medicamentos con una resolución expresa de no financiación.

Por tanto, valorado individualmente el caso clínico y teniendo en cuenta las condiciones actuales de acceso del medicamento (resolución expresa de no financiación por el Sistema Nacional de Salud), Osakidetza no puede estimar esta solicitud.

(...) En cuanto a la utilización de medicamentos en otros contextos como ensayos clínicos o su indicación fuera de ficha técnica considerada excepcionalmente en algunos casos, remarca que en los casos de solicitud de Atalureno se han revisado las evidencias disponibles, tras su aprobación condicional y administración en diversos ensayos clínicos, avaladas en su día por la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) sin que las mismas puedan justificar una modificación en las indicaciones financiadas por el Sistema Nacional de Salud.

Toda vez que, en ningún caso, se trata de una medicación cuyo beneficio haya sido contrastado y en la que la Agencia Europea del Medicamento establece 'Preocupaciones sobre posibles problemas de seguridad / eficacia a largo plazo en relación con el uso pediátrico'.

Finalmente, en relación a la alegación de posible 'vulneración del principio de igualdad' frente a otros usuarios a los que se les ha suministrado dicho tratamiento, tanto en el Hospital Sant Joan de Déu como en nuestra Comunidad Autónoma, el DAS señala que, actualmente, este tratamiento no es estimado/aprobado tampoco por el Hospital Sant Joan de Déu, a pesar de los precedentes de casos incluidos previamente en relación con ensayos clínicos y que, por lo tanto, no pueden considerarse una vulneración del principio de igualdad para el acceso a una medicación. Así como que la existencia de pacientes tratados con este fármaco en Euskadi obedece a que se trata de niños incluidos en alguno de los ensayos clínicos o bien por resolución individual del Departamento de Salud en el período en que la efectividad del fármaco no disponía de estudios de contraste (...)'."

3.- Contrastada esta información con la promotora de la queja se formuló una segunda petición de información a la Dirección General de Osakidetza, trasladando ciertas consideraciones que se exponen a continuación.

Consideraciones

Primera.- De la lectura del informe remitido por Osakidetza cabe extraer, en síntesis, que, debido a la incertidumbre existente respecto a la eficacia del medicamento cuya financiación se solicita, el mismo ha obtenido una resolución expresa de no



financiación por la Cartera Básica del Sistema Nacional de Salud y no se encuentra ni comercializado ni incluido en la prestación farmacéutica de este Sistema.

Sin embargo, aunque es cierto que la legislación consagra la obligatoriedad de la autorización por la agencia de medicamentos correspondiente antes de que un medicamento pueda comercializarse y que dicha autorización de comercialización recoge las condiciones de uso en las que el medicamento debe prescribirse, también lo es que la normativa reconoce, en casos excepcionales, mecanismos para que determinados pacientes graves puedan acceder a los tratamientos que necesitan, aunque estos no estén autorizados o vayan a utilizarse en condiciones distintas de las autorizadas, para los casos en los que no existan medicamentos aptos para ellos.

En efecto, el Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales, establece una excepción a las garantías generales de autorización de comercialización, posibilitando, en primer lugar, la prescripción y aplicación de medicamentos no autorizados a pacientes no incluidos en un ensayo clínico con el fin de atender necesidades especiales de tratamientos de situaciones clínicas de pacientes concretos. Este acceso a medicamentos en investigación se conoce como *uso compasivo* y resulta de aplicación en situaciones clínicas comprometidas, entendiéndose como tales las enfermedades crónicas o gravemente debilitantes o aquellas que ponen en peligro la vida del paciente, y que no pueden ser tratadas satisfactoriamente con un medicamento autorizado y comercializado.

Además, la norma posibilita la prescripción de medicamentos autorizados cuando se utilicen en condiciones distintas a las autorizadas. Estos usos excepcionales de medicamentos en condiciones diferentes de las autorizadas caen dentro de la esfera de la práctica clínica, y por tanto, en el ámbito de responsabilidad del médico prescriptor.

Finalmente, se posibilita la importación de medicamentos no autorizados y destinados a su utilización en España, cuando, como en el caso que nos ocupa, estén legalmente autorizados en otros países, y ello resulte imprescindible para la prevención, el diagnóstico o el tratamiento de patologías concretas por no existir en España alternativa adecuada autorizada para esa indicación concreta o por situaciones de desabastecimiento.

En definitiva, la norma citada establece una serie de excepciones al régimen general con la finalidad de salvar una vida humana o la búsqueda de una determinada calidad de vida.

Segunda.- En el presente caso, resulta importante resaltar que el medicamento ha sido prescrito al menor en varias ocasiones por los facultativos que le asisten (.).

Es decir, que estos profesionales, como especialistas en la enfermedad de Duchenne y conocedores de la situación clínica del menor, han justificado la idoneidad del medicamento solicitado, medicamento que puede suponer el retraso de la

enfermedad y que de no aplicarse, acabará afectando de manera grave a la salud del menor.

Es por ello que el Ararteko, en la segunda petición de información formulada a Osakidetza, planteaba la duda de si en la denegación del medicamento por parte del ente público se había valorado su idoneidad de forma individual y concreta para el problema de salud del menor, y la posibilidad de acceder al fármaco por la vía de la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales previstas por la normativa.

Tercera.- Así mismo se consideró oportuno señalar que, tal y como había invocado también la interesada, en la respuesta de Osakidetza no se hacía ninguna referencia a la posible vulneración del *"Interés Superior del Menor"* cuando, de manera no suficientemente motivada, se rechaza la solicitud del uso especial de medicamentos (permitido, como ya hemos avanzado, por el Real Decreto 1015/2009), sin considerar los parámetros clínicos y los principios bioéticos que avalan el interés superior del menor.

Resulta sabido que en nuestra legislación, el artículo 2 de la Ley Órgánica de Protección Jurídica del menor dispone que, a efectos de la interpretación y aplicación en cada caso del interés superior del niño, se tendrán en cuenta una serie de criterios generales (sin perjuicio de los establecidos en la legislación específica), que se ponderarán teniendo en cuenta una serie de elementos generales, que no constituyen una lista cerrada. A su vez, estos elementos se valorarán conjuntamente conforme a los principios de necesidad y proporcionalidad. Por último, el artículo señala que cualquier medida que se tome en el interés superior del niño deberá ser adoptada respetando las debidas garantías del proceso. Así, a la hora de explicar cómo deben los profesionales evaluar el interés superior del niño en la toma de una decisión que les afecte, se deberán tener en cuenta los citados conceptos: criterios generales, elementos generales y principios de necesidad y proporcionalidad.

En relación con esta cuestión se pronunció el Tribunal Superior de Justicia de Murcia, en su sentencia de fecha 19 de julio de 2019, que estimó el recurso contencioso administrativo presentado por la familia de un menor, condenando al Servicio de Salud de Murcia a financiar y suministrar el Atalureno a un niño que cumplía todos los requisitos y cuyo tratamiento fue prescrito por los profesionales del Servicio de Neuropediatría del Hospital Virgen de la Arrixaca de Murcia y no suministrado por la negativa de la Consejería de Salud Murciana, y cuyo fundamento de derecho número cuatro señala:

"(...) Por último, indicar que en ningún momento se ha tenido en cuenta el interés superior del menor, regulado en la L.O de Protección Jurídica del Menor (art.2) al adoptar la decisión de no financiar el tratamiento, ni tampoco la explicación dada por el testigo (jefe del Servicio de Neuropediatría) respecto de la concurrencia de los principios bioéticos más básicos para entender que la solicitud de dicho tratamiento no solo se basa en una cuestión técnica rigurosamente elaborada sobre el trabajo del Servicio tratante, sino que además es desde el punto de vista bioético éticamente justa. Por tanto, esa vulneración del interés superior del menor, se produce cuando por criterios meramente económicos y de manera inmotivada se rechaza la solicitud del uso compasivo o esencial (permitido excepcionalmente por el art.17 del RD 105/2009) sin considerar estos

parámetros clínicos y los principios bioéticos que avalan el interés superior del menor (...).”

Cuarta.- Por último, en la segunda petición de información remitida a Osakidetza se planteó por esta institución que la denegación del medicamento podía implicar, asimismo, una vulneración del principio de igualdad del artículo 14 de la CE, debido a que en situaciones similares a la que nos ocupa se estaba dispensando el medicamento, tanto en esta comunidad autónoma como en otras, siendo absolutamente irrelevante, tal y como se recoge en el mismo fundamento cuarto de la sentencia a la que ya nos hemos referido, la forma a través de la cual se ha producido dicha dispensación:

“(...) Sin embargo, este Tribunal sí tiene claro que la falta de suministro del referido tratamiento vulnera el derecho a la igualdad (art.14 CE), pues como ha quedado demostrado, existen en todo el territorio español menores que están recibiendo el tratamiento financiado por las correspondientes comunidades autónomas como ha acreditado la parte recurrente con la información aportada a este procedimiento que facilitó la AEMPS. Además, en esta Región existe otro menor que padece la misma enfermedad con las mismas características, en el subgrupo de codón stop, que está recibiendo el tratamiento con atalureno sufragado por fondos públicos, siendo de destacar que, aunque se reconociera el derecho antes de que se excluyera el medicamento de los que pueden ser financiados por la Seguridad Social, continúa siendo administrado con posterioridad (...).”

En este sentido se consideró de crucial importancia señalar que en el informe remitido por la Dirección General de Osakidetza, se afirmaba que:

“(...) actualmente, este tratamiento no es estimado/aprobado tampoco por el Hospital Sant Joan de Déu, a pesar de los precedentes de casos incluidos previamente en relación con ensayos clínicos y que, por lo tanto, no pueden considerarse una vulneración del principio de igualdad para el acceso a una medicación.”

“(...) Sant Joan de Déu Ospitaleak ere ez duela gaur egun tratamendu hori aintzat hartzen/onartzen, lehen saiakuntza klinikoetan erabiltzen bazuen ere, eta, beraz, ezin da esan medikamentu batekiko sarbideari lotutako berdintasun-printzipioa urratzen denik.”

En contra de esta afirmación, la interesada hizo llegar a esta institución el parte de la consulta mantenida con su médico especialista del citado Hospital Sant Joan de Deu en fecha posterior a la emisión del informe, en el que nuevamente el facultativo hace constar que su hijo cumple los criterios establecidos por la EMA para el uso de Atalureno.

Quinta.- En respuesta a esta segunda petición de información, mediante escrito de la directora general de Osakidetza, se informó a esta institución que:

“El último informe médico del Servicio de Neurología del Hospital de Sant Joan de Déu indica que ‘el paciente cumple los criterios establecidos por la EMA para el uso de atalureno: paciente con DMD, sintomático, ambulante de dos años’, lo que significa únicamente que se ajusta a la indicación de la



ficha técnica del medicamento. Este informe no se acompaña ni de nuevas evidencias sobre los efectos de atalureno ni se detallan los objetivos terapéuticos ni los beneficios esperables en el paciente con atalureno.

Por todo ello, se solicitará al médico de referencia de Osakidetza del menor en el tratamiento de su enfermedad para que establezca el mejor plan terapéutico individualizado, en función del balance beneficio/riesgo del medicamento y detallando los beneficios esperables en el paciente, todo ello con el objetivo de incrementar la evidencia sobre si atalureno genera o no suficiente beneficio terapéutico, lo que no ha quedado acreditado por los estudios clínicos precedentes.

Finalmente, la promotora de la queja ha comunicado a esta institución que el pasado 9 de diciembre de 2021 Osakidetza aprobó el tratamiento de su hijo con Atalureno.

Por todo ello se emite la siguiente,

Conclusión

El Ararteko acuerda el cierre del expediente, al considerar solucionada la cuestión que dio lugar a la presentación de la queja.