

Gennaro, María Veronica

**La evolución de la judicialización en
casos de pacientes con atrofia
muscular espinal (AME): la acción de
amparo y el proceso cautelar anexo
desde 2016**

**Tesis para la obtención del título de posgrado de
Especialista en Derecho Judicial y de la
Judicatura**

Directora: Palacio de Caeiro, Silvia

Documento disponible para su consulta y descarga en Biblioteca Digital - Producción Académica, repositorio institucional de la Universidad Católica de Córdoba, gestionado por el Sistema de Bibliotecas de la UCC.



[Esta obra está bajo una licencia de Creative Commons Reconocimiento-No Comercial-Sin Obra Derivada 4.0 Internacional.](https://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/)



Universidad Católica de Córdoba
Facultad de Derecho y Ciencias Sociales

ESPECIALIZACIÓN EN DERECHO JUDICIAL Y DE LA JUDICATURA

TESINA

**LA EVOLUCIÓN DE LA JUDICIALIZACIÓN
DE CASOS DE PACIENTES CON ATROFIA
MUSCULAR ESPINAL (AME).
LA ACCIÓN DE AMPARO Y EL PROCESO
CAUTELAR ANEXO DESDE 2016.**

Autor: Ab. Ma. Verónica Gennaro
Directora: Dra. Silvia Palacio de Caeiro

Córdoba – Argentina

Septiembre - 2022

*Especialmente a Facundo,
por ser un ejemplo de superación y resiliencia
y en él a los niños, niñas, adolescentes y jóvenes
que enfrentan la Atrofia Muscular Espinal
y atraviesan desafíos impensados.*

Agradecimientos:

A la Dra. Silvia Palacio de Caeiro

Por su guía.

A la Dra. Virginia Cáceres de Irigoyen

Por su impulso.

*“El juez es el administrador de la Justicia;
con ley, sin ley o contra ley. Porque el valor justicia
prevalece sobre la ley y nuestra Constitución
así lo deja entrever a quienes saben comprenderla,
cuando manda en el Preámbulo “Afianzar la Justicia”.”*

Bidart Campos

INDICE.

1. Introducción -----	11
2. Objetivos -----	19
2.1. Objetivos Generales. -----	19
2.2. Objetivos Específicos -----	19
3. Impacto de la Investigación Propuesta. -----	20
4. Marco Teórico. -----	21
4.1. Antecedentes Constitucionales, Normativos y Jurisprudenciales. Derecho a la Vida, Derecho a la Salud, Garantía Constitucional de Amparo-----	21
4.2. La protección integral de las Personas con Discapacidad – EPOF - AME. -----	31
4.3. El Derecho Humano a la Mejor calidad de Vida Posible. -----	42
4.4. Aspectos de Bioética: Dilema Ético. -----	45
4.5. Medicamentos Huérfanos. -----	54
4.6. Argumento Económico. -----	56
4.7. El amparo de Salud -----	62
4.7.1. Proceso Cautelar Anexo -----	70
5. Derecho Comparado -----	78
5.1. Canadá -----	80
5.2. Alemania -----	82
5.3. Francia -----	83
5.4. Australia -----	84
5.5. Inglaterra -----	85
5.6. Italia -----	86
5.7. EEUU -----	88
5.8. Chile -----	89
5.9. Uruguay -----	95
6. Metodología de la Investigación -----	97

7. Conclusión-----	97
8. Bibliografía -----	103
8.1. Trabajos Citados -----	107
8.2. Jurisprudencia -----	112
9. Anexo I -----	115
10. Anexo II -----	120

ABREVIATURAS.

EPoF - EPF Enfermedades Poco Frecuentes o enfermedades raras

AME - SMS Atrofia Muscular Espinal - spinal muscular atrophy

OMS Organización Mundial de la Salud

ANMAT Agencia Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnologías

FDA Food and Drug Administration - EEUU

EMA European Medicines Agency

PMO - FTM Plan Médico Obligatorio -

PIDESC Pacto Internacional de Derechos Económicos, Sociales y Culturales

CDPD convención sobre los Derechos de las Personas con Discapacidad

CN Constitución Nacional

CSJN Corte Suprema de Justicia de la Nación

TSJ Tribunal Superior de Justicia

SISA Sistema Integrado de Información Sanitaria Argentino

EPAR European Public Assessment Report

UE Unión Europea

REM Registro de Especialidades Medicinales

REAM Régimen de Acceso de Excepción a Medicamentos No Registrados
(ex Uso Compasivo)

OSPSA Obra Social del Personal de Sanidad Argentina

OSSMA Obra Social Modelos Argentinos

OSFATUM Obra Social de los Trabajadores no Docentes de las Universidades Nacionales

APROSS Administración Provincial de Seguro de Salud

OSDE Organización de Servicios Directos Argentinos

VIH Virus de Inmunodeficiencia Humana

CEE Comunidad Económica Europea

CADTH Canada's Drug and Health Technology Agency

IQWiG Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen - Alemania

G-BA Gemeinsame Bundesausschuss - Alemania

ASMR Alta Autoridad Sanitaria Francesa

ATU Agencia Austríaca de Medicamentos y Productos Sanitarios

PBAC Pharmaceutical Benefits Advisory Committee - Australia

NICE National Institute for Health and Clinical Excellence – Reino Unido

AVAC Años de Vida Ajustados por Calidad

SSN Servizio Sanitario Nazionale - Italia

AIFA Agencia Italiana del Fármaco

ENT Enfermedades no Transmisibles

Sumario: 1. Introducción. 2. Objetivos: 2.1. Objetivos Generales. 2.2. Objetivos Específicos 3. Impacto de la Investigación Propuesta. 4. Elaboración del marco teórico. 4.1. Antecedentes. 4.2. La protección integral de las Personas con Discapacidad – EPOF - AME. 4.3. El Derecho Humano a la Mejor calidad de Vida Posible. 4.4. Aspectos de Biomedicina y Bioética: Medicamentos Huérfanos. 4.5. El amparo de Salud: razonabilidad de los plazos. 4.6. Derecho Comparado. 5. Metodología de la Investigación. 6. Conclusión. 7. Propuesta. 8. Bibliografía. 9. Anexo I.

Resumen.

El presente trabajo pretende evidenciar algunas cuestiones relevantes sobre la dificultad en el acceso al tratamiento farmacológico con medicamentos huérfanos de los pacientes con la patología denominada Atrofia Muscular Espinal (AME) – catalogada como Enfermedad Poco Frecuente (EPoF) (RESOL-2021-641-APN-MS, 2021).

Garantizar el pleno goce del Derecho a la Salud (Gelli M. A.) a los pacientes AME representa desde finales del año 2016 un desafío para el sistema sanitario argentino y mundial, porque se trata de una enfermedad grave que, por su baja prevalencia, escaso conocimiento, complejidad, alto grado de especialización para su diagnóstico y elevado costo de los noveles medicamentos, genera un artificial “dilema ético” entre las posibilidades creadas a partir de la innovación tecnológica y los límites impuestos por las políticas sanitarias y los recursos disponibles, a la luz del “Principio de Progresividad” que informa los Derechos Humanos y, confluyendo irrefrenablemente en la judicialización (Acción de Amparo); los pacientes buscan de soluciones individuales, todas enmarcadas en el reconocimiento de un derecho social operativo, cuya trascendencia es reconocidamente universal.

Esa consabida tensión entre la innovación tecnológica promovida por la industria farmacéutica con el efectivo y oportuno acceso a la misma de los pacientes que padecen Atrofia Muscular Espinal (AME), desde la aprobación en 2016 del primer tratamiento para

la patología por parte de la FDA (EEUU) y, en 2017 por parte de EMA (Europa); provocó una inusitada judicialización – vía amparo de Salud (art. 43 C.N.), para lograr el acceso a dicho tratamiento. Una Realidad judicial que no es propia, sino que se refrenda en gran parte del Derecho Comparado.

A partir de ello, se pretende visibilizar los aspectos más relevantes de la compleja judicialización como única vía posible de ejercicio pleno del Derecho a la Vida, a la Salud y la insuficiencia de tal proceso –actualmente ordinarizado-, para acceder a la protección deseada por el paciente, fundamentado en la incompatibilidad entre los tiempos procesales y el avance natural de la enfermedad, la consecuente pérdida irrecuperable de calidad de vida a través de funciones motoras esenciales y en los tipos más gravosos de la enfermedad, la pérdida de la VIDA misma. Finalmente, abordar el papel fundamental del Estado y la necesidad de desarrollar políticas sanitarias de protección a los pacientes EPoF – AME superadores del reiterado argumento regresivo de “escases de recursos” y “quiebre del sistema de salud en desmedro de la mayoría de la población que adolece de otras diversas patologías”.

Palabras Claves: Derecho a la Vida. Atrofia Muscular Espinal. Derecho a la Salud. Discapacidad. Innovación tecnológica. Medicamentos Huérfanos. Judicialización del Derecho a la Salud. Acción de Amparo. Medida Cautelar Innovativa. Ordinarización. Escases de Recursos. Costos. Política Sanitaria.

1.- Introducción.

El presente trabajo aborda la compleja situación que enfrentan las personas que padecen Atrofia Muscular Espinal (Enfermedad Poco Frecuente), para acceder a los nóveles tratamientos farmacológicos que por su elevadísimo costo, resultan inaccesibles. Conlleva entonces, a ejercer prácticamente una única vía, cual es la judicialización de la política de salud, bajo la pretensión de tutela efectiva del Derecho a la Salud como un derecho social operativo; fundada en la obligación que el Estado Nacional ha asumido por convenciones internacionales y que sea han incluido hace varias décadas con rango constitucional a la Carta Magna, observando como principio rector la autonomía personal.

Sin embargo, una línea divergente atraviesa sostenidamente la pretenciosa protección del Derecho a la Salud, por medio de indicadores que demuestran las dificultades que, en realidad enfrentan las personas con esa patología. Así, a partir de los antecedentes jurisprudenciales que dan sustento al presente trabajo –amparos de salud en pacientes que solicitan tratamientos farmacológicos para Atrofia Muscular Espinal (AME)- se plantea el cuestionamiento si aquel, resulta ser fácticamente el remedio judicial más idóneo para garantizar el efectivo goce del Derecho a la Salud que importa una obligación estatal positiva, es decir, la articulación de una política sanitaria pública que a su vez, depende de la asignación de partidas presupuestarias suficientes (Clerici), o si por el contrario, se debe mantener el actual proceso judicial, plagado de vericuetos procesales y otros de excedencia jurídica, que configuran asimismo la afectación de otras garantías básicas del Estado de Derecho (Gelli M. A., 2015) (Debido Proceso Adjetivo y Principio de Razonabilidad).

El Amparo es por definición es un proceso sumarísimo, simplificado en su aspecto temporal, una acción expedita y rápida, sin obstáculos procesales, ni dilaciones; su principal objeto es reparar de modo urgente y eficaz un derecho fundamental vulnerado por la autoridad pública o por un particular. También, es un medio de impugnación extraordinario. La función del amparo en términos generales en nuestro ordenamiento jurídico, consiste en examinar la legitimidad del o los actos impugnados con la finalidad de

lograr, el cese y/o la anulación del acto lesivo del derecho fundamental, restableciendo el pleno ejercicio este último (Díaz Sokime, 2003).

La Acción de Amparo cuya creación jurisprudencial acontece entre 1957/1958 a partir de los casos “*Siri*” y “*Kot*”, fue incorporada al plexo constitucional en la Reforma Constitucional de 1994, a través del vasto artículo 43 juntamente con otras garantías constitucionales como el *Habeas Corpus* y el *Habeas Data*, que resultan ser directamente operativas y aplicables aun sin reglamentación legislativa (Gelli M. A., 2015). No obstante su inclusión en la Carta Magna, previamente había sido regulada por una Ley Nacional de Acción de Amparo (Ley N° 16.986, 1966), en la Provincia de Córdoba recibió sanción legislativa mediante Ley Provincial de Amparo (Ley Provincial N° 4915, 1967). La configuración legislativa resultó concordante con la doctrina de la CSJN, como acción expedita y rápida, cuya admisibilidad se subordina a la inexistencia de un medio judicial más idóneo contra el acto u omisión de autoridades públicas o de particulares, que en forma actual o inminente lesione, restrinja, altere o amenace, con arbitrariedad o ilegalidad manifiesta, los derechos y garantías reconocidas por la Constitución, un tratado o una ley; ergo, conserva un carácter excepcional, “*no ordinario*”.

Este escenario, nos lleva a plantear la necesidad de repensar el proceso judicial de Amparo que conlleva actualmente un proceso cautelar anexo -principalmente utilizado a través de la “*Medida Cautelar Innovativa*” (326CS)- para alcanzar en un plazo “razonable” la obtención de la prestación farmacológica (inicio del tratamiento – 4 dosis), al que demandará la resolución de la pretensión principal, en procura de evitar un daño.

La medida cautelar innovativa, que por naturaleza jurídica no causa estado y no puede ser considerada un adelanto de opinión, implica una decisión provisional que se ordena sin perjuicio del tratamiento y resolución de la pretensión principal objeto de la Acción de Amparo; sin embargo, a partir de los antecedentes jurisprudenciales que integran el Anexo I del presente trabajo se observa que verdaderamente la procedencia de la medida cautelar zanja el resultado de la acción.

La relevancia del proceso cautelar dentro del proceso de amparo, radica así en impedir que el derecho cuyo reconocimiento se peticiona a través del proceso principal pierda virtualidad por el transcurso del “tiempo” que ocurre entre interposición de la

acción y el pronunciamiento de la sentencia definitiva, fundamentalmente desde la perspectiva de la Vulnerabilidad de la Discapacidad¹ (100 Reglas de Brasilia).

Entendemos además que se trata de casos singulares en los cuales el criterio médico debe ser considerado “criterio de autoridad”, como argumento de refuerzo de la resolución para acreditar los elementos configurativos de la procedencia cautelar².

Se impone reflexionar y abordar el presente trabajo, razonando que la enfermedad coloca al ser humano en un terreno de desamparo y más aún en relación a las Enfermedades Poco Frecuentes o Raras; como expresa el Dr. Andruet, la enfermedad es una relación paradigmática de sufrimiento que se erige como arquetipo de sufrimiento (Andruet, Bioética y Derecho., 2008). Centrándose en la patología Atrofia Muscular Espinal la cual además, integra el elenco de las Enfermedades Raras o Poco Frecuentes (E.Po.F.), conforme lo ha determinado la O.M.S. Afectan a un número limitado de personas con respecto a la población en general.

Se considera E.Po.F. a la patología que **afecta a 1 persona cada 2.000 habitantes**, aunque no hay una definición universal sobre la prevalencia que se utiliza para definir lo “**poco frecuente**” y varía conforme la normativa de cada país. Afectan de modo directo al 8% de la población mundial (Disease) -350 millones de personas en el mundo- y a 3.5 millones de personas en Argentina. Sin embargo, no se puede soslayar el impacto que representa la presencia en el seno familiar de un integrante con una enfermedad poco frecuente, de tal modo, realmente la cantidad de personas afectadas de modo indirecto adquiere relevancia social, ascendiendo al 25% de la población mundial (Parlamento, 2008).

¹ - Reglas de Brasilia sobre Acceso a la Justicia de las Personas en condición de Vulnerabilidad.

3.Discapacidad

(7) Se entiende por discapacidad la deficiencia física, mental o sensorial, ya sea de naturaleza permanente o temporal, que limita la capacidad de ejercer una o más actividades esenciales de la vida diaria, que puede ser causada o agravada por el entorno económico y social.

(8) Se procurará establecer las condiciones necesarias para garantizar la accesibilidad de las personas con discapacidad al sistema de justicia, incluyendo aquellas medidas conducentes a utilizar todos los servicios judiciales requeridos y disponer de todos los recursos que garanticen su seguridad, movilidad, comodidad, comprensión, privacidad y comunicación.

² Durante la investigación realizada con el propósito de plasmar el presente trabajo, hemos tomado conocimiento que algunos profesionales médico han enfrentado denuncias ante los tribunales de ética profesional de sus respectivos Colegios/Consejos; otros han sido cuestionados por su prescripción médica de medicamentos como Nusinersen. Ello impone pensar, que se parte de un silogismo incorrecto que ponen en duda el conocimiento científico y la ética que debe imperar en el actuar médico.

Estas patologías raras en su mayoría tienen origen genético, son crónicas, degenerativas y, en muchos casos, producen algún tipo de discapacidad. Una importante cantidad de ellas son graves y ponen en serio riesgo la vida de los pacientes que suelen afrontar dificultades de diagnóstico, e imposibilidad de acceder a tratamientos adecuados principalmente por causas económicas. Las EPoF en general y en particular la AME, siguen siendo invisibles para la mayoría de los profesionales de la salud, autoridades gubernamentales, industria y sociedad en general, ello debido a que como expresa el Dr. Andruet, *“El concepto de salud perfilado desde el Derecho Judicial tiene una entidad debilitada del Derecho a la Salud. Se advierte un derecho a la salud equivalente a la asistencia sanitaria personal de los ciudadanos y no uno que tenga carácter de auténtica inclusividad social desde lo sanitario... como un sinónimo de incolumidad individual, física y psíquica que se ha visto afectado en un conflicto bilateral y no, como un Bien Social, público, colectivo que resulta de la conjunción del Derecho a la vida, a la integridad psicofísica y la libertad...”* (Andruet, Las fronteras del Derecho a la Salud, 2003)

La O.M.S. estima que mundialmente hay entre 6.000 y 8.000 enfermedades poco frecuentes actualmente identificadas. Si bien, se caracterizan por la baja prevalencia de cada una de ellas, la cantidad de afectados por dichas enfermedades en Argentina (SALUD, 2021) es de aproximadamente 3.200.000 personas, en particular, se estima que padecen Atrofia Muscular Espinal (I, II, IIIa/b, IV) aproximadamente 400 personas en su inmensa mayoría niños, adolescentes y jóvenes (<https://www.fameargentina.com.ar>). Asimismo, el origen de muchas de estas patologías permanece aún desconocido o bajo investigación, lo que dificulta la obtención de diagnósticos y tratamientos que se destacan por su condición de experimentales y su elevadísimo costo.

La Atrofia Muscular Espinal, es una enfermedad genética, progresiva y, a menudo, terminal de afectación sistémica, entre otras la habilidad del individuo para caminar, deglutir, deambular y, finalmente, respirar. La AME, debilitante y frecuentemente fatal, afecta aproximadamente a 1 de cada 10.000 individuos y es la principal causa genética de muerte en lactantes (Biogen, s.f.). Representa a un grupo de desórdenes neuromusculares caracterizados por la degeneración de las motoneuronas alfa del asta anterior de la médula espinal, producto de una delección homocigota en el gen SMN1 en 95% de los pacientes.

Un porcentaje menor son heterocigotos compuestos, afectados por una delección y una mutación puntual intragénica en SMN1. Este gen se ubica en el brazo largo del cromosoma 5, en la posición 5q13.

Las manifestaciones clínicas más evidentes son la debilidad muscular y la amiotrofia progresiva, que pueden llevar a una parálisis de la musculatura involucrada. Los pacientes presentan un fenotipo variable, y se agrupan en cuatro tipos según la máxima función motora alcanzada:

Tipo I, que nunca logra sedestación y fallece antes de los dos años sin soporte tecnológico, particularmente de apoyo ventilatorio prolongado.

Tipo II de inicio más tardío y que logra sentarse,

Tipo III que alcanza marcha independiente y

Tipo IV, que se presenta en la edad adulta.

Es una enfermedad de herencia autosómica recesiva, con una incidencia estimada de 1:6.000 a 1:10.000 recién nacidos vivos, y una frecuencia de portadores de 1:35 a 1:50. La esperanza de vida de la población con AME ha mejorado considerablemente en las últimas décadas debido al avance tecnológico y médico, por lo que optimizar la calidad de vida es un tema central en el tratamiento y destacado en los estándares internacionales de cuidados interdisciplinarios en AME. (Pilar Vega, Carole Glisser, Claudia Castiglioni, Ma. Virginia Amezquita, Marife Quirola y Marife Barja, 2020)

Acceder al efectivo goce del Derecho a la Salud y a la Mejor Calidad de Vida posible cobran particular importancia en torno a las personas con diagnóstico EPoF- AME, por ser especialmente vulnerables. Como expresó Bidart Campos, ante el Senado de la Nación en 1994, en oportunidad de la reforma constitucional “...*insistir de manera firme, en generar una educación ciudadana en la salud y para salud, la cual presupone hacer entender a los ciudadanos y antes también al Estado que los muchos o pocos recursos que se asignan a la salud, deben ser paradójicamente hablando sanamente ordenados... ciudadanos sin salud no tiene proyección de vida, no tienen adecuado índice de alfabetización, no tienen en definitiva espacio para ninguna vida digna...*”

Así el Derecho a la Salud, entendido como un “Bien”, ese bien que algunos usaran más que otros, conforme su necesidad, y es precisamente ese el criterio que entendemos debe predominar en las decisiones políticas primero y judiciales ante el caso particular.

Asociado al concepto de enfermedades poco frecuentes se encuentra el de **medicamentos huérfanos**³. Constituyen el único tratamiento alcanzado para algunas E.Po.F., su gestión y dispensación reviste características especiales y complejas sujetas a intrincadas y mutables normativas regulatorias en cada país, donde no pareciera predominar el criterio médico, ni el cumplimiento de las obligaciones Estatales asumidas internacionalmente, ni el respecto del citado principio de progresividad. Dada la previsión de baja rentabilidad de la investigación y desarrollo de estos medicamentos como consecuencia del escaso número de enfermos potenciales, devienen excesivamente costosos, alcanzando la categoría de “*estrango*” por ello en este escenario planteado, resulta menester repensar estrategias político-socio-sanitarias específicas, en tanto las existentes, vulneran la protección y goce del Derecho a la Salud.

Para la comercialización de Nuevas Especialidades Medicinales (N.E.M.), las agencias reguladoras latinoamericanas basan sus decisiones en las acciones realizadas por los “*países de alta vigilancia*” tales como EE.UU, Japón, Australia, países seleccionados de Europa (E.M.A.), es decir, que no rechazan autorizaciones de comercialización cuando el producto ya ha sido comercializado en dichos países (Homedes, 2016, Vol. 12). En nuestro país, las decisiones en materia de medicamentos, son avaladas por el Decreto N ° 150 del año 1992 (Decreto 150/1992 - Medicamentos), siendo Autoridad de Aplicación - Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (A.N.M.A.T.) (Cañas, Martín Buschiazzo, Hector Urtasun, Martín, 2019).

Mucho se ha discutido y se discute pese a ser un tema ya zanjado por la CSJN, sobre la implicancia de la inclusión en el Plan Médico Obligatorio (PMO) de las

³ Los medicamentos específicamente desarrollados para tratar enfermedades poco frecuentes, muy graves o que causan una amenaza para la vida son llamados “**medicamentos huérfanos**” según la definición de la Agencia Europea para la Evaluación de Medicamentos (EMA).

Estos medicamentos, en su gran mayoría, son la única opción terapéutica disponible para un número de EPOF. Por ello, se los considera de alto valor terapéutico que muchas veces viene asociado también a altos costos de I+D.

Si bien el interés de las compañías farmacéuticas de medicamentos huérfanos está creciendo, aun en la actualidad existe un número muy escaso de éstas drogas destinadas a ralentizar las enfermedades y aún menos las destinadas a curarlas. <http://www.eurordis.org/es/content/promover-el-desarrollo-de-un-medicamento-huerfano>

especialidades medicinales relativas a tratamientos para la patología bajo análisis y el alcance la obligación de provisión de tratamientos farmacológicos no incluidos en él. Sin embargo, no debe perderse de vista que el PMO fue concebido como un régimen mínimo de prestaciones a garantizar, no se puede concluir que configure un límite máximo del cual se derive la negación del derecho a la vida y a la salud de las personas.

El argumento repetidamente esgrimido sobre la ausencia de obligación de cobertura de los agentes de salud y el propio Estado (Nacional/Provincial) a partir de la no inclusión en primer momento y posteriormente por su exclusión del PMO, de Nusinersen/Spinraza a través de resolución ministerial N° 1115 de fecha 26.06.20 del Ministerio de Salud de la Nación que, en su Art. 1° deroga la Resolución N° 1452/2019SGS, pero en su Art. 2° mantiene tal obligación de garantizar la continuidad de la cobertura de los tratamientos de pacientes con AME en los tipos IIIA que se iniciaron durante la vigencia de la derogada Res. N° 1452/19 SGS.

El Superior Tribunal de Justicia de Rio Negro (2019) ha dicho con relación al reiterado argumento económico: “ *...cuando están en juego el derecho a la vida o a la salud e integridad física de una persona, las instituciones que integran el sistema nacional de salud deben extremar al máximo los servicios que proporcionan a fin de lograr la recuperación del paciente, incluso más allá de las exigencias del PMO, dado que éste fue concebido como un régimen mínimo de prestaciones que se deben garantizar (piso prestacional), que no puede derivar en una afectación del derecho a la vida y a la salud de las personas (primer derecho de la persona garantizado por la Constitución Nacional y tratados internacionales), valor fundamental respecto del cual los restantes valores tienen siempre carácter instrumental...* ”.

Se pretende asimismo, analizar la evolución normativa y jurisprudencial en el Derecho Comparado a partir de 2016, para evidenciar los diferentes impactos provocados sobre los sistemas sanitarios y las estrategias asumidas en cada país desde que F.D.A. y en 2017 E.M.A. aprobaron el primer tratamiento (NUSINERSEN/SPINRAZA) para la patología A.M.E. Con posterioridad, se han desarrollado otros tratamientos cuyos nombres comerciales son Zolgensma y Risdiplam, que no serán profundizados individualmente en este trabajo.

Finalmente, resulta trascendente abordar un aspecto transversal a la garantía constitucional del derecho humano a la salud y radica en el argumento económico que coloca al paciente en una situación conflictiva, porque el Estado a través de su sistema sanitario estructurado no tiene resuelta de antemano la protección de estas situaciones de vida graves y excepcionales; los pacientes para lograr el acceso a alguno de los tratamientos que actualmente se encuentran aprobados por F.D.A. y E.M.A., no solo deben enfrentar el aciago argumento de “*quebrantar el Sistema Sanitario en general y perjudicar al resto de la población*”, sino recurrir en cada caso particular a la instancia judicial como “*única*” alternativa, con complejas incidencias..

Ese insistente cuestionamiento, sobre cuántos recursos demandan unos pocos ciudadanos pacientes diagnosticados con AME y su negativa incidencia sobre el resto del universo sistema sanitario, con el propósito de relegar la obligación del Estado devine falazmente halagador. Precisamente, porque la salud reiteramos es un “bien” que algunos van a consumir más que otros, un bien que el ciudadano espera sea distribuido de acuerdo con la necesidad como criterio dominante.

El sistema de salud en definitiva resulta un reflejo del sistema social, la judicialización de la política sanitaria en defensa de derechos humanos, particularmente el derecho a la salud y a la mejor calidad de vida posible de los pacientes con diagnóstico AME, ha puesto de alguna manera al poder judicial en el eje de la transformación de la escena política, a través de sus debatidas decisiones.

La CSJN desde los fallos “*Cisilotto*” y “*Campodónico Beviacqua*” sentó pautas de actuación judicial dirigidas a los demás poderes y a los partícipes del sistema sanitario, a partir de la aplicación del Principio de Progresividad y el Control judicial Constitucional. Sin embargo, el proceso de Amparo ha sufrido una reprochable ordinarización, irrogando un plazo de tramitación incompatible con el devenir de la patología en estudio, en ese sentido, el paciente que ya sufre la vulneración de sus derechos obligado a recurrir a la instancia judicial, debe asumir también el costo de ese proceso que no será breve y que solo en lo relativamente cercano, podrá tal vez, permitirle acceder de manera provisoria que aun cuando fuere concedida en términos aceptables, puede ser incumplida por el obligado, tanto tiempo como éste último estime conveniente, porque en realidad aun

cuando se apliquen sanciones pecuniarias (Astreintes), ellas resultan convenientes en términos económicos, en relación a la erogación que representa la provisión de la medicación inicial (4 dosis de carga a suministrar en 0 – 15- 28 – 63 días) y de ese modo el Estado seguirá o permitirá seguir consumiendo un tiempo irrecuperable para el paciente que, en los tipos más graves de la enfermedad significarán la pérdida de la su autonomía, dignidad y la propia vida. (Véase Anexo I: Causa N° 11787; N° 85180; N° 31335; N° 85657, entre otros.)

2. Objetivos.

2.1. Objetivos Generales.

Nos proponemos analizar la aptitud fáctica de la protección constitucional y convencional del Derecho a la Vida, a la Salud, a la Mejor Calidad de Vida en nuestro ordenamiento, a partir de la Acción de Amparo como procedimiento que permita a los pacientes que padecen AME (I, II, IIIa/b, IV) acceder al efectivo y oportuno goce de derechos, a la luz de la evolución de jurisprudencia de estas cuestiones de Salud, desde 2016 en adelante, con sustento en los antecedentes contenido en el Anexo.

2.2. Objetivos Específicos.

1. Indagar la jurisprudencia de los Amparos de Salud en diferentes jurisdicciones federales y locales de nuestro país, en torno a la patología poco frecuente – Atrofia Muscular Espinal (A.M.E.). (Tabla – Anexo I).
2. Razonar sobre la inclusión de un proceso cautelar dentro de un proceso judicial definido como expedito y rápido como es la Acción de Amparo, delimitado a cuestiones de Salud.
3. Discernir sobre los argumentos excedencia jurídica (cuestión política-económica, ética, sostenibilidad del sistema sanitario argentino) como factor de judicialización de la E.Po.F. – A.M.E.
4. Evidenciar la protección normativa, judicial y la oportunidad de acceso a tratamientos de los pacientes AME, en el Derecho Comparado.

3. Impacto de la investigación propuesta.

El presente trabajo pretende patentizar que, así como las primeras vacunas, el uso de los antibióticos, el descubrimiento de la estructura del ADN supusieron grandes avances enfocados a vencer y superar enfermedades que modificarán la condición de vida de la

humanidad. La ciencia médica sigue progresando para entender mejor los mecanismos de nuestro organismo con el fin de prevenir, diagnosticar tempranamente y curar patologías que en otro tiempo serían mortales. A través de la investigación se ha logrado acceder a diagnósticos siquiera imaginados hace décadas, ello representa indudablemente un valor incuestionable para la trascendencia del ser humano. No obstante, ese invaluable avance debe ser acompañado por otros que, permitan a las personas (principalmente niños, niñas, adolescentes) con diagnóstico de E.Po.F.- AME, acceder en forma ágil y directa a los tratamientos que la industria farmacológica pone a disposición.

Lo expuesto, nos impulsa a cuestionar, indagar y replantar la Protección de la Vida y el Derecho a Gozar la Mejor Calidad de Vida que nos sea posible, con relación a:

- a) La transversalidad de la cuestión política y el argumento económico de los agentes que integran el sistema de salud creado por el Estado, como principal defensa de los procesos judiciales mencionados y su duración;
- b) la invocación del debido proceso y la garantía de la defensa en juicio de agentes de Salud y del propio Estado, como fundamento de flexibilización de un proceso excepcional; que permite discutir desde la batería normativa procesal, sobre quien debe recaer la obligación de proveer el tratamiento, en tanto, no se cuestiona el diagnóstico AME.
- c) El costo de los medicamentos huérfanos y las exigencias para su provisión de política sanitaria en materia de E.Po.F. y,
- d) el rol que se pretende atribuir sobre la industria farmacéutica, resaltando su lucratividad.

El Perjuicio de la “ordinarización” de nombrada “**acción expedita y rápida de amparo**” en tanto se ha observado en la jurisprudencia analizada la ausencia de la discusión de sobre el diagnóstico de la patología, tampoco se desconoce el tratamiento indicado por el profesional médico; solo adquiere relevancia en función del costo del mismo, sobre quien recaerá la obligación de proveerlo y asegurar el cumplimiento de las exigencias del tratamiento.

Entendemos que nos permitirá identificar cuáles son los factores que determinan la presente y desfavorable realidad fáctica de los pacientes que padecen AME, teniendo

además en cuenta que dentro de la patología, hay diferentes tipos (I, II, IIIa/b; IV) con condiciones desfavorables y valorar la necesidad de preciso cambio.

4.- Marco Teórico.

4.1. Antecedentes Constitucionales, Normativos y Jurisprudenciales.

Derecho a la Vida, Derecho a la Salud. Garantía Constitucional de Amparo.

A partir de la Reforma Constitucional de 1994, la protección del derecho a la vida, el derecho a la salud y a la mejor calidad de vida posible, adquirieron indudablemente mayor intensidad, con la incorporación al plexo constitucional de la *Declaración Americana de los Derechos y Deberes del Hombre*⁴; la *Declaración Universal de Derechos Humanos*⁵; la *Convención Americana sobre Derechos Humanos*⁶; el *Pacto Internacional de Derechos Económicos, Sociales y Culturales*⁷; el *Pacto Internacional de*

⁴ Aprobada por la Novena Conferencia Internacional Americana. Bogotá Colombia, 1948. Artículo I: "Todo ser humano tiene derecho a la vida, a la libertad, a la seguridad de su persona."; Artículo XI: "Toda persona tiene derecho a que su salud sea preservada por medidas sanitarias, sociales, relativas a la alimentación, el vestido, y la asistencia médica, correspondientes al nivel que permitan los recursos públicos y los de la comunidad."; Artículo XVIII: "Toda persona puede concurrir a los tribunales para hacer valer sus derechos. Asimismo debe disponer de un procedimiento sencillo y breve por el cual la justicia lo ampare contra actos de la autoridad que violen, en perjuicio suyo, alguno de los derechos fundamentales consagrados constitucionalmente."

⁵ Adoptada y Proclamada por la Asamblea General de las Naciones Unidas en su Resolución 217 A (III), de 10/12/1948. Artículo 3: "Todo individuo tiene derecho a la vida, a la libertad y a la seguridad de su persona."; Artículo 6: "Todo ser humano tiene derecho, en todas sus partes, al reconocimiento de su personalidad jurídica."; Artículo 8: "Toda persona tiene derecho a un recurso efectivo ante los tribunales nacionales competentes, que la ampare contra actos que violen sus derechos fundamentales reconocidos por esta constitución o por la ley."; Artículo 22: "Toda persona, como miembro de la sociedad, tiene derecho a la seguridad social y a obtener, mediante el esfuerzo nacional y la cooperación internacional, habida cuenta de la organización y los recursos de cada Estado, la satisfacción de los derechos económicos, sociales y culturales, indispensables a su dignidad y al libre desarrollo de su personalidad."; Artículo 25: "Toda persona tiene derecho a un nivel de vida adecuado que le asegure, así como a su familia, la salud y el bienestar, y en especial...la asistencia médica y los servicios sociales necesarios...";

⁶ Pacto de San José de Costa Rica, suscripta el 22/11/1969, en la Conferencia Especializada Interamericana sobre Derechos Humanos. Entrada en vigor 18/07/1978, conforme Art. 74.2 de la Convención. Ley N° 23.054 (1984), Capítulo II – Derechos Civiles y Políticos. Artículo 4 – Derecho a la Vida. "1. Toda persona tiene derecho a que se respete su vida. Este derecho estará protegido por la ley, en general, a partir del momento de la concepción. Nadie puede ser privado de la vida arbitrariamente."; Artículo 5: "1. Toda persona tiene derecho a que se respete su integridad física, psíquica y moral."; Artículo 19: "Todo niño tiene derecho a las medidas de protección que su condición de menor requieren por parte de su familia, de la sociedad y del Estado."; Artículo 25: "1. Toda persona tiene derecho a un recursos sencillo y rápido o a cualquier otro recurso efectivo ante los jueces o tribunales competentes, que la ampare contra actos que violen sus derechos fundamentales reconocidos por la constitución, la ley o la presente Convención, aun cuando la violación sea cometida por personas que actúen en ejercicio de sus funciones oficiales. 2. Los Estados Partes se comprometen: a. garantizar que la autoridad competente prevista por el sistema legal del Estado decidirá sobre los derechos de toda persona que interponga tal recurso; b. a desarrollar las posibilidades de recurso judicial, y c. a garantizar el cumplimiento, por las autoridades competentes, de toda decisión en que se hay estimado procedente el recurso,";

⁷ Adoptado y abierto a ratificación y adhesión por la Asamblea General – Resolución 2200 A (XXI) 16/12/1966. Ley R.A. N° 23.313 (1986). Artículo 12: "1. Los Estados Partes en el presente Pacto reconocen el derecho de toda persona al disfrute del mes alto nivel de vida posible de salud física y mental. 2. Entre las medidas que deberán adoptar los Estados Partes en el Pacto a fin de asegurar la plena efectividad de este derecho, figuran las necesarias para: a) La reducción de

*Derechos Civiles y Políticos y su Protocolo Facultativo*⁸; *la Convención sobre la Prevención y la Sanción del Delito de Genocidio*; *la Convención Internacional sobre la Eliminación de todas las Formas de Discriminación Racial*; *la Convención sobre la Eliminación de todas las Formas de Discriminación contra la Mujer*⁹; *la Convención contra la Tortura y otros Tratos o Penas Cruelles, Inhumanos o Degradantes*; *la Convención sobre los Derechos del Niño*¹⁰ (Artículo 75 inc. 22 de la CN) y *la Convención Internacional sobre los Derechos de las Personas con Discapacidad*¹¹, también 19 de

la mortinatalidad y de la mortalidad infantil, y el sano desarrollo de los niños; ...d) La creación de condiciones que aseguren a todos asistencia médica y servicios médicos en caso de enfermedad."

⁸ Adoptado y Abierto a la firma, ratificación y adhesión por la Asamblea General – Resolución 2200 A (XXI), 16/12/1966. Ley R.A. 23.313 (1984). Parte III, Artículo 6: "1.El derecho a la vida es inherente a la persona humana. Este derecho estará protegido por la Ley. Nadie podrá ser privado de la vida arbitrariamente."; Artículo 16: "Todo ser humano tiene derecho, en todas sus partes, al reconocimiento de su personalidad jurídica."; Artículo 24: "1.Todo niño tiene derecho, sin discriminación alguna por motivos de raza, color, sexo, idioma, religión, origen nacional o social, posición económica o nacimiento, a la medidas de protección que su condición de menor requiere, tanto por parte de su familia como de la sociedad y del Estado.";

⁹ Adoptada y abierta a la firma, ratificación o adhesión, por la Asamblea General – Resolución 34/180 18/12/1979. Ley R.A. N° 23.179 (1985).

¹⁰ Adoptada por la Asamblea General de Naciones Unidas, Nueva York, 20/11/1989. Ley R.A. N° 23.849 (1990). Artículo 1: "Para los efectos de la presente Convención, se entiende por niño todo ser humano menor de dieciocho años de edad, salvo que, en virtud de la ley que le sea aplicable, haya alcanzado antes la mayoría de edad." Artículo 6: "Los Estados Partes reconocen que todo niño tiene el derecho intrínseco la vida. 2. Los Estados Partes garantizarán en la máxima medida de los posible la supervivencia y el desarrollo del niño."; Artículo 23: 1. Los Estados Partes reconocen que el niño mental o físicamente impedido deberá disfrutar de una vida plena y decente en condiciones que aseguren su dignidad, le permitan llegar a bastarse a sí mismo y faciliten la participación activa del niño en la comunidad. 2. Los Estados Partes reconocen el derecho del niño impedido a recibir cuidados especiales y alentarán y asegurarán, con sujeción a los recursos disponibles, la prestación al niño que reúna las condiciones requeridas y a los responsables de su cuidado de la asistencia que se solicite y que sea adecuada al estado del niño y a las circunstancias de sus padres o de otras personas que cuiden de él. 3. En atención a las necesidades especiales del niño impedido, la asistencia que se preste conforme al párrafo 2 del presente artículo será gratuita siempre que sea posible, habida cuenta de la situación económica de los padres o de las otras personas que cuiden del niño, y estará destinada a asegurar que el niño impedido tenga un acceso efectivo a la educación, la capacitación, los servicios sanitarios, los servicios de rehabilitación, la preparación para el empleo y las oportunidades de esparcimiento y reciba tales servicios con el objeto de que el niño logre la integración social y el desarrollo individual, incluido su desarrollo cultural y espiritual, en la máxima medida posible. 4. Los Estados Partes promoverán, con espíritu de cooperación internacional, el intercambio de información adecuada en la esfera de la atención sanitaria preventiva y del tratamiento médico, psicológico y funcional de los niños impedidos, incluida la difusión de información sobre los métodos de rehabilitación y los servicios de enseñanza y formación profesional, así como el acceso a esa información a fin de que los Estados Partes puedan mejorar su capacidad y conocimientos y ampliar su experiencia en estas esferas. A este respecto, se tendrán especialmente en cuenta las necesidades de los países en desarrollo. Artículo 24 1. Los Estados Partes reconocen el derecho del niño al disfrute del más alto nivel posible de salud y a servicios para el tratamiento de las enfermedades y la rehabilitación de la salud. Los Estados Partes se esforzarán por asegurar que ningún niño sea privado de su derecho al disfrute de esos servicios sanitarios. 2. Los Estados Partes asegurarán la plena aplicación de este derecho y, en particular, adoptarán las medidas apropiadas para: 4. Los Estados Partes se comprometen a promover y alentar la cooperación internacional con miras a lograr progresivamente la plena realización del derecho reconocido en el presente artículo. A este respecto, se tendrán plenamente en cuenta las necesidades de los países en desarrollo"; Artículo 27: "1. Los Estados Partes reconocen el derecho de todo niño a un nivel de vida adecuado para su desarrollo físico, mental, espiritual, moral y social."

¹¹ Aprobada y Adoptada por Asamblea General de Naciones Unidas A/ Resolución N° 61/ 106, 13/12/2006. Ley R.A. N° 26.378 (2008) Artículo 4: *Obligaciones Generales*. "1. Los Estados Partes se comprometen a asegurar y promover el pleno ejercicio de todos los derechos humanos y las libertades fundamentales de las personas con discapacidad sin discriminación alguna por motivos de discapacidad. A tal fin, los Estados Partes se comprometen a: 2. Con respecto a los derechos económicos, sociales y culturales, los Estados Partes se comprometen a adoptar medidas hasta el máximo de

noviembre de 2014, el Congreso Nacional dio sanción definitiva a la ley que otorgó jerarquía constitucional a la Convención (CDPD) y su Protocolo Facultativo, pasando a integrar la Carta Magna, en el marco del art. 75 inc. 22.

Dichos tratados internacionales de derechos humanos han reconocido expresamente el derecho a la preservación de la salud, destacando su carácter impostergable y la consecuente obligación del Estado de garantizar mediante acciones positivas, su efectivo goce,

De igual modo, el art. 75 legisla en el inc. 19¹² de la C.N., políticas conducentes al desarrollo humano, la prosperidad y la no discriminación y, en el inc. 23 las medidas de

sus recursos disponibles y, cuando sea necesario, en el marco de la cooperación internacional, para lograr, de manera progresiva, el pleno ejercicio de estos derechos, sin perjuicio de las obligaciones previstas en la presente Convención que sean aplicables de inmediato en virtud del derecho internacional. 3. En la elaboración y aplicación de legislación y políticas para hacer efectiva la presente Convención, y en otros procesos de adopción de decisiones sobre cuestiones relacionadas con las personas con discapacidad, los Estados Partes celebrarán consultas estrechas y colaborarán activamente con las personas con discapacidad, incluidos los niños y las niñas con discapacidad, a través de las organizaciones que las representan.”; Artículo 10 Derecho a la vida: “Los Estados Partes reafirman el derecho inherente a la vida de todos los seres humanos y adoptarán todas las medidas necesarias para garantizar el goce efectivo de ese derecho por las personas con discapacidad en igualdad de condiciones con las demás.”; Artículo 11 Situaciones de riesgo y emergencias humanitarias: “Los Estados Partes adoptarán, en virtud de las responsabilidades que les corresponden con arreglo al derecho internacional, y en concreto el derecho internacional humanitario y el derecho internacional de los derechos humanos, todas las medidas necesarias para garantizar la seguridad y la protección de las personas con discapacidad en situaciones de riesgo, incluidas situaciones de conflicto armado, emergencias humanitarias y desastres naturales.”; Artículo 12 Igual reconocimiento como persona ante la ley: “1. Los Estados Partes reafirman que las personas con discapacidad tienen derecho en todas partes al reconocimiento de su personalidad jurídica. 2. Los Estados Partes reconocerán que las personas con discapacidad tienen capacidad jurídica en igualdad de condiciones con las demás en todos los aspectos de la vida.”; Artículo 25 Salud. “Los Estados Partes reconocen que las personas con discapacidad tienen derecho a gozar del más alto nivel posible de salud sin discriminación por motivos de discapacidad. Los Estados Partes adoptarán las medidas pertinentes para asegurar el acceso de las personas con discapacidad a servicios de salud que tengan en cuenta las cuestiones de género, incluida la rehabilitación relacionada con la salud. En particular, los Estados Partes: ...b) Proporcionarán los servicios de salud que necesiten las personas con discapacidad específicamente como consecuencia de su discapacidad, -21- incluidas la pronta detección e intervención, cuando proceda, y servicios destinados a prevenir y reducir al máximo la aparición de nuevas discapacidades, incluidos los niños y las niñas y las personas mayores; c) Proporcionarán esos servicios lo más cerca posible de las comunidades de las personas con discapacidad, incluso en las zonas rurales; d) Exigirán a los profesionales de la salud que presten a las personas con discapacidad atención de la misma calidad que a las demás personas sobre la base de un consentimiento libre e informado, entre otras formas mediante la sensibilización respecto de los derechos humanos, la dignidad, la autonomía y las necesidades de las personas con discapacidad a través de la capacitación y la promulgación de normas éticas para la atención de la salud en los ámbitos público y privado; e) Prohibirán la discriminación contra las personas con discapacidad en la prestación de seguros de salud y de vida cuando éstos estén permitidos en la legislación nacional, y velarán por que esos seguros se presten de manera justa y razonable; f) Impedirán que se nieguen, de manera discriminatoria, servicios de salud o de atención de la salud o alimentos sólidos o líquidos por motivos de discapacidad.”

¹² Constitución Nacional. Artículo 75 inc. 19: “Proveer lo conducente al desarrollo humano, al progreso económico con justicia social, a la productividad de la economía nacional, a la generación de empleo, a la formación profesional de los trabajadores, a la defensa del valor de la moneda, a la investigación y al desarrollo científico y tecnológico, su difusión y aprovechamiento. Proveer al crecimiento armónico de la Nación y al poblamiento de su territorio; promover políticas diferenciadas que tiendan a equilibrar el desigual desarrollo relativo de provincias y regiones. Para estas iniciativas, el Senado será Cámara de origen. Sancionar leyes de organización y de base de la educación que consoliden la unidad nacional respetando las particularidades provinciales y locales; que aseguren la responsabilidad indelegable

acción positiva que garanticen la igualdad real de oportunidades, de trato, el pleno goce y ejercicio de los derechos reconocidos por la constitución y por los tratados internacionales. Resulta innegable también que, desde la reforma Constitucional se avanzó en la protección de la salud por un cambio de paradigma que ubicó a la “*relación de consumo*” en el centro de la protección del Derecho de Consumo (Art. 42 de la Carta Magna)¹³, que impone una tutela constitucionalizada para usuarios y consumidores de los siguientes derechos:

- a. Protección de la Salud,
- b. Seguridad e intereses económicos,
- c. Información adecuada y veraz,
- d. Libertad de expresión,
- e. Condiciones de trato digno y equitativo (Junyent Bas F. G., 2017).

Alterini (Alterini, 2008), ha explicado que el estatuto de defensa de los consumidores nació para regular al hombre situado en un determinado rol, porque si bien normas de índole comercial, civil, patrimoniales en general corresponden al *Ius Voluntarium*, las normas de Derecho del Consumidor pertenecen al *Ius Cogens* de orden público, sustentadas en la razón de reordenar las relaciones sociales con mayor equilibrio y equidad. (Junyent Bas, Garzino, & Rodriguez Junyent, 2017). La tutela especial de la que gozan los consumidores y usuarios en el plexo normativo se consagra también en el Código Civil y Comercial de la Nación (Arts. 1094, 1095, 1097, 1100, 1101 y cc) y la Ley de Defensa del Consumidor (Arts. 3, 4, 5, 6, 8 y cc).

del Estado, la participación de la familia y la sociedad, la promoción de los valores democráticos y la igualdad de oportunidades y posibilidades sin discriminación alguna; y que garanticen los principios de gratuidad y equidad de la educación pública estatal y la autonomía y autarquía de las universidades nacionales. Dictar leyes que protejan la identidad y pluralidad cultural, la libre creación y circulación de las obras del autor; el patrimonio artístico y los espacios culturales y audiovisuales.”

¹³ Constitución Nacional – Capítulo Segundo “Nuevos Derechos y Garantías”. Art. 42: Los consumidores y usuarios de bienes y servicios tienen derecho, en la relación de consumo, a la protección de su salud, seguridad e intereses económicos; a una información adecuada y veraz; a la libertad de elección, y a condiciones de trato equitativo y digno. Las autoridades proveerán a la protección de esos derechos, a la educación para el consumo, a la defensa de la competencia contra toda forma de distorsión de los mercados, al control de los monopolios naturales y legales, al de la calidad y eficiencia de los servicios públicos, y a la constitución de asociaciones de consumidores y de usuarios. La legislación establecerá procedimientos eficaces para la prevención y solución de conflictos, y los marcos regulatorios de los servicios públicos de competencia nacional, previendo la necesaria participación de las asociaciones de consumidores y usuarios y de las provincias interesadas, en los organismos de control.

En particular, con relación al objeto de estudio del presente trabajo, en materia de protección de la Salud, “*se ha entendido al derecho a la salud como especie del género derechos sociales, ajustándose a todo el sistema jurídico argentino, que garantiza este derecho a todos los habitantes. En ese sentido el artículo 42 de la Constitución Nacional, y en especial a través del Pacto Internacional de Derechos Económicos, Sociales y Culturales, que en su artículo 12 define el derecho a la salud como "el derecho que toda persona tiene al disfrute del más alto nivel posible de salud física y mental" (SILVA, 2011)*”.

La jurisprudencia se ha pronunciado sobre las nuevas garantías constitucionales, la Cámara Sexta De Apelaciones Civil y Comercial de Córdoba – en autos: “*P., R. D. c/ Obra Social Met Córdoba S.A. – Amparo – Otras causas de Remisión - Expte. N° 1843123/36*”, pronunció (voto Dr. Simes) el 10/02/2015 “*...el derecho a la salud también se proyecta desde los arts. 41 C.N. con relación al ambiente y art. 42 en materia de reconocimiento y protección del derecho de consumidores y usuarios, en el cual se menciona la protección de la salud. De ahí que también gocen quienes invocan el derecho a la vida y salud, de la protección de la ley de Defensa al Consumidor 24.240 reformada por ley 26.361. La actividad que despliegan las empresas de medicina prepaga si bien tiene rasgos mercantiles, posee un fin y objeto, que es proteger las garantías a la vida, salud, seguridad e integridad de las personas, que las obliga a cumplir con una serie de obligaciones que exceden el mero plano comercial, asumiendo en consecuencia un compromiso social... no pueden moverse únicamente guiadas por el fin de lucro, en razón del objeto de su actividad -el resguardo del derecho a la salud de sus afiliados pues "los entes de medicina prepaga tiene a su cargo una trascendental función social que está por encima de toda cuestión comercial..." (cfr. "Etcheverry Roberto c. OMINT S.A. y Servicios" Resolución del 13/03/2001. Fallos 324:677).- Así lo ha entendido el Alto Cuerpo de la Nación al sostener que "...el contrato de medicina prepaga es sinalagmático, oneroso, aleatorio y de tracto sucesivo..." y que resulta aplicable a su respecto la Ley de Defensa del Consumidor (24.240) (cfr., entre otros, "Hospital Británico c. Estado Nacional –M.S. y A.S" Resolución del 13/03/2001. Fallos 324:754).- Como consecuencia de este encuadre legal, la interpretación de las cláusulas limitantes de cobertura debe efectuarse con criterio restrictivo y favorable al particular-consumidor (art. 37 de la ley 24.240 y sus*

modificaciones por ley 26.361, CSJN, 28.8.07, "Cambiaso Péres de Nealón, Celia M.A. y otros c/ Centro de Educación Médica e Investigaciones Médicas"), lo que importa una razón más para entender que el estudio médico en cuestión deba ser cubierto por la accionada. Vale destacar que la relación contractual que vincula a las partes configura un supuesto de un contrato predispuesto, de adhesión que no tuvo oportunidad de discutir las condiciones de la contratación, lo cual hace que en esa interpretación de los alcances de sus cláusulas debe primar el criterio de en caso de duda favorecer al consumidor de los servicios de salud y no a la prestadora.”.

El “derecho a la preservación de la salud”, no se encuentra explícitamente consagrado en nuestra Constitución Nacional -con salvedad de lo establecido por el artículo 42 respecto de los consumidores y usuarios-, sin embargo, ha sido considerado como uno de aquellos que nacen del principio de la soberanía del pueblo y de la forma republicana de gobierno, integrante de la categoría de los denominados “derechos implícitos” de nuestro ordenamiento jurídico (art. 33 de la Constitución Nacional). Así lo ha reconocido la doctrina más destacada, para quien este derecho se encuentra implícito en la soberanía de un pueblo que necesita fortalecerse en el crecimiento físico y espiritual de sus integrantes (Quiroga Lavie, 2009).

El Sistema Sanitario Argentino, a partir de sus segmentaciones, se integra con la normativa de base constitucional, las leyes N° 24.240¹⁴, N° 24.754¹⁵, N° 25.156¹⁶, N° 24.901¹⁷, N° 25.649¹⁸ y N° 26.682¹⁹ y en los casos comprendidos por los planes de adhesión voluntaria y superadores o complementarios por mayores servicios de los agentes del Seguro de Salud (SSS), por las leyes N° 23.660²⁰, 23.661²¹ y sus reglamentaciones. La normativa hasta aquí referida, recoge los conceptos de la doctrina nacional y los fallos de la CSJN sobre el contrato que vincula a la empresa y al adherente-cliente-usuario, si bien tiene una condición mercantil que implica una finalidad lucrativa, ello no obsta a que por la

¹⁴ Ley N° 24.240 – Defensa del Consumidor.

¹⁵ Ley N° 24.754 – Medicina Prepaga.

¹⁶ Ley N° 25.156 – Defensa de la Competencia.

¹⁷ Ley N° 24.901 - Sistema de Prestaciones Básicas en Habilitación y Rehabilitación Integral a Favor de las Personas con Discapacidad.

¹⁸ Ley N° 25.649 – Especialidades Medicinales – Medicamentos Genéricos.

¹⁹ Ley N° 26.682 – Marco Regulatorio de Medicina Prepaga.

²⁰ Ley N° 23.660 – Obras Sociales.

²¹ Ley N° 23.661 – Obras Sociales - ANSSAL

índole de la actividad que desarrollan las obras sociales y empresas de medicina prepaga se encuentra estrechamente ligada a la vida, a la salud y a la integridad psicofísica de la población, cumpliendo asimismo una función social que excede los aspectos puramente mercantiles.

La CSJN, ha sostenido que en los casos de contratos con cláusulas predisuestas cuyo sentido es equívoco y ofrece dificultades para precisar el alcance de las obligaciones asumidas por el predisponente, en caso de duda, debe prevalecer la interpretación que favorezca a quien contrató con aquél o contra el autor de las cláusulas uniforme (CSJN, 2002); por otra parte ha sentenciado que el derecho a obtener conveniente y oportuna asistencia sanitaria se vería frustrado si se admitiera que la falta de exclusión de un tratamiento no importa su lógica inclusión en la cobertura pactada, siendo inadmisibles la referencia histórica al estado del conocimiento médico existente al tiempo de la contratación, toda vez que se traduciría en la privación de los adelantos terapéuticos que el progreso científico incorpora al campo de las prestaciones médico asistenciales; la protección especial contemplada en los instrumentos internacionales de derechos específicos de los niños discapacitados, genera consecuencias concretas en el caso donde diversos acreedores concurren a procurar satisfacer sus créditos de un patrimonio que devino insuficiente para atender sus obligaciones en el tiempo y en las condiciones previstas originariamente, y el cuidado especial que demanda la situación de vulnerabilidad de aquellos exige que se traduzca, ineludiblemente, en una preferencia en el cobro de sus acreencias vinculadas con la satisfacción de sus derechos fundamentales (Voto del juez Rosatti) (CSJN, 2019).

En 1980 La Corte, enfatizó el carácter de la vida como primer derecho natural, preexistente a toda legislación positiva (CSJN, 1980). Posteriormente y con distinta integración el máximo tribunal nacional e intérprete de las normas, reiteró su doctrina acerca de la preexistencia a todo ordenamiento jurídico de los derechos esenciales a la vida y a la dignidad de las personas.

Como una derivación del Derecho a la Vida y a la Vida Digna (Morello, 2000), también sostuvo que la autoridad pública tiene la obligación impostergable de garantizar con acciones positivas el derecho a la preservación de la salud, comprendido en el derecho

a la vida, más allá de las obligaciones que pesen sobre los agentes de salud, ello en virtud de lo que imponen los tratados con jerarquía constitucional (CSJN, 2000). Así, la Corte (CSJN, 1987) ha seguido reiterado que el “*Derecho a la Vida es el primer derecho de la Persona Humana que resulta reconocido y garantizado por la Constitución Nacional*”, por ser el hombre el eje y centro de todo sistema jurídico y en tanto fin en sí mismo, su persona es inviolable y constituye un valor fundamental con respecto a los restantes valores que son instrumentados. Pregonando que los derechos relativos al acceso a las prestaciones de Salud no son meramente declarativos, no pueden serlo, en tanto su pleno goce acredita su intrínseco valor con base en la dignidad humana que el Poder Judicial Protege (CSJN, 2007).

Esta intensa protección normativa conlleva su aplicación a cuestiones que engendran un verdadero conflicto vinculado al cumplimiento de las obligaciones que previamente de manera dogmática ha asumido el Estado, específicamente sobre tratamientos médicos de enfermedades con baja incidencia poblacional que requieren la utilización de los denominados “medicamentos huérfanos” a los que nos referiremos más adelante.

Sin embargo *a priori*, resalta un aspecto que incide directamente en la garantía de Salud, cual es el valor que la industria farmacéutica mundial pretende obtener con tales “medicamentos huérfanos” y en general con las nuevas tecnologías, provocando un ciclópeo conflicto fundamentalmente para los pacientes que, no disponen de un elenco de tratamientos para la patología que los afecta, ni los recursos para costear los mismos, ni el tiempo para transitar cambios normativos. De ello se sigue, la imposibilidad económica y burocrática de adquirir las prestaciones farmacológicas existentes, sumado a las trabas en su provisión y la constante discusión económica entre los diversos agentes de salud y el estado nacional y/o provincial, provocando la vulneración de derechos de la persona enferma.

En Córdoba, el T.S.J., ha desarrollado igualmente una jurisprudencia favorable a la acción de amparo para garantizar el derecho a la vida y Salud, marcando estándares en tal sentido (TSJ, 2013). Más aun avaló la cobertura integral en cuestiones de Discapacidad a la

luz de la Constitución Provincial²² y la Convención de los Derechos del Niño (TSJ, 2014), no obstante, también el plazo de tramitación de este proceso excepcional es inadmisibles para el justiciable. (Véase Anexo I – ref. Causa “Uretti, Lisandro c/ Consejo Profesional de Ciencias Económicas – Amparo – Expte. n° 6676059” – CC7° Nom. Cba.)

Kemelmajer de Carlucci (Kemelmajer de Carlucci, 2014), sostiene que el Derecho a la Salud es un típico Derecho Económico, y Social que requiere de un Estado Positivo²³; en el entendimiento que el Estado es garante del servicio adecuado de Salud, abarca a todos incluidos los gestionados por particulares, solo delega pero no se desobliga, conservando íntegra responsabilidad por las acciones de todos los estamentos del Sistema Sanitario Argentino. En tal sentido, el sujeto pasivo del Derecho a la Salud (representado Estado Nacional, Provincial y demás participantes), según el modelo de organización del Sistema Argentino, mantiene la vigencia de la garantía federal que por otra parte, nunca es subsidiaria.

El Juzgado Federal N° 2 de la ciudad de Córdoba sentenció definitivamente en autos “Z.C.R. y otra c/ Asociación Mutual Sancor Salud s/inc de medida cautelar – Expte. N° 85657/2018” con fecha 13/11/2020, estableciendo que *“en relación al Estado Nacional- Ministerio de Salud de la Nación, corresponde establecer que las obras sociales y las empresas de medicina prepaga, de conformidad con lo expuesto en las leyes 23.660, 23.661, 24.754 y 26.682, son quienes resultan ser las principales obligadas en brindar la cobertura médica requerida por sus afiliados. Ahora bien, frente a determinadas situaciones particulares, puede extenderse la obligación de cumplimiento efectivo de las obligaciones al Estado Nacional-Ministerio de Salud de la Nación. La responsabilidad del Estado Nacional en esta materia consiste en ser garante del sistema de salud a través de acciones positivas, en procura de que las personas en riesgo reciban las prestaciones necesarias. Ello implica que ante el incumplimiento de la obligada directa -obra social o prepaga-, debe suplir la omisión en procura de garantizar el derecho a la salud de todos los habitantes del suelo argentino. En función de ello, corresponde establecer una*

²² Artículo 27 de la Constitución de Córdoba - Los discapacitados tienen derecho a obtener la protección integral del Estado que abarque la prevención, asistencia, rehabilitación, educación, capacitación, inserción en la vida social, y a la promoción de políticas tendientes a la toma de conciencia de la sociedad respecto de los deberes de solidaridad.

²³ CIDH – “Artavia Murillo y otros Vs. Costa Rica” (28/11/2012)

responsabilidad subsidiaria del Estado Nacional-Ministerio de Salud de la Nación.”
(Considerando V).

Parte de la Doctrina, ha expresado que los derechos sociales mantienen una estrecha vinculación con la política económica, porque requieren concretamente erogaciones para asegurar su efectividad, acceso digno y oportuno a la prestación de salud que cada persona requiere, según su patología. Dependen de las asignaciones presupuestarias, y esto último es un acto político del gobierno de turno, sin dudas, el primer gran obstáculo para las personas/pacientes/usuarios. Ariza Clerici (Ariza Clerici), ha manifestado que la actividad financiera del debe ajustarse a un sentido sistémico y unitario que vincule el derecho tributario, el derecho presupuestario, porque no es más que un medio de autorrealización del Estado de Derecho. Si bien, las decisiones presupuestarias están sometidas al Principio de Reserva de Ley, también lo están al de razonabilidad, por ello la Ley de Presupuesto también es susceptible de control judicial.

La asistencia Sanitaria debe garantizar a la población disponibilidad, accesibilidad, aceptabilidad y calidad y en todos los niveles organizaciones del Sistema, se debe respetar, proteger y cumplir las obligaciones asumidas por el Estado Nacional, particularmente en el acceso a medicamentos esenciales a grupos vulnerables. Amparado en el “*Principio de Progresividad*” plasmado en el citado supra PIDESC que no admite acciones, ni omisiones regresivas de la preservación y cuidado de la salud. La claridad del Art. 12 del citado Pacto, importa la solidaridad entre los Estados Nacional y Provinciales y más aún, cuando se encuentre en juego el interés superior de un niño, la CSJN ha interpretado que tal solidaridad y esfuerzo lo son hasta el máximo de los Recursos (Art. 2° inc.1° PIDESC).

La necesidad de tutela efectiva de la salud que requieren los pacientes con patología AME, contrasta con los tiempos y complicaciones judiciales, porque están en juego cuestiones vitales asociadas naturalmente al peligro que sobrelleva la demora. Esto último es un extremo presente en la creciente y singular judicialización de la política de Salud. La acción de amparo y el proceso cautelar anexo son los canales por los que hasta ahora se ha desplazado hacia los estrados judiciales la pretensión de defensa de derechos constitucional y convencionalmente reconocidos, articulando el “Control Constitucional Difuso”.

Sobre esta realidad que excede ampliamente nuestro país, Robert Dahl (DAHL, 1957), refiriéndose a la Corte de EEUU, sostuvo que los casos que llegan a la corte

incluyen alternativas sobre las que existe un gran desacuerdo en la sociedad y por eso la configuración del caso es política.

Desde el plano legal debe mencionarse la Ley N° 22.431 de protección integral de las personas con discapacidad y, la ley N° 24.901 del Sistema de Prestaciones Básicas en Habilitación y Rehabilitación Integral a favor de las Personas con Discapacidad, que establecen una serie de obligaciones a cargo del Estado Nacional y de las Obras Sociales respecto de este grupo de personas. La ley de Protección Integral de los Derechos de las Niñas, Niños y Adolescentes (Ley N° 26.061) reconoce una serie de derechos a su favor, entre ellos el derecho a la salud (art. 14°), disponiendo que *“los derechos aquí reconocidos están asegurados por su máxima exigibilidad y sustentados en el principio del interés superior del niño”* (art. 1°). Se entiende por interés superior del niño de la niña, niño y adolescente *“...la máxima satisfacción, integral y simultánea de los derechos y garantías reconocidos en esta ley. Debiéndose respetar: El respeto al pleno desarrollo personal de sus derechos en su medio familiar, social y cultural”* (art. 3° inc. c’).

Las personas con AME, tienen derecho a reclamar una tutela judicial efectiva y obtener respuesta, a partir de un Derecho Social Operativo, y para ello aparece necesario el rol del Estado como garante último del Sistema de Salud, quien debe eliminar la tensión entre Medicina y Economía, a la luz del principio de “Autonomía Personal” porque el ser humano es el centro indiscutido de aquella protección efectiva.

4.2 La protección integral de las Personas con Discapacidad – EPoF - AME.

En 1981, se sancionó la Ley N° 22.431 -Sistema de protección integral de los discapacitados, instituyendo un sistema tendiente a asegurar atención médica, educación y seguridad social, concederles las franquicias y estímulos que permitan en lo posible neutralizar la desventaja que la discapacidad les provoca y generar oportunidad, mediante su esfuerzo de desempeñar en la comunidad un rol equivalente al que ejercen las personas que no tienen discapacidad (Art. 1°). Conceptualizando como discapacitada a *“toda persona que padezca una alteración funcional permanente o prolongada, física o mental, que en relación a su edad y medio social implique desventajas considerables para su integración familiar, social, educacional o laboral”* (Art. 2°).

Posteriormente, se robusteció la protección de la persona con discapacidad con la aprobación por Ley N° 26.278 de la Convención sobre los Derechos de las Personas con

Discapacidad y su protocolo facultativo mencionados supra, a través de la resolución de la Asamblea General de las Naciones Unidas del 13/12/2006.

En 2011, recibe sanción la Ley N° 26.689²⁴ avanza hacia el Cuidado Integral de la Salud de las Personas con Enfermedades Poco Frecuentes. El objeto de la presente ley es no solo promover el cuidado integral de la salud de las personas con EPoF, sino mejorar la calidad de vida de ellas y sus familias, definiendo la EPF o EPoF como *“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.”* (Art. 2°). Estableciendo que *“Las obras sociales enmarcadas en las leyes 23.660 y 23.661, la Obra Social del Poder Judicial de la Nación, la Dirección de Ayuda Social para el Personal del Congreso de la Nación, las entidades de medicina prepaga y las entidades que brinden atención al personal de las universidades, así como también todos aquellos agentes que brinden servicios médicos asistenciales a sus afiliados independientemente de la figura jurídica que posean, deben brindar cobertura asistencial a las personas con EPF, incluyendo como mínimo las prestaciones que determine la autoridad de aplicación.”* (Art. 6°). Dicha Ley fue Reglamentada por Decreto N° 794/2015, que creó el Consejo Consultivo Honorario quien, entre otras funciones, elaboró un listado de EPoF y determinó su ámbito de aplicación alcanzando expresamente:

- a) Las obras sociales comprendidas en el artículo 1° de la Ley N° 23.660 y sus modificatorias y las entidades adheridas o que en el futuro se adhieran como agentes del seguro al Sistema Nacional del Seguro de Salud regulado en la Ley N° 23.661, por los planes de salud de adhesión voluntaria individuales o corporativos, superadores o complementarios por mayores servicios médicos que comercialicen;
- b) La Obra Social del Poder Judicial de la Nación y la Dirección de Ayuda Social para el Personal del Congreso de la Nación;

²⁴ Adhirieron las Provincias de Buenos Aires Ley Prov. N° 14.859; CABA Ley N° 4307; Córdoba Ley N° 10.388; Catamarca Ley N° 5404; Corrientes Ley N° 6119; Chaco Ley N° 6814; Chubut Ley N° I-478; Entre Ríos Ley N° 10.291; Misiones Ley N° XXVII-95; Neuquén Ley N° 3122; Río Negro Ley N° 5066; Salta Ley N° 7965; Santa Cruz Ley N° 3238; Tucumán Ley N° 8533. Por su parte algunas Provincias han Creado Registros Provinciales de Enfermedades Raras, congénitas, malformaciones, tales como: Corrientes – Ley N° 6114; Entre Ríos Ley 10.291; Misiones Ley XVII-81; Río Negro Ley N° 3715; Santiago del Estero Ley N° 7106 Registro Provincial de Malformaciones Congénitas. Hasta el momento las provincias que no han adherido a la ley Nacional EPF, son Santa Fe, San Luis, San Juan, Formosa y Jujuy. Finalmente las Provincias Mendoza, Tierra del Fuego solo se han limitado a reconocer un día en conmemoración de las mismas.

- c) Las Empresas de Medicina Prepaga definidas en el artículo 2° de la Ley N° 26.682 y su modificatoria;
- d) Las entidades que brinden servicios médicos asistenciales de prevención, protección, tratamiento y/o rehabilitación de la salud al personal de las Universidades Nacionales;
- e) Las cooperativas, mutuales, asociaciones civiles y fundaciones con los alcances establecidos en el segundo párrafo del artículo 1° de la Ley N° 26.682 y su modificatoria;

Las personas afectadas con EPoF recibirán como como mínimo la cobertura médica asistencial incluido en el PMO vigente según Resolución de la Autoridad de Aplicación y, en caso de discapacidad, el Sistema de Prestaciones Básicas para personas con discapacidad previsto en la Ley N° 24.901 y sus modificatorias.

El Ministerio de Salud, que es la Autoridad de Aplicación de la Ley citada dictó la Resolución N° 2329/2014²⁵ por la cual Creó el Programa Nacional de Enfermedades Poco Frecuentes y Anomalías Congénitas Bajo la órbita de la Dirección Nacional de Medicina Comunitaria, Dependiente de la Subsecretaria de Medicina Comunitaria, Maternidad e Infancia. Ella tiene prioritariamente objetivos específicos, a saber:

- 1) Impulsar el abordaje de gestión sanitaria integral de EPoF; 2) Mejorar el acceso al diagnóstico, tratamiento y seguimiento de las personas con EPoF; 3) Asegurar la calidad de los servicios para la atención integral de las personas con EPoF; y 4) Fortalecer el sistema de información para el monitoreo y la evaluación programática.

Entre las principales líneas de acción del Programa, se destacan: La conformación de un Consejo Consultivo Honorario (Resolución N°271/2019–S.G.S.), con representación de las organizaciones de la sociedad civil, entidades académicas e instituciones públicas de salud. Entre sus funciones se encuentran emitir opinión y propuestas con carácter no vinculante sobre políticas, estrategias y /o acciones que se implementen desde el Programa Nacional de Enfermedades Poco Frecuentes, y elaborar un listado de EPoF, de acuerdo a la prevalencia de dichas enfermedades en nuestro país; el fortalecimiento del registro

²⁵ Deroga Las Resoluciones Ministeriales N° 1025 Del 7 De Diciembre de 1993; 1346 Del 10 de Octubre de 2007; N° 1347 del 10 de Octubre De 2007; N° 1227 del 23 De Octubre de 2008; N° 1129 del 29 de Diciembre de 2009 y N° 2091 del 24 de Noviembre de 2010

nacional de EPF; la comunicación y el acceso a la información actualizada y de calidad; la articulación con actores clave como las asociaciones de pacientes y familias y otros organismos gubernamentales y no gubernamentales. (Nacion, 2022).

Asimismo, a partir del mencionado programa citado supra que se desarrolla bajo la competencia de la Dirección Nacional de Maternidad, Infancia y Adolescencia, de la Subsecretaría de Estrategias de Atención y Salud Comunitaria dependientes de la Secretaría de Operaciones y Estrategias de Atención de la Salud, se creó el Registro de Pacientes con Enfermedades poco Frecuentes (<https://www.argentina.gob.ar/salud>) que forma parte del Sistema Integrado de Información Sanitario Argentino (SISA) con el resguardo de protección de confidencialidad de datos personales. SISA, contiene registros que se encuentran en funcionamiento (operativos), generan datos e información continuamente en función de su naturaleza y modelo de funcionamiento y son utilizados por los actores definidos e involucrados por la autoridad nacional responsable del registro.

El Registro cuyo desarrollo se encuentra en la fase inicial EPF tiene registra casos de enfermedades poco frecuentes diagnosticadas y atendidas en instituciones de salud de todo el país. La recolección de estos datos permite contar con un registro epidemiológico cuya información estará disponible para los actores intervinientes en políticas de cuidado integral de la salud de las personas con enfermedades poco frecuentes, promoviendo así una mejora en la calidad de vida tanto de ellas como de sus familias. La puesta en marcha del Registro se realiza a través de referentes provinciales, quienes tienen a cargo la incorporación de los pacientes con diagnóstico de EPF.

Para la O.M.S. las Enfermedades Raras (ER) o Enfermedades Poco Frecuentes (EPOF) son un grupo de 6000 a 8000 enfermedades, que afectan entre el 6 al 8% de la población mundial, de las cuales el 90% son genéticamente determinadas y pueden afectar cualquier órgano del cuerpo. En su mayoría de origen genético, crónica, degenerativa y, en muchos casos, pueden producir algún tipo de discapacidad. Estas enfermedades poco conocidas para una gran mayoría de profesionales de la salud, organismos gubernamentales, industria y público en general. Son patologías o trastornos. que en el 75% de los casos, comienzan en la niñez. Por causas mayoritariamente desconocidas,

presentándose en una amplia gama de manifestaciones clínicas que pueden no coincidir, incluso entre pacientes afectados por la misma patología lo cual implica recorrer un largo camino hasta llegar al diagnóstico y tratamiento. Se las conoce como “*Rare Diseases*” - su traducción al castellano “*Enfermedades Raras*”- la “rareza” no está determinada por su naturaleza, sino por su frecuencia. Por ello, también se utilizan las denominaciones de “**Enfermedades Poco Frecuentes**” (EPOF) o “**Enfermedades huérfanas**”²⁶.

Las enfermedades poco frecuentes (EPOF), se caracterizan porque: son hereditarias y habitualmente se despiertan en edad pediátrica, de baja prevalencia, tienen carácter crónico, son progresivas, tienen elevada morbi-mortalidad, provocan un alto grado de discapacidad, presentan gran complejidad etiológica, diagnóstica y pronóstica,

Requieren de seguimiento interdisciplinario, requieren de políticas sanitarias adecuadas y eficaces, con trabajo coordinado de Estado Nacional, Provincial y Municipal y, demandan recursos y difusión de conocimientos de la comunidad científica internacional.

Las patologías sobre las que se ha logrado algún grado de avance sobre los tratamientos paliativos a la luz de las investigaciones científicas y tecnológicas, utilizan Medicamentos Huérfanos, que tiene entre otras características alto costo y difícil acceso para la población.

El Ministerio de Salud de la Nación por Resolución N° 641/2021, aprobó el Listado de Enfermedades Poco Frecuentes, unas 6288 patologías²⁷, la OMS ha reconocido aproximadamente 8000.

La Atrofia Muscular Espinal -en todos sus tipos I, II, IIIa/b, IV-, integra dicho elenco de enfermedades que, hasta finales de 2016 solo contaba con tratamientos/cuidados paliativos, enfocados en el cuidado total, activo y continuado de los pacientes y sus familias por un equipo multidisciplinar, sin expectativa médica de curación.

El 23 de diciembre de 2016, la expectativa de vida y calidad de vida de la población AME global dio un giro copernicano, la Food and Drug Administration de Estados Unidos

²⁶ https://www.orpha.net/consor4.01/www/cgi-bin/Disease_Search_List.php?lng=ES

²⁷ <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/anexos/345000-349999/347054/norma.htm>

(FDA) aprobó Spinraza (nusinersen), el primer fármaco para tratar a niños y adultos con atrofia muscular espinal (SMA)²⁸. Posteriormente el 30 de mayo de 2017, mediante un Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) para Spinraza, la European Medicines Agency explica la evaluación del medicamento y ha emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE, fija condiciones de uso. Así la European Medicines Agency (E.M.A., www.ema.europa.eu, 2017) decidió, que los beneficios de Spinraza son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE²⁹.

El informe de EMA, en la oportunidad de su aprobación indicó que “...*Este medicamento tuvo una evaluación acelerada. Esto significa que es un medicamento de gran interés para la salud pública, por lo que su plazo de revisión fue de 150 días de evaluación en lugar de 210*”; y “...*fue designado medicamento huérfano. Esto significa que se desarrolló para su uso contra una condición rara, potencialmente mortal o crónicamente debilitante o, por razones económicas, es poco probable que se haya desarrollado sin incentivos.*” (E.M.A., <https://www.ema.europa.eu>, 2018).

El 21 de abril de 2017, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) (Comite) de EMA, adoptó una decisión positiva recomendando la concesión de una autorización de comercialización para el medicamento Spinraza, destinado al tratamiento de la atrofia muscular espinal (AME) 5q. indicó “...*Spinraza, que fue designada como medicamento huérfano el 2 de abril de 2012, fue revisado bajo la evaluación acelerada de EMA programa. El solicitante de este medicamento es Biogen Idec Ltd. Spinraza estará disponible como una solución inyectable de 2,4 mg/ml. El principio activo de Spinraza es nusinersen, un oligonucleótido antisentido que puede hacer que el gen SMN2 produzca niveles adecuados de proteína SMN de longitud completa, mejorando así la supervivencia neuronal. Los beneficios con Spinraza son su capacidad para permitir el logro de hitos motores y la mejora en función muscular que no se observa durante el curso natural de la enfermedad. El lado más común Los efectos están relacionados con su administración por punción lumbar. La indicación completa es: "Spinraza está indicado para el tratamiento*

²⁸ <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-drug-spinal-muscular-atrophy>

²⁹ https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/spinraza-epar-summary-public_es.pdf

de la atrofia muscular espinal 5q". Esta propuso que Spinraza solo debe ser iniciado por un médico con experiencia en el manejo de atrofia muscular en la columna.”.

Por su parte la Agencia Nacional de Medicamentos Alimentos y Tecnologías (ANMAT), previo a la inscripción del producto "Spinraza" (Nusinersen, 12 mg/5 ml.) en el Registro de Especialidades Medicinales (REM) lo que aconteció en 2019, autorizaba su importación bajo la modalidad Régimen de Acceso de Excepción a Medicamentos no Registrados (REAM) (Disposición 10.874-E/2017, Res. CJTA N° 842 y 426/01), la vigencia del trámite era de sesenta (60) días, pudiendo renovarse desde la página de AFIP – Trámites a Distancia, adjuntando documentación médica (Pedido médico del medicamento, resumen de historia clínica, conformidad sanitaria institucional, consentimiento informado y declaración de conflicto de intereses). Los pacientes AME judicializados, debían mantener vigente tal autorización de importación de Spinraza durante todo el proceso, debiendo renovarla sucesivamente, hasta obtener la provisión de cada dosis.

El 01 de marzo de 2019, la ANMAT por Resolución DI-2019-2062-APN-ANMAT#MSYDS autorizó la inscripción “*Bajo Condiciones Especiales*” en el Registro de Especialidades Medicinales (REM) de la especialidad medicinal Spinraza y cuyo nombre genérico es Nusinersen para el tratamiento de la ATROFIA MUSCULAR ESPINAL Tipo I, II, y IIIa. (ANMAT, <https://www.argentina.gob.ar>, 2019). Dicho medicamento ha sido categorizado como medicamento huérfano “*destinado para el diagnóstico, prevención y/o tratamiento para enfermedades poco frecuentes*”.

Por Resolución RESOL-2019-1452-APN-SGS#MSYDS se modificó el Programa Médico Obligatorio (PMO), incorporando el punto 7.3 bis al Anexo I de la Resolución N° 201/02 del entonces Ministerio de Salud, por lo que se otorgaba cobertura del 100% del principio activo NUSINERSEN a los beneficiarios a cargo del Agente del Seguro de Salud y Entidades de Medicina Prepaga, para el tratamiento de la AME en los tipos I, II y IIIa. Tal cobertura, se realizó bajo los términos autorizados por la Resolución de ANMAT DI-2019-2062-APN-ANMAT#MSYDS y las pautas establecidas por la Secretaria de Gobierno de Salud. Se consideró necesario realizar un seguimiento de la enfermedad y controlar el cumplimiento de las guías de diagnóstico y tratamiento, para coordinar e

implementar estrategias y acciones para el cuidado integral de pacientes con AME en tratamiento con dicha especialidad medicinal. Disponiendo la creación de una Comisión Nacional para Pacientes con Atrofia Muscular Espinal, de carácter multidisciplinario, que asesora a la Secretaría de Gobierno de Salud.

El 06 de Junio de 2020, ANMAT por Resolución 2020-1115-APN-MS (ANMAT, <https://www.boletinoficial.gob.ar>, 2020), derogó la Resolución N° 1452 de fecha 9 de agosto de 2019 de la entonces Secretaría De Gobierno De Salud, y estableció que los Agentes del Seguro de Salud y las Entidades de Medicina Prepaga deben garantizar la continuidad de la cobertura de los tratamientos de pacientes con Atrofia Muscular Espinal (AME), en los tipos I, II y IIIa, que se iniciaron durante la vigencia de la Resolución N° 1452/19 de la entonces Secretaría de Gobierno de Salud; implicando en cierto modo, regresión con sustento en aparente ausencia de evidencia justificable.

El 23 de Junio de 2020, ANMAT emitió una nueva Resolución DI-2020-4529-APN-ANMAT#MS, que ordenó la reinscripción de la especialidad medicinal Spinraza/Nusinersen exclusivamente con la indicación para el tratamiento de la AME tipos I y II, asociada con el gen SMN1 ubicado en el cromosoma 5q, previo diagnóstico de la enfermedad mediante un estudio genético. Tales modificaciones se fundaron en los informes concluidos a finales de 2019 por la Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías de Salud (CONETEC) sobre el uso de Nusinersen, producidos durante la vigencia de la Resolución 1452/2019 de la Secretaría de Gobierno de Salud que incluía a los pacientes con AME IIIa, concluyendo que *“...Al evaluar la evidencia disponible sobre nusinersen y el posible impacto de su incorporación de acuerdo al marco de valor establecido, para la CONETEC, se concluye que: si bien su beneficio clínico sobre los pacientes con AME tipo I y II sería mayor y esto está respaldado por evidencia científica de buena calidad; **la incorporación de la tecnología tendría impacto negativo sobre la salud pública, la equidad y en el aspecto económico.** Teniendo en cuenta el informe técnico, la información disponible hasta el momento y el contexto actual la mesa técnica **NO recomienda la incorporación de esta tecnología a la cobertura obligatoria del país.** Solo en caso de una reducción considerablemente significativa en el precio de la tecnología que permita garantizar la sustentabilidad del resto de prestaciones esenciales como promoción de salud, prevención, tratamiento y rehabilitación para todos los*

beneficiarios del sistema de salud argentino; podría considerarse la cobertura para pacientes con AME tipo I y tipo II que presenten características similares a los pacientes incluidos en los ensayos clínicos. En caso de decidirse su incorporación, deberían definirse guías de diagnóstico y tratamiento basadas en evidencia en las que se establezcan criterios claros de inclusión, seguimiento y finalización del tratamiento. También deberán definirse las características con las que deberán cumplir los establecimientos de salud y la formación requerida a los profesionales que realicen el diagnóstico, prescripción, administración y seguimiento. Dado que no existe evidencia sobre los efectos a largo plazo, se debería incluir a esta tecnología dentro del Sistema de Tutelaje de Tecnologías Sanitarias Emergentes de la Superintendencia de Servicios de Salud con el objetivo de poder realizar un seguimiento y análisis de su eficacia y seguridad. (CONETEC, 2019)”.

El 1 de Julio de 2020, por Resolución 2020-202-APN-SCI#MDP (Productivo) la Secretaría de Comercio Interior, fijó como el *precio máximo de venta del principio activo “Nusinersen (Spinraza®) 12mg/5mL”, solución para inyección intratecal, por un vial, el valor de Dólares Estadounidenses Veintisiete Mil (U\$S 27.000) (Vademecum, 2020).*

En este contexto normativo, los pacientes AME IIIa, ha resultado excluidos de la cobertura del tratamiento Nusinersen/Spinraza. Sin embargo, por la citada Resolución N°1115/2020 y para proteger los derechos adquiridos de los pacientes en tratamiento, se dispuso que los Agentes del Seguro de Salud y las Entidades de Medicina Prepaga deben garantizar la continuidad de la cobertura de los tratamientos de pacientes con Atrofia Muscular Espinal (AME), en los tipos IIIa que hubieren sido iniciados durante la vigencia de la normativa que se derogó. El cuestionamiento que se nos plantea sobre la exclusión del tipo AME IIIa por falta de evidencia científica, la cual debería haberse producido durante la vigencia de un año de la anterior Resolución, es si verdaderamente hubiera sido fácticamente posible generar tal evidencia, teniendo en cuenta que dentro del universo de pacientes AME, el porcentaje que corresponde al tipo IIIa es de 30,8%³⁰ (37 pacientes

³⁰ Informe MINISTERIO DE SALUD DE LA NACIÓN, en autos caratulados “CANO M. L Y BIDEVICH H. M. EN NOMBRE DE SU HIJA MENOR, VICTORIA AGOSTINA BIDEVICH c/ OBRA SOCIAL DE CONDUCTORES CAMIONEROS Y PERSONAL DEL TRANSPORTE AUTOMOTOR DE CARGAS s/AMPARO LEY 16.986” Expte. N° 6633/2018, en respuesta al requerimiento cursado por la CSJN. “...De la revisión y consolidación de la información obrante en este Ministerio de Salud y la Superintendencia de Servicios de Salud, se han podido identificar 120 pacientes que se encuentran recibiendo

sobre un total de 120 pacientes en tratamiento), cuanto de ellos accedieron al menos a las cuatro (4) dosis de carga iniciales, sin olvidar que hasta aquí, en nuestro país no hay antecedentes de pacientes que pudieran acceder al tratamiento sin previo proceso judicial, más aun, del relevamiento realizado mediante Anexo se plasma por un lado el tiempo que insume el dictado de la medida cautelar, su ejecución y los atrasos reiterados en el cumplimiento de la manda judicial. Ello así, profundizamos el interrogante sobre la causa de exclusión del tipo IIIa, más aun cuando del propio texto del informe reseñado supra se desprende prioritario el argumento económico.

El tópico de la exclusión de cobertura del tipo IIIa se planteó en autos “C, R.M., (en representación de O, G.V.) c/ OSPSA y otros s/Amparo Ley 16.986 - N° 30624/2019”, que tramitan en el Juzgado Federal N° 2 de Mar del Plata que resolvió en los siguientes términos “...resulta relevante para la solución del litigio, analizar las condiciones establecidas por las autoridades estatales para el reconocimiento de la cobertura del medicamento Nusinersen. En primer lugar debo señalar que al tiempo de iniciarse esta acción de amparo (26/12/2019), y también a la fecha en que fue prescrita la medicación aquí solicitada (06/11/2019), la cobertura de Nusinersen se encontraba asegurada a través de la Res. 1452/2019 del Ministerio de Salud y Desarrollo Social de la Nación. Efectivamente, su artículo 1° incorporó al Anexo I de la Res. 201/02 (Plan Médico Obligatorio) la cobertura del 100% “...a cargo del Agente del Seguro de Salud y Entidades de Medicina Prepaga, para el tratamiento de la Atrofia Muscular Espinal en los tipos I, II y IIIa según las pautas para dar la cobertura del Nusinersen a pacientes con Atrofia Muscular Espinal tipo I, II y IIIa establecidas por la Secretaría de Gobierno de Salud” (art. 1°). La incorporación al PMO comenzó a regir a partir del 12/08/2019. Asimismo, la Res. 1453/2019 de dicha cartera ministerial aprobó las pautas para dar la

tratamiento con la tecnología nusinersen o han iniciado formalmente la solicitud para recibirlo. De dicho colectivo, el 51,7% son varones, 52% reside en la zona centro del país y del 30% no se consigna el lugar de residencia. Según el tipo de AME que presentan, los casos registrados se clasifican como sigue: – AME tipo I: 23,3% (28 pacientes) – AME tipo II: 40,8% (49 pacientes) – AME tipo IIIa: 30,8% (37 pacientes) – Sin identificación del tipo de AME: 5% (6 pacientes) En relación al tipo de cobertura que presentan y a través de las cuales reciben el tratamiento cada uno de esos pacientes es la siguiente: – Obra Social Sindical: 55,8% – Prepaga: 32,5% – Obra Social Provincial: 6,7% – Otros (Ministerios, OS Universitarias, PAMI): 5% ...Al menos 25 casos, aun cuando poseen cobertura de obra social o prepaga, son financiados con fondos del presupuesto público del Ministerio de Salud de la Nación de manera total o parcial en virtud de diversas decisiones judiciales originadas en la negativa inicial de los financiadores por el quebranto financiero que les implicaba la cobertura. Sin perjuicio de la información que se acompaña, este Ministerio entiende que podrían existir otros casos no identificados y en consecuencia es el propio Laboratorio BIOGEN como único proveedor del medicamento, podría aportar información relevante para determinar con exactitud cuántos pacientes en tratamiento con NUSINERSEN/SPINRAZA existen en Argentina...”

cobertura del medicamento, conforme los criterios que se establecen en el Anexo II que forman parte de la misma. Allí se indican las condiciones para el inicio del tratamiento, los criterios de inclusión, los criterios de exclusión, las pautas de seguimiento, entre otras indicaciones, que no se encuentran controvertidas en autos para el caso del niño G. V. De este modo, y en razón del plexo normativo descripto en las acápites anteriores y de la enfermedad que aqueja al niño amparista, no cabe duda alguna que le asiste el derecho a que le sea proveído del medicamento Nusinersen de parte de la obra social accionada, el que se encontraba, al tiempo de serle prescripto por su médico de cabecera, expresamente incorporado al Plan Médico Obligatorio. Bajo la vigencia de estas normas es que en fecha 08/04/2020, y luego de recabar el informe médico correspondiente al que hiciera alusión más arriba, dispuso la medida cautelar innovativa, ordenando a la obra social demandada (OSPSA) y al Estado Nacional la cobertura en un 100% del fármaco Spinraza-Nusinersen al amparista. Esta decisión fue revocada por la Cámara Federal de Apelaciones local, en fecha 19/08/2020, en lo que hace a la obligación de cumplimiento por parte del Estado nacional, quedando firme respecto de la obra social. Luego, en fecha 26/06/2020 el Ministerio de Salud de la Nación emite la Res. 1114/2020 y la Res. 1115/2020. A través de la primera de éstas se rescinde el acuerdo oportunamente celebrado entre la entonces Secretaría de Gobierno de Salud y la firma Biogen (Argentina) S.R.L. para el suministro y la comercialización del Spinraza- Nusinersen, para el tratamiento de la AME tipo I, II y IIIa. La decisión, que según se indica en sus considerandos se toma ‘...en un escenario dinámico, de recursos escasos y necesidades ilimitadas’, se apoyó en un informe emitido por la Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (CONETEC), que dictaminó sobre la droga Nusinersen y su utilización para la AME. En dicho informe ‘no recomienda’ la incorporación de esta tecnología a la cobertura obligatoria del país, y sólo en caso de reducción considerablemente significativa en el precio, indica que ‘podría considerarse la cobertura para pacientes con AME tipo I y II...’. Siendo así, en la misma fecha, y a través de la Res. 1115/2020 se decide la derogación de la Res. 1452/19, manteniendo de todas formas la continuidad de la cobertura de los tratamientos de pacientes con AME en los tipos I, II y IIIa “...que se iniciaron durante la vigencia de la Resolución n° 1452/19 de la entonces Secretaría de Gobierno de Salud” (art. 2°). Más allá de las dudas que pueda generar la interpretación de esta última referencia a ‘los tratamientos que se iniciaron durante la vigencia de la Resolución n° 1452/19’, en razón

de que al niño G. V. aún no se le ha administrado la primera dosis del fármaco, lo cierto es que no puede la obra social ni el Estado Nacional precaverse de tal circunstancia, cuando la demora en el inicio del tratamiento es responsabilidad plena de ambos obligados. En efecto, al tiempo de serle solicitada la cobertura a la obra social por el afiliado, ésta alcanzaba sin dudas a los pacientes AME tipo IIIa, y no había motivo alguno, desde el plano legal, que justifique el silencio o la negativa a su provisión. Por lo tanto, el incumplimiento de las disposiciones legales y reglamentarias vigentes, y de la orden judicial que oportunamente les conminó a cumplir con dicha obligación legal, no puede de ningún modo menoscabar el derecho del niño G. V. a dar inicio a su tratamiento. Bajo estas condiciones, las disposiciones reglamentarias emitidas con posterioridad son claramente inaplicables al caso en examen. Lo contrario importaría que los obligados se beneficien con su propia reticencia al cumplimiento de las normas entonces vigentes, lo que resulta a todas luces inadmisibile.” (el subrayado me pertenece).

No obstante las dudas, sobre la exclusión del medicamento del PMO, la jurisprudencia se ha expedido sobre tal extremo, con anterioridad, en autos “P., R. D. c/ Obra Social Met Córdoba S.A. – Amparo – Otras causas de Remisión” Expte. N° 1843123/36, la Cam. de 6ta. Nom. C y C, dispuso “...Sobre el alcance del PMO, la Corte Suprema Nacional ha entendido que “... esa limitación en la cobertura debe ser entendida como un “piso prestacional”, por lo que no puede, como principio, derivar en una afectación del derecho a la vida y a la salud de las personas que tiene jerarquía constitucional...” (Corte Suprema, fallos 323:1339).- En igual sentido, se ha señalado que “El sólo hecho de no encontrarse incluido el tratamiento referido dentro de los está obligado a cubrir la Obra Social no obsta que se ordene su cobertura, en atención a la especial situación que se valora en esta causa y en cumplimiento de las normas internacionales precitadas. En tal sentido, cabe puntualizar que no es óbice para viabilizar la operatividad de la fecundación in vitro requerida (según técnica FIV por ICSI), el hecho de que dicha prestación no está contemplada en el ‘vademecum’ del Programa Médico Obligatorio, puesto que el mismo no puede ser considerado como un “tope excluyente” de toda otra prestación, sino de una “base o piso prestacional” el que puede y debe ser extendido a casos concretos que exijan prestaciones que no estén específicamente contempladas en el PMO y que puedan afectar la vida y la salud de las

personas" (Cámara Federal de Córdoba, nueve de Mayo de 2012, autos caratulados: "G, N R c/ Galeno Argentina S. A. y otro – Amparo") y que "De este modo, el propio Estado Nacional ha caracterizado el programa implementado diciendo: a) constituye un piso básico de prestaciones; b) es mutable y se nutre de las nuevas técnicas y c) tiene un fin integral que supera el mero sufragio económico de la práctica médica". (C.C.C. Sala III Lomas de Zamora. 26/05/09. Sentencia N° 79 Causa N° 642 "Di Giacomo, Juan Manuel c/ Medicus S.A. –Amparo-)."

Conviene reiterar que la exclusión de los pacientes diagnosticados con AME IIIa se fundamentó en el informe de CONETEC, que no refiere concretamente a la ausencia de beneficios, sino a escasos beneficios informados con relación a su costo e incidencia sobre el Sistema Sanitario Argentino; cabe así debatir si se hubiera mantenido la recomendación de permanencia en el PMO, si el medicamento fuere significativamente menos costoso. Y dejar aclarado que los estudios que reflejan evidencia científica, superan ampliamente el plazo observado por la CONETEC, para aconsejar la modificación en la inscripción del REM.

4.3. El Derecho Humano a la Mejor calidad de Vida Posible.

La OMS ha definido a la Salud, como *"Estado de completo bienestar, físico, mental y social y no solamente la ausencia de enfermedad"*.

El derecho a la salud y su correlato con el derecho a la vida, ya que este último comprende no sólo el derecho a existir sino a tener una vida digna, es la salud el primer eslabón en la pirámide de esa dignidad. Para la CSJN, el Derecho a la salud implica un elemento esencial cual es la calidad de vida.

El derecho a la Salud (JFTU, 2020), es considerado un verdadero derecho subjetivo, extrapatrimonial, carente de contenido económico, que acompaña a la persona desde el comienzo de la vida y hasta el momento en que se verifica su muerte natural, es congénito y vitalicio, un derecho esencial y necesario ya que su negación implica sin más, la negación misma de la personalidad; es imprescriptible, porque su vigencia no se ve afectada por el transcurso del tiempo, e inalienable por esta fuera del tráfico comercial. El

titular del derecho a la Salud puede oponerlo *erga omnes*, frente a cualquier persona u organismo que amenace o impida efectivamente su libre desenvolvimiento.

La Salud como se mencionó previamente implica un estado de equilibrio y armonía del hombre consigo mismo, en sus distintas dimensiones morfológicas, fisiológica, psíquica y espiritual y, supone también relaciones armónicas y estables entre el hombre y el medio dentro del cual se desenvuelve y que conforme su propia circunstancia, sea ésta su grupo familiar, comunidad política, ambiente laboral o ecosistema del que forma parte. Así concebido comprende la facultad que tiene toda persona de requerir una respuesta sanitaria, tanto en el aspecto preventivo como asistencial (Lapalma, 2006)

Desde el Derecho internacional de Derechos Humanos, se reconoce la aplicación del Principio de Progresividad, supone una obligación concreta y constante de avanzar lo más expedita y eficazmente posible hacia la plena realización de la Salud.

El principio *Pro Homine*, supone el Principio de *Progresividad*, así la CSJN ha sostenido “*Es impostergable la obligación de la autoridad pública de emprender acciones positivas, especialmente en todo lo que atañe a promover y facilitar el acceso efectivo a los servicios médicos y de rehabilitación que requieran los infantes, con particular énfasis en aquellos que presenten impedimentos físicos o mentales, cuyo interés superior debe ser tutelado, por sobre otras consideraciones, por todos los departamentos gubernamentales.* (CSJN, 2004)”

Desde el punto de vista del derecho constitucional importa, establecer la división entre el Estado Nacional y las provincias no sólo con relación a la competencia para reglamentar el ejercicio del derecho a la salud sino también, determinar cuál de las jurisdicciones debe tomar a su cargo la obligación con relación a los habitantes, en cuanto a la protección del derecho. En realidad, lo que se encuentra en juego es la distribución de competencias a efectos de ejercer el denominado "poder de policía", entendiéndose por éste la facultad de reglamentar el ejercicio de derechos constitucionalmente asignados a los habitantes del país. Lo afirmado corresponde a la aplicación de los artículos 14, 75, 121 y 125 de la Constitución Nacional. Entendemos que la competencia es concurrente, es decir, que puede ser ejercida tanto por la Nación como por las provincias –y la Ciudad Autónoma de Buenos Aires– en el marco de sus respectivas atribuciones. También goza de la

protección estatal el derecho a salud cuando esta obligación es ejercida por las autoridades municipales. No obstante lo afirmado, cabe señalar que si una provincia no puede garantizar el uso de este derecho, nacerá la obligación del Estado Nacional para asegurar dicho goce. Por lo demás en el caso de conflicto entre la Nación y alguna provincia en materia de salud, debe predominar el principio "*pro homine*" y de allí que debe regir la legislación que provenga de la jurisdicción que provea a la solución más favorable a la persona humana (Canosa, 2017).

Los Estados y sus sociedades deben propender al acceso a la innovación tecnológica, siempre buscando la pertinencia terapéutica y la mitigación de las imperfecciones del mercado. Los Tratados internacionales, Convenciones y Legislación Nacional obligan al Estado a proteger, promover y a satisfacer el Derecho a la salud de los ciudadanos a través de mecanismos legales. Esto es lo que algunos autores denominan la nueva gobernanza de la ciencia y la tecnología en salud.

El PIDECS, no admite regresividad, sin embargo los derechos sociales tienen estrecha vinculación con la política económica, por su dependencia de las erogaciones públicas del Estado para asegurar su efectividad (Política Sanitaria Pública), no puede sustraerse de la tensión entre la innovación en la asistencia sanitaria y el sostenimiento del sistema de salud, por ello el sistema sanitario debe ser entendido como parte importante del sistema social.

Lucía Lapenta (Lapenta, 2020), expuso que el acceso a la cobertura sanitaria es un bien social primario, pertenece a los derechos económicos, sociales y culturales, no son categóricos y obligan al estado en términos positivos. Los conflictos entre la innovación y la investigación no son nuevos, siempre han existido, factores lucrativos que se relacionan con el amparo de la salud y tiene capacidad de distorsionar sus fines primarios, el acceso es simplemente un medio no un fin; es parte del objetivo de garantizar la salud y el Derecho a la vida de las personas.

Conforme se viene desarrollando, el obstáculo para el acceso al tratamiento en tiempo y forma de los pacientes AME, no radica en la ausencia de normativa, ni en la protección constitucional de sus derechos fundamentales. Se trata más bien, de personas que padeciendo una enfermedad grave que provoca severa discapacidad, se enfrentan a un

intrincado proceso judicial como único camino posible, ello afecta sin dudas su calidad de vida.

Entendemos que la calidad de vida, es un elemento sustancial de la dignidad humana, resulta menester resolver en forma previa al proceso judicial o dentro de él de manera ágil la cobertura de salud que requiere el paciente AME, sin que por tal agilidad se resienta el respeto del Derecho de Defensa y bilateralidad.

Recientemente y sentido coincidente al que se procura desarrollar en este punto, se ha presentado ante la Cámara de Diputados de la Nación un proyecto de modificación del artículo 1° de la Ley N° 26.279 -Régimen para la detección y posterior tratamiento de determinadas patologías en el recién nacido-, sobre la inclusión de la Atrofia Muscular Espinal a la pesquisa neonatal³¹. La pesquisa neonatal es una práctica que consiste en tomar una muestra de sangre obtenida del talón del recién nacido antes de su egreso de la maternidad pública y/o Privada, para la detección temprana de enfermedades que la Ley citada incluye³².

Surge obligatoriamente en 1986 por Ley N° 23.413 con la fenilcetonuria, en 1990 se incorpora la detección del hipotiroidismo crónico (Ley N° 23.874) y en el mismo año la detección de la fibrosis quística (Ley N° 24.438); la práctica de estudios necesarios para la detección y posterior tratamiento de enfermedades graves representa una valiosa alternativa para mejorar la calidad de vida de los pacientes (niños, niñas) representando de convertirse en Ley un verdadero instrumento de política sanitaria con el que ya cuentan otros países, para diagnosticar a tiempo y tratar la AME, mejorando la calidad de vida de los menores, que contando con un diagnóstico precoz, podrán acceder a los tratamientos que necesiten.

4.4. **Aspectos de Bioética. Dilema Ético.**

³¹ Expte. Diputados: 2110-D-2022, Trámite Parlamentario N° 50 (05/05/2022).

³² Ley N° 26.279: Art. 1° *A todo niño/a al nacer en la República Argentina se le practicarán las determinaciones para la detección y posterior tratamiento de fenilcetonuria, hipotiroidismo neonatal, fibrosis quística, galactocemia, hiperplasia suprarrenal congénita, deficiencia de biotinidasa, retinopatía del prematuro, chagas y sífilis; siendo obligatoria su realización y seguimiento en todos los establecimientos públicos de gestión estatal o de la seguridad social y privados de la República en los que se atiendan partos y/o a recién nacidos/as. Toda persona diagnosticada con anterioridad a la vigencia de la presente ley queda incluida automáticamente dentro de la población sujeta de tratamiento y seguimiento.*

Desde el punto de vista bioético, la pregunta se centra en lo que representa la vida y la dignidad de las personas aun en condiciones de vulnerabilidad extrema pues, si consideramos que el actuar ético es a-circunstancial, entonces la reflexión llevaría al compromiso de mejorar la calidad de vida de todos los individuos por igual; con esto, actuar frente a los pacientes con AME, proporcionándoles el tratamiento prescrito por el profesional médico interviniente en tiempo y forma, se convierte en un imperativo ético y de cooperación internacional.

El principio bioético de la justicia cobra, especial relevancia y plantea un escenario en el que los demás principios, autonomía, beneficencia y no maleficencia quedan subordinados de tal manera que, la discusión sobre el bienestar tanto individual como grupal representa un problema de distribución de recursos y acceso a los servicios. (Rios Uriarte, 2013).

La salud no debería permanecer sujeta a las leyes del mercado porque como venimos manifestando representa un derecho humano fundamental, y los mecanismos y materiales para protegerla y conservarla deberían estar siempre al alcance de todos y ser una responsabilidad de los gobiernos y de las autoridades locales y mundiales asegurarse sin excepción, tal cobertura en todo momento considerando que la atención de la salud incluye la fase preventiva, curativa, de rehabilitación y paliativa.

Para graficar clara y brutalmente el “*Dilema Ético*” que se ha planteado en casi todo el mundo, se cita un ejemplo: en Toronto, Canadá, la farmacéutica Novartis productora de Zolgensma, llamó a pacientes con AME para ingresar al "programa de acceso administrado", con la intención de seleccionar un bebé o niño pequeño con atrofia muscular espinal al azar cada dos semanas. Esta especie de “lotería de la vida” no es más que una solución extrema para el dilema ético actual que plantean las enfermedades raras, cuyas terapias génicas son increíblemente costosas, se trata de fármacos diseñados específicamente para corregir defectos genéticos. El "*sorteo*" que ha ingeniado Novartis, para llevar a cabo un programa de acceso administrado basado en la equidad, necesidad clínica y accesibilidad global. Aun los bioeticistas, consideran que "*sortear*" el tratamiento puede ser una buena solución.

Analicemos que "sortear" puede implicar obtener un premio, quién "vive o muere", aun contando con normas internacionales, constitucionales y legales que bastamente reconocen el derecho a vivir y a proteger integralmente a los niños, niñas, adolescentes y adultos vulnerables con discapacidad que padecen EPoF, dónde subyace entonces el obstáculo que, transforma un sorteo cuyo premio mayor de el "DERECHO A VIVIR", en una alternativa no repudiable y admitida por el Estado Canadiense.³³

La actual presidente de la Asociación Civil FAME Argentina, en una entrevista para el diario Perfil (Ballarino Florencia, 2020) sostuvo *"Lo que vivimos estos últimos 3 años fue un infierno, tener un tratamiento disponible para una enfermedad tan cruel como esta que va transformando a las personas en estatuas porque literalmente quita las fuerzas de cada músculo del cuerpo es un milagro; y a su vez lo peor que nos paso porque nos puso a trabajar en cosas que no estábamos preparados y generó mucha inquietud"*. *"...el 95% de las personas accedió al tratamiento a través de un amparo, lo que significó un estrés tremendo para las familias..."* criticó la decisión de excluir a futuro el tipo de AME IIIa, indicando que *"...Nosotros esto lo tomamos como un retroceso en los derechos de los pacientes porque en nuestro país hoy un 20% de los 142 pacientes que están en tratamiento tienen tipo 3A, con lo cual existe evidencia a nivel local. En el mundo hay 12 mil pacientes en tratamiento con Spinraza, de los cuales el 25% es tipo 3A. Está aprobado por la FDA y la EMA y por otros 82 países. Solamente Taiwán tiene una regulación restringida sacando tipo 3. El resto de los países incluyen el tipo 3 y 4, del que definitivamente hay menos evidencia disponible. Pensamos que es algo que prontamente tenemos que rever porque sino sigue generando inequidad entre los pacientes"*.

La jurisprudencia, refleja un estado de situación complejo para los pacientes con AME, ilustrativamente se cita brevemente lo resuelto por la Cámara Federal de San Martín – Sala I con fecha 28/12/2020, en la causa N° FSM 110149/2019/2/CA2 "Incidente N° 2 - Actor: Sackmann Sala Rafael Luis en Rep, de su hija Menor C.S.S demandado: Hospital Britanico Y Otros S/Astreintes" – Interlocutorio: *"En tal sentido, la demandada no puede justificar su incumplimiento exigiendo al amparista requisitos que ya habían sido*

³³ https://cadenaser.com/programa/2020/01/31/hoy_por_hoy/1580451724_742340.html
<https://www.bbc.com/mundo/noticias-51326221>

acreditados y cuando, además, al momento en que fueron aplicadas las sanciones conminatorias, habían transcurrido casi cuatro meses del dictado de la medida cautelar (vid Fs. 481 del 17/02/2020 y Fs. 503 del 10/04/2020). ...En mérito de las circunstancias descriptas, y más allá de que la obra social demandada ha manifestado su intención de acatar la manda judicial, este Tribunal considera que, teniendo en cuenta el tiempo transcurrido desde el dictado de la medida cautelar, las reiteradas denuncias de incumplimiento formuladas por el amparista y el hecho de que la obra social cumplió recién luego de que se hicieran efectivas las sanciones impuestas en la instancia anterior, corresponde desestimar sus quejas y mantener las sanciones conminatorias impuestas en el plazo fijado por la “a quo” -entre el 11/05/2020 y el 02/06/2020-...”. Repárese, que la resolución extractada, fue dictada luego de haber transcurrido un año desde la interposición de la Acción de Amparo, con el pedido de medida cautelar.

La Cámara Federal de Tucumán, con fecha 27/11/2019, en la causa N° 33406/2017 - Incidente N° 1 - Demandado: OSDE S/Inc de Medida Cautelar falló “...Según ello, no cabe admitir, en esta instancia, planteos relativos a la “elegibilidad” de los pacientes con derecho al tratamiento, concepto que, conviene recordar, no está determinado legalmente. Es el médico tratante, por otra parte, quien tiene la facultad legal –y la responsabilidad consecuente- de prescribir el tratamiento que según sus conocimientos corresponda con la patología del paciente (Ley 17.312, ADLA XXVII-A, 44), y que por ahora no puede admitirse una evaluación que no sea la realizada por el facultativo y consentida, por el paciente. Ello, por cuanto no corresponde a este Tribunal suplir las competencias de los organismos sanitarios del Estado, ni del facultativo tratante obligado a determinar el riesgo y beneficio para el paciente y demás condiciones exigidas legalmente, para la administración del tratamiento. No escapa, sin embargo a la consideración de este Tribunal, que pesa sobre el Estado Nacional como signatario del Protocolo de San Salvador (Protocolo Adicional a la Convención de Derechos Humanos en Materia de Derechos Económicos Sociales y Culturales) el compromiso a adoptar todas las medidas y normas de orden interno para la plena efectividad de los derechos que se reconocen en el Protocolo, entre ellos, el derecho al disfrute del más alto nivel posible de salud y que “deberá aun cuando los agentes de salud se rehusen a cumplir con sus obligaciones, brindar la prestación para evitar así incurrir en responsabilidad internacional por

violación de los mencionados derechos”. (Graciela Medina, Ignacio González Magaña, “Derecho de los Pacientes a Tratamientos no Autorizados expresamente por Ley”, LA LEY 29/08/16.) Por ello ambas deberán brindar el tratamiento en forma cautelar.” Repárese que distan 2 años desde la interposición de la demanda y el pedido cautelar, al dictado el citado resolutorio.

El Juzgado Federal N° 3 de la ciudad de Córdoba, con fecha 16/06/2020, en la causa N° 85180/2018 P., S. c/ Asociación Mutual Sancor Y Otro S/Prestaciones Farmacológicas, falló “...comparecen los Sres.... en representación de su hijo ... con el patrocinio letrado del Dr..., e inicia acción de amparo en contra de Asociación Mutual Sancor, tendiente a obtener con la cobertura de cien por ciento (100 %) a cargo de la entidad accionada la provisión de la medicación SPINRAZA (Vial) NUSINERSEN 12mg/5ml intratecal en la forma indicada por el médico tratante según prescripción médica... Manifiestan que la medicación es necesaria para la continuidad de la vida y, de su calidad de vida y detención del avance de la enfermedad denominada ATROFIA MUSCULAR ESPINAL (AME) de tipo I. ...que le otorgó el carácter de discapacitado con diagnóstico de “retardo de desarrollo Atrofia muscular espinal infantil, tipo I (werdnig-Hoffman)”, del que da cuenta el certificado de discapacidad (Ley Nacional Nro 22.431) Manifiestan que con fecha 27/09/2018, le es prescripto la medicación SPINRAZA (Vial) NUSINERSEN 12mg/5ml, 4 ampollas, ... solicitaron a la obra social Asociación Mutual Sancor Salud- a la que su hijo se encuentra afiliado, la prestación médica mediante Nota con fecha de recepción el día 01-10-2018... el Tribunal, concede la medida cautelar 12/10/2018 y ordena la citación del Estado Nacional como tercero interesado... habiéndose intimado a Asociación Mutual Sancor - para que presente el informe del art. 8° de la Ley 16.986 a, ...Solicita la citación de BIOGEN ARGENTINA S.R.L, Estado Nacional y SUPERINTENDENCIA DE SERVICIOS DE SALUD como terceros interesados. ...la demandada denuncia hecho nuevo... información suministrada por el Sanatorio Allende que el día 02 de diciembre de 2018 el menor... fue hospitalizado en la unidad de terapia intensiva con el diagnóstico de ingreso “DIFICULTAD RESPIRATORIA”... se denuncia el fallecimiento del actor acompañando a fs. 318 el acta de defunción el día 10/01/2019.” A mérito de lo citado resolvió “...I- Declarar abstracta la presente acción de amparo.”

Reflexionar sobre la importancia del transcurso del tiempo y la significatividad de los procedimientos burocráticos para garantizar la defensa en juicio y el principio de bilateralidad con relación a la vida de una persona, devine trascendental en el último caso citado, por cuanto entre la provisión de la medida cautelar y el deceso del menor transcurrieron 3 meses. Entendemos que todos los actores intervinientes en la causa reseñada, pudieron y debieron comprender la gravedad de la patología AME I, detectada a los 5 meses de vida, no obstante, la causa judicial concluyó 17 meses posteriores al fallecimiento.

En la causa N° 59288/2018 “Incidente N° 5 - Actor: T., L. y Otro Demandado: Obra Social Agentes Propaganda Medica y Otro S/Inc Apelacion”, tramitada por ante el Juzgado Federal N° 2 de la ciudad de Córdoba, según surge de las propias constancias de autos, en razón de la nacionalidad de uno de los progenitores, la menor y su familia se radicó en la República de Francia, donde obtuvo cobertura inmediata por parte de aquel Estado para su patología, mientras en la causa judicial, la parte demandada interponía sendos recursos para impedir el cumplimiento de la medida cautelar, radicando finalmente las actuaciones por ante la CSJN, denunciando además la parte demandada, al profesional médico tratante de la menor ante el Consejo Profesional de la Provincia de Córdoba, con fundamento en la prescripción médica de Nusinersen/Spinraza. Posteriormente la causa judicial concluyó y con fecha 19/12/2019 se resolvió “...Téngase a la parte actora por desistida de la presente acción en contra de APM y del Estado Nacional e impónganse las costas en el orden causado. Notifíquese personalmente o por cédula”.

El Ex Superintendente de Servicios de Salud, Dr. Luis Scervino, expuso “No estamos preparados como país para afrontar el dilema que plantean las nuevas tecnologías de altísimo costo. Desde hace 4 años hemos tenido idas y vueltas para aprobar en el Congreso una Agencia de Evaluación de Tecnologías, que es uno de los pilares para empezar a dar respuestas racionales a estas cuestiones. El último intento de discusión sobre la Agencia está a punto de naufragar, presumiblemente por estar incluido en el proyecto de ley de blanqueo laboral, con el cual nada tiene que ver. Es muy difícil encarar estos temas con seriedad si no se tiene en cuenta el concepto de “costo de oportunidad” que supone que, con un presupuesto finito, los recursos que utilizamos para financiar una prestación desfinancian o le quitan la cobertura a otra. Desde el Congreso Nacional se

han sancionado cerca de una docena de leyes de cobertura por enfermedad sin especificar de dónde se obtendría el financiamiento y mucho menos qué se debería dejar de cubrir para obtener los recursos que insuman estas normas. (Scervino, 2019)”

¿Cuánto vale un mes de vida para una persona, para el Estado, para su Obra Social o Empresa de Medicina Prepaga? ¿Y seis meses? ¿Se le puede poner precio a la supervivencia de un enfermo? ¿Y a la mejoría aun cuando resulte leve o transitoria? El dilema es cómo incorporar la mejora terapéutica de forma constante y permanente de manera que, el costo pueda ser asumido por el Sistema Sanitario, sin generar riesgo para el resto del universo de ciudadanos que requerirán de otras coberturas conforme su patología. Cuestión claramente de excedencia judicial, se trata entendemos quizá de judicializar cuestiones sobre las que no hay consenso ni conciencia política, y alternativa de financiamiento.

5. Medicamentos Huérfanos.

Los medicamentos huérfanos se definen como fármacos que no serían desarrollados por la industria farmacéutica por razones económicas, pero que responden a necesidades de salud pública (Cárcar Benito, 2017).

El fundamento de la regulación de medicamentos huérfanos es prioritariamente favorecer la investigación de aquellos para las enfermedades raras, y se vincula directamente al derecho de acceder a ellos. La investigación de las enfermedades raras por su parte, tiene por objetivo la generación de conocimientos sobre la enfermedad y su historia natural, posibilidades de tratamientos, evolución, etc. pero además procura la autorización de medicamentos y nuevas tecnologías; ingresando de este modo a la dinámica de la regulación que reciben en diferentes países los Medicamentos Huérfanos.

Marcos Cano (del Cano, 2003), expresó que el progreso técnico-medico, la innovación asistencial ha supuesto mejorar la calidad de vida de las personas que padecen enfermedades poco frecuentes, pero también recurriendo a una complicada técnica en el tratamiento de las distintas enfermedades se ha aumentado el número de enfermedades que requieren tales innovaciones.

La Ley N° 16.463 de medicamentos, sancionada en 1964, prevé en su artículo 1° *“Quedan sometidos a la presente ley y a los reglamentos que en su consecuencia se dicten, la importación, exportación, producción, elaboración, fraccionamiento, comercialización o depósito en jurisdicción nacional o con destino al comercio interprovincial, de las drogas, productos químicos, reactivos, formas farmacéuticas, medicamentos, elementos de diagnóstico y todo otro producto de uso y aplicación en la medicina humana y las personas de existencia visible o ideal que intervengan en dichas actividades”*, y en su artículo 2° *“Las actividades mencionadas en el artículo 1° sólo podrán realizarse, previa autorización y bajo el contralor del Ministerio de Asistencia Social y Salud Pública, en establecimientos habilitados por el mismo y bajo la dirección técnica del profesional universitario correspondiente, inscrito en dicho ministerio. Todo ello en las condiciones y dentro de las normas que establezca la reglamentación, atendiendo a las características particulares de cada actividad y a razonables garantías técnicas en salvaguardia de la salud pública y de la economía del consumidor.”*

Fue reglamentada por Decreto N° 9763/1964, que en su artículo 1° establece *“El ejercicio del poder de policía sanitaria referido a las actividades indicadas en el artículo 1° de la Ley N° 16.463 y a las personas de existencia visible o ideal que intervengan en las mismas se hará efectivo por el Ministerio de Asistencia Social y Salud Pública...”*

Posteriormente, por Disposición N° 4622/2022 la ANMAT, fijó las características de las EPoF que de acuerdo a la Ley 26.689, son 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 y, determinó las características de las enfermedades consideradas serias, con riesgo de muerte y/o invalidez grave:

- a) Enfermedades crónicas, debilitantes para las cuales no existan tratamientos disponibles efectivos o que sean de alguna manera inadecuados.
- b) Enfermedades severas o con riesgo de muerte para las cuales no existan tratamientos disponibles efectivos o que sean de alguna manera inadecuados.
- c) La aparición durante el tratamiento de una enfermedad de una resistencia ampliada (refratariedad) a los tratamientos con los agentes actualmente disponibles.

d) La aparición de una nueva enfermedad que posea efectos severos o riesgo de muerte y para la cual no existan tratamientos disponibles efectivos o que sean de alguna manera inadecuados.

Fijó asimismo, los requisitos y documentación para la inclusión en el Registro de las Especialidades Medicinales y/o Medicamentos Definidos (REM), fijando los siguientes:

- 1- Presentar información completa al menos de las fases tempranas (Fase Preclínica y Fases I y/o II de la Farmacología Clínica) de investigación y/o de los resultados de los ensayos clínicos realizados con diseños adaptativos cuando correspondiere; en todos los casos deberá además acreditarse mediante evidencia fehaciente y completa que el medicamento cuyo registro se solicita ha sido categorizado como "medicamento huérfano", o destinado para el diagnóstico, prevención y/o tratamiento de Enfermedades Poco Frecuentes;
- 2- El solicitante deberá presentar el Plan de Monitoreo de la Eficacia, Efectividad y Seguridad, para evaluar el beneficio/riesgo del tratamiento, el que deberá ser aprobado por la Dirección de Evaluación de Medicamentos, dando intervención al Departamento de Farmacovigilancia en la faz de su competencia;
- 3- Cuando las características del medicamento incluírá al mismo en un Plan de Farmacovigilancia Intensiva.
- 4- El titular del registro deberá presentar ante la Dirección de Evaluación de Medicamentos, mediante informes periódicos, los registros obtenidos en el marco del Plan de Monitoreo de la Eficacia, Efectividad y Seguridad del producto, como máximo anualmente o con la periodicidad que se determine para cada caso.

ANMAT, en 2019 aprobó Spinraza/Nusinersen hasta ahora es el único tratamiento farmacológico aprobado sólo para AME I y II. En nuestro país, No se han aprobado aun Zolgensma ni Risdiplam, aunque ya se han aplicado a varios pacientes por vía judicial la medicación Zolgensma (Véase Anexo I – Zolgensma).

Por su parte, la Unión Europea (UE) para designar un medicamento como huérfano establece los siguientes criterios:

1. Que sea para el diagnóstico, prevención o tratamiento de una enfermedad que amenace la vida o conlleve una incapacidad crónica;
2. Que la prevalencia de la enfermedad no sea mayor de 5/10.000 en la UE o resulte improbable que su comercialización genere suficientes ingresos para justificar la inversión necesaria para desarrollarlo.
3. Que no exista ninguna terapia satisfactoria autorizada para dicha afección o de existir, el medicamento aportará un beneficio considerable a quienes padecen dicha afección.

El ordenamiento jurídico Español, a través del Decreto Real N° 1090/2015 (<https://www.boe.es>, 2015) creó y reguló el registro de enfermedades raras, con la finalidad de facilitar información sanitaria, epidemiológica necesaria para orientar la planificación y gestión de actividades preventivas y asistenciales en el marco de esas enfermedades, para lograr la colaboración con otros países; juntamente reguló ensayos clínicos con medicamentos; el Parlamento y Consejo Europeo aprobaron el Reglamento N° 141/2000 (<https://eur-lex.europa.eu>, 2010) que instauró los procedimientos para declarar determinados medicamentos como huérfanos y establecer incentivos que fomenten la investigación, desarrollo y comercialización.

Sin embargo, el gran problema sigue siendo la financiación (inversión y precio) y consecuentemente la autorización de los medicamentos huérfanos; estas barreras representan un auténtico obstáculo frente al acceso. La desintegración y fragmentación del proceso de acceso a los nuevos medicamentos con evaluaciones a veces redundantes de los mismo datos tensiona el sistema. Es preciso dar tiempo a los tratamientos, aun cuando ello insuma gran cantidad de dinero.

La industria farmacéutica, tiene fines lucrativos, invierte y recupera tal inversión mediante las “patentes”, manifiestamente hasta aquí, sin lucro no hay nuevos medicamentos.

En Europa, la EMA (Agencia Europea de Medicamentos) proporciona importantes incentivos a los medicamentos designados huérfanos:

1. Asistencia por parte de EMA en la elaboración de protocolos de investigación,
2. Tasa reducidas para solicitudes,
3. Acceso a financiación pública para la investigación,

4. Exclusividad del mercado durante 10 años con aprobación del medicamento, solo se aprobará otro medicamento similar para la misma indicación si aporta un beneficio considerable,
5. El periodo de exclusividad se alarga 2 años si con el medicamento se ha realizado un programa de investigación pediátrica acordado con la EMA, independientemente si se indique o no en niños.

La patología bajo estudio en el presente trabajo, tiene en la actualidad la particularidad de haber incluido en esa categoría a tres terapias farmacológicas diversas, que la Agencia Europea ha recomendado:

El 2 de abril de 2012, la Comisión Europea otorgó la designación huérfana (EU/3/12/976) a Isis USA Ltd. Reino Unido, para el oligonucleótido antisentido dirigido al gen *SMN2* para el tratamiento de la atrofia muscular espinal 5q. El abril de 2016, el patrocinio de tal medicamento se transfirió a Biogen Idec Ltd, Reino Unido. El oligonucleótido antisentido dirigido al gen *SMN2* fue autorizado en la UE como Spinraza desde el 30 de mayo de 2017.

En EEUU, la FDA el 23 de diciembre de 2016, aprobó **Spinraza/Nusinersen**, medicamento para el tratamiento de pacientes con Atrofia Muscular Espinal Niños y Adultos y otorgó la designación de vía rápida, revisión prioritaria, y fármaco huérfano, que proporciona incentivos para ayudar y estimular el desarrollo de drogas para enfermedades raras.

El 19 de junio de 2021 Zolgensma (E.M.A., <https://www.ema.europa.eu>, 2021) fue designado como medicamento huérfano. En abril de 2021 la Agencia Europea del Medicamento (EMA) recomendó otorgar una autorización de comercialización condicional en la Unión Europea para la terapia génica Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) para tratar a bebés y niños pequeños con atrofia muscular espinal (AME). Principalmente para el tratamiento de atrofia muscular espinal I, que generalmente es diagnosticada en el primer año de vida. La mayoría de los pacientes con AME I no sobreviven a la primera infancia.

El tratamiento con Zolgensma ha recibido la recomendación de EMA para autorización de comercialización condicional, basada en los resultados preliminares de un ensayo clínico completado y tres estudios de apoyo en pacientes con atrofia muscular

espinal con diferentes etapas de gravedad de la enfermedad. Este tipo de aprobación permite a la Agencia recomendar un medicamento para la autorización de comercialización con datos menos completos de lo que normalmente se espera, en los casos en que el beneficio de la disponibilidad inmediata de un medicamento para los pacientes, supera el riesgo inherente al hecho de que aún no están disponibles todos los datos.

El 13 de diciembre de 2018, Evrysdi/Risdiplam fue aceptado un esquema de apoyo desarrollado por la EMA³⁴ para nuevos medicamentos prometedores que abordan una necesidad médica insatisfecha. Dos meses después, el 26 de febrero de 2019, fue designado como medicamento huérfano para tratar la AME.

La recomendación de Evrysdi se basa en dos estudios clínicos, uno que investiga los efectos del fármaco en pacientes con AME de inicio infantil y el otro aún más innovador AME de aparición tardía. Los resultados de los ensayos muestran efectos beneficiosos en pacientes muy jóvenes en términos de su desarrollo motor y supervivencia a los 12 meses, en comparación con los datos sobre el curso natural de la enfermedad en estos pacientes. El efecto positivo en la AME de aparición tardía (tipo 2 y 3) se ha demostrado en un ensayo doble ciego controlado con placebo, que incluyó a pacientes de entre 2 y 25 años de edad.

En 2019, FDA hizo lo propio con la terapia génica de Novartis Zolgensma (onasemnogene abeparvovec-xioi), finalmente aprobada para el tratamiento de pacientes pediátricos menores de 2 años con atrofia muscular espinal (AME) con mutaciones bialélicas en el gen de la neurona motora de supervivencia 1 (SMN1). El valor neto presente (VPN) estimado para esta terapia es de 7.800 millones de dólares, con unas ventas estimadas de 1.600 millones de dólares.

La misma Agencia anunció en 2021, la aprobación de Evrysdi (Risdiplam) para pacientes con AME de 2 meses o más. Esta es la primera terapia administrada por vía oral para la patología; además de su aprobación, Evrysdi también recibió designaciones de medicamento huérfano y vía rápida, revisión de prioridad y un vale de revisión de prioridad de enfermedad pediátrica rara.

³⁴ PRIME (Priority Medicines) tiene como objetivo traer prometedor innovador medicinas a pacientes más rápido optimizando y medicina de apoyo desarrollo.

6. Argumento Económico.

En el año 2016, se incorporaron al mercado argentino 45 Nuevas especialidades medicinales (NEM), la mayoría aprobadas previamente por la FDA y la EMA³⁵. El 13% de ellas no tenían ensayos clínicos aleatorizados que demostraran eficacia y un 24% habían demostrado eficacia solo para variables subrogadas no validadas. Por otra parte, el precio de los nuevos productos fue sustancial.

Las enfermedades raras también denominadas “catastróficas” por su baja probabilidad de ocurrencia y alto costo de tratamiento (son por ej: cánceres, hemofilia, esclerosis múltiples, insuficiencia renal crónica, VIH/Sida, hepatitis C, síndromes hereditarios poco frecuentes, entre otras, además de AME), en todos los casos requieren tratamientos con medicamentos de alto costo. La OMS ha informado que aproximadamente 150 millones de personas incurren en gastos sanitarios catastróficos cada año. Tales gastos, son aquellos que superan entre el 10 y el 40% del presupuesto disponible de una familia.

Un estudio publicado por la conocida Revista científica Lancet en 2018, ubica a Argentina entre los países con mayor incidencia del gasto catastrófico en el mundo, con alrededor del 5% de los hogares, incurren en gastos que superan el 40% de sus presupuestos.

El escenario resulta harto complejo, por cuanto los países de alta vigilancia (Australia, Canadá, Confederación Helvética, Estados Miembros de la Comunidad Europea que hayan internalizado las Directivas 90/385/CEE, 93/42/CEE y 98/79/CEE, y las que en el futuro las reemplacen, Estados Unidos, Israel y Japón), han desarrollado otras políticas para afrontar tratamientos complejos y costosos, favoreciendo el acceso a las nuevas tecnologías. Argentina presenta una gran fragmentación en su sistema de salud, por lo que resulta necesario repensar alternativas de abordaje sistémico Sanitario.

³⁵ Cañas, Martín. Buschiazzo, Héctor Omar. Urtasun, Martín Alejandro.
http://www.scielo.org.ar/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1851-82652019000100007

El argumento esbozado en forma reiterada en todo el relevamiento jurisprudencial que surge del Anexo al presente trabajo, evidencia lo que se expone supra.

Se citan algunos antecedentes, a saber:

El Juzgado Federal N° 2 de Mar del Plata, en 09/2020, autos: “C, R.M. (en representación de O, G.V.) c/ OSPSA y otro s/Amparo Ley 16.986” – Expte N° : 30624/2019, falló “... *cabe analizar el planteo central formulado por la obra social accionada, vinculado a la falta de recursos suficientes para afrontar la compra del Nusinersen, y a los efectos disvaliosos que ello tendría sobre la sustentabilidad en su economía y por tanto en la cobertura de las prestaciones hacia los demás afiliados. Debo señalar en primer lugar que no pongo en duda que valores tales como la salud y la vida están por encima de todo criterio económico, No obstante, no debo ser ajeno a los posibles efectos que pueda tener hacia las obras sociales, mutuales o empresas de medicina prepaga, la provisión de medicamentos de alto costo, como el que nos ocupa. De hecho, ello motivó la citación como tercero interesado del Estado Nacional, luego direccionada hacia la Superintendencia de Servicios de Salud, a requerimiento de OSPSA. Tal situación se ve reflejada en los considerandos de la Res. 1114/2020, donde se da cuenta del altísimo costo de dicha tecnología, y de la necesidad de lograr su provisión en el mercado argentino a un ‘precio razonable’. En este sentido, durante la audiencia virtual celebrada en estos autos, señaló el Director Médico de OSPSA, Dr. Alfredo Stern, que el valor del medicamento en el mercado alcanza los ciento dos mil dólares estadounidenses (U\$S:102.000) por cada vial aplicada al paciente, lo que resulta imposible de afrontar para su representada, ya que ello redundaría en una afectación hacia los demás planes de salud. Incluso, en reciente fecha (20/06/2020) el Ministerio de Salud de la Nación ha instruido a la Superintendencia de Servicios de Salud que otorgue un apoyo financiero de excepción destinado a los Agentes del Seguro de Salud que hubieran sufrido una caída en la recaudación como consecuencia de los efectos de la pandemia del coronavirus COVID-19, para garantizar el adecuado funcionamiento de los servicios de salud (Res. 1086/2020 MS). En este punto debo señalar que no puede negarse la vinculación existente entre la vigencia de los derechos humanos y la necesidad de contar con recursos suficientes para su satisfacción. La propia Convención Americana de Derechos Humanos (CADH) hace referencia a esta relación en su artículo 26º, cuando impone a los Estados Parte la*

obligación de lograr “...progresivamente la plena efectividad de los derechos que se derivan de las normas económicas, sociales y sobre educación, ciencia y cultura (...), en la medida de los recursos disponibles... Resulta obvio señalar que los recursos para garantizar los derechos son limitados, no infinitos, y ello vale tanto para el Estado cuanto para los sujetos obligados a brindar las prestaciones de salud dentro del sistema. En este sentido se ha dicho que “...**tomar en serio los derechos equivale a tomar en serio la escasez**”, y se ha objetado inclusive la capacidad de los tribunales de “...considerar las consecuencias distributivas potencialmente serias de sus decisiones” (Holmes, Stephen – Sunstein, Cass R.; *El costo de los derechos. Por qué la libertad depende de los impuestos*; Buenos Aires, Siglo XXI Editores, 2011, p. 117). De todos modos, entiendo que cabe hacer algunas observaciones que considero importantes. En primer lugar, más allá de que en el caso bajo examen resulta casi evidente que la provisión del medicamento Nusinersen es susceptible de provocar dificultades económicas a la obra social, ello no obsta a que la falta de recursos debe ser acreditada en autos si se alega que de tal situación se sigue la afectación en el financiamiento de otros planes de salud. No obstante, ello no ocurrió en el expediente. Es que no se encuentra mínimamente acreditado que la decisión de cobertura impacte de un modo sensible en la distribución de los recursos disponibles, o más aún, que ello se traduzca en un perjuicio concreto para terceros, máxime cuando el Estado Nacional tiene previsto un sistema de auxilio a los agentes del sistema para aquellas enfermedades de alto costo, como la que aquí se requiere. En línea acorde a lo expresado, cabe tener presente en este punto lo dispuesto por la doctrina procesalista, la cual en lo relativo a la distribución de la carga probatoria, categóricamente afirma que: “Quien omite probar, no obstante la regla que pone tal actividad a su cargo, no es pasible de sanción alguna. Sólo ocurre que se expone al riesgo de no formar la convicción del juez sobre la existencia de los hechos de que se trate, y, por consiguiente, a la perspectiva de una sentencia desfavorable.” (Lino Enrique Palacio, Año: 2003, “Manual de Derecho Procesal Civil”, 17ma Edición Actualizada”, Buenos Aires, Editorial: Abeledo Perrot, página 398).- Desde la órbita jurisprudencial también se ha dicho que “Dentro del régimen dispositivo de nuestro Código de rito, la incorporación de la prueba en el proceso constituye una carga para las partes, y el juez no puede referirse a hechos diferentes cuando resuelve el conflicto, ni tampoco puede fundamentar su sentencia en aquellos que no han sido probados; es decir, junto con la afirmación de los hechos tienen la carga de la

prueba” (C. Nac. Civ., sala L, 22/02/2002 en autos “Miralles, Brea Gustavo c/ Autopistas del Sol SA”, JA 2002-II 276).- Es que la defensa en cuestión sólo podría ser seriamente atendida en la medida que se acredite que la decisión judicial afecte las prestaciones de salud y los derechos de terceros (art. 19 CN), considerando que las obras sociales administran fondos solidarios. De lo contrario, ante un eventual juicio de ponderación del derecho a la salud frente a intereses meramente económicos, éstos no tienen manera de prevalecer. En segundo lugar, y aún en el caso de que los derechos de los demás afiliados se encuentren comprometidos, no puedo dejar de advertir que la solución a adoptarse no puede ser razonada en términos crudamente utilitaristas, por los que se pretenda someter a un sacrificio extraordinario a un sujeto, sólo para favorecer a otros. El principio de dignidad de la persona y su respeto en tanto titular de derechos por su sola condición de tal, impiden razonar de ése modo. En este orden de ideas, no debe olvidarse que aquí estamos frente a una grave enfermedad, sufrida por un niño (sujeto de especial tutela constitucional y convencional), y que no existe ninguna alternativa médica al tratamiento prescripto para afrontar su dolencia (más allá de las dudas razonables en el ámbito de la comunidad científica sobre su eficacia en los pacientes AME tipo IIIA). Finalmente, pero no menos importante, ha de advertirse que la defensa de la obra social sobre la escasez de recursos fue hecha bajo circunstancias que han variado a la fecha. En primer lugar, en fecha 27/06/2020, mediante Resolución 597/2020 SSS, la Superintendencia de Servicios de Salud autorizó a los Agentes del Seguro de Salud a realizar presentaciones para el reintegro de la cobertura del medicamento Spinraza- Nusinersen, tal cual lo manifestó la representante de dicho organismo en la audiencia virtual llevada a cabo en estos autos. Luego, la Secretaría de Comercio Interior ha establecido a través de la Resolución 202/2020, de fecha 30/06/2020, un precio máximo de venta del Nusinersen, por un vial, al valor de dólares estadounidenses veintisiete mil (U\$S:27.000), aplicable en todo el país, para aquellas compras efectuadas por el Estado Nacional y todos los agentes financiadores del sistema de salud, cualesquiera sea su jurisdicción (arts. 1º y 2º). Por ello, la defensa esgrimida por OSPSA actualmente ha perdido virtualidad, ya que se sustenta en valores mucho mayores a los referidos, y cuando aún la autoridad de control no había dispuesto un mecanismo específico de reintegro. A ello cabe agregar que años atrás, a través del Dto. 908/16 se conformó un ‘fondo de emergencia y asistencia’ de los Agentes del Seguro de Salud, de inmediata y permanente disposición de la

Superintendencia de Servicios de Salud, destinado a dar cumplimiento a los objetivos y finalidades indicados en su Anexo II, entre los que se encuentra la asistencia financiera a obras sociales ante situaciones de emergencia, y el financiamiento de situaciones de excepción, no contempladas en las normativas vigentes y que produzcan un impacto negativo sobre la situación económica financiera de las obras sociales (art. 6°). Siendo así, dicha defensa habrá de desestimarse.”(Considerando VI). El resaltado me pertenece.

La Cámara Federal de la ciudad de Paraná – Sala , con fecha 03/10/2017 en autos “C.S. y M. G. en Representación de su hijo c/ Osfatun s/Amparo Ley 16986” Expte. N° FPA 1460/2016/CA1, falló “...Respecto del agravio vinculado con el elevado costo de la medicación y la afectación al sistema de financiación de la Obra Social, la CSJN ha dicho que “El argumento relativo al área de los costos, exige una demostración del desequilibrio que se generaría con el otorgamiento de la cobertura integral” (doctrina de la CSJN en los autos “Duich”)... Si bien esto no significa que queda a cargo de la Obra Social la cobertura de cualquier riesgo, debe procurarse realizar un estudio de las circunstancias fácticas ventiladas en cada caso concreto y la normativa aplicable. En el presente, nos encontramos ante una persona menor de edad discapacitada, que padece una enfermedad grave. Ante estas circunstancias no resulta ajustado a derecho negar la prestación con basamento en tal tesitura. Los actores debieron recurrir a la jurisdicción, para que por medio de una resolución judicial, la demandada sea compelida a realizar su tarea natural, y a cumplir con una obligación propia de su objeto, cual es la de cubrir las contingencias vinculadas con la salud de sus afiliados. **No se puede tratar a la salud como una mercancía**, de allí que en procura de garantizar el principio de solidaridad que rige a los agentes de salud, es necesario que se efectúe un esfuerzo, que permita garantizar la cobertura integral de prestaciones que son totalmente necesarias para el tratamiento de alguna dolencia grave que pueda sufrir el afiliado, lo que será evaluado en cada caso concreto... la falta de acreditación suficiente de los argumentos planteados por la demandada en su memorial como la afectación a su patrimonio o la imposibilidad de cobertura para el resto de los afiliados por destinar el dinero a cubrir el tratamiento del hijo de los accionantes. En ese contexto, la conducta adoptada por la accionada, quien dilata el otorgamiento de la prestación que el menor necesita imperiosamente para la atención de la afección que padece, resulta lesiva del derecho a la salud de aquel. Por

ello, corresponde rechazar el recurso de apelación interpuesto y confirmar la resolución dictada”.

El Juzgado Federal N° 2 de la ciudad de Córdoba con fecha 8/12/2018, en autos “ZCR y otro c/ Asociación Mutual Sancor Salud s/ Prestaciones Farmacológicas” Expte. N° 85657/2018, dispuso la procedencia de la medida cautelar innovativa, en los siguientes términos “...*lo declarado por el testigo, médico neurólogo infantil del Hospital de Niños, Dr. Héctor Ariel Martínez. Respecto a su declaración cabe resaltar que dicho profesional ha manifestado que con el fármaco en cuestión se puede modificar la evolución natural de la enfermedad, que el medicamento siempre produce disminución de la progresión de la enfermedad y en un 50% pueden recuperar algunas funciones motoras y que no hay tratamiento que pueda reemplazar esta droga. También ha manifestado que los efectos adversos no ponen en riesgo la vida del paciente, en cambio, el costo de no suministrar la droga es la muerte... En consecuencia, y evaluando los antecedentes de autos, corresponde conceder la medida cautelar solicitada: cobertura al 100% de NUSINERSEN (SPINRAZA NR) 12 MG/5 ML 4 VIALES DE LABORATORIO BIOGEN. Ahora bien, el ingreso al país del medicamento en cuestión implica un **alto costo**, por ello, frente la denuncia de la prepaga de **imposibilidad económica de afrontar el costo de la medicación teniendo en cuenta que ya debe hacer frente al mismo en otras causas**, este Tribunal requirió dictamen contable de la Contadora de estos Tribunales Federales de Córdoba a los fines del análisis de los estados contables presentados por la prepaga. En función de lo dictaminado, corresponde evaluar la responsabilidad extensiva del Estado Nacional. Respecto a ello, cabe establecer que las obras sociales y las empresas de medicina prepaga, de conformidad con lo expuesto en las leyes 23.660, 23.661, 24.754 y 26.682, son quienes resultan ser las principales obligadas en brindar la cobertura médica requerida por sus afiliados. Mas frente al elevado costo del medicamento en cuestión y teniendo en cuenta la situación económica de la prepaga demandada, corresponde extender la obligación de cumplimiento efectivo de la medida cautelar al Estado Nacional-Ministerio de Salud de la Nación. La responsabilidad del Estado Nacional en esta materia consiste en ser garante del sistema de salud a través de acciones positivas, en procura de que las personas en riesgo reciban las prestaciones necesarias. **Ello implica que ante la imposibilidad de cumplimiento de la obligada directa, el Estado debe suplir la omisión***

ante la importancia de la cobertura del medicamento para el menor, correspondiendo por medio del Ministerio de Salud cumplir las prestaciones de salud. Por todo lo expuesto, analizada la situación patrimonial de la prepaga, en particular, la circunstancia de que el resultado del ejercicio 2018 ha dado superávit (fs. 564), este Tribunal dispone que Sancor Salud deberá cubrir un 50% del medicamento en cuestión y el Estado Nacional-Ministerio de Salud el otro 50%; ello en el entendimiento que la situación patrimonial de Sancor Salud no es análoga a los antecedentes citados en el dictamen contable, estos son, “HVDA y otro c/ Parque Salud SA y otro-prestaciones farmacológicas (Expte n° 31335/2017)” y “T.L c/ obra social de Agentes Propaganda Médica y otro s/ enfermedades poco frecuentes Expte n° 59288/2018” en los que los agentes de salud presentaban resultados contables de menor cuantía económica que los que revela Sancor Salud en la presente causa y que fuera objeto de evaluación por la Cra. Ahumada... ello dentro del término de cinco días de notificados, bajo apercibimiento.”

A partir de lo expuesto, surge la siguiente reflexión, la innovación tecnológica es un importante factor que favorece la mejor calidad de vida, sobretodo de las personas que padecen enfermedades graves, resulta irrefrenable y ante la demanda de NEM, el argumento relativo a la insuficiencia de recursos a la imposibilidad económica de afrontarlo y el consecuente quebranto del sistema sanitario en desmedro de los demás afiliados y/o personas, deviene a estas altura inoponible. Permitir la supervivencia del conflicto entre el acceso al tratamiento de alto costo requerido por un patología grave y la escasas de recursos para garantizar su provisión, resulta violatorio de todo el basto compuesto legal y constitucional sobre el que se asienta la protección de los Derechos humanos, generando mayores desigualdades y exclusión.

7. El amparo de Salud.

El origen de la acción de amparo, fue dar urgente respuesta y se remonta a la década de 1950 con los antecedentes “Siri” (CSJN, 1957) y “Kot” (CSJN, 1958), en el primer caso resultó menester a la judicatura dar solución ante la vulneración del Derecho a Trabajar y a la Libertar de Prensa, en el segundo caso la protección pretendida se relacionaba al Derecho de Propiedad; ambos presentaban el requisito de la inmediatez, la urgencia, la necesidad de restablecer derechos protegidos constitucionalmente. Así, la

Judicatura creó para dar solución al justiciable, una nueva acción con el propósito de resguardar Derechos Constitucionales individuales, colectivos, cuando por alguna acción u omisión pública o privada se afecta o amenaza el efectivo goce de aquellos (Palacio de Caiero, 2015).

Han transcurrido desde aquel momento histórico setenta años, es innegable la trascendencia de la Acción de Amparo en nuestro sistema jurídico como remedio para proteger a la persona de cualquier vulneración de Derechos constitucionales, como asimismo la doctrina sostenida por la CSJN, de hacer prevalecer los derechos de los individuos.

No obstante, el presente trabajo se enfoca específicamente en la Protección del Derecho a la Salud que implica la protección de la Vida del individuo y su aspiración a la Mejor calidad de vida posible, aun en el contexto de Atrofia Muscular Espinal.

Como han sostenido las Dras. Palacio de Caiero y Junyent de Dutari (Palacio de Caiero S. J., 2015)“*La acción de amparo es un proceso constitucional utilizable en situaciones en las que, por carencia de otra vías legales de mayor rapidez y aptitud, peligra la salvaguarda de derechos fundamentales, que exigen una inmediata resolución. Su objetivo es la protección de los derechos individuales e intereses colectivos de personas, grupos afectados y comunidades en su conjunto*”.

Esta acción es sin hesitación alguna la única vía judicial utilizada por las personas con diagnóstico AME, para salvaguardar su derecho de las interferencias que afectan directamente y particularmente el acceso a un tratamiento farmacológico que requiere la utilización de un medicamento catalogado como huérfano y de alto costo.

Esta patología que aqueja severamente en forma prioritaria a infantes y jóvenes comprometiendo su salud y su vida, requiere en un plano hipotético respuesta ágiles y con una celeridad despojada de burocracia que necesitamos repensar. En primer término, respuesta de los agentes que integran el sistema sanitario argentino (obra social, Empresa de Medicina Prepaga, sistema Público) en forma coordinada con la autoridad de aplicación

en la materia de enfermedades catastróficas³⁶, conforme las obligaciones asumidas internacionalmente por el Estado Argentino, empero esa necesidad apare hoy vedada, existe una palmaria negación de los agentes sanitarios a proveer el tratamiento farmacológico requerido por los pacientes AME.

La Convención Americana sobre Derechos Humanos –Pacto de San José de Costa Rica- prevé que toda persona tiene derecho a un recurso sencillo o a cualquier otro recurso efectivo ante jueces o tribunales competente que ampare contra actos que violen sus derechos fundamentales. La Ley Nacional N° 16.986³⁷ y la Ley Provincial N° 4915³⁸, regulan la acción de amparo como trámite judicial expedito para evitar la frustración y/o violación del Derecho. Los pacientes AME tipo I tienen riesgo de vida por la severidad de la patología, en el tipo II la funciones motoras que se pierdan durante la tramitación del proceso, pueden no recuperarse jamás, aun cuando el paciente logre a la postre iniciar y continuar sin alteraciones el tratamiento Nusinersen, ello exige que jueces y auxiliares de la justicia se avengan a esa urgencia conforme lo preceptúa el procedimiento previsto en la Ley Nacional, así admitida la demanda, el juez requiere un informe circunstanciado (Art. 8) en un plazo prudencial; producido o vencido dicho plazo, si no hubiere prueba que diligenciar se dictará sentencia en el plazo de 48 hs., ofrecida la prueba, se diligenciará en audiencia a fijarse en un plazo de tres días, para dictar sentencia en tres días más. El art. 15 del citado cuerpo legal, prevé el recurso de apelación solo, contra la sentencia definitiva, el rechazo *in limine* y las medidas de no innovar y suspensión del acto impugnado.

No es posible soslayar que la CSJN por Acordada N° 5/2009, adhirió a las “100 Reglas de Brasilia sobre el Acceso a la Justicia de las Personas en condiciones de Vulnerabilidad” aprobadas por la Asamblea Plenaria de la XIV Edición de la Cumbre Judicial Iberoamericana³⁹. La Exposición de motivos de aquellas indica que las “...Reglas

³⁶ Según la Organización Mundial de la Salud (OMS), las enfermedades catastróficas son aquellas enfermedades cuyo tratamiento involucra un costo directo mayor al 40% del ingreso del hogar. Estas enfermedades requieren procedimientos complejos tanto para el diagnóstico como para el tratamiento.

³⁷ Ley Nacional N° 16.986 -

³⁸ Ley N° 4915 de la Provincia de Córdoba y su modificatoria N° 5770 – BO 20/01/2017 y 28/10/1974.

³⁹ Medidas de organización y gestión judicial

(38) Agilidad y prioridad.

Se adoptarán las medidas necesarias para evitar retrasos en la tramitación de las causas, garantizando la pronta resolución judicial, así como una ejecución rápida de lo resuelto. Cuando las circunstancias de la situación de vulnerabilidad lo aconsejen, se otorgará prioridad en la atención, resolución y ejecución del caso por parte de los

no se limitan a establecer bases de reflexión sobre los problemas del acceso a la justicia de las personas en condición de vulnerabilidad, sino que también recogen recomendaciones para los órganos públicos y para quienes prestan sus servicios en el sistema judicial. No solamente se refieren a la promoción de políticas públicas que garanticen el acceso a la justicia de estas personas, sino también al trabajo cotidiano de todos los servidores y operadores del sistema judicial y quienes intervienen de una u otra forma en su funcionamiento.”

Por su Parte el TSJ de la Provincia de Córdoba, mediante Acuerdo N° 618 Seria “A”, de fecha 14/10/2011 dio a conocer los recursos organizacionales disponibles en el Poder Judicial de Córdoba que armonizan con las recomendaciones contenidas en el documento “100 Reglas de Brasilia sobre Acceso de la Justicia de las Personas en condición de vulnerabilidad mencionados en el presente Acuerdo.

El proceso de Amparo debe en todo momento respetar la vigencia del Art. 43 de la CN y los Arts. 8° y 25 de la Convención Americana sobre Derechos Humanos y normativa concordante de los demás tratados sobre Derechos Humanos que integran el plexo Constitucional (Palacio de Caeiro & Junjent de Dutari, 2015), la aplicación del citado Principio *Pro Homine* y su derivado Principio de Progresividad y los principios tuitivos de los consumidores (Art. 3° LDC).

La realidad nos muestra una innegable desnaturalización de la excepcionalidad y celeridad de la acción de amparo. La tramitación de medidas cautelares en el ámbito de

órganos del sistema de justicia. Se colocará en los expedientes un distintivo visible, que permita identificar que el proceso afecta a personas en condición de vulnerabilidad.

(39) Coordinación. Se establecerán mecanismos de coordinación intrainstitucionales e interinstitucionales, orgánicos y funcionales, destinados a gestionar las interdependencias de las actuaciones de los diferentes órganos y entidades, tanto públicas como privadas, que forman parte o participan en el sistema de justicia.

(40) Especialización. Por parte de los poderes públicos con competencias en administración de justicia se adoptarán medidas destinadas a la especialización de quienes operan el sistema judicial y de quienes intervienen de una u otra forma en su funcionamiento, para la atención de las personas en condición de vulnerabilidad y en particular, las víctimas necesitadas de especial protección y a personas menores de edad con discapacidad. En las materias en que se requiera, es conveniente la atribución de los asuntos a órganos especializados del sistema judicial.

(41) Actuación interdisciplinaria. Se destaca la importancia de la constitución y actuación de equipos multidisciplinarios, integrados por personas profesionales de las distintas áreas, así como la elaboración de protocolos de actuación conjunta para mejorar la respuesta del sistema judicial ante la demanda de justicia de las personas en condición de vulnerabilidad.

(42) Proximidad. Se promoverá la adopción de medidas de acercamiento de los servicios del sistema de justicia a aquellos grupos de población que, debido a las circunstancias propias de su situación de vulnerabilidad, se encuentran en lugares geográficamente lejanos o con especiales dificultades de comunicación

proceso expedito y rápido, representa una evidencia de la modificación jurisprudencial que ha ocurrido. Conceptualizada desde un punto de vista constitucional como garantía federal, de tipo adjetiva que importa la posibilidad de recurrir al órgano jurisdiccional para peticionar el cumplimiento de tales garantías de naturaleza sustancial consagradas en la Carta Magna (vgr. Art. 14, 17, 37, 38, 41 y 42 de la CN), y desde una óptica procesal, como un mecanismo tutelar de carácter expeditivo y de naturaleza excepcional, por cuanto conforme se desprende del art. 43 de la CN sólo se habilita en aquellos casos que no exista otro medio judicial más idóneo.

Consideramos que en la actualidad en el marco de los amparos de salud, el dictado de medidas cautelares innovativas en si mismo substituye o se superpone con el proceso principal aunque no su cumplimiento, por cuanto también resultan frecuentes –véase anexo- las sanciones conminatoria “Astreintes”⁴⁰, embargo, denuncia penal, para lograr el acatamiento de la manda judicial.,

La más reciente jurisprudencia de la Corte Suprema de Justicia de la Nación en materia de salud continúa ratificando el carácter fundamental del derecho a la salud consagrado constitucionalmente y enfatiza que estos derechos de raigambre constitucional no son absolutos sino que deben ser ejercidos con arreglo a las leyes que reglamentan su ejercicio, siempre que no sean alterados en su sustancia.

Se advierte a diario que la concesión de la medida cautelar innovativa consume el propio objeto de la pretensión principal y el proceso (que involucra conocimiento y decisión) sufre una suerte de “ralentización”, compensada con sucesivas ampliaciones de la medida cautelar. En muestra de ello se cita proveído en autos “Incidente N° 4 - Actor: Z., C. R. y Otro Demandado: Asociación Mutual Sancor Salud S/Inc de Medida Cautelar” – Juzg. Fed. N° 3 Córdoba, ante el quinto pedido de ampliación de medida cautelar innovativa concedida con fecha 28/12/2018, dispuso “...Córdoba, ...octubre de 2020.- Cese el llamado de autos... A la ampliación de la medida cautelar solicitada ha lugar en

⁴⁰ Véase Autos: “Z.C.R. y otro c/ Asociación Mutual Sancor Salud S/Prestaciones Farmacológicas” Expte: N° 85657/2019 – Juzg. Federal N° 3 Córdoba (16/10/2018).

Artículo 804 del CCCN que dispone “Los jueces pueden imponer en beneficio del titular del derecho, condenaciones conminatorias de carácter pecuniario a quienes no cumplen deberes jurídicos impuestos en una resolución judicial. Las condenas se deben graduar en proporción al caudal económico de quien debe satisfacerlas y pueden ser dejadas sin efecto o reajustadas si aquél desiste de su resistencia y justifica total o parcialmente su proceder.”

función de los argumentos vertidos en el proveído de su concesión por permanecer las circunstancias que la determinaron, a la luz de la nueva prescripción médica efectuada por el Dr. ... y en virtud de lo manifestado por este profesional quien informa avances a partir de la medicación suministrada con motivo de las medidas cautelares anteriores. Asimismo, corresponde subrayar que el amparista comenzó el tratamiento por la Atrofia Muscular Espinal que padece en el año 2019, por lo que entiendo que su caso encuadra en el supuesto contemplado en el art. 2 de la Resolución 1115/20 que obliga a los Agentes de Salud a garantizar la continuidad de la cobertura de los tratamientos ya iniciados. Asimismo, de la Resolución 202/20 dictada por la Secretaria de Comercio Interior surge que se ha establecido como precio máximo del principio activo “Nusinersen (Spinranza) 12mg/5ml” el valor de DOLARES ESTADOUNIDENSES 27.000 por vial, valor que deberá ser convertido en pesos al tipo de cambio vendedor del BNA del día anterior a la fecha del efectivo pago, lo cual resulta muy inferior al precio oportunamente informado por el Laboratorio Biogen, con lo que el impacto de la medicación ordenada resulta claramente menor para los agentes de salud. A su vez, cabe destacar que en esta oportunidad deberá cubrirse un vial y no cuatro, por ello, corresponde establecer la responsabilidad de cobertura exclusiva por parte de Sancor Salud. En consecuencia, emplácese a la demandada, Sancor Salud, para que proceda a la adquisición de un vial de Spinraza 12 mg/5ml (1 ampolla) del laboratorio Biogen con cobertura del 100%, arbitrando todos los medios necesarios para que el amparista tenga a su disposición el vial con fecha 04.11.2020 ya que conforme surge de la prescripción médica el mismo debe ser colocado con fecha 13.11.2020, todo ello bajo apercibimiento. Se requiere como contracautela fianza de 2 letrados inscriptos en la matrícula federal...” De ésta forma, los amparos de salud transitan por el camino de la concesión de la cautelar bajo un cierto “ritmo” más o menos constante en algunos casos, y luego de su concesión que no implica ciertamente el efectivo cumplimiento de la manda judicial, asume el proceso principal otra censurable velocidad, así en el mejor de los supuestos el dictado de la sentencia definitiva, implica un plazo que puede superar los 2 años. Ello sin ingresar a la instancia recursiva, que puede impedir o posponer la ejecución de la medida cautelar misma. Ese período de

tiempo, para el supuesto de un paciente con AME I, habrá consumido el 100% de su expectativa de vida⁴¹, sin valorar ningún elemento que refiere a calidad de vida.

Recientemente, se intentó la utilización de las novedosas Medidas Autosatisfactivas con el objeto de solicitar para un paciente diagnosticado con AME I, la provisión del medicamento “Zolgensma, Onasemnogén abeparvovec,”⁴², en atención que se trata de una única aplicación; sin embargo, el juez interviniente –con destacable celeridad- consideró que “...estas medidas corresponden a un proceso autónomo que no es ni “provisorio” – como la tutela anticipada interina-, ni “accesorio” –como las medidas cautelares- (confr. “Estudios de Derecho Procesal”, Vargas Abraham, t. I, 1999, Ed. Ediciones Jurídicas Cuyo, p. 51). Ahora bien, es de destacar que no cuenta con amparo legislativo, razón ésta que lleva al primero de los autores consignados precedentemente a afirmar, remitiéndose a un antecedente jurisprudencial, que “la falta de reglamentación legal ritual expresa no es argumento bastante para permitir la frustración sustancial de derechos; deben los justiciables proponer y los jueces encontrar instrumentaciones formales ajustadas a la medida del interés a tutelar (es lo que se ha dado en llamar tutela diferenciada), cuidando de salvar –eso sí- el derecho de defensa en juicio de todos los interesados” (confr. “Confirmación jurisprudencial de que también la medida autosatisfactiva puede ser la vía idónea para hacer justicia temprana u oportuna”, Jorge W. Peyrano, JA. 2001-II, p. 569).- IV) Que si bien no es criterio de este Juzgador el otorgamiento de medidas autosatisfactivas, en autos confluyen circunstancias excepcionales y de carácter urgente, tal, la salud de un menor de edad. Que ante ello, y a fin de resguardar el derecho a la tutela judicial efectiva, las facultades ordenatorias e instructorias que me competen (art. 36 del CPCCN) y el principio *iura novit curia*, estimo pertinente reconducir la vía propuesta en los términos de la Ley N° 16.986, y ordenar que por secretaria se proceda a la recaratulación de la causa, lo que así se dispone...” sigue expresando en el fallo que “...cabe avocarse al estudio de la precautoria solicitada, siendo necesario que confluyan

⁴¹ <https://rarediseases.info.nih.gov/espanol/11865/atrofia-muscular-espinal-tipo-1> Pronóstico: La mayoría de los niños con atrofia muscular espinal tipo 1 son afectados muy gravemente. En general, cuanto más temprano comienzan los síntomas, peor es el pronóstico. En muchos casos la sobrevida es hasta los dos años de edad. Sin embargo, en algunos casos en que la debilidad comienza antes de los seis meses de edad se retiene la capacidad de sentarse en la adolescencia o la edad adulta. Existe cierta evidencia de que con la mejora de los cuidados respiratorios y la nutrición, la esperanza de vida ha advertido y los pacientes sobreviven más que la edad de dos años

⁴² Juzgado Federal de Santiago del Estero n° 1 en autos: “R., Alejandra c/Obra Social del Personal Asociado A Asociación Mutual Sancor (O.S.PER.S.A.A.M.S.) s/Medida Autosatisfactiva, Expte. N° 1890/21”

*elementos propios de las medidas cautelares...”, volviendo al camino conocido y transformando una pretensión principal en accesoria, bajo la tipología cautelar, resolviendo “...II) **Hacer lugar a la precautoria peticionada**, y, en consecuencia, ordenar a la Obra Social del Personal Asociado A Asociación Mutual Sancor (O.S.PER.S.A.A.M.S.) en un 20 % a su cargo y al Estado Nacional – Superintendencia de Servicios de Salud, en un 80 % a su cargo, **suministrar al menor ... Romaní, DNI N°... la medicación Zolgensma en forma inmediata, previa contracautela que la Sra. Alejandra Romaní, progenitora del menor, y su letrado patrocinante Dr. Miguel Ruíz, deberán extender por ante la Actuaría.**- III) Ordenar que por Secretaría se proceda a la recaratulación de la presente causa, de conformidad a lo dispuesto en el Considerando IV.- IV) Tener por iniciada Acción de Amparo en contra de la Obra Social del Personal Asociado A Asociación Mutual Sancor (O.S.PER.S.A.A.M.S.) y del Estado Nacional – Superintendencia de Servicios de Salud, a quienes se deberán citar mediante cédula y Oficio Ley N° 22.172 respectivamente para que en el plazo de CINCO días la primera y DIEZ días el segundo (plazo en el que ya se encuentra incluida la ampliación del art. 158 del CPCCN en razón de la distancia), comparezcan a estar a derecho y produzcan un informe circunstanciado acerca de los fundamentos esgrimidos en la demanda (art. 8 de la Ley 16.986)...”.*

A partir de lo expuesto y resaltando la naturaleza jurídica “provisoria” de la medida cautelar la protección del Derecho a la Salud de un Menor que padece AME I, con riesgo vital; cuestionamos cuan necesaria resulta la aparición y positivización de nuevos procesos que efectivicen la vigencia de las garantías constitucionales, a los ciudadanos y la satisfacción de la manda judicial en tiempo razonable y forma adecuada, cuando de cuestiones de salud se trata. La doctrina propugna la implementación positiva de los denominados "**Procesos Urgentes**" como nuevos métodos de debate en los cuales el factor tiempo tiene especial relevancia.

En caso de requerir la provisión del medicamento Zolgensma⁴³, dicho tratamiento farmacológico se aplica por única vez y debe efectivizarse antes que el paciente cumpla 2

⁴³ <https://www.argentina.gob.ar/sites/default/files/conectec-informe-zolgensma.pdf>

Zolgensma fue aprobada por FDA en 2019. Es una terapia génica recombinante que utiliza un virus adenoasociado (VAA9) no replicativo para entregar una copia del gen que codifica la proteína SMN humana. La administración intravenosa única de Zolgensma® da como resultado la transducción celular y la expresión de la proteína SMN en humanos.

años de vida por lo que incuestionablemente la pretensión principal queda agotada con el despacho cautelar.

La judicatura tiene en definitiva la dificultosa misión de arbitrar soluciones excepcionales que brinden acabada respuesta a la urgente situación que vive el paciente AME, concretando el mandato constitucional de proteger la salud (JP, 2017) a partir de un poderoso escudo normativo que sustenta tal garantía.

La Constitución Nacional y de la Provincia de Córdoba han confiado a los poderes políticos la competencia para arbitrar esas decisiones que exceden claramente el ámbito jurisdiccional; decisiones que sin embargo se encuentran sujetas a control jurisdiccional de razonabilidad (TSJ, 2014). Por ello, la pretensión de neutralidad que se le procura achacar al Juzgador en pos de evitar la concesión de la medida cautelar o el propio acogimiento de la pretensión principal resulta falaz, la función de la judicatura es recomponer el desequilibrio roto por un acto u omisión arbitraria que importa una regresión en materia de salud que habilita el control judicial de constitucional; si este razonamiento es entendido como “*activismo judicial*”⁴⁴ debe reportarse positivo, pues resultar en la actualidad la UNICA vía aun reconociendo falencias y yerros, para garantizar la tutela del Derecho a la Salud.

7.1.. El Proceso Cautelar Anexo.

Por el momento Brasil, Chile, Colombia y Uruguay no brinda cobertura o mencionan el tratamiento con Zolgensma® para AME.

De las políticas públicas de los países de altos ingresos relevados, sólo Francia brinda cobertura en la indicación evaluada, mientras que Alemania, Australia, Canadá, Estados Unidos y Reino Unido no lo mencionan. La Alta Autoridad de Salud (HAS, su sigla del francés Haute Autorité de Santé) de Francia emitió en diciembre de 2020 una primera evaluación a favor del reembolso AME 5q (mutación bialélica del gen SMN1), con diagnóstico clínico de AME tipo I y II o presintomáticos, y que tengan hasta 3 copias del gen SMN2. Sin embargo, concluye que su beneficio real es mayor (al igual que Spinraza®) solamente en AME tipo I, siendo nulo en AME tipo II donde Spinraza® sí tiene un beneficio real. La aseguradora de salud privada de los Estados Unidos AETNA® brinda cobertura para Zolgensma® en la indicación evaluada. La misma la cubre en niños menores de dos años con AME que presenten mutaciones bialélicas en el gen de SMN1, que no posean algún criterio de enfermedad avanzada (parálisis completa de las extremidades, o soporte ventilatorio invasivo, o algún tipo de asistencia respiratoria durante 16 horas o más por día de forma continua durante 14 días o más en ausencia de enfermedad aguda reversible) y con títulos de AAV9 menor o igual a 1:50. También, la aseguradora advierte que el tratamiento debe ser el único administrado para esta indicación, teniendo que suspender los demás tratamientos (Spinraza® o risdiplam/Evrysdiri®) para poder continuar con Zolgensma®.

⁴⁴ “Activa” deriva del latín “Activus” que significa facultad de obrar con diligencia, eficacia y prontitud, sin dilación. La alocución fue utilizada por primera vez por la Suprema Corte de EEUU en 1954 bajo la Presidencia del Juez Earl Warren en el célebre caso “Brown vs. Borrad of education” (<17/05/1954).

Requiere un análisis profundo, aplicar la ley, proteger al vulnerable, es la función de la judicatura, distinto sería si se propulsara un cambio social a partir de una política sanitaria incompetente.

Lino Palacio define al proceso cautelar como “*aquél que tiende a impedir que el derecho cuyo reconocimiento o actuación se pretende obtener a través de otro proceso, pierda su virtualidad o eficacia durante el tiempo que transcurre entre la iniciación de ese proceso y el pronunciamiento de la sentencia definitiva*” (Palacio, 1998).

La Corte Suprema de Justicia de la Nación, sosteniendo que la medida cautelar innovativa “*es una decisión excepcional porque altera el estado de hecho o de derecho existente al tiempo de su dictado en razón de que configura un anticipo de jurisdicción favorable respecto del fallo final de la causa, lo que justifica una mayor prudencia en la apreciación de los recaudos que hacen a su admisión*” (Fallos: 316:1833, 319:1069 y 320:1633, entre otros).

Esta doctrina ha quedado plasmada en la decisión emanada del *leading case* “Camacho Acosta c/ Grafi Graf SRL y otros” (CSJN, 2013), en el que el Alto Tribunal Federal ha dicho que “es de la esencia de esos institutos procesales de orden excepcional enfocar sus proyecciones -en tanto dure el litigio- sobre el fondo mismo de la controversia, ya sea para impedir un acto o para llevarlo a cabo, porque dichas medidas precautorias se encuentran enderezadas a evitar la producción de perjuicios que se podrían producir en caso de inactividad del magistrado y podrían tornarse de muy dificultosa o imposible reparación en la oportunidad del dictado de la sentencia definitiva”.

En la causa “Maza vs. Municipalidad - Amparo”, expediente de Sala n° 186103, Sentencia registrada en tomo año 2007, se ha sostenido: “*Las cautelares genéricas (art. 232 del C.P.C.C.) carecen de una reglamentación expresa en la ley de rito pero se encuentran ínsitas en el poder jurisdiccional (C.J.Salta, Sala I, 23/12/76, fallo publicado en Boletín Judicial de la Provincia de Salta, año 1978, N° 21, pág. 110)*”.

Las medidas cautelares innovativas implican, a la inversa de las de no innovar, la obligación de revertir una situación jurídica cumpliendo determinada conducta; en vez de tener que abstenerse de alterar la situación que queda sometida a no innovación, estamos frente a un tipo de *injuction anglosajón* (Bidart Campos)

La CSJN ha dicho “...Teniendo en cuenta que una moderna concepción del proceso exige poner el acento en el valor "eficacia" de la función jurisdiccional y en el carácter instrumental de las normas procesales, en el sentido de que su finalidad radica en hacer efectivos los derechos sustanciales cuya protección se requiere, no pudo pasar desapercibido para la cámara, dada la interrelación que existe entre los requisitos de admisibilidad, la relevancia que en este tipo de medidas adquiriría la gravedad del cuadro de salud que presentaba la joven, ni los daños irreparables que se producirían de mantenerse la situación de hecho existente hasta el dictado de la sentencia, y en especial cuando el anticipo de jurisdicción solicitado tiende a remediar un agravio a la integridad de la persona, tutelada por la Convención sobre los Derechos de las Personas con Discapacidad (art. 5.1 y arts. 10, 17 y 25, respectivamente).” (CSJN, 2011). “...Encontrándose en juego el interés superior del niño en aspectos tan esenciales como su salud y su vida, no resulta razonable dejar sin efecto la disposición precautoria dictada en su resguardo y esperar "sine die" a que el sentenciador se expida respecto de las diversas incidencias que se han planteado ante las insuperables diferencias entre las partes. (CSJN, 2004)”.

La medida cautelar más frecuentemente utilizada en el proceso de Amparo es la “Cautelar Innovativa”, que tiene por objeto alterar el estado de hecho o derecho existente antes de su dictado, supone la inferencia en la esfera de libertad de los justiciables (Peyrano, 1977) y, por otra parte coincide con la pretensión principal, por lo que revisten trascendencia a fin de evitar daños irreparables a las personas.

Rutinariamente las medidas cautelares concedidas en los Procesos referidos resultan objeto de instancia Recursiva, in re “Z.C.R. Otro C/ Asociación Mutual Sancor Salud S/Prestaciones Farmacológicas” Expte. N° 85657/2018, el juez de 1° instancia concedió el Recurso de Apelación “...Téngase por interpuesto en tiempo y forma el recurso de apelación por la parte demandada, atento a la constancia de notificación obrante en el Sistema de Gestión Judicial Lex 100. Concédase el mismo en ambos efectos por ante la Excma. Cámara Federal de Apelaciones (conf. art. 15 de la ley 16986)....” La Cámara Federal rechazó el Recurso Confirmando el proveído dictado por el señor Juez Titular del Juzgado Federal N° 2 de Córdoba, que fuera apelado, en todo cuanto decide y ha sido materia de agravio, argumentado que “que todo ser humano tiene derecho al

disfrute del más alto nivel posible de salud que le permita vivir dignamente. La efectividad del derecho a la salud se puede alcanzar mediante numerosos procedimientos, con la formulación de políticas en materia de salud, la aplicación de los programas de salud elaborados por la Organización Mundial de la Salud (OMS) o la adopción de instrumentos jurídicos concretos. En función de ello, no resulta indiferente que en el caso bajo estudio, estamos en presencia de un menor que padece una patología progresiva y necesita de un tratamiento farmacológico específico. Así la Corte Interamericana de Derechos Humanos en autos “Furlan, Sebastián y Familiares c. Argentina” del 31/8/2012, sostuvo que... “toda persona que se encuentre en una situación de vulnerabilidad es titular de una protección especial...”. En este sentido cabe precisar a tal fin que “... las medidas cautelares como la que aquí nos ocupa cumplen la función de significar un anticipo asegurativo de la garantía jurisdiccional, para impedir que el derecho cuyo reconocimiento se pretende obtener por medio del proceso pierda su virtualidad o eficacia hasta el pronunciamiento de la sentencia definitiva...” (CNciv. Sala A, 12/1/00, JA, fasc. N° 6176, p. 73 citado por Pablo Oscar Gallegos Fedriani en “Derecho Procesal Administrativo, Tomo 1, pág. 730, Ed. Hammurabi S.R.L., Bs. As., Año 2004).”. Expresando en relación a la medida cautelar que “...Esta medida cautelar no exige de los magistrados el examen de la certeza sobre la existencia del derecho pretendido, sino sólo su verosimilitud. El juicio de verdad en esta materia se encuentra en oposición a la finalidad del instituto cautelar, que no es otra cosa que atender a aquello que no excede del marco de lo hipotético, dentro del cual asimismo agota su virtualidad. Los requisitos de verosimilitud del derecho invocado y el peligro de la demora se encuentran inversamente relacionados, de modo tal que a mayor verosimilitud del derecho cabe no ser tan exigente con la gravedad e inminencia del daño, y viceversa: cuando existe el riesgo de daño extremo e irreparable, el rigor acerca de aquella exigencia se puede atenuar. Sin embargo, entendemos que aun cuando exista realmente peligro en la demora, debe encontrarse acreditada, aunque mínimamente la verosimilitud del derecho (GALLEGOS FEDRIANI, Pablo O. “Las Medidas Cautelares contra la Administración Pública”, Ed. Abaco de Rodolfo Depalma, Bs. As., 2002, pág. 64 y sgtes.). ...En relación al “peligro en la demora” recordemos que el mismo se entiende como el temor fundado en la configuración de un daño a un derecho cuya protección se persigue y que, de no hacerlo en forma inmediata, se corre el riesgo de que en el supuesto de recaer sentencia definitiva

favorable, ésta permanezca incumplida (C.N. Civ., Sala E, Rep. E.D., t. 17, p. 646, N° 15). A decir de Calamandrei, hay casos en que, de existir demora, el daño temido se transformará en daño efectivo. Asimismo, que a mayor peligro en la demora se requiere acreditar menor verosimilitud en el derecho. En el caso, entendemos que el “peligro en la demora” aludido se encuentra sumamente configurado a tenor de los distintos certificados e informes médicos obrantes a fs 10/89 de autos de los que se desprende el diagnóstico del menor, y la necesidad de emplear un tratamiento farmacológico específico. VI.- Cabe señalar que este fue el criterio sostenido por la Sala A al resolver con fecha 25/8/17 en autos: “A.M.A y otro c/ Asociación Mutual Sancor Salud y otro s/ Prestaciones Farmacológicas” (Expte. 31663/2017/CA1) y con fecha 11/9/2017 y 1/12/17 en autos: “H.V.D.A y otro c/ Parque Salud S.A y otro s/ Prestaciones Farmacológicas (Expte. 31335/2017/CA1- 31335/2017/CA1/CA2) y con fecha 8/5/18 en autos: “T.M.E y otro c/ Obra Social del Personal de la Ind. de la Alim (OSPJA) y otro s/ Amparo Ley 16.986” (Expte. 44245/2017)” (voto de la Dra. Graciela Montesi)”.

El voto del Dr. I. Vélez Funes en adhesión a su preopinante consideró *“debe rechazarse el recurso de apelación y confirmarse la resolución a los fines de la pronta y urgente ejecución del suministro del medicamento a los fines de procurar detener el avance de la enfermedad, a pesar de su significativo costo y que deberá ser afrontada proporcionalmente por partes iguales (50% cada uno) entre la obra social demandada y el Estado Nacional traído a juicio como tercero obligado. La postura defensiva del Estado Nacional, ...de que el medicamento en cuestión no se encuentra autorizado por la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentación y Tecnología (ANMAT) para su libre venta y circulación en el territorio nacional no justifica privar del tratamiento, cuando los médicos especialistas en neurología afirman que hoy es el único tratamiento posible en el mundo. Además el mismo organismo de control de medicamentos autorizó la importación del medicamento aludido “por uso compasivo” el 22 de octubre de 2018 (fs.213). Incluso el especialista Dr. del Instituto de Neurología Infanto Juvenil de esta ciudad de Córdoba que dirige el reconocido especialista en neurología infantil y profesor de nuestras Universidades Dr. Zenon Sfaello, ha señalado fundadamente en un informe neurológico complementario del 19.09.18 que este remedio producido en el Reino Unido “... NUSIRENSEN, SPIRANZA, ES EL UNICO TRATAMIENTO CONOCIDO EN EL*

MUNDO PARA TRATAR LA A.M.E ...” Incluso ha advertido que la enfermedad neuromuscular del menor es MORTAL ... y que “...F. presenta al examen médico, en los últimos meses un marcado y acelerado deterioro de sus capacidades motrices , razón por la que se indicó con carácter urgente , la administración inicial de Spiranza Nurinseren 12 mg5ml por cuatro ampollas, para detener el compromiso muscular general, presentando importante y evidentes deterioros en la marcha...” ...me expido a favor del tratamiento de la salud del menor con la costosa medicación sugerida , toda vez que la obra social está en condiciones económicas de afrontar el pago del 50 por ciento, según los estudios contables producidos por la profesional contadora de este Tribunal a requerimiento del juez federal actuante y por la obligación constitucional del Estado Nacional de preservar la salud de sus habitantes dentro de las posibilidades existentes, a mérito de todos los criterios coincidentes y precedentes de la misma Corte Suprema de Justicia de la Nación.”

Con posterioridad en la presente causa citada, el Estado Nacional interpuso Recurso de Queja, resolviendo la CSJN con fecha 22/12/2020 es decir, luego de 2 años, desestimar la presentación directa e intimar al recurrente para que en el ejercicio financiero correspondiente efectúe el depósito previsto en el art. 286 del Código Procesal Civil y Comercial de la Nación (acordada 47/91). La medida cautelar concedida con fecha 28/12/2018, debió ser ejecutada en los términos del artículo 250 inc 2° CPCCN, “...Teniendo en cuenta que la Excma Cámara Federal de Apelaciones hizo lugar al pedido de formación de cuerpo de copias a los fines solicitados por la parte actora esto es, ejecutar la cautelar otorgada por el Tribunal, confirmada por la Alzada, corresponde cumplimentar lo ordenado.. Se fija como contracautela de la medida concedida con fecha 28.12.2018, fianza personal de cinco letrados...”. El tratamiento comenzó efectivamente el 13/08/2019, según constancias de la causa judicial.

La Justicia Santafesina, por su parte, en relación a un paciente con AME III, de 20 años de edad, en autos “Legajo de Copia G., T. C/ Instituto Autárquico Provincial de Obra Social (Iapos) S/ Amparos - Habeas Data” la Cámara de Apelación en lo Civil y Comercial (Sala III), Santa Fe, por Resolución 146 de fecha 08-Jul-2021, resolvió los recursos de apelación interpuestos por la parte actora y demandada contra la resolución del Juzgado de Primera Instancia que concedió la medida cautelar solicitada, considerando “...el despacho de una medida cautelar dentro de la acción de amparo requiere de una singular prudencia

-vinculada fundamentalmente a la propia naturaleza sumaria de la acción prevista constitucionalmente en el artículo 17 de nuestra Ley Fundamental de la Provincia, y desde 1994, en el artículo 43 de la Carta Magna nacional-, pues esta clase de procesos supone una suerte de tutela temporalmente privilegiada de un derecho afectado o amenazado, con lo cual el anticipo de efectos inherentes a la cautelar corre riesgo de invadir las zonas propias del debate sustancial. Las consideraciones que se realicen no implican prejuzgar en relación con la admisibilidad de la cuestión de fondo y deben enmarcarse en la apreciación de los hechos y el derecho invocados dentro de los límites restringidos de la cognición necesaria para evaluar la procedencia de la cautelar, siendo tales consideraciones las únicas que cabe realizar en este estado (v. en este sentido, esta Sala en "TAFFO", 28/06/19, T. 21, F° 184, Res. N° 93)."

El segundo agravio de la parte demandada IAPOS refiere que la disposición de ANMAT N° 4529/20 de fecha 23/06/20 dispuso que Nusinersen (Spinraza) solo tiene indicación para AME tipo I y II, desestimando la indicación para los tipos III y IV “...La queja principal de la apelante reside en no coincidir con el a quo cuando señala que no existe certeza en el tipo de AME del amparista, y que ello no impide per se que la medida precautoria pueda ser proveída. Tal agravio no es más... una mera discrepancia con lo decidido por el a quo, pero en modo alguno se vierte un crítica objetiva y razonada respecto a lo decidido por el juez, en cuanto fundó tal aseveración en que en las medidas cautelares para su despacho no se exige un juicio de certeza, sino de verosimilitud, superficial y provisorio, y que por ello, siendo el diagnóstico último de la médica tratante que califica como AME tipo II el que padece el actor, al tener una naturaleza más reciente que los anteriores, esa mayor actualidad le da una probabilidad superior al cuadro presente, y genera la apariencia del *fumus bonis iuris* para hacer lugar a la medida. De tal modo, analizados los antecedentes con las limitaciones que supone el estudio de procedencia de una medida precautoria o de prevención como la que nos ocupa, el agravio debe considerarse infundado. ...La tutela consagrada en derredor del derecho a la salud, no sólo presenta efectos normativos operativos propios, sino que además impone una especial ponderación de los bienes e intereses en juego a la hora de arribar a una decisión como la que en autos se aprecia. En el caso en general y en lo que a la cautelar respecta, en particular, se encuentra en juego el derecho a la salud del amparista, quien

presenta una característica que demanda una muy particular consideración, su condición de persona con discapacidad, a raíz de padecer enfermedad de la médula espinal...aquí se ventila la protección de la salud de una persona vulnerable. Tal condición se ubica comprendida en las prerrogativas de las "Reglas de Brasilia" a las que adhirió expresamente el Poder Judicial de la Provincia de Santa Fe (CS, Circular 23/2011, Acta n° 14 del 29-3-11) y que, por lo demás, hoy encuentra apoyo normativo en diversas reglas previstas en el nuevo Código Civil y Comercial de la Nación. Los imperativos de protección -o especial atención- que de allí surgen alcanzan, por supuesto, a las obras sociales. De tal modo, el enfoque requiere agudizarse más todavía, cuando el actor presenta el cuadro de discapacidad ya descripto, entrando en escena como fuente del Derecho la Convención sobre los Derechos de las Personas con Discapacidad (ley 26.378), estableciendo en su art. 3° principios generales a los que se les acuerda plena operatividad, y que han tenido su desarrollo infraconstitucional en normas tales como la que instaurara el sistema de prestaciones básicas en habilitación y rehabilitación integral a favor de las personas con discapacidad (ley 24.901), la de salud mental (ley 26.657) y el nuevo Código Civil y Comercial, entre otras. La primera ley citada establece en su articulado un sistema de prestaciones básicas de atención integral a las personas con discapacidad, contemplando acciones de prevención, asistencia, promoción y protección, a los fines de brindarles una cobertura integral a sus necesidades y requerimientos. En su art. 2° prevé expresamente que las obras sociales tendrán a su cargo, con carácter obligatorio, la cobertura "total" de las prestaciones básicas enunciadas en la presente ley, que necesiten las personas con discapacidad afiliadas a aquéllas. Así el art. 15 se refiere a las prestaciones de rehabilitación entendiendo por tales "aquellas que mediante el desarrollo de un proceso continuo y coordinado de metodologías y técnicas específicas, instrumentado por un equipo multidisciplinario, tienen por objeto la adquisición y/o restauración de aptitudes e intereses para que una persona con discapacidad alcance el nivel psicofísico y social más adecuado para lograr su integración social, a través de la recuperación de todas o la mayor parte posible de las capacidades motoras, sensoriales, mentales y/o viscerales, alteradas total o parcialmente por una o más afecciones, sean éstas de origen congénito o adquirido...". Añade el artículo --en un segundo párrafo-- que: "En todos los casos se deberá brindar cobertura integral en rehabilitación, cualquiera fuera el tipo y grado de discapacidad, con los recursos humanos, metodologías y técnicas

que sea menester y por el tiempo y las etapas que cada caso requiera" (vide esta Sala "DEHEZA")."

"...La patología del afiliado es reconocida por la demandada, ...desde la infancia temprana confirmado por biología molecular, discrepando ...respecto a la indicación del medicamento pretendido por la acción de amparo de Nusinersen (Spinraza) atento al tipo de AME que presenta el amparista. ...Ante este escenario, se presenta palmario ...la opinión de la médica particular encargada del tratamiento del amparista quien, con pleno conocimiento del diagnóstico y del historial clínico del mismo, considera oportuno que ante la baja de la evaluación muscular, el paciente reciba el tratamiento Nusinersen - Spinraza- para mejorar su psicomotricidad o estabilizar su cuadro clínico, teniendo en cuenta que "dada la característica progresiva de la enfermedad y la pérdida de unidades motoras que genera, es necesario que empiece cuanto antes el tratamiento indicado, para evitar el avance de la atrofia"

El paciente AME III cuyo caso se referencia, comenzó al momento de finalizar el presente trabajo el tratamiento prescripto, previo una demora en la provisión del mismo, de más de 4 años ⁴⁵. La medida cautelar por su carácter provisional, ha generado una alternativa a la férrea negativa de los agentes de salud a proveer medicamentos de alto costo, en una solución que asiste al justiciable pero no definitivamente, porque el tratamiento que puede ser suspendido, en el devenir y a resuelta del proceso principal. Repárese que no se discute el diagnóstico, sí su tipología por los alcances de las normas vigentes, tampoco la pertinencia del fármaco, sí sobre quien recaerá la cobertura y el consecuente peso económico.

Recientemente el TSJ en autos "R., M.G. c/ Administración Provincial del Seguros de Salud (APROSS) – Cpo. de Copias – SAC 100480086" resolvió "Los pedidos de cambio de efectos de los recursos de apelación que en la instancia anterior hubieran sido

⁴⁵<https://www.santafe.gob.ar/gestionedescompras/site/output.php?a=gestiones.ver&idGestion=125397&print=1>
<https://www.lavoz.com.ar/temas/spinraza/>
<https://www.eldiariocba.com.ar/locales/2019/11/14/spinraza-el-estado-aun-no-les-da-respuestas-faustino-benito-13903.html>
<https://www.eldiariocba.com.ar/locales/2019/11/28/despues-de-nueve-meses-de-espera-llego-spinraza-para-faustino-benito-14390.html>
<https://www.lanacion.com.ar/sociedad/reclaman-al-gobierno-que-cubra-un-tratamiento-contrala-atrofia-muscular-espinal-nid2156547/>

concedidos con efecto suspensivo. Serán resueltos por el TSJ sin necesidad de sustancias ningún incidente, de conformidad a las previsiones de la Ley N° 4915 (art. 16).

Ello servirá para “...*extremar el apego por el carácter sumario del proceso de amparo, sin rigorismos que pudieran desfigurarlo; esto, para que, sin dejar de garantizar el debido derecho de defensa de las partes, evitar sustanciaciones, cuestiones previas y dilaciones que solo pudieran traducirse en zozobras*”; en particular para quien denuncia una vulneración de su derecho constitucional y cuenta a su favor con una medida cautelar protectora del derecho a la vida, a la salud o a gozar de un ambiente sano y equilibrado, que podría volverse abstracto con el efecto suspensivo de la medida.

8. Derecho Comparado.

Los Sistemas de Salud preponderantes e innovadores en Derecho Comparado, han desarrollado herramientas de acceso a tratamientos de alto costo, y se pueden agrupar en:

- a- Pagos basados en Resultados,
- b- Contratos de intercambio del Riesgo, es un acuerdo o convenio entre los Agentes de Salud y la industria farmacéutica que esencialmente consiste en dividir entre las partes el riesgo por el uso del medicamento, condicionando a ello su pago. Estos contratos requieren recolectar datos para completar información clínica, a fin de determinar resultados + - del tratamiento, disconformidades, incapacidades, costo, morbosidad, mortalidad.. La fuente pagadora abona el tratamiento por los resultados obtenidos, sino ocurren los resultados esperados el fabricante reembolsa lo pagado; se paga desde el inicio del tratamiento importes reducidos o solo el tratamiento de los pacientes que obtuvieron resultados positivos. La industria farmacéutica reduce por contrato a un tiempo limitado, bajo condiciones y pacta el precio de venta del medicamento o proporcionan dosis sin costo para determinados tratamientos.
- c- Contrato de Reaseguro, se produce cuando una empresa cede una parte de su riesgo de seguro a otra aseguradora que aporta protección necesaria con siniestros catastróficos inesperados. Existen tipos de reaseguros: simples para viabilizar los

costos de salud básicos y más complejos para alterar la dinámica del mercado atenuando los efectos adversos de selección de riesgo.

- d- Financiación generada por el fabricante y,
- e- Amortización de Terceros.

Se trata de alternativas para amortizar el riesgo financiero y clínico que provocan las terapias innovadoras (medicamentos huérfanos) a las clásicas estructuras sanitarias, que claramente han devenido insuficientes derivándose una imponderable judicialización de pedidos de cobertura de tratamientos farmacológicos que, terminan por insumir aún más recursos del Estado (judiciales) y un tiempo que el paciente AME, no puede resignar. Estos modelos de financiamiento intentan lidiar con el impacto que provocan los medicamentos de alto costo y la incertidumbre que generan en realidad sobre:

- a- El tamaño de la población que se beneficia con el tratamiento,
- b- La duración del tratamiento,
- c- El número correcto de dosis,
- d- La previsibilidad del gasto
- e- Los beneficios reales vs. placebo sobre la patología a largo plazo
- f- El impacto sobre el universo de personas que requieren cobertura por patologías crónicas, de alta incidencia (HTA, Diabetes, cardiovasculares, etc.)

A solicitud del Laboratorio Roche y se llevó a cabo una serie de estudios de investigación con el objetivo de comprender las características de los modelos de financiamiento disponibles en todo el mundo para el tratamiento de las enfermedades raras. Con este objetivo, IQVIA y Roche observaron un subconjunto de 40 países distribuidos en todas las regiones: África, América del Norte, Asia-Pacífico (APAC), Europa, Medio Oriente y América Latina (LATAM). El enfoque principal de la investigación fue identificar los modelos financieros que pudieran aumentar el acceso de los pacientes al tratamiento.

Se identificaron 134 estudios de caso diversos e internacionales de financiamiento de enfermedades raras en más de 40 países. Se encontró que la mayoría de las iniciativas de financiamiento se concentran en Europa y América del Norte, ya que la mitad de los estudios de caso identificados provienen de países en estas regiones. Los casos en APAC y América Latina representan el 18 % y el 16 %, respectivamente. En relación con el alcance

y rango de los modelos, muchos se consideran “pequeños” según el número de pacientes y el tamaño del fondo.

En los sistemas de salud de todos los países, la mayoría de los programas se centran en la recaudación de fondos, las donaciones y los programas de acceso para los pacientes, y solo aprox. el 20 % de los programas de financiamiento pueden considerarse innovadores (por ejemplo: seguros privados, instrumentos financieros o intervenciones del Gobierno). Esto indica que, en comparación con otras enfermedades no transmisibles (ENT), como las oncológicas, en el espectro de las enfermedades raras hay una necesidad de iniciar modelos de financiamiento más complejos para abrir las puertas a nuevas fuentes de fondos que garantizarían la sustentabilidad de las soluciones.

Algunos ejemplos de modelos de financiamiento que muestran innovación en la movilización o el acopio de los recursos. Algunos ejemplos incluyen las alianzas público-privadas para el acopio de recursos. Por ejemplo, en Escocia, el Nuevo Fondo de Medicina proporciona acceso a medicamentos huérfanos, de forma similar al Fondo de Medicamentos para el Cáncer en Inglaterra. Recientemente, Singapur estableció un nuevo Fondo para las Enfermedades Raras, específicamente para apoyar a los pacientes con ER. Este fondo aprovecha la combinación de donaciones con la contribución equivalente del Gobierno para ayudar a los ciudadanos de Singapur con enfermedades raras específicas que requieren tratamiento con medicamentos de alto costo.

Existen 26 programas de financiamiento para AME, que combinan:

- Instrumentos financieros
- Seguros privados
- Acuerdos de reembolso
- Intervenciones gubernamentales
- Donación Programas de acceso para los pacientes
- Otros (por ejemplo: el conocimiento)
- Recaudación de fondos

El Fondo de Enfermedades Raras (RDF) de Singapur:

- Por cada SGD 1 de donación pública, el Gobierno triplicará el monto, con lo que aumentará su impacto;
- Se ofrece una deducción de impuestos del 250 % a las donaciones elegibles;

- Se publica el donante del RDF en el sitio web del KK Women's and Children's Hospital's (KKH) para dar un reconocimiento a los donantes del fondo;

Se han recaudado aproximadamente USD 70 millones hasta la fecha para apoyar a los niños con las siguientes enfermedades raras:

- Anomalía en la síntesis de ácidos biliares
- Enfermedad de Gaucher
- Hiperfenilalaninemia
- Enfermedad de Pompe.

En Derecho Comparado, los pacientes con diagnóstico AME, enfrentan realidades diferentes que, ilustraremos brevemente:

8.1. Canadá:

La Agencia Canadiense para Medicamentos y Tecnologías Médicas (CADTH Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health) (<https://www.cadth.ca/nusinersen>, 2020) publicó en 2018 un informe en el cual consideró beneficioso el uso de Nusinersen en pacientes con AME tipo I, con criterios específicos. Pero no lo hizo para pacientes con AME tipo II debido a que el esquema de tratamiento resultante del estudio CHERISH⁴⁶ no se ajustaba al aprobado en Canadá y, por lo tanto asumió una falta de evidencia para estos pacientes.

46

[https://www.google.com/search?q=Mercuri+E%2C+Darras+BT%2C+Chiriboga+CA%2C+et+al%3B+CHERISH+Study+Group.+Nusinersen+versus+sham+control+in+later-onset+spinal+muscular+atrophy.N+Engl+J+Med.+2018%3B378\(7\)%3A625-635.&og=Mercuri+E%2C+Darras+BT%2C+Chiriboga+CA%2C+et+al%3B+CHERISH+Study+Group.+Nusinersen+versus+sham+control+in+later-onset+spinal+muscular+atrophy.N+Engl+J+Med.+2018%3B378\(7\)%3A625-635.&aqs=chrome..69i57.1622j0j15&sourceid=chrome&ie=UTF-8](https://www.google.com/search?q=Mercuri+E%2C+Darras+BT%2C+Chiriboga+CA%2C+et+al%3B+CHERISH+Study+Group.+Nusinersen+versus+sham+control+in+later-onset+spinal+muscular+atrophy.N+Engl+J+Med.+2018%3B378(7)%3A625-635.&og=Mercuri+E%2C+Darras+BT%2C+Chiriboga+CA%2C+et+al%3B+CHERISH+Study+Group.+Nusinersen+versus+sham+control+in+later-onset+spinal+muscular+atrophy.N+Engl+J+Med.+2018%3B378(7)%3A625-635.&aqs=chrome..69i57.1622j0j15&sourceid=chrome&ie=UTF-8)

En CHERISH/NCT02292537, se evaluó la eficacia del nusinersen en pacientes con AME tipo II-III, también denominada de inicio tardío (entre los 2 y 12 años). Los pacientes fueron aleatorizados en una proporción 2:1 a recibir nusinersen (3 dosis de carga y dosis de mantenimiento cada 6 meses) o una infusión intratecal simulada. La mediana de edad fue de 3 años y la mediana de edad cuando aparecieron los signos y los síntomas clínicos de AME fue de 11 meses.

En el grupo aleatorizado a recibir nusinersen se incluyó una menor proporción de pacientes que en algún momento había logrado ponerse de pie sin ayuda (el 13% vs. 29%) o de andar con ayuda (el 24% vs. 33%). La mayoría de los pacientes (88%) tenía 3 copias del gen SMN2 (el 8% tenía 2 copias, el 2% tenía 4 copias y el 2% tenía un número de copias desconocido). En el análisis final se observó una mejoría estadísticamente significativa en la puntuación de HFMSE (Escala Funcional Motora Expandida Hammersmith) desde el inicio hasta el mes 15 en el grupo nusinersen en comparación con el grupo de control simulado.

CADTH posteriormente recomendó el nuevo tratamiento, bajo la marca Zolgensma y autorizado por Novartis Pharmaceuticals Canada Inc., que los planes públicos de medicamentos de Canadá (excepto Quebec) reembolsen, con condiciones, para bebés con atrofia muscular espinal (AME). La recomendación de reembolso fue hecha por el Comité Canadiense de Expertos en Drogas en su reunión de marzo de 2021. Es la primera terapia de reemplazo de genes para la AME. Las recomendaciones para el reembolso de dicho medicamento, incluyen lo siguiente.

Iniciación

- Existe documentación genética de 5q SMA con mutaciones bialélicas en el gen *SMN1*.
- Los pacientes son sintomáticos o presintomáticos con 1 a 3 copias del gen *SMN2*.
- Los pacientes tienen 180 días de edad (6 meses) o menos.
- Actualmente, los pacientes no requieren alimentación permanente ni soporte ventilatorio (ya sea invasivo o no invasivo).

Prescripción

- Los pacientes están bajo el cuidado de un especialista con experiencia en el diagnóstico y tratamiento de la AME.
- El reembolso se limita a 1 administración de por vida del tratamiento.

Precio

Una reducción en el precio.

Para llegar a la recomendación, el comité consideró evidencia clínica, evidencia económica, información del patrocinador, aportes de 4 especialistas con

Discusión: Aunque el tamaño muestral no es elevado, justificado por tratarse de una enfermedad rara, se ha conseguido equilibrar la mayor parte de las características basales entre los grupos. Sin embargo, el grupo nusinersen presentaba los pacientes con mayor expresión de la patología: tenían más sintomatología al inicio (mayor porcentaje de pacientes con respiración paradójica, neumonía o síntomas respiratorios y problemas de deglución o alimentación), así como menor edad de inicio de los síntomas. Dichas diferencias podrían haber influido en la demostración de beneficio de nusinersen vs placebo, al tratarse de pacientes más graves, en los cuales un pequeño beneficio clínico magnifica el resultado estadístico.

El ensayo CHERISH ha empleado como variable principal la función motora, según el cambio en la puntuación obtenida en la escala HMFSE respecto a la situación basal. La diferencia entre los grupos fue 4,9 (3,1 — 6,7), considerándose de relevancia clínica una variación de al menos 4 puntos. Sin embargo, en este caso no se ha estudiado supervivencia, ni función respiratoria. Respecto a la aplicabilidad de los resultados de este ensayo, hay que tener en cuenta que la mayoría de los datos proceden de pacientes con 3 copias de *SMN2* (88 %), teniendo sólo un 9 % de pacientes 2 copias de *SMN2* y únicamente un 2 %, 4 copias de *SMN2*.

No se incluyeron pacientes de más de 12 años de edad, por lo que no se dispone de datos de pacientes adolescentes ni adultos, ni de aquellos con patologías más evolucionadas en el tiempo. Además se excluyeron pacientes con sintomatología más avanzada (por ejemplo, aquellos con insuficiencia respiratoria, contracturas o escoliosis graves y aquellos que necesitaban alimentación gástrica artificial).

experiencia en el tratamiento de AME y aportes de Cure SMA Canadá y Muscular Dystrophy Canadá sobre resultados y problemas importantes para pacientes y cuidadores. El comité también reconoció que, a pesar de la disponibilidad de otro fármaco para la AME, existe una gran necesidad de nuevos tratamientos.

Brent Fraser, vicepresidente de revisiones farmacéuticas de CADTH, dijo:

“Un diagnóstico de AME tiene un impacto devastador en los niños y los cuidadores. La llegada de un nuevo tratamiento que puede ayudar a los bebés a alcanzar potencialmente hitos motores y retrasar la necesidad de ventilación es un gran avance. A pesar del extraordinario costo del tratamiento, CADTH recomienda reembolsar esta terapia para bebés de hasta 6 meses porque la evidencia que tenemos disponible en este momento muestra que el beneficio es mayor para estos pacientes jóvenes, especialmente cuando el tratamiento se inicia lo antes posible. ”

Recientemente la CATDH ha emitido recomendación para RISDIPLAM, bajo criterios médicos.

8.2. Alemania:

Alemania es un caso paradigmático en cuanto al rápido acceso a las nuevas terapias, que afecta también a las terapias dirigidas a EERR. En el país germano, las decisiones sobre financiación se basan principalmente en el valor clínico de la terapia, teniendo en las EERR una mayor laxitud a la hora de exigir evidencia clínica. Es además uno de los únicos países que realiza sus evaluaciones en base a las recomendaciones de la UE, haciendo referencia explícita al Comité de Medicamentos Huérfanos de la EMA (COMP). El acceso de los pacientes a las terapias dirigidas a EERR es el más rápido de Europa, debido al reembolso inmediato que permite a los medicamentos que carecen de alternativa terapéutica. Aunque en un primer momento, todas las terapias cuentan con un reembolso automático, a los 6 meses se lleva a cabo una evaluación del beneficio clínico del fármaco, seguida de una negociación de precio que puede durar otros 6 meses más.

Si el volumen de ventas del fármaco supera los 50 millones de euros anuales, se aplica el nuevo precio negociado, independientemente de si se trata de un medicamento huérfano o no. Los medicamentos huérfanos no necesitan un comparador para determinar su grado de valor añadido: significativo, considerable, menor o no cuantificable (cuando no hay suficientes datos para describir el alcance). En este país, se adopta una mayor

flexibilidad en relación a los criterios de decisión y, en general, se valoran otros aspectos, como la rareza de la enfermedad y si el fármaco va destinado a una población específica (por ejemplo, niños)

El Instituto para la Calidad y Eficiencia en el Cuidado de la Salud (IQWiG Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen) y el Comité Federal Conjunto (G-BA, del alemán Der Gemeinsame Bundesausschuss) en 2017 establecieron que nusinersen brinda un beneficio neto mayor para AME tipo 1 y considerable para AME tipo 2, siendo incierto para los otros tipos debido a falta de evidencia. Sin embargo, según la legislación vigente se ha dispuesto brindar cobertura a nusinersen por ser considerada una droga huérfana.

8.3.Francia:

En Francia, los MMHH siguen el mismo proceso que las terapias indicadas a patologías más prevalentes. Tras la autorización de la EMA, las decisiones de precio y financiación recaen sobre la Haute Autorité de Santé, mediante una doble vía que el Ministerio de Salud utiliza para las negociaciones con los promotores. Por una parte, se evalúa el beneficio terapéutico del fármaco (SMR), mediante un sistema de 4 niveles y 5 criterios, que son: gravedad de la enfermedad, eficacia, efectos adversos, lugar previsto en la estrategia terapéutica frente a otras terapias disponibles y beneficios para la salud pública.

Por otra parte, se evalúa el valor terapéutico añadido del fármaco (ASMR) en un sistema de 5 niveles que compara, en términos de eficacia y seguridad, la nueva terapia frente a los tratamientos disponibles. Estos criterios tienden a beneficiar a las terapias dirigidas a EERR. De hecho, entre 2000 y 2006, el 40% de los MMHH recibieron un ASMR de entre I y III, en comparación con el 3% del total de fármacos aprobados en el país. Según la legislación francesa, el tiempo entre la aprobación de la EMA y la comercialización efectiva es de 6 meses, aunque se reconoció que no se cumple este plazo.

El plazo entre la autorización y el acceso al medicamento es de aproximadamente 360 días. Como método alternativo, se realiza un uso intensivo de un procedimiento denominada autorización temporal de utilización (ATU), previo a la decisión de precio y financiación, y al que se han acogido el 70% de los MMHH reembolsados en el país.

Este país brinda cobertura a una paciente AME II, que habiendo iniciado acción de Amparo en nuestro país y ante la férrea oposición de la demandada (obra social), desistió de tal Acción⁴⁷, para recibir el tratamiento con Nusinersen en Francia, a partir de la cobertura que brinda el Sector Público.

Agencias como FDA y EMA han generado autorización de comercialización en indicaciones especiales, recibiendo cobertura explícita en Estados Unidos y Francia

8.4.Australia:

El Comité Asesor de Beneficios Farmacéuticos de Australia (PBAC, Pharmaceutical Benefits Advisory Committee) recomendó con un criterio más amplio que beneficia francamente a la población AME, la incorporación de Nusinersen en un programa especial para pacientes con AME tipo I, II o IIIa menores de 18 años y con presentación de la enfermedad antes de los 3 años de edad, aclarando que, a pesar de la reducción sustancial de precio, existía incertidumbre sobre los efectos a largo plazo y recomendaron proseguir con las negociaciones para lograr que sea costo- efectivo.

A partir de un informe emitido en mayo del año en curso la PBAC (www.pbs.gov.au, 2022), mantuvo a Nusinersen en el Programa de Medicamentos de Alta Especialidad (Hospital Público), con las siguientes restricciones: a) No se podrá autorizar el aumento de la cantidad máxima ni del número de unidades; b) no se puede autorizar un aumento del número máximo de repeticiones; c) se aplican acuerdos de precios especiales; d) las solicitudes de autorización bajo esta restricción se pueden realizar en tiempo real utilizando el sistema de Autoridades de PBS.

Criterios de población: el paciente AME I, II, IIIa, debe tener 18 años de edad o menos.

Asimismo, ha autorizado para pacientes AME I, II, IIIa el tratamiento con RISDIPLAM, con acuerdos de precios especiales.

8.5.Inglaterra:

⁴⁷ Expte.N° 59288/2018 “T., L. Y otro c/ Obra Social Agentes Propaganda Medica y otro s/Enfermedades Poco Frecuentes(EPF)”

Se estima que entre 600 y 1200 niños y adultos viven actualmente con AME en el Reino Unido. El Instituto Nacional de Salud y Cuidados de Excelencia (NICE, National Institute for Health and Clinical Excellence) continua en proceso de evaluación la eficacia, seguridad y costo efectividad del fármaco Nusinersen. Se ha comunicado recientemente un informe preliminar en el cual la tecnología es recomendada AME I, II, III, desde 2019, NICE ha recomendado Nusinersen como una opción para tratar la atrofia muscular espinal (AME) 5q., por ello está disponible a través del NHS de acuerdo con el acuerdo de acceso administrado con NHS England, sujeto a revisión dada la escasa evidencia y la falta de control de resultados a largo plazo.

En Inglaterra, las terapias en general dirigidas a EERR siguen los mismos criterios de financiación que los medicamentos indicados para enfermedades prevalentes (ratio de coste-efectividad incremental e impacto presupuestario), pero se tienen en cuenta otros elementos adicionales. Para la evaluación de las terapias clasificadas como ultra-huérfanas el tiempo para acceder desde la autorización de la EMA no puede superar los 20 meses para nuevos medicamentos y los 15 meses para nuevas indicaciones (Powell, 2019).

Para estas tecnologías se consideran adicionalmente aspectos como la naturaleza de la enfermedad o el impacto social de la tecnología, con unos valores sociales explícitos que sustentan el proceso. Si la terapia demuestra beneficios significativos en términos de AVAC, el NICE permite a los medicamentos ultra-huérfanos un umbral de hasta 300.000 libras por AVAC (hasta 10 veces superior al umbral estándar) (Nicod E, 2020), manteniendo el límite de impacto presupuestario anual de 20 millones de libras en los tres primeros años que se aplica a todos los medicamentos en general (Ollendorf DA, 2018).

En la práctica, los ratios coste-efectividad incremental (ICER) de los MMHH y ultra-huérfanos con recomendación positiva presentan un ICER promedio que casi duplica al del resto de medicamentos, con valores de 43-46 mil libras/ AVAC frente a 24-25 mil libras/AVAC³⁹. Además, Inglaterra aplica un procedimiento fast-track para aquellos medicamentos en los cuales la compañía indica que el ICER no superará las 10.000£ por año de vida ajustado por calidad (AVAC) ganado y la agencia evaluadora británica prevé que el ICER no superará o es poco probable que alcance las 30.000£/AVAC. (www.nice.org.uk, 2019).

Asimismo, por el momento y de acuerdo al último resumen de resultados de revisión, los pacientes con AME tipo III que habían perdido la deambulaci3n independiente durante 12 meses antes de la publicaci3n no eran elegibles para comenzar el tratamiento con Nusinersen.

8.6.Italia:

El Servizio Sanitario Nazionale e Univeral (SSN) considera la Salud, el Primer Derecho protegido por la Constituci3n Italiana.

Italia ha puesto en marcha diversas iniciativas normativas para facilitar el acceso a medicamentos hu3rfanos, relacionadas con protecciones econ3micas para tales medicamentos, procedimientos fast-track, acceso temprano a los medicamentos sin autorizaci3n (prescripci3n caso a caso) y la realizaci3n de investigaci3n independiente, a trav3s de fondos de la Agencia Italiana de Medicamentos (AIFA).

Desde 2007, Italia utiliza un algoritmo espec3fico para evaluar los medicamentos innovadores, que incluyen los dirigidos a EERR, considerando la eficacia cl3nica, la relaci3n coste-efectividad, el impacto presupuestario y el grado de innovaci3n. Para EERR, evalúan tambi3n la existencia de terapias alternativas y la extensi3n del efecto terap3utico, pese a que la calidad de la evidencia sea baja. (Filomena Fortinguerra,Giovanni Tafuri,Francesco Trota,Antonio Addis, 2019)

Una vez que la terapia haya demostrado ser innovadora y su reembolso sea aceptado, se financia con presupuestos nacionales con cargo al Fondo para medicamentos innovadores o al Fondo para medicamentos oncol3gicos innovadores, seg3n corresponda. Estos fondos cuentan con una asignaci3n total de 1.000 millones de euros anuales, repartido al 50% a cada uno. Adem3s, Italia destaca por el elevado uso de esquemas financieros de entrada gestionada, entre los que se encuentran dos tipos de acuerdos: los financieros y los basados en resultados. En algunos casos asociados a descuentos de precio seg3n la indicaci3n (Garattini L, 2016).

Nusinersen/Spinraza obtuvo el status de Medicamento hu3rfano, por lo que se le otorg3 una exclusividad de 10 a3os en el mercado. Ello ha mantenido en 2019 el precio de tratamiento por paciente en U\$3 375.000 anual.

Por su parte todos los acuerdos de reembolsos son de car3cter confidencial.

Spinraza ha sido considerado en Italia, como El estatus de *totalmente innovador* se otorga por hasta 36 meses. En el caso de una primera designación *condicionalmente innovadora*, el estado puede ser revisado y convertido en un estado *totalmente innovador* por AIFA después de 18 meses, si el fabricante proporciona evidencia clínica adicional y si los nuevos datos son capaces de cambiar el primer juicio.

Sin embargo, en franca preocupación por el costo del medicamento las asociaciones de consumidores italiana y Belga, Altroconsumo y Test-Achats, respectivamente. Elaboraron informes sobre el costo del medicamento y la necesidad de su renegociación⁴⁸. Manifestaron que en ese país el costo del tratamiento en el primer año asciende a U\$S 234.000, y en los años siguientes a la suma de U\$S 312.000 + IVA, mientras que en Bélgica el costo del primer año de tratamiento es de U\$S 590.000 y en los años siguientes de U\$S 295.000.

Financiamiento público para medicamentos innovadores en Italia, asignó fondos especiales para medicamentos innovadores con diversos tipos de sistemas públicos de financiamiento según estado de la autorización del mercado para ofrecer a los pacientes un mayor acceso a los tratamientos para las enfermedades raras.

El diseño del Programa, implica:

El sistema de salud nacional italiano tiene cobertura pública completa financiada principalmente a través del impuesto corporativo y del impuesto sobre el valor agregado.

El fondo de 5 % de AIFA: La ley nacional permite a los médicos solicitar financiamiento para medicamentos huérfanos antes de la autorización del mercado, aportado por las empresas (5 % de gastos promocionales)

Fondo para medicamentos innovadores: financiamiento para medicamentos huérfanos que alcanzó designaciones completas de innovación

Los resultados obtenidos hasta 2021, reflejan:

⁴⁸ Ivo Tarantino expreso "Debe ser posible un precio más justo para los medicamentos innovadores. Altroconsumo siempre ha hecho campaña por el acceso de los pacientes a los medicamentos y por la sostenibilidad de la atención, como lo hizo en los casos de Avastin-Lucentis y Aspen Pharma, que se han convertido en pilares fundamentales de la ley de competencia. cumplimiento en el sector farmacéutico" <https://www.altroconsumo.it/organizzazione/international/press-releases/2019/spinraza-unfairly-priced-italian-and-belgian-antitrust-authorities-urged-to-investigate>

El 5 % de AIFA se utiliza para reembolsar el costo del tratamiento de los pacientes, promover la investigación de las enfermedades huérfanas y mejorar el acceso a los medicamentos que esperan su introducción al mercado.

EL 65 % de las solicitudes de financiamiento (82 pacientes) se han beneficiado por un gasto por un total de EUR 14 millones en 2017.

Permite un sistema sustentable de financiamiento para los pacientes con AME para obtener los tratamientos aprobados, incluido el Spinraza,

En Italia, Zolgensma se involucró en un modelo innovador de pago, con diferentes acuerdos de acceso, el cual ofrece beneficios de reembolso y una posibilidad para una mejor vida para niños con AME; Los acuerdos basados en la categoría de peso permitieron a diferentes grupos de pacientes el acceso al tratamiento a un precio sustentable, el cual incluye descuentos obligatorios.

El suministro de pruebas clínicas gratuitas de Zolgensma permitió la adquisición de datos adicionales sobre la eficacia y seguridad en pacientes de más peso (Morales, 2022).

8.7.EEUU:

FDA es la agencia norteamericana que en diciembre 2016, aprobó el fármaco para Nusinersen/Spinraza producida por Laboratorio Belga Biogen S.A., transformándose en la primera terapia a nivel mundial para el tratamiento de la Atrofia Muscular Espinal.

Las principales aseguradoras en EEUU, proporcionan Nusinersen estableciendo restricciones variables en la indicación (edad de inicio de síntomas, edad al inicio de tratamiento, número de copias de SMN2, necesidad de asistencia ventilatoria invasiva permanente) y en la continuación del tratamiento (Aetna, Medicare y Medicaid, Anthem y United Health Services).

En julio de 2018, el gobierno federal de EEUU agregó la atrofia muscular espinal (SMA) al Panel de detección uniforme recomendado (RUSP), la lista de afecciones sugeridas que los estados deben detectar dentro de sus programas estatales universales de detección de recién nacidos, con 46 estados que realizan actualmente pruebas de detección de AME en la actualidad . Dentro de los tres años posteriores a la adición de la AME a la lista de enfermedades recomendadas por el gobierno federal para detectar AME al nacer,

Cure SMA y sus defensores se han asegurado de que el 97% de los bebés sean examinados para detectar AME al nacer.

En la actualidad, hay tres tratamientos potenciadores de la SMN para la AME aprobados por la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration) de los EE UU. **Evrysdi (Risdiplam)** es una molécula pequeña tomada diario por la boca o por sonda de alimentación gástrica que causa la fabricación más completa del gen SMN2. **Spinraza (Nusinersen)** es una inyección que actúa de forma selectiva sobre el gen SMN2 para hacer que produzca proteínas más completas. **Zolgensma (onasemnogene abeparvovec-xioi)** es una inyección de terapia génica que reemplaza la función del gen SMN1 faltante o mutado.

Otros tipos de terapias se encuentran en ensayos clínicos y en estados anteriores de investigación, y es posible que estén disponibles en el futuro. Algunos de estos enfoques se dirigen a enfoques “sin SMN,” centrándose en otros sistemas, vías y procesos del cuerpo que se ven afectados por la proteína SMN. Ejemplos de tales enfoques son los medicamentos que aumentan la fuerza muscular o la función de las neuronas motoras (CURESMA).

Agencias como FDA y EMA han generado autorización de comercialización en indicaciones especiales, recibiendo cobertura explícita en Estados Unidos y Francia

8.8. Chile:

Enfrenta una problemática de similares características a la que acontece en nuestro país, a propósito se ha expedido la Fiscalía de Estado, refiriendo a la preocupación que representa el precio de comercialización en ese país del medicamento Nusinersen/Spinraza; planteado la necesidad de discutir acerca de si los medicamentos son “*Bienes de primera necesidad*” y es tal caso urge tomar medidas diferenciadas.

El derecho a la protección a la salud surge del artículo 19 N° 9 de la Constitución Política de la República de Chile, afirmándose que “*El derecho a la protección de la salud. El Estado protege el libre e igualitario acceso a las acciones de promoción, protección y recuperación de la salud y de rehabilitación del individuo. Le corresponderá, asimismo, la coordinación y control de las acciones relacionadas con la salud. Es deber preferente del Estado garantizar la ejecución de las acciones de salud, sea que se presten a través de*

instituciones públicas o privadas, en la forma y condiciones que determine la ley, la que podrá establecer cotizaciones obligatorias. Cada persona tendrá el derecho a elegir el sistema de salud al que desee acogerse, sea éste estatal o privado”

La Corte Suprema de Chile ha tenido oportunidad de pronunciarse en casos promovidos por pacientes AME, en autos “*Herrera Muñoz en representación de su hijo GARH c/ Hospital Clínico San Borja Arriazan – Servicio Metropolitano de Salud Central y Fondo Nacional de Salud (FONASA) – Recurso de Protección*”, acerca de la vulneración de las garantías contempladas por Ley N° 20.850⁴⁹ en el Art. 19 inc. 1° Derecho a la Vida

⁴⁹ Ley N° 20.850: Art. 1°.- Objeto de la ley. “*Créase un Sistema de Protección Financiera para el otorgamiento de aquellos diagnósticos y tratamientos de alto costo que declare el decreto supremo del Ministerio de Salud, a que hace referencia el artículo 5º, y formará parte del Régimen General de Garantías en Salud al que se refiere el artículo 134 del decreto con fuerza de ley N°1, de 2005, del Ministerio de Salud, que fija el texto refundido, coordinado y sistematizado del decreto ley N°2.763, de 1979, y de las leyes Nos 18.933 y 18.469. El Fondo Nacional de Salud deberá asegurar esta protección financiera a todos los beneficiarios de los sistemas previsionales de salud de Chile.*

Se excluyen de la presente ley las prestaciones efectivamente cubiertas: A) Por las leyes N°16.744, que establece normas sobre accidentes del trabajo y enfermedades profesionales, y N°18.490, sobre seguro obligatorio de accidentes personales causados por circulación de vehículos motorizados y B) por el Contrato de Salud Previsional a través de la Cobertura Adicional para Enfermedades Catastróficas (CAEC).

De este modo, los beneficiarios de las instituciones de salud previsual, para acceder a las garantías contempladas en esta ley, deberán impetrar primero la cobertura adicional de enfermedades catastróficas contemplada en los contratos de salud previsual cuando fuere procedente. En caso contrario, se les aplicará las disposiciones de esta ley sin exclusiones.

El otorgamiento de las prestaciones y la protección financiera del Sistema que regula esta ley serán constitutivos de derechos para los beneficiarios y su cumplimiento podrá ser exigido por éstos ante el Fondo Nacional de Salud y la Superintendencia de Salud a través de la Intendencia de Fondos y Seguros Previsionales de Salud, conforme al ámbito de competencias que a cada institución le corresponda.”.

TÍTULO II: DEL EJERCICIO DE LA PROTECCIÓN FINANCIERA. Art. 3°.- *Del Ejercicio de la cobertura financiera. “Para contar con el sistema de protección financiera establecido en la letra e) del artículo 2º, las prestaciones deben ser otorgadas en la Red de Prestadores que correspondan en conformidad a esta ley.*

Por el contrario, no contarán con el sistema de protección financiera las prestaciones no cubiertas por el Sistema de Protección Financiera para Diagnósticos y Tratamientos de Alto Costo o que, estando cubiertas, hayan sido otorgadas fuera de la Red de Prestadores que corresponden conforme a esta ley.

No obstante, tratándose de una condición de salud que implique urgencia vital o secuela funcional grave, en los términos señalados en el decreto N°369, del Ministerio de Salud, de 1985, que aprueba el Reglamento del Régimen de Prestaciones de Salud y sus modificaciones, y que, en consecuencia, requiera hospitalización inmediata e impostergable en un establecimiento diferente de los contemplados en la Red de Prestadores aprobados por el Ministerio de Salud, el beneficiario tendrá igualmente derecho a las prestaciones incluidas en el Sistema de Protección Financiera de que trata esta ley, hasta que el paciente se encuentre en condiciones de ser trasladado a alguno de los prestadores aprobados por el Ministerio de Salud.

el prestador de urgencia, le serán reembolsados por el Fondo Nacional de Salud, con cargo al Fondo de Tratamientos de Alto Costo.

Sin perjuicio de lo anterior, el médico tratante en el establecimiento será quien determine el momento a partir del cual, para los efectos de este artículo, el paciente se encuentra en condiciones de ser t En esta circunstancia, los costos de los tratamientos cubiertos por esta ley y que sean proporcionados por rasladado, caso en el cual se aplicarán las reglas siguientes:

a) Si la persona facultada para ello conforme al artículo 10 de la ley N°20.584, no obstante la determinación del médico, opta por la mantención en el establecimiento, los copagos que se devenguen de acuerdo a su sistema previsual de salud, a partir de ese momento no se encontrarán cubiertos por este Sistema.

y N° 9, en la Convención de los Derechos del Niño en el Art. 24 inc. 1° ratificada por Decreto del Supremo N° 830 de fecha 27/09/1990.

Así el anuario de Derecho Público Alejandra Zúñiga-Fajur⁵⁰, se cuestiona “¿Cuánto debe gastar un Estado en cuidado sanitario? ¿Cuál es el nivel de atención médica que una sociedad decente debe ofrecer a todos? ¿De qué modo decidir cuál es ese nivel mínimo? Esto es precisamente el análisis costo-eficiente que hace la autoridad sanitaria al momento de seleccionar patologías que permitan combinar tanto el objetivo de alargar la vida con el de asegurar una cierta calidad de la misma, lo que queda muy bien explicado en la defensa que hace FONASA en el juicio al exponer acerca del “Principio de Justicia Distributiva” citando el clásico libro “Principios de Ética Biomédica” de Tom L.

b) Si la persona facultada para ello conforme al artículo 10 de la ley N°20.584, en el mismo caso, opta por el traslado a un establecimiento que no forma parte de la red de prestadores aprobados por el Ministerio de Salud, se aplicará lo dispuesto en la letra precedente.

c) Si la persona facultada para ello conforme al artículo 10 de la ley N°20.584, opta por el traslado a un establecimiento de la red de prestadores aprobados por el Ministerio de Salud, continuará la protección financiera de la que trata esta ley.

Si con posterioridad a las situaciones descritas en las letras a) y b) del inciso precedente, el paciente decide ingresar a la red de prestadores aprobados por el Ministerio de Salud, se iniciará o reiniciará el cómputo para la protección financiera de esta ley.

Los establecimientos que reciban personas que se hallen en la situación descrita en el inciso segundo deberán informarlo a la Intendencia de Fondos y Seguros Previsionales y al Fondo Nacional de Salud dentro de las veinticuatro horas siguientes, señalando la identidad de las mismas. Dicha información deberá registrarse a través del sitio electrónico habilitado por la referida Intendencia para estos efectos y estará inmediatamente disponible para su consulta por las Instituciones Previsionales de Salud, el Fondo Nacional de Salud, las instituciones de salud previsual de las Fuerzas Armadas y las de Orden y Seguridad Pública y el Ministerio de Salud.

Con todo, para los efectos de este artículo, los beneficiarios del Sistema que hayan requerido atención cerrada de conformidad con las disposiciones contenidas en la ley N°19.966, que establece un régimen de garantías en salud, para acceder a las garantías explícitas allí consagradas, se entenderá que dicha atención ha sido otorgada por la Red de Prestadores aprobados por el Ministerio de Salud, mientras dure su hospitalización.

En caso de discrepancia acerca de la calificación de una situación como de urgencia vital o secuela funcional grave, el Fondo Nacional de Salud por sí o a través de la red de prestadores aprobados por el Ministerio de Salud para el otorgamiento de las prestaciones de alto costo con sistema de protección financiera, así como el paciente o su representante, podrá requerir que resuelva la Superintendencia de Salud, a través de la Intendencia de Fondos y Seguros Previsionales. Igual acción se confiere al paciente o su representante.

Los mecanismos de reembolso a los prestadores a que haya lugar en virtud del presente artículo serán definidos mediante un reglamento.

La Superintendencia de Salud, a través de la Intendencia de Fondos y Seguros Previsionales, será la entidad encargada de resolver las controversias que surjan con ocasión de la aplicación de este artículo.”

Título VI: Sistema De Protección Financiera Para Diagnósticos Y Tratamientos De Alto Costo. Art. 19°: Fondo para Diagnósticos y Tratamientos de Alto Costo. “Créase un Fondo para Diagnósticos y Tratamientos de Alto Costo destinado al financiamiento total o parcial de diagnósticos y tratamientos de alto costo con Sistema de Protección Financiera, incluidos en el decreto a que se hace referencia en el artículo 5° para los beneficiarios señalados en la letra c) del artículo 2°”.

⁵⁰ Dra en derecho. Prof.titular de Derecho Constitucional y Teoría Política de la Universidad de Valparaíso. Investigadora CIDFE (Centro de investigación de filosofía del derecho y derecho penal). Errázuriz 2120, Valparaíso, Chile. alejandra.zuniga@uv.cl Artículo asociado al Proyecto de Investigación FONDECYT N° 1180096. “La Salud Mental Infantil como una nueva Garantía Explícita en Salud

Beuchamp y James Childress, donde se postula que se deben distribuir los bienes y servicios buscando proveer el mejor cuidado de la salud según las necesidades sin descuidar la promoción del interés público” “Para tomar la decisión de obligar al Estado a financiar una medicina con las características del Spinraza los tribunales requieren estar capacitados para, al menos i) Revisar estudios de carga de enfermedad y de carga de factores de riesgo (AVISA y AVAC20); ii) Analizar la eficacia y efectividad de las prestaciones que se ofrece otorgar; iii) Considerar la capacidad real de atención del sistema de salud y, cuando sea posible, iv) Incorporar el criterio de preferencias sociales. Luego, una evaluación científica como esta comprende aspectos técnicos y éticos complejos que requieren una experticia de la que las juezas y jueces evidentemente carecen”.

El medicamento recientemente desarrollado para combatir la Atrofia Muscular Espinal (AME), llamado comercialmente Spinraza, cuesta US \$125.000 por inyección lo que supone al Estado, sólo el primer año, asumir el valor de \$500.000.000 por seis dosis. Es importante tener presente que el fondo disponible del año 2018 para cubrir enfermedades de alto costo (*Ley Ricarte Soto*) era de \$9.869 mil millones. La estimación efectuada para entregar a todos los pacientes con Atrofia Muscular Espinal el medicamento exigiría aumentar dicho presupuesto a \$169.500.000.000. La Corte Suprema en Rol N° 17.043-2018 de fecha 6-11-2018, no consideró el costo del medicamento (razones de orden económico) como factor relevante para la adopción de su decisión final pues, argumentando que, esas razones “*no debieran invocarse*” cuando está comprometido el derecho a la vida y a la integridad física o psíquica de una persona.

El Poder Judicial de aquel estado, intenta definir qué debemos entender por diseñar una política pública, recurriendo a alguna doctrina alemana citada por Alexy que parte del principio de que “*como lo ha mostrado la jurisprudencia del Tribunal Constitucional Federal, en modo alguno un Tribunal Constitucional es impotente frente a un legislador inoperante*”. Se justificaría que los tribunales declaren la violación de un derecho fundamental y obliguen al órgano administrativo a su reparación siempre y cuando dejen la definición técnica precisa del “*cómo reparar*” en manos del ejecutivo. De conformidad con lo que dispone el artículo 20 de la Constitución Política de la República y las Sentencia de la Corte Suprema sobre la materia, se acoge el recurso de protección deducido por Daniela

Brigitte Díaz Hernández, en favor de su hijo C.A.F.D., disponiéndose que “*los recurridos deberán realizar las gestiones pertinentes para la adquisición y suministro del fármaco identificado como Spinraza o Nusinersen, mientras los médicos tratantes así lo determinen, con el objeto que se inicie en el más breve tiempo el tratamiento del indicado menor con este medicamento*”. Como se lee la Corte Suprema, junto con declarar la vulneración de un derecho fundamental (el derecho a la vida) no se limita a ordenar al Ministerio de Salud a que tome las providencias del caso a fin de salvaguardar el derecho (dejando a la autoridad sanitaria la tarea de definir cómo hacerlo) sino que le dice, precisamente, cómo hacerlo: suministrando un medicamento específico –Spinraza- y dejando al órgano técnico prácticamente la sola tarea de comprarlo y entregarlo a los paciente. Ello hace muy difícil defender que la sentencia “*no alcanza ni define, de modo alguno, la implementación y diseño de políticas públicas*”. Es importante recalcar por qué es preocupante que las juezas y jueces tomen este tipo de decisiones por sí mismos. Como se ha sugerido, en todos los casos sobre Spinraza la Corte Suprema falla al intentar demostrar la ilegalidad o arbitrariedad en el actuar del Ministerio. Así queda en evidencia en el considerando 4° de la causa Rol N° 25.009-2018.

Ante el interrogante *¿Es correcto fallar en favor del acceso a un medicamento bajo la premisa de mejorar la calidad de vida de los pacientes, cuando las pruebas científicas no demuestran estos beneficios? ¿Pueden las juezas y jueces analizar los resultados de los ensayos clínicos pivotaes? ¿Hay reportes de seguimiento post sentencia?*

Cuando los tribunales dictan fallos de espalda a la evidencia científica y a los criterios costo-eficientes, bioéticos y sociales de los tratamientos, en la práctica se produce un efecto contraproducente. Por ejemplo, aun cuando los fallos judiciales han ordenado al Estado a suministrar el medicamento Spinraza en ya 17 casos, la asociación FAMECHILE ha denunciado que los servicios de salud han dilatado su compra y administración. Además, el Ministerio de Salud habría dado instrucción desde la dirección de los servicios de salud y hospitales a los médicos para que no receten el medicamento SPINRAZA a los pacientes afectos con AME. “*Lo que se confirma con el sumario iniciado por la Dirección del Hospital Higuera en la comuna de Talcahuano, en contra de uno de sus médicos que recetó SPINRAZA* (Chile, 2019)

En una serie de sentencias de la Corte Suprema del periodo 2017-2019 se puede desprender una jurisprudencia consistente en cuanto a acoger recursos de protección en los que se recurre por denegación de acceso a medicamentos de alto costo. Es pertinente transcribir algunos considerandos jurídicos de una de estas sentencias de la Corte Suprema en los que se dejan en claro sus principales argumentos y que se replica en diversos otros fallos de manera idéntica o similar:

“Considerando 6°: el costo del medicamento constituye la principal razón para no otorgar el tratamiento requerido, fundamentalmente por el impacto que puede tener en los limitados recursos con los que cuentan las instituciones públicas para atender las necesidades de otros enfermos. Al respecto, es preciso reflexionar que si bien el elemento económico constituye un aspecto a considerar en diversas decisiones de las autoridades públicas no debería serlo en aquellas que dicen relación con resguardar la vida de una persona, derecho que constituye un bien jurídico superior y de carácter absoluto. Considerando 7°: Que, en razón de lo anterior, se desprende que las recurridas no han debido negarse a cubrir el costo del medicamento en los términos en que le fue solicitado por la actora, y al hacerlo han incurrido en un acto arbitrario que, sin duda, amenaza la garantía del derecho a la vida de la hija de la recurrente, pues la decisión de las recurridas de no costearle el mentado fármaco en los términos pedidos la priva, en la práctica, del acceso al mismo, medicina que ha sido prescrita para asegurar la sobrevivencia de la paciente, quien presenta reactivaciones cada vez más severas y frecuentes que hacen perentoria la administración de dicho fármaco a la brevedad. Considerando 8°: Que las mencionadas circunstancias revisten la suficiente razonabilidad para concluir que se está infiriendo a la hija de la reclamante un daño grave y significativo que afecta el derecho fundamental antes referido, frente a lo cual corresponde otorgar la indispensable defensa, adoptando las medidas necesarias conducentes a restablecer el imperio del derecho, consistentes en que las instituciones recurridas financien y proporcionen a la niña S.A.L.L., el medicamento requerido para el tratamiento de la patología que la aqueja” (SCJ, 2017)

El razonamiento de la Corte Suprema de Chile, se puede resumir de la siguiente manera:

- El alto costo no puede constituir per sé un argumento para denegar el acceso a medicamentos;
- Al negarse a cubrir el costo de dichos medicamentos, el Ministerio de Salud ha incurrido en un acto arbitrario;
- Que lo anterior, conlleva un daño y afectación al derecho a la vida;
- Que, por lo anterior, se ordena que las autoridades del Ministerio de Salud financien y proporcionen el medicamento requerido para el tratamiento de la patología que aqueja a las y los pacientes en cuestión.

En particular sobre la cuestión del costo de los derechos, la Corte Suprema razona de la siguiente manera. Primero, afirma que las autoridades señalan que el costo del medicamento constituiría la principal razón para no otorgar el tratamiento requerido, fundamentalmente por el impacto que puede tener en los limitados recursos con los que cuentan las instituciones públicas para atender las necesidades de otros enfermos. Sin embargo, refutando lo anterior, la Corte Suprema ha señalado que, si bien el elemento económico constituye un aspecto a considerar en diversas decisiones de las autoridades públicas, no debería serlo en aquellas que dicen relación con resguardar la vida de una persona.

Según la Corte dicho elemento económico no podría tener relevancia en estos casos porque el derecho a la vida constituye un bien jurídico superior y de carácter absoluto. Pero, a lo anterior, cabe agregar otras consideraciones de la jurisprudencia de la Corte Suprema que resultan sin duda de interés. En primer lugar, en algunas sentencias se ha agregado a los argumentos anteriores que el derecho a la vida y a la integridad física o psíquica de una persona, es un derecho consagrado en la norma de mayor rango en el ordenamiento jurídico, esto es, en la Constitución Política de la República, que prevalece respecto de los distintos.

8.9. Uruguay

Según datos proporcionados por los representantes de FAME – URUGUAY, hasta su exposición en 2020, dicha fundación estaba integrada por 36 familias de pacientes AME en todas sus tipología, incluida AME0.

Los pacientes uruguayos hasta ese momento SOLO podían acceder al tratamiento principalmente con el medicamento Nusienrsen/spinraza, por vía de Acción de Amparo Judicial, encontrándose 13 pacientes en tratamiento luego de haber tramitado la acción judicial descripta.

El país Oriental no cuenta con “SCREENING NEONATAL”, FAME- URUGUAY, lleva varios años planteando tal necesidad de incorporar esa política sanitaria, argumentando que en los países desarrollados que la usan previenen el agravamiento de la enfermedad, por su precoz detección y rápido tratamiento.

Uruguay otorgó a Biogen S.A. el registro de Nusinersen el 31/07/2018 – bajo el N° 45.429, pero no lo incorporó al FTM (Formulario de terapias medicas) o lo que se denomina también entre nosotros como PMO, ello así y pese a la protección constitucional y de Derechos Humanos que registra del Derecho a la Salud en ese país (Constitución de la Republica de Uruguay) y leyes N° 16.011⁵¹, 17.930⁵², 18.335⁵³, el precio de

⁵¹ Uruguay, Ley N° 16.011 - REGULACION DE DISPOSICIONES RELATIVA A LA ACCION DE AMPARO (1.988), Artículo 1:
“Cualquier persona física o jurídica, pública o privada, podrá deducir la acción de amparo contra todo acto, omisión o hecho de las autoridades estatales o paraestatales, así como de particulares que en forma actual o inminente, a su juicio, lesione, restrinja, altere o amenace, con ilegitimidad manifiesta, cualquiera de sus derechos y libertades reconocidos expresa o implícitamente por la Constitución (artículo 72), con excepción de los casos en que proceda la interposición del recurso de "habeas corpus".

Artículo 6: *“Salvo en el caso previsto en la oración final del artículo 2, el Juez convocará a las partes a una audiencia pública dentro del plazo de tres días a partir de la fecha de la presentación de la demanda. En dicha audiencia se oirán las explicaciones del demandado, se recibirán las pruebas y se producirán los alegatos. El Juez, que podrá rechazar las pruebas manifiestamente impertinentes o innecesarias, presidirá la audiencia so pena de nulidad e interrogará a los testigos y a las partes, sin perjuicio de que aquéllos sean, a su vez, repreguntados por los abogados. Gozará de los más amplios poderes de policía y de dirección de la audiencia. En cualquier momento podrá ordenar diligencias para mejor proveer. La sentencia se dictará en la audiencia o, a más tardar, dentro de las veinticuatro horas de su celebración. Sólo en casos excepcionales podrá prorrogarse la audiencia por hasta tres días. Las notificaciones podrán realizarse por intermedio de la autoridad policial. A los efectos de lo dispuesto por el literal C) del artículo 9, se dejará constancia de la hora en que se efectuó la notificación.”*

Artículo 7: *“Si de la demanda o en cualquier otro momento del proceso resultare, a juicio del Juez, la necesidad de su inmediata actuación, éste dispondrá, con carácter provisional, las medidas que correspondieren en amparo del derecho o libertad presuntamente violados.”*

⁵² Uruguay. Ley N° 17.930 - PRESUPUESTO NACIONAL DE SUELDOS GASTOS E INVERSIONES. EJERCICIO 2005 – 2009.

⁵³ Uruguay. Ley N° 18.335 - DERECHOS Y OBLIGACIONES DE PACIENTES Y USUARIOS DE LOS SERVICIOS DE SALUD (2.008), Artículo 2: *“Los pacientes y usuarios tienen derecho a recibir tratamiento igualitario y no podrán ser discriminados por ninguna razón ya sea de raza, edad, sexo, religión, nacionalidad, discapacidades, condición social, opción u orientación sexual, nivel cultural o capacidad económica.”*

comercialización por ampolla sigue siendo el factor preponderante de la judicialización del 100% de los pedidos de provisión del medicamento.

Como expresaron los representantes de la fundación mencionada, en el mundo se han registrado hasta 2020, 11.000 pacientes AME en todos sus tipos que se encuentran recibiendo el tratamiento desarrollado por el laboratorio Biogen S.A., sin embargo, no es menos importante referir que existen dos valores para la comercialización del medicamento, En Europa se ha obtenido un precio menor mientras que en EEUU resultar ser más costoso.

Por su parte En Uruguay se ha diagnosticado a un paciente AME 0, solicitando los progenitores la provisión de otro medicamento elaborado por el laboratorio Roche, que obtuvo recientemente la aprobación de FDA, también en Brasil y Chile, denominado “Risdiplam”, consiguiendo el envío de tal mediación por parte de la farmacéutica, sin embargo y por tratarse de un medicamento de uso compasivo (porque no ha sido registrado en el FTM – Uruguay) cuestiones burocráticas demoraron considerablemente el ingreso del medicamento, en virtud por ejemplo una jeringa de características especiales requerida para su aplicación.

Los pacientes AME en el país oriental, deben recurrir a la judicialización para obtener la cobertura de tratamientos farmacológicos principalmente con Nusinersen, y más aún cuando se trata de Zolgensama y/o Risdiplam, pese a contar con normativa protectora, del Derecho a la Vida, la Salud, la Calidad de Vida, las prestaciones sanitarias, etc.

Artículo 10: “El Estado garantizará en todos los casos el acceso a los medicamentos incluidos en el formulario terapéutico de medicamentos. Todas las patologías, agudas o crónicas, transmisibles o no, deben ser tratadas, sin ningún tipo de limitación, mediante modalidades asistenciales científicamente válidas que comprendan el suministro de medicamentos y todas aquellas prestaciones que componen los programas integrales definidos por el Ministerio de Salud Pública de acuerdo con lo establecido por el artículo 45 de la Ley Nº 18.211, de 5 de diciembre de 2007. Los servicios de salud serán responsables de las omisiones en el cumplimiento de estas exigencias.”

Artículo 25: “Las infracciones a la presente ley determinarán la aplicación de las sanciones administrativas previstas en la normativa vigente en las instituciones o en el ámbito del Ministerio de Salud Pública, sin perjuicio de otras acciones que se puedan derivar de su violación.”

En septiembre de 2021, se instauró oficialmente en el Parlamento Uruguayo una mesa de trabajo con el objetivo la elaboración de un proyecto de ley que contemple los reclamos de los pacientes con enfermedades raras y sus familiares.

Uruguay integra la Organización Europea de Enfermedades Raras y el Comité Internacional de Enfermedades Raras, a través de Fupier, fundación que tiene como objetivo incentivar el conocimiento y la investigación en torno a estas patologías. A nivel nacional se procura crear una ley para mejorar la calidad y la esperanza de vida de las personas con enfermedades raras.

Asimismo, no cuenta con un Registro de Pacientes con EPOF, no se sabe cuántas personas exactamente padecen una enfermedad rara en Uruguay. Se habla que de acuerdo a datos internacionales serían más de 200 mil personas, pero no hay datos exactos, ni cómo localizar a los enfermos.

Es un derecho del paciente, respetando la protección de datos, crear la oportunidad que se investigue su patología y que pueda elegir participar o no de un estudio internacional.

9. Metodología de la Investigación.

1. **Análisis Jurisprudencial** – amparos judiciales de Salud – provisión medicamento Spinraza (Anexo I), análisis cualitativo y cuantitativo de información (acogimiento de la pretensión principal; medida cautelar; acceso al tratamiento farmacológico y plazos).
2. **Estudio y valoración de antecedentes legales, Normativos y doctrinarios sobre** - la protección constitucional y convencional de la persona con discapacidad por enfermedades poco frecuentes y el efectivo acceso a tratamientos farmacológicos (acceso a la prestación de salud), la necesaria judicialización del mismo como única vía de acceso, cuestiones de bioética, argumentos económicos y dignidad humana.
3. **Análisis de la incidencia de la medida cautelar innominada, el plazo y evolución del Proceso de Amparo Salud por causa de E.Po.F. – A.M.E.** según datos recolectados en Anexo I, necesidad de revisión del procedimiento y el cumplimiento de los plazos.

10. Conclusión.

LA AME es una enfermedad brutal -permítaseme el adjetivo- aun en las formas más leves (AME IIIb/IV) es altamente incapacitante, sumado a la rareza de la misma y a la complejidad sistémica que involucra su evolución. Afecta prioritariamente a niños, adolescentes y jóvenes, y en forma indirecta a las familias de cada uno de los pacientes.

El formidable escudo legal y convencional que protege los Derechos Humanos fundamentales resulta contundente e incuestionable; sin embargo, no ha sido incorporado a la conciencia gubernamental, por ende, pareciera que es recogido a la postre, frente al incumplimiento arbitrario e injustificado de los agentes de Salud y/o Estado, por los jueces para justificar la procedencia de la acción de amparo.

Concluimos que tal escudo normativo de DEBE informar armónicamente el desarrollo de políticas sanitarias tan innovadoras como los fármacos que se someten a tratamiento judicial (Spinraza, Zolgensma, Risdiplam), para permitir una cobertura en tiempo y forma adecuada a la gravedad de la patología.

Es necesaria la colaboración en todo el sistema de salud para lidiar con estos desafíos sistémicos. No afrontar las enfermedades raras a nivel normativo y sistémico ocasionará el abandono de las personas más vulnerables de la sociedad.

No resulta admisible el peregrinar (véase Anexo I) al que se somete al paciente y su familia ante organismos administrativos, instancias judiciales y finalmente para agilizar los dos anteriores los medios de comunicación (por estas horas pacientes AME, se encuentran transitando esa “peregrinación”)⁵⁴

Las causas seleccionadas en el Anexo, permiten advertir que actualmente el verdadero desafío consisten en obtener el dictado de una medida cautelar de tutela innovativa para acceder al tratamiento, ya que la Acción de Amparo, ha sido “*ordinarizada*”, repárese que solo en una menor porción se ordena la medida

⁵⁴ <https://marcelobonelli.cienradios.com/padres-iniciaron-acciones-legales-contra-osde-por-no-cumplir-con-el-medicamento-para-su-hija/>
https://www.clarin.com/buena-vida/sindrome-down-ame-tipo-2-familia-reclama-medicamentos-caros-mundo_0_DycUz6XIGt.html

cautelar con el despacho del proveído de admisión de la acción principal, que por otra parte, no implica la provisión de la medicación, por el contrario, la concesión de la cautelar genera un despliegue procesal recursivo que tiene como techo la CSJN, en muchos casos gozando del efecto suspensivo de la medida, lo cual dilata ficticiamente su ejecución. Conforme surge del Anexo citado, los plazos procesales, resultan incompatible con el devenir de la enfermedad AME y la necesidad de urgentes respuestas.

La garantía del derecho de defensa o el principio de bilateralidad versan prioritariamente según antecedentes, en demostrar el quebranto económico y financiero que ocasionaría la provisión del tratamiento farmacológico Nusinersen/Spinraza con la consecuente alteración en la cobertura del resto del universo de afiliados y, la escasa evidencia científica, costo-beneficio del medicamento, ello, importa un despliegue procesal que si bien avala el ejercicio de tal derecho, al mismo tiempo consume un tiempo irrecuperable para el paciente, que luego de meses, años, finalmente accede a dicho tratamiento, con inestables plazos y condiciones de provisión efectiva, que sin dudas repercuten en perjuicio exclusivo del paciente.

La desnaturalización de la excepcionalidad de la acción para obtener el reconocimiento de los derechos que se consideran conculcados, se verifica en la concesión de medidas cautelares que, en definitiva, resuelven sobre el fondo de la cuestión, adelantando el criterio jurisdiccional, el Dr. Gusman (Presidente de la Sala II de la Cámara Federal Civil y Comercial), ha manifestado en su artículo en la Revista LL *“La judicialización como terapéutica Algunas de esas flaquezas del régimen, añadidas a otras que por razones de espacio editorial no puedo desarrollar, repercuten en un alto grado de reticencia a suministrar las prestaciones por parte de los distintos actores del sistema de salud y, como consecuencia, en que se opongan obstáculos a los pacientes a la hora de obtenerlas. Esto, a su vez, lleva a que los reclamos se canalicen hacia los tribunales y que los beneficiarios recién puedan gozar en forma efectiva del derecho si obtienen una respuesta favorable —por lo general, a título cautelar—, provocando un incremento continuo de la litigiosidad en materia de salud. Las*

estadísticas judiciales me eximen de mayores comentarios sobre este punto.”
(Gusman, 2021).

La incorporación de la medida cautelar y su ejecución, ante la instancia recursiva admitida para la misma, plantean un escenario que excede la naturaleza misma de la Acción de Amparo, y considero que esa desnaturalización, conlleva un desvanecimiento de la garantía constitucional promovida.

Esta patología AME, así como otras afecciones a la Salud de las personas, como asimismo las alternativas terapéuticas novedosas, han instalado la necesidad de repensar la Acción de Amparo, por la necesidad de mayor debate, la trascendencia de sus discusiones como asimismo y principalmente, la urgencia del paciente.

Otros elementos que entendemos de excedencia jurídica, toman relevancia a la hora de decidir efectivizar la protección constitucional mayormente sobre niños, niñas, adolescentes o personas jóvenes, tales como el costo de los medicamentos huérfanos y las posibilidades o recursos afectados por el Estado y sus agentes para su cobertura. En cada uno de los casos citados en el anexo, se cuestionó el costo de la medicación como asimismo, la escasa evidencia científica sobre algunos tipos de AME. Proponemos la siguiente reflexión, el Estado debe invertir para obtener respuestas a esos cuestionamientos, o invertir en investigación científica de nuevas tecnologías, más no es la instancia judicial el ámbito para proponer al paciente soportar el desenlace natural de la enfermedad porque el costo del medicamento no se ha podido prever, ni resguardar.

Kemelmajer de Carlucci, se ha referido sobre ello indicando que el usuario del servicio de salud está amparado es casi un imperativo, no solo de jueces y abogados, sino de cada funcionario público y de cada operador del sistema de salud el derecho a tener derechos, que es lo mismo que decir, el derecho de cada individuo de pertenecer a la humanidad.

EL presente trabajo pretende evidenciar la situación de los pacientes AME en Argentina, es decir el acceso al tratamiento se obtiene únicamente por vía judicial, luego de un tránsito jurisdiccional de aproximadamente dos años.

Frente a una patología que en el tipo I más severo, tiene diagnóstico de supervivencia en igual periodo. El tiempo que consume en el caso de los pacientes

AME el proceso judicial es francamente irrecuperable y no resulta admisible, mantener tal práctica (Véase el Anexo I).

El carácter tripartito del Sistema Sanitario Argentino, no puede ser obstáculo en detrimento del paciente, la concurrencia al proceso del polo pasivo de la obligación, para intentar eximirse de sus obligaciones principales y solidarias, entendemos que no se trate en modo alguno de subsidiariedad,

Por otra parte, la industria farmacéutica no ha sido concebida sin fines de lucro, ni con sentido de beneficencia, no obstante los exorbitantes precios de mercado de las nuevas tecnologías, pueden ser regulados por los Estados. Resultan varios caminos posibles, promover el conocimiento científico de la EPOF, apoyar los Estados la investigación favoreciendo la viabilidad y sostenibilidad de investigación en EPOF, aportar financiación mixta, entre otras alternativas. Todos los interesados en el acceso a las nuevas tecnologías deben contribuir a su accesibilidad.

El Anexo revela que la totalidad de las causas relevadas se ha citado en el carácter de tercero interesado al Laboratorio Biogen SA, ello implica una pérdida de tiempo que *ad initio* resulta inconducente, por cuanto no surge de ningún cuerpo normativo obligación alguna de ésta, con los pacientes y sin embargo, se consume un importante tiempo en discutir su intervención y alcance de la misma.

Actualmente el Ministerio de Salud de la Nación, no cuenta con un Registro unificado de Pacientes AME, por ende, debe recurrir al Laboratorio Biogen SA para que informe la cantidad de pacientes en tratamiento y/o a FAME Argentina, fundación que nuclea a las Familias y Pacientes con AME, ello demuestra que mucho se puede mejorar y los recursos optimizar en beneficio de los pacientes y sus necesidades esenciales insatisfechas.

Es propósito de este trabajo, impulsar el objetivo 2027 "Que todos los pacientes de enfermedades raras reciban un diagnóstico preciso en el plazo de un año, aprobar mil nuevas terapias y desarrollar metodologías que permitan evaluar el impacto de los diagnósticos y las terapias aplicadas en los pacientes" Federación Española de Enfermedades Raras (Feder) y el Consorcio Internacional de Investigación de Enfermedades Raras.

La Pandemia COVID-19 ha puesto en evidencia la trascendencia de la innovación tecnológica para la humanidad, por ello resulta indiscutible su promoción por parte de los Estados y ONGs, de otro costado la escases de recursos colisiona con su acceso, pero es menester evaluar si se trata de una real ausencia o escases de recursos o una necesidad de modificar sus distribución y/o utilización.

Innovar mediante la incorporación en forma obligatoria en los términos de la Ley 26.2479, de prácticas de detección y posterior tratamiento de AME a recién nacidos, garantizará igualdad de oportunidades y trato a todos los ciudadanos. Se trata de medidas de para integrar un abordaje sistémico de esta enfermedad catastrófica.

La Acción de Amparo representa actualmente el único marco procesal para garantizar la protección constitucional de la Vida, la Salud y la Mejor Calidad de Vida Posible, no obstante, los reproches efectuados en el presente trabajo, por lo que se evidencia y analizan los elementos que confluyen en tal deficiencia de respuesta.

Concluimos que se trata de cuestiones de excedencia jurídica, la judicialización sobre la cobertura de un tratamiento costoso, impone la búsqueda de innovación en materia de políticas sanitarias,.

Los jueces son garantes de la constitución nacional, ello puede llamarse “activismo judicial”

María Verónica Gennaro
Abogada - Mediadora

11. BIBLIOGRAFÍA.

11.1. DOCTRINA.

ABRIL, LAURA (2006) “Derecho a la salud y a la vida y supremacía constitucional” Córdoba - Sem. Jurid. N° 1584 – cuadernillo N° 20 - Tomo 94 – B, p.684

AIZENBERG, Marisa (2019) disponible: <http://www.marisaizenberg.com/2019/06/fallo-ordena-obra-social-y-al-estado.html>, consulta: 2021.

ALTERINI, A. (2008). *Los Pilares del Contrato Moderno*. Sta. Fe, Ed. Rubinzal Culzoni.

ANDRUET, A. (. (2003). *Las Fronteras del Derecho a la Salud*. Zeus N° 322(13), Córdoba. P. 673-684.

ANDRUET, A. (2008). *Bioética y Derecho*. Lima, Peru: UNESCO. Cátedra de Bioética y Biojuridica - Facultad de Derecho de la UNIFE.

ARIZA CLERICI, Rodolfo – “El derecho a la Salud en la Corte Suprema de Justicia de la Nación”, (s.f.) disponible: <http://www.derecho.uba.ar/publicaciones/lye/revistas/80/el-derecho-a-la-salud-en-la-csjn.pdf>.

BERGALLO, Paola (2005). *Justicia y experimentalismo: la función remedial del poder judicial en el litigio de derecho público en Argentina*. Panel 4: El papel de los abogados. SELA, 1-30. Disponible: <http://www.derechoshumanos.unlp.edu.ar/assets/files/documentos/justicia-y-experimentalismo-la-funcion-remedial-del-poder-judicial-en-el-litigio-de-derecho-publico-en-argentina-paola-begallo.pdf>

BIANCHI, Mariela – (2017) “Judicialización de la salud en relación a medicamentos de una Obra Social de la provincia de Santa Fe”, Disponible: <https://rephip.unr.edu.ar/bitstream/handle/2133/9858/CEI%20-%20MSP%20-%20Tesis%20Bianchi%2C%20Mariela.pdf?sequence=3&isAllowed=y>

BLANCO PIGHI, María Florencia (2020) “El Derecho de las Personas con Discapacidad a gozar del más alto nivel de Salud Posible”, Rev. De Salud y Derecho N° 5 Vol. 4 [https://doi.org/10.37767/2591-3476\(2020\)35](https://doi.org/10.37767/2591-3476(2020)35)

CANOSA, A. (2017). “Derecho Constitucional y Salud”, Disponible: <https://salud.gob.ar/dels/entradas/derecho-constitucional-y-salud>

CAÑÁS, Martín - BUSCHIAZZO, Hector URTASUN, Martín. (2019). *Valor terapéutico y precio de los nuevos fármacos comercializados en Argentina: ¿valen lo que cuestan?* Disponible: <https://doi.org/10.18294/sc.2019.1962>.

CÁRCAR Benito, J. E. (2017). *Las Enfermedades Raras y su significado en el Derecho a la Investigación y a la Asistencia Sanitaria: Un Deber de Justicia*. Murcia, España: DS: Derecho y

salud, ISSN 1133-7400, Vol. 27, N°. Extra 1, 2017 (Ejemplar dedicado a: XXVI Congreso 2017: Derechos sanitario y ciudadanía europea: los retos).

DAHL, R. (1957). “*La Toma de Decisiones en una Democracia: La Corte Suprema como una Institución que crea Políticas Públicas*”. Disponible: https://www.palermo.edu/derecho/publicaciones/pdfs/revista_juridica/n8N1-Sept2007/081Jurica06.pdf

DEL CANO, Marcos (2016). *Dignidad humana en el final de la vida y cuidados paliativos*. Biotecnología, Derecho, Disponible: <https://derechoshumanosybioetica.org/wp-content/uploads/2016/03/ANAMARCOSDIGNIDADHUMANA.pdf> .

DÍAZ SOKIME, O. L. (2003). *Juicio de Amparo, Colección Procesos Civiles*. Buenos Aires: Hammurabi.

ESCATI PEÑALOZA, Luciana (2018) “*INFORME Las Enfermedades Poco Frecuentes en Argentina Febrero 2018*”, Disponible: <http://www.fadepof.org.ar/>

ESTEBAN, Jesús –CÁRCAR, Benito (2017) “*Las Enfermedades Raras Y Su Significación En El Derecho A La Investigación Y A La Asistencia Sanitaria: Un Deber De Justicia*”, Vol.27 Extraordinario XXVI.

GELLI, Ma. Angélica (2015) “*Constitución de la Nación Argentina – comentada y concordada*”, Editorial: La Ley - Buenos Aires - 4ta. Edición actualizada.

GLOPPEN, S., ROSEMAN, M. (2013) *Introducción. ¿Pueden los litigios judiciales volver más justa la salud?* En A. Yamin y S. Gloppen (Ed), *La lucha por los derechos de la salud* (13-30). Burzaco, Argentina: siglo XXI.

GOZAINI, Osvaldo Alfredo (2002) “*Amparo – Doctrina y Jurisprudencia*”, Editorial: Rubinzal Culzoni – Santa Fe.

Homedes, N. -U. (2016, Vol. 12), Disponible: <http://revistas.unla.edu.ar/saludcolectiva/article/view/1073>.

JUNYENT BAS, F. G. (2017). *Cuestiones Claves de Derecho del Consumidor a la Luz del Código Civil y Comercial*. Córdoba Ed. Advocatus.

JUNYENT BAS, F., GARZINO, M. C., & RODRIGUEZ JUNYENT, S. (s.f.). *ib. Cit. Ant.*

KEMELMAJER DE CARLUCCI, A. (2014). *INFOJUS*. Disponible: <http://www.saij.gob.ar/aida-kemelmajer-carlucci-usuario-servicio-salud-algunas-sentencias-nuevo-milenio-corte-idh-dacf150062-2014-12/123456789-0abc-defg2600-51fcanirtcod>

KEMELMAJER DE CARLUCCI, Aida (2014) Título: “*El usuario del servicio de salud en algunas sentencias del nuevo milenio de la Corte IDH*”, Bs. As. Editorial: Infojus - Revista Derecho Privado. Año III, N° 9 - ID SAIJ: DACF150062

- LAPALMA, J. C. (s.f.). *infojus*. Obtenido de Contenido del Derecho a la Salud: ID INFOJUS: DASF070034
- LAPENTA, L. I. (2020). “*La adjudicación Judicial: Modelos de Racionalidad jurídica y Particularidades de la Decisión Judicial en Materia de Salud*”. Editorial: [https://doi.org/10.37767/2591-3476\(2020\)15](https://doi.org/10.37767/2591-3476(2020)15)
- LEAS, Luciano – PAUTASSI, Enzo (2020) “*Derecho a la Salud: Recurso Extraordinario y Arbitrariedad*”, Disponible: <https://bit.ly/3iU2M5>
- LORENZETTI, R. (2000). “*Responsabilidad del Estado Frente a los Derechos Humanos*”. Rev. de Daños N° 9 – Santa Fe, Ed. Rubinzal Culzoni.
- MORALES, Pablo (2020) *Informe*, Disponible: https://www.iqvia.com/-/media/iqvia/pdfs/asia-pacific/white-papers/spanish/innovative-funding-models-for-high-cost-non-communicable-diseases_sp.pdf
- MORELLO, A. (2000). “*El Derecho Fundamental a la Vida Digna*”. Buenos Aires, Ed. El Derecho.
- NORHEIM, O., GLOPPEN, S. (2013). “*La litigación en reclamo de medicamentos. ¿De qué modo es posible evaluar el impacto en los resultados de salud?*” En A. Yamin y S. Gloppen (Ed), *La lucha por los derechos de la salud* (361-391). Burzaco, Argentina: siglo XXI.
- PALACIO DE CAEIRO, S. B., & JUNJENT DE DUTARI, P. (2015). “*Acción de Amparo en Córdoba*”. Córdoba, Advocatus, P. 680
- PALACIO, L. (1998) “*Manual de Derecho Procesal Civil*”. Buenos Aires, Ed. Abeledo Perrot.
- PEYRANO, F., PEYRANO, J. (2016). “*El activismo judicial. Federación de Ateneos de Estudio de Derecho Procesal*” (FAEP). Ateneo de Estudios del Proceso Civil de Rosario. Disponible: http://faeproc.org/wpcontent/uploads/2016/02/Rosario_33.pdf
- PEYRANO, J. (2004). “*Lecciones de Procedimiento Civil*”. Rosario, Ed. Zeus S.R.L.
- PEYRANO, J. (2010). “*Acerca de los “ismos” en materia procesal civil*”. Ed. THEMIS: Revista de Derecho, N° 58. Disponible: <http://revistas.pucp.edu.pe/index.php/themis/article/view/9114/9525>
- PIÑERO, F. (2019) *¿Vale lo que cuesta?*, Disponible: <https://www.saludyfarmacos.org/wp-content/files/may201902.pdf>
- POLACH, M. (2011). “*Medicamentos de alto costo: análisis y propuestas para los países del Mercosur*”. Rev Panamerica Salud Pública N° 30, Mercosur.
- QUIROGA LAVIE, H. (s.f.). “*Derecho Constitucional*”. Bs.As. Ed, Depalma.

RODRÍGUEZ TRAVERSA, María Luz (2014) “*Amparo contra obras sociales: acerca de la improcedencia de demandar de manera directa al Estado Nacional*”, Editorial: www.infojus.gov.ar - Id SAIJ: DACF140766

ROMERO DE SIMONDI, Olga (2015) “*Derechos Humanos Y Responsabilidad Social en el Acceso a La Salud Derechos y Responsabilidades del Enfermo*”, Disponible: http://lildbi.fcm.unc.edu.ar/lildbi/tesis/ROMERO_DE_SIMONDI_Sonia.pdf

SABSAY, D. (1996). “*El amparo como garantía para la defensa de los derechos fundamentales*”. Revista Jurídica del Centro de Estudiantes N° 6, Universidad de Buenos Aires, Facultad de Derecho.

SILVA, CRISTINA ISABEL (2011) “*La regulación de las empresas de medicina prepaga*” Disponible: www.saij.jus.gov.ar - Id SAIJ: DACF110096

SOLA, Valeria de las Mercedes (2020) “*El Reconocimiento del Derecho a la Salud de un Menor Discapacitado a través de la cautelar innominada*”, Disponible: <https://bit.ly/2Yo3zVR>

SPINELLI H. (2010). “*Las dimensiones del campo de la salud en Argentina*”. Rev. Salud Colectiva N° 6 Disponible: <http://www.marisaizenberg.com/2019/05/>

VEGA, Pilar C. G. (2020), “*Calidad de vida en niños y adolescentes con Atrofia Muscular Espinal*”, Ed. Rev. chil. pediatr. vol.91 no.4 Santiago, Chile. Disponible: https://www.scielo.cl/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0370-41062020000400512.

YAMIN, A. y GLOPPEN, S. (2013). *Argentina: los tribunales y el derecho a la salud ¿Se logra justicia a pesar de la “rutinización” de los reclamos individuales de cobertura?* (Burzaco), Ed. siglo XXI.

ZALAZAR, Claudia E. (Directora) - REVISTA DERECHO y SALUD, 2017 -Editorial: Año 1 • Nro. 1 • Diciembre 2017 // ISSN (Versión impresa): 2591-3468 • ISSN (Versión online): 2591-3476

11.2. LEGISLACION.

CHILE – Constitución Política de Chile (1980), Disponible: https://www.oas.org/dil/esp/constitucion_chile.pdf

Código Procesal Civil y Comercial de la Nación (Ley N ° 17454) (1981).Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/anexos/15000-19999/16547/texact.htm>

Constitución de la Nación Argentina (Ley N ° 24430) (1994). Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/anexos/0-4999/804/norma.htm>

Constitución de la Organización Mundial de la Salud. Documentos básicos. Suplemento de la 48ª edición, 2014. Disponible: <http://apps.who.int/gb/bd/PDF/bd48/basic-documents-48th-edition-p.pdf?ua=1#page=7>

CONVENCION DE LOS DERECHOS DEL NIÑO, Adoptada por Asamblea General de Naciones Unidas, 1990.

CONVENCIÓN INTERNACIONAL SOBRE LA ELIMINACIÓN DE TODAS LAS FORMAS DE DISCRIMINACIÓN RACIAL, Adoptada por Asamblea General de Naciones Unidas, 1965.

CONVENCION SOBRE LA ELIMINACION DE TODAS LAS FORMAS DE DISCRIMINACIÓN CONTRA LA MUJER, Adoptada por Asamblea General de Naciones Unidas, 1979.

CONVENCION SOBRE LA PREVENCIÓN Y LA SANCIÓN DEL DELITO DE GENOCIDIO, CONVENCION SOBRE LA TORTURA Y OTROS TRATOS O PENAS CRUELES, INHUMANOS O DEGRADANTES, Adoptada por Asamblea General de Naciones Unidas, 1948 (vigente desde 1951)

CONVENCIÓN SOBRE LOS DERECHOS DEL NIÑO, Adoptada por Asamblea General de Naciones Unidas, 1989.

CONVENION INTERNACIONAL SOBRE LOS DERECHOS DE LAS PERSONAS CON DISCAPACIDAD, adoptada por Asamblea General de Naciones Unidas, 2006.

DECLARACIÓN AMERICANA DE LOS DERECHOS Y DEBERES DEL HOMBRE, Aprobada por IX Conferencia Internacional Americana realizada en Bogotá, 1948.

DECLARACIÓN AMERICANA SOBRE DERECHOS HUMANOS - Pacto de San José de Costa Rica, Suscripta en esa ciudad, 1969.

DECLARACIÓN UNIVERSAL DE LOS DERECHOS HUMANOS, Adoptado por Asamblea General de Naciones Unidas en París, 1948.

Decreto Nacional N° 150/1992 - Medicamentos. (s.f.). 1992. Buenos Aires, Disponible: <http://www.anmat.gov.ar/webanmat/legislacion/medicamentos/decreto150-1992.pdf>

DISPOCISION n° 2062/2019 – ANMAT, Disponible: <https://www.argentina.gob.ar/sites/default/files/di-2019-12617935-apn-anmatmsyds.pdf>

LEY NACIONAL N° 16.986. (1966). Buenos Aires, Disponible: <http://www.infoleg.gob.ar/infolegInternet/verNorma.do?id=46871>

LEY NACIONAL N° 23.660 – Obras Sociales(1989), Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/anexos/0-4999/62/texact.htm>

LEY NACIONAL N° 23.661 – Obras Sociales - ANSSAL (1989) Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/anexos/0-4999/63/norma.htm>

LEY NACIONAL N° 24.240 – Defensa del Consumidor (1993) Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/anexos/0-4999/638/texact.htm>

LEY NACIONAL N° 24.754 – Medicina Prepaga (1997) Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/verNorma.do?id=41166>

LEY NACIONAL N° 24.901 - Sistema de Prestaciones Básicas en Habilitación y Rehabilitación Integral a Favor de las Personas con Discapacidad (1997) Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/anexos/45000-49999/47677/texact.htm>

LEY NACIONAL N° 25.156 – Defensa de la Competencia (1999) Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/verNorma.do?id=60016>

LEY NACIONAL N° 25.649 – Especialidades Medicinales – Medicamentos Genéricos (2002) Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/verNorma.do?id=77881>

LEY NACIONAL N° 26.682 – Marco Regulatorio de Medicina Prepaga (2011) Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/anexos/180000-184999/182180/norma.htm#:~:text=La%20presente%20ley%20tiene%20por,las%20leyes%2023.660%20y%2023.661.>

LEY PROVINCIAL N° 4915. (1967). Córdoba, Disponible: <http://www.saij.gob.ar/4915-local-cordoba-ley-amparo-lpo0004915-1967-01-09/123456789-0abc-defg-519-4000ovorpyel>

PACTO INTERNACIONAL DE DERECHOS CIVILES Y POLÍTICOS, Adoptada por Asamblea General de Naciones Unidas, 1966.

RESOLUCIÓN 202/2020 - Ministerio de Desarrollo Productivo/Secretaría de Comercio Interior, Disponible: <http://servicios.infoleg.gob.ar/infolegInternet/anexos/335000-339999/339461/norma.htm>

RESOLUCIÓN N° 1115/2020 – Ministerio de Salud Nación, Disponible: <https://www.boletinoficial.gob.ar/detalleAviso/primera/231313/20200629>

URUGUAY - Constitución de la República de Uruguay. (s.f.). Disponible: <https://parlamento.gub.uy/documentosyleyes/constitucion>

11.3. OTRAS CONSULTAS.

BALLARINO Florencia, S. J. (2020). “El Gobierno enfrenta a laboratorios por los medicamentos ultracaros” Disponible: <https://www.perfil.com/noticias/ciencia/el-gobierno-enfrenta-a-laboratorios-por-los-medicamentos-ultracaros.phtml>

BIBLIOTECA DIGITAL Discapacidad y Jurisprudencia -U.B.A. – Fac. de Derecho, (2008)
 Disponible: <http://www.derecho.uba.ar/academica/centro-desarrollo-docente/biblioteca-digital-jurisprudencia-sobre-discapacidad/archivos/fallos/pdf/A-G-L-c-OSDE-y-otro-s-mparo.pdf>

BIOGEN S.A. (s.f.). “Informe Terapia Nusinersen”, Disponible: https://ar.biogen.com/es_AR/sma.html

BRACAMONTE, Silvia – CASSINERIO, José L. (2020), “La evolución de la jurisprudencia en materia de salud en Argentina”, Informe de Investigación 113, Disponible: <https://ipaccessmeds.southcentre.int/wp-content/uploads/2020/06/RP-1131.pdf>

BRITISH JOURNAL OF CLINICAL PHARMACOLOGY, (2019) “Uso de la metodología GRADE para evaluar la innovación de nuevos medicamentos en Italia”, Disponible:

CÁMARA DIPUTADOS DE LA NACION. (2017), Proyecto. Disponible: <https://www.hcdn.gob.ar/proyectos/proyecto.jsp?exp=6156-D-2017#proyectosTexto>

CÁMARA DIPUTADOS DE LA NACION. (2018), Proyecto. Disponible: <https://www.diputados.gov.ar/proyectos/proyecto.jsp?exp=4373-D-2018>

COMITÉ DE ONG PARA ENFERMEDADES RARAS (COngo) (s.f.). Disponible: <http://www.ngocommitteerareidiseases.org/>

Comité. (s.f.). https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-spinraza_en.pdf.

CONETEC (Com. Nac. De Evaluc. de Tecnolog.de Salud), (2019) – Informe N° 1, Disponible: <https://www.argentina.gob.ar/sites/default/files/01-informe-nusinersen.pdf>

CONETEC. (2019). “Informe N° 1 de Evaluación de Tecnologías Sanitarias – Nusinersen”, Buenos Aires: Ministerio de Salud, Disponible: <https://www.argentina.gob.ar/sites/default/files/01-informe-nusinersen.pdf>

CONETEC. (2021). “Informe N° 1 de Evaluación de Tecnologías Sanitaria - Zolgensma.” Buenos Aires: Ministerio de Salud. Disponible: <https://www.argentina.gob.ar/sites/default/files/conectec-informe-zolgensma.pdf>

CURESMA. (s.f.). Informe. Disponible: <https://www.curesma.org>.

CSJN – DERECHO A LA SALUD – CON HIPERVÍNCULOS A LA BASE DE JURISPRUDENCIA- DERECHO A LA VIDA, 2020 - Editorial: Corte Suprema de Justicia de la Nación Derecho a la Salud 2020 / 1a ed . - Ciudad Autónoma de Buenos Aires: Corte Suprema de Justicia de la Nación, 2020. Libro digital, PDF/A Archivo Digital: descarga y online ISBN 978-987-1625-80-2

DEFENSORIA DEL PUEBLO de CABA - Consejo de Derechos Humanos (2019), Disponible: https://nhri.ohchr.org/EN/Themes/BusinessHR/DocumentsPage/Edinburgh_Declaration_ESP.pdf

E.M.A. (2012) *Informe de Designación*, Disponible: http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/human/orphans/2012/04/human_orphan_001045.jsp&mid=WC0b01ac058001d12b

E.M.A. (2017), “*Información del Producto*”, Disponible: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/spinraza#authorisation-details-section>.

E.M.A. (2020), “*Nueva Terapia Génica*”, Disponible: <https://www.ema.europa.eu/en/news/new-gene-therapy-treat-spinal-muscular-atrophy-corrected>

E.M.A. (2021) *Comunicado de Prensa*, Disponible: <https://www.ema.europa.eu/en/news/new-gene-therapy-treat-spinal-muscular-atrophy-corrected>.

EURORDIS, (2018). https://www.dropbox.com/s/jbesc5eewg6e4u9/ANEXO%20XXXV%20-%20EURORDIS_documento_posicion_acceso_ESPANOL_final_2018.pdf?dl=0

FAME ARGENTINA, (s.f) Disponible: <https://www.fameargentina.com.ar>.

FAME-CHILE, *Solicitud de Audiencia – Cam. Diputados* (2019), Santiago Chile. Disponible:

FISCALIA ECONOMICA NACIONAL (2018), Santiago, Chile. Disponible: https://www.fne.gob.cl/wp-content/uploads/2019/11/Informe_preliminar.pdf

FISCALIA ECONOMICA NACIONAL (2019), Santiago, Chile. Disponible: https://www.fne.gob.cl/wp-content/uploads/2019/11/Informe_preliminar.pdf

IEPS. (2017) “*Medicamento contra atrofia muscular cuesta más caro en Argentina que en Canadá y en Europa*”. Disponible en: http://www.ieps.com.ar/es/template.php?file=notas/2017/11/17-11-02_Medicamento-contra-atrofia-muscular.html

Institute for Patient Access (IFPA). <http://allianceforpatientaccess.org/the-price-and-value-of-orphan-drugs/>

LUCERO MARQUEZ, Christian, INFORME LEGAL, (2019) Valparaíso, Chile, Disponible: <https://www.senado.cl/appsenado/index.php?mo=transparencia&ac=doctoInformeAsesoría&id=15085>

MINISTERIO DE CS. Y TECNOLOGIA E INNOVACIÓN- CONICET (2022) “*Informe de Investigación AME*”, Disponible: <https://www.argentina.gob.ar/noticias/investigadores-del-conicet-logran-optimizar-en-ensayos-vivo-una-terapia-disponible-para>

MINISTERIO DE SALUD – REGISTRO DE ENFERMEDADES POCO FRECUENTES, (s.f) Disponible: <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes/registro#:~:text=El%20Registro%20Nacional%20de%20Enfermedades,de%20las%20personas%20con%20EPF>.

NICOD, E -WHITAL. A. (2020). “*¿Se necesitan procesos de evaluación/reembolso adicionales para los tratamientos de enfermedades raras? Una comparación internacional de los enfoques de los países*”. Revista Orphanet de Enfermedades Raras, Disponible: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-020-01462-0>

POWELL, T. O. (2019), “NICE appraisals of rare diseases”, Disponible: <https://researchbriefings.files.parliament.uk/documents/CDP-2019-0022/CDP-2019-0022.pdf>.

STAT NEWS, (2019) Disponible: <https://www.statnews.com/pharmalot/2019/07/25/biogen-spinraza-price-italy-belgium>

11.4. JURISPRUDENCIA.

CÁMARA 7A CIVIL Y COMERCIAL, Córdoba - "Uretti, Lisandro c/ Consejo Profesional de Ciencias Económicas de Córdoba – Amparo – Expte. 6676059" Sentencia N°: 115- 15/11/2018.

CAMARA CONT. ADMI. 2A NOM “MONTEVERDE, SABRINA SOFIA C/ADMINISTRACION PROVINCIAL DEL SEGURO DE SALUD (APROSS) – AMPARO (LEY 4915)” (Expediente N° 9255639). Sentencia 03/07/2020.

CÁMARA FEDERAL DE APELACIONES DE BAHÍA BLANCA “G. J. J. c/ OSPIF y otro s/ amparo ley 26.986 – Expte. 9959/2017/CA1”, Sentencia 11/09/2019.

CÁMARA FEDERAL DE APELACIONES DE CÓRDOBA – Sala A Autos: “T., L. Y OTRO c/ OBRA SOCIAL AGENTES PROPAGANDA MEDICA Y OTRO s/ENFERMEDADES POCO FRECUENTES (EPF) - Expte. N°59288/2018/CA1”. Sin Sentencia.

CÁMARA FEDERAL DE APELACIONES DE CÓRDOBA -Sala A – “H. V. D. A. y otro c/ Parque Salud Sociedad Anónima y otros c/ prestaciones farmacológicas - Expte. N° 31335/2017/CA1/CA2”, Sentencia 16/04/2021.

CÁMARA FEDERAL DE APELACIONES DE LA PLATA - R. L. A. y Otro c/ Empresa de Medicina Prepaga Medicus s/ amparo Ley 16.986 – Expte N° 36980/2017” Sentencia 06/07/2017, Disponible: <https://aldiaargentina.microjuris.com/2017/08/31/la-empresa-de-medicina-prepaga-debe-otorgar-la-cobertura-integral-requerida-por-una-menor-que-padece-de-atrofia-muscular-espinal-tipo-ii-aun-cuando-el-medicamento-que-solicita-se-encuentra-en-fase-exp/>

CÁMARA FEDERAL DE CÓRDOBA, Sala A - “A., P. F. C/ DASPU Y Otro – Prestaciones Farmacológicas - 87638/2018/CA1”, sin Sentencia.

CÁMARA FEDERAL DE LA PLATA – SALA I en autos “Di Rosa Diego Gastón y Otro c/ MEDICUS S.A. y Otros S/ Prestaciones Médicas EXPTE N° 40432/2017/CA4” Sentencia 11/01/2021.

CÁMARA FEDERAL DE PARANA – “Cano M.L. y Bivedon H.M. en representación de su hija Menor, V.A.B. c/ Obra Social de Conductores Camioneros y Personal del Transporte Automotor de Cargas s/Amparo Ley 16.986 – Expte. 6633/2018/CA1 Sentencia 11/11/2021.

CAMARA NACIONAL CIV. Y COM. “S. V., H. T. c/ CEMIC y otros s/ incidente de apelación”
Sentencia - 17/04/2019.

CÁMARA NACIONAL DE APELACIONES EN LO CIVIL Y COMERCIAL FEDERAL –
SALA II Causa n° 1173/2017 “D., R. A.C. c/ OSDE s/incidente de apelación s/ amparo de salud”
Sentencia 05/02/2020.

CIDH – “Artavia Murillo y otros Vs. Costa Rica” (28/12/2012)

JUZGADO CONT. ADM. Y TRIB. - N° 1 - 10/08/2020 - Cita digital IUSJU001462F
<https://www.erreius.com/login?urlshp=%2fsitios%2fErreius%2fJuris2020a2024%2f2020%2f08%2f10%2f20200811135649113.docxhtmlhtml>

JUZGADO FEDERAL DE MAR DEL PLATA N° 2 - “C, R.M., (EN REPRESENTACION DE O,
G.V.) c/ OSPSA Y OTRO s/AMPARO LEY 16.986 – Expte 30624/2019” Sentencia 26/12/2019

Juzgado Federal de Paraná N° 2 “CABADA SANTIAGO Y MARIA G. ACOSTA, EN
REPRESENTACIÓN DE SU HIJO c/ OSFATUN S/ AMPARO LEY 16986”, Expte. N° FPA
1460/2016/CA1”

JUZGADO FEDERAL EN LO CIVIL, COMERCIAL Y CONTENCIOSO ADMINISTRATIVO
N°2 DE LA PLATA – “K.M. en representación de su hijo menor de edad M.K c/ Obra Social ASE
y/o Swiss Medical N° 9785/2021 – Sentencia 14/07/2021.

JUZGADO FEDERAL N° 2 DE LA CIUDAD DE CÓRDOBA - “Z.C.R. y otro c/ Sancor Salud
s/prestaciones farmacológicas Expte. 85657/2018”, 16/10/2018 Sentencia 13/11/2020.

JUZGADO FEDERAL N° 2 DE PARANÁ - “Facttor Nancy Mercedes en representación de sus
hijos menores c/Osecac Ley 19.686”. <https://www.sucesiones-simples.com.ar/news/cobertura-de-medicamentos-amparo-spinraza-para-el-tratamiento-de-ame-embargo-millonario-a-obra-social/>

JUZGADO FEDERAL N° 2 DE PARANÁ, “L, G Y OTRO EN REP DE S J Y OTRO CONTRA
OSPE SOBRE AMPARO LEY 16986”, Expte. N° FPA 12888/2018/CA1”, Sentencia 08/02/2019.

JUZGADO FEDERAL N° 3 DE CÓRDOBA – “A.M.A. y otro c/ Asociación Mutual Sancor Salud
y Otro – prestaciones Farmacológicas – Expte 31663/2017”, Sentencia 25/08/2017.

JUZGADO FEDERAL N° 3 DE CÓRDOBA - “P., S. c/ Asociación Mutual Sancor S/Prestaciones
Farmacológicas – Expte. N° 85180/2018” Sentencia 20/03/2019.

JUZGADO FEDERAL DE ROSARIO, “ R. F. y otro c/ OSMMEDT (obra social de mandos
medios de telecomunicaciones en la República Argentina y Mercosur) y otro s/ amparo contra actos
de particulares” expte. Nro. FRO 20606/2021, Sentencia 19/01/2021.

STJ DE ENTRE RÍOS - "C. J. M. EN NOMBRE Y REPRESENTACION DE SU HIJO MENOR
T. A. C. C/ INSTITUTO DE LA OBRA SOCIAL DE LA PROVINCIA DE ENTRE RIOS Y
OTRO S/ ACCION DE AMPARO" – Sentencia 18/10/2017

STJ DE ENTRE RÍOS - "Cáceres José Martín en nombre y representación de su hijo menor Tiziano Agustín Cáceres c/Iosper y otros. Acción de Amparo" , Sentencia 07/01/2019.

TSJ, 248460/37 (TSJ 19 de 09 de 2014).

TSJ, N°2234278/36 (TSJ 15 de 8 de 2014).

TSJ, S.J.F. c/ Met SA - Amparo - Rec. de Apelación - Rec. Directo (TSJ 2013).

11.4.1 CSJN.

CSJN, Fallos: 239:459.

CSJN, Fallos: 241:291.

CSJN, Fallo: 302:1284.

CSJN, Fallos: 302:1284; 310:112.

CSJN, Fallo: 323:3229.

CSJN, Fallos: 325:677.

CSJN, FALLOS: 327:2127.

CSJN, Fallos: 326:2906.

CSJN, Fallo: 330:3725.

CSJN, Fallos: 334:1691.

CSJN, Fallos: 320:1633

CSJN, Fallos: 323:3229; 324:3569.

CSJN, Fallos: 342:459.

CSJN, Fallos: 329:4918, 329:4918

ANEXO I

CAUSA	JURISDICCION	PATOLOGÍA - TIPO	MEDIDA CAUTELAR	ASTREINTES	SENTENCIA
N° 85657/2018 "Z.C.R. y otro c/ Asociación Mutual Sancor Salud S/Prestaciones Farmacológicas" Fecha de inicio: 16/10/2018	Justicia Federal Córdoba (N°2)	Infantil AME tipo III	Concedida 28/12/2018 , Apelada: - Empresa de Med. Prepaga y Estado Nacional. Rec. Queja , rechazado por la CSJN. Ampliación Med. Caut. (5ta., 6ta. 7ma. Dosis.)	Se Aplicó al Estado Nacional.	Sentencia 28/12/2020 . Ordeno a Sancor Salud la provisión.
N° 30624/2019 C, R.M. (en representación de O, G.V.) c/ OSPSPA Y OTRO s/amparo ley 16.986 (26/12/2019)	Justicia Federal Mar del Plata	Infantil AME IIIa	Concedida 08/04/2020 . Apelada por el Est. Nac., la Cam. Fed. revoca la Medida cautelar ordenada contra el Estado Nac. resultando única obligada OSPSPA 21/08/2020	Se aplicó a OSPSPA Se giraron las actuaciones a la Justicia Penal por incumplimiento de OSPSPA	Sentencia 15/09/2020 Ordeno a OSPSPA provisión y a SSS reintegro sin restricciones Dto. 597/20.
N° 59288/2018 T., L. Y otro c/ Obra Social Agentes Propaganda Medica y otro s/Enfermedades Poco Frecuentes(EPF") (06/2018)	Justicia Federal Córdoba (N°2)	Infantil AME II ⁵⁵	Concedida Apelada OSAPM y Est. Nacional Rec Queja OSAPM y Est. Nacional 10/03/2020		Acción desistida 21/09/2020 . Realiza el tratamiento en Francia, previsto por el Estado.
N° 87638/2018 A., P. F. C/ Daspu y Otro – Prestaciones Farmacológicas. 09/2018	Justicia Federal Córdoba (N°3)	Infantil AME II	Concedida 15/11/2018 Apelada: Cam. Federal modificó los % de provisión medicac. Rechazó Rec. Extraord. Fed. Rec. Queja rechazo por CSJN 14/10/2021 El Rector de la UNC solicitó <i>Amicus Curiae (Rechazado)</i>	Se aplicó al Estado Nacional.	No se ha dictado Sentencia hasta la conclusión del presente trabajo. Con fecha 13/04/2022 – emplaza a la provisión de 9na. Dosis Nusinersen.
N° 11787 "C. J. M. En Nombre Y Representación De Su Hijo Menor T. A. C. C/	Justicia Provincial Paraná	Infantil AME I	Sentencia 1° Inst. Rechaza la Acción de Amparo. 2° Inst. Hace Lugar a la Acción de Amparo.		Falleció
N° 6676059 "Uretti, Lisandro C/ Consejo Profesional De	Justicia Provincial Córdoba	Infantil AME II	Sentencia de 1° Inst. Confirmada en 2° Instancia (CC 7ma.) 15/11/2018	--	Sentencia Firme En Tratamiento

⁵⁵ La Niña recibe actualmente tratamiento con Spinraza en la República de Francia, por ser uno de sus progenitores de esa nacionalidad. Sin embargo la obra social demandada originalmente en Argentina, para tal tratamiento inició un proceso contra el médico tratante, ante el Consejo de Profesionales de la Salud de la Prov. De Córdoba, del cual e profesional médico denunciado, resultó "ABSUELTO".

Ciencias Económicas" 11/10/2017					
N° 6633/2018 "C. M. L Y B. R.M en nombre de su hija menor, V. A. B. el Obra Social de Conductores Camioneros y Personal del Transporte Automotor de Cargas si amparo ley 16.986". 05/12/2018	Justicia Federal Justicia Federal Concepción del Uruguay	Infantil AME II	Sentencia de 1° Inst. confirmada Por la Cam. Fed. Rec. Extraordinario CSJN confirma Sentencia que ordena a la Ob. Social la provisión de Nusinersen 11/11/2021	--	Sentencia confirmada por Sentencia de Cámara y CSJN. Previo dictar Sentencia la CSJN, dictó MPP a la Academia Nacional de Medicina, Ministerio de Salud.
N° 23600/2018 "Factor Nancy Mercedes en representación de sus hijos menores c/Osecac Ley 19.686"	Justicia Federal Paraná	Infantil AME II ⁵⁶	Sentencia. 04/02/2019 Embargo cuentas bancarias OSECAC Posterior acuerdo de partes superador de la Sentencia-Levantamiento de Embargo	--	Sentencia confirmada en Cámara firme.
N° 40432/2017 Di Rosa Diego G. y Otro C/ MEDICUS SA y otros – S/ prestaciones Medicas 23/05/2017	Justicia Federal La Plata	Infantil AME II	Medida Cautelar 27/11/2018 Apela: Medicus precio de la medicación, rechaza 08/11/2019.	--	Sentencia 1ra. Inst. Confirmada por la Cámara. Condena a Medicus y Est. Nacional. Se rechazó la citación de Ob. Social Arbitro Deportivos de la Rep. Arg. 11/02/2021
N° 48536/2017 Moreno M. y Basilio Leslie E. en repr. De su hijo menor M.B.S.G. c/Staff Medico S.A. S/Prestaciones Médicas"	Justicia Federal Civ. Com. Cont. .Administrativo San Martin	Infantil AME I	Medida Cautelar 28/07/2017 Confirmada en 2° instancia. Rec. Extraordinario – Rechazo in limine Rec. Queja Rechazo CSJN	--	--
N° 8901/2018 "S. V., H. T. c/ CEMIC y otros s/ incidente de apelación" ⁵⁷ —	C.N.CIV. y COMFEDERAL Sala II	Infantil AME III	Medica Cautelar Embargo Cuentas Bancarias Est. Nac.	--	Sentencia.
N° 31663/2017 "A.M.A. y otro c/ Asociación Mutual Sancor Salud y Otro – Prestaciones Farmacológicas –	Justicia Federal Córdoba (N° 3)	Infantil AME III	Medida Cautelar ordenada en el primer Decreto. 30/06/2017 Sentencia 2° Inst. Confirma Med. Caut. 25/08/2017	--	Acuerdo de Partes -no avalado por Est. Nacional. Homologacion. Ejecución 27/04/2022

⁵⁶ Hermanos Gemelos – Pacientes AME II

⁵⁷ <https://redbioetica.com.ar/embargan-cuentas-del-congreso-para-atender-a-una-nina-con-ame/>

" 28/06/2017					
N° 85180/2018 "P., S. c/ Asociación Mutual Sancor S/Prestaciones Farmacológicas" 11/10/2018	Justicia Federal Córdoba (N°3)	AME I	Medida cautelar 12/10/2018 Cam. Fed. Confirma tal medida 20/03/2019.		Falleció sin recibir la medicación de carga. Deriva denuncia ética médico tratante.
N° 31335/2017 "H. V. D. A. y otro c/ Parque Salud Sociedad Anónima y otros c/ prestaciones farmacológicas" 28/06/2017	Justicia Federal Córdoba (N°2)	Infantil AME II AME III ⁵⁸	Medida Cautelar 28/06/2017 Ordena a Parque Salud y ENA a proveer 8 viales de carga 50% cada una Apelada ENA y Pque. Salud Cam. Fed. Ordena proveer 90% ENA y 10% a Pque Salud. 11/09/2017 Queja ENA – rechazada 14/12/2017 Ampliaciones de Med. Cautelar Queja ENA 12/11/2018	Se solicitó trabar embargo	sentencia firme 16/04/2021 Condenada informa imposibilidad de cumplimiento solita reintegro a viales a SSS Ejecución de sent. 22/06/2021.
N° 12888/2018 Lorenzatto, Gabriela Y Otro En Representación de Sofia Jiménez Y Otro C/ Ospe S/Amparo Ley 16.986" 11/06/2018	Justicia Federal Paraná (N°2)	Infantil AME III	Medida Autosatisfactiva, iniciada en Justicia de Flia. Incompetencia Mat.. Remisión a la Justicia Federal.		Sentencia de 1° Inst. otorga la cobertura de la aplicación y el tratamiento en el HOSPITAL CHURRUCÁ o cualquier otro establecimiento que sea propuesto por los progenitores de la menor . 08/02/2019 Sentencia 2° Inst. confirma 29/05/2019 Rec. Extraord. Federal Inadmisible 29/05/2019
N° 9959/2017 G., J.J. c/ OS PIF y otro s/ Amparo ley 16.986" 2017	Justicia Federal Bahía Blanca	Infantil AME II	Medida Cautelar firme por rec. extemporáneo. 16/08/2017 Rec. Queja Denegada por la Cam. Fed. 11/09/2017	Astreintes 29/11/2020	Sentencia condena - obra social el 15% del costo total y el 85% restante en cabeza del Estado Nacional, Imposición de costas de 1° y 2° instancia al Estado Nacional y La Obra Social demandada en partes iguales.
N° 1460/2016 "Cabada Santiago	Justicia Federal Paraná	Infantil AME II	Medida Cautelar Apelada	Aplica Astreintes \$ 15.000 diarios	Sentencia Confirmada por

⁵⁸ Hermanas.

Y Maria G. Acosta, En Representación de su Hijo c/ Osfatun Sobre Amparo Ley 16986” 05/04/2016 ⁵⁹			Conformada por la Cam. Fed. 03/10/2017 Traba Embargo cuentas OSFATUN 17/10/2017 Queja inadmisibile CSJN 17/09/2019	29/09/2017	la Cámara. Se encuentra en ejecución de sentencia – Honorarios
Giansily, Tiago c/ IAPOS – Amparo 21-02023314-9/1	Justicia Provincial Santa fe	Adulto AME III	Medida Cautelar favorable incumplida, hasta el 07/04/2021 .	Mora de 4 años	En julio/2021, comenzó tratamiento con Nusinersen No se ha dictado Sentencia Paciente de 20 años.
N° 69043/2018 Allione, Lorena Beatriz C/ Ospe Y Otro S/Amparo Ley 16.986 09/09/2018	Justicia Federal Rosario	Adulto AME II	Concede Medida Cautelar 03/10/2018 Cam confirma la Medida 14/05/2019 ampliaciones Sin sentencia	--	Se deniega la citación del Estado Nacional como tercero 16/06/2020 Sentencia Firme
N° 21-02008699-5 Menna, Brian Jorge Andrés c/ IAPOS y Otros S/Amparos 2018	Justicia Provincial Santa Fe	Infantil AME II		Aplica Astreintes 2° Inst. revoca sanción.	Sent. De 1° inst. 16/12/2019 Confirma Acc. de Amparo. Declara nulidad sentencia, en relación a Astreintes, da intervención a la Com. Nac. de Pacientes con AME para seguimiento de la paciente
N° 36980/2017 R. L. A. y Otro c/ Empresa de Medicina Prepaga Medicus s/ amparo Ley 16.986 12/05/2017	Justicia Federal Lomas de Zamora (N° 3)	Infantil AME II	Medida Cautelar contra la empresa de medicina prepaga MEDICUS S.A. 16/05/2017 ⁶⁰ Apelada Cam. Confirma la med. Caut. y ordena la citación de terceros: ENA Ob. Social de Árbitros de la Rep. Arg. Fdo. Solidario Redistribución Biogen Arg. SA 06/07/2017 Comenzó el tratamiento el 27/11/2018	Astreintes Embargo.	No se ha dictado Sentencia definitiva..

⁵⁹ La Acción de Amparo se inicia en forma previa a la autorización de Nusinersen por FDA, para solicitar otras prestaciones a la obra social, para el paciente AME. Con posterioridad denuncian el hecho nuevo relativo a la mediación, que tramita en la misma causa.

⁶⁰ La medida cautelar es concedida con el primer decreto que da tramite a la acción de amparo.

N° 33406/2017 "Robles, Jorge Gabriel Y Otro Vs. Osde S/Amparo Ley 16.986" 23/11/2017	Juzgado Federal Tucuman (N° 2)	Adulto AME II	Medida Cautelar 1° Dto. Previo oficio a ANMAT. 04/12/2017 Medida Cautelar 50% a cargo de OSDE y ENA 24/10/2019 Modifica % OSDE 100% 03/08/2020 a nuevo precio.	Astreintes \$ 100.000 contra OSDE y ENA 07/07/2020 Se deja sin efecto astreintes contra ENA 03/08/2020	sin Sentencia Definitiva. el paciente realiza tratamiento con alteración por incumplimiento de plazo previstos por médico tratante.
N° 40663/2017 Lipari, Pablo Hernán Y Otro C/ Asociación Mutual Sancor Salud S/Amparo Ley 16.986 16/08/2017	Juzgado Federal Córdoba (N° 2)	Infantil AME III ⁶¹	Medida cautelar diferida en 1° Dto una vez emitido informe Art. 8. Medida cautelar concedida 12/09/2017 Ordena a Sancor a reafiliar amparistas.		Sin Sentencia definitiva Provisión mediación.
N° 110149/2019 Sackmann Sala Rafael Luis En Rep, de su Hijo Menor C.S.S C/ Hospital Británico S/Prestaciones Médicas - 27/11/2019	Justicia Federal San Martín - Sala I	Infantil AME III	Provisión de medicación mediante medida cautelar Previo informe del Cpo. Med. Forense CSJN 10/01/2020	Astreintes.	Sin sentencia firme comenzó el tratamiento 02/06/2020.
71189/2018/1 C. M. D. y otro (en representación de I.C.) c/ Asociación Mutual Sancor Salud s/ amparo contra actos particulares 26/09/2018	Justicia Federal Rosario	Infantil AME II	Medida Cautelar 12/10/2018	--	Sent. 1° Inst. Sancor Salud 70%, Y Estado Nacional 30% cobertura Spinraza 05/04/2021 Sent. Cam. 26/10/2021 100% de la prestación a Sancor Salud.

*procesos de amparo de salud – atrofia muscular espinal (2016-2021)

**fuero federal (empresas de medicina prepaga) - fuero provincial (obras sociales)

⁶¹ El paciente perdió la marcha autónoma en el devenir del proceso judicial

ANEXO II

URUGUAY

CAUSA	JURISDICCION	TIPOLOGÍA	SENTENCIA
N° 2-17068/2019 "B.C., V Y O. c/ Banco de Previsión Social Y Otro – Acción de Amparo	Justicia de Familia Montevideo	AME II	N° 57 23/04/2019. Acoge acción condena cubrir tratamiento con nusinersen

CHILE⁶²

CAUSA	JURISDICCION	TIPOLOGÍA	SENTENCIA
Rol N° 17.043-2018	Corte Suprema	AME II	Acoge el Recurso de Protección a favor del menor y ordena cubrir el tratamiento conforme solicitud médicos tratantes.
Rol N° 31.858/2019	Corte Suprema	Infantil AME I	Acoge el Recurso de Protección. El medicamento no está amparado por ningún sistema de prestaciones garantizadas; debe cubrirlo el Estado (dentro del Sist. Público). Ley N° 18.469 (modificada por Ley N° 19.966) Garantías explícitas a cargo de FONASA
Rol N° 30.287-2020. Marta Angélica Herrera Muñoz, en representación de su hijo G.A.R.H."	Corte Suprema Sala III Santiago	AME II	Acoge, sin costas, el recurso de protección para la adquisición y suministro del fármaco Spinraza, mientras los médicos tratantes así lo determinen, con el objeto que se inicie en un breve tiempo el tratamiento.

María Verónica Gennaro
Abogada - Mediadora

⁶² Según informe de FAME CHILE (2019), existen 170 personas afectadas por Atrofia Muscular Espinal, principalmente, niños menores, adolescentes y adultos mayores. Están agrupados en Chile a través de la Corporación FAMECHILE (Familias Atrofia Muscular Espinal). De ellos aproximadamente el 60% se encuentran en una condición más severa, establecida como AME 1