



## *H. Cámara de Diputados de la Nación*

### **Proyecto de Resolución**

#### **La Honorable Cámara de Diputados de la Nación Argentina resuelve:**

Solicitar al Poder Ejecutivo Nacional para que, a través de los organismos que correspondan, informe a esta Honorable Cámara las siguientes cuestiones vinculadas con el acuerdo celebrado entre el Ministerio de Salud y Desarrollo Social y el laboratorio Biogen, único productor de la droga Nusinersen (o Spinraza™) que se utiliza para los/las pacientes con Atrofia Muscular Espinal (AME):

- a) Informe los alcances concretos del convenio celebrado entre el Ministerio de Salud y Desarrollo Social, a través del Secretario de Gobierno de Salud, Alberto Rubinstein, y el laboratorio Biogen.
- b) Informe con precisión los detalles del llamado “Programa Nacional de Atención de Pacientes con Atrofia Muscular Espinal (AME)”.
- c) Informe sobre el contenido de la “Guía de Práctica Clínica” para el tratamiento de la Atrofia Muscular Espinal (AME).
- d) Informe de manera detallada la definición de la política de cobertura que permitirá garantizar el acceso adecuado y equitativo de Spinraza en Argentina a los pacientes con Atrofia Muscular Espinal (AME) tipo I, II y III.
- e) Informe las razones de la no inclusión en la política de cobertura de Spinraza a las/los pacientes con Atrofia Muscular Espinal (AME) tipo IV.
- f) Informe el detalle de centros médicos habilitados para la aplicación del tratamiento y el seguimiento adecuado a los/las pacientes con Atrofia Muscular Espinal (AME) tipo I, II y III.



## H. Cámara de Diputados de la Nación

### FUNDAMENTOS

Señor presidente:

El 8 de mayo de 2019 la Dirección de Información Pública y Comunicación de la Secretaría de Gobierno de Salud, del Ministerio de Salud y Desarrollo Social de la Nación dio a conocer, a través de una gacetilla de prensa, la celebración de un convenio celebrado entre este organismo y el Laboratorio Biogen con el fin de lograr asegurar el acceso al tratamiento y garantizar la cobertura de la droga Nusinersen para el tratamiento de los/las pacientes con Atrofia Muscular Espinal (AME) tipo I, II y III.

La atrofia muscular espinal es una enfermedad neuromuscular hereditaria autosómica recesiva caracterizada por la afectación de las células de la asta anterior de la médula espinal (neuronas motoras), que cursa con debilidad proximal simétrica y atrofia progresiva de los grupos musculares. Presenta una incidencia mundial descrita entre 1/6.000 y 1/10.000 nacimientos y una tasa de portadores entre 1/35 y 1/50. (Información disponible en [http://www.anmat.gov.ar/ets/Nusinersen\\_05-12-16.pdf](http://www.anmat.gov.ar/ets/Nusinersen_05-12-16.pdf), compulsada el 15/05/2019). Se manifiesta con una pérdida progresiva de la fuerza muscular. Esto ocurre debido a la afectación de las neuronas motoras de la médula espinal, que hace que el impulso nervioso no se puede transmitir correctamente a los músculos y que estos se atrofien. La AME puede afectar la capacidad de un niño/a para gatear, andar, sentarse y controlar los movimientos de la cabeza. Los casos graves de esta afección pueden dañar los músculos que se usan para respirar y para tragar. Hay cuatro tipos de AME.

**Tabla 1. Clasificación de los subtipos clínicos de atrofia muscular espinal según edad de inicio de síntomas y gravedad de evolución**

Tipo	Inicio	Maxima habilidad	Fallecimiento
Tipo I Enfermedad de Werdnig-Hoffmann	< 6 meses	No logra sentarse	< 2 años
Tipo II Intermedio	7-18 meses	No logra caminar	> 2 años
Tipo III Enfermedad de Kugelberg-Welander	> 18 meses	Marcha autónoma	Adulto
Tipo IV	2ª - 3ª década	Marcha autónoma Vida adulta	Adulto

Todos los tipos de AME requieren de tratamiento continuo por parte de un equipo médico, si bien la enfermedad actualmente no tiene cura, los tratamientos ayudan a los/las pacientes a alcanzar una mejor calidad de vida

La ANMAT autorizó el registro de la droga Nusinersen (o Spinraza™) por Disposición N° 2062-2019 de fecha 1/03/2019. Este medicamento aumenta la



## *H. Cámara de Diputados de la Nación*

cantidad de proteínas que necesita el cuerpo debido a la alteración en el gen SMN1. Funciona haciendo que el gen de refuerzo SMN2, se parezca más al gen SMN1 y fabrique la proteína necesaria. Se administra a través de una punción lumbar. Se administran cuatro dosis a lo largo de 2 meses y luego, después de concluir esta pauta, cada 4 meses. Los estudios han mostrado mejoras significativas en la respiración, la función motora y la supervivencia. (Información disponible en <https://kidshealth.org/es/parents/sma-esp.html>, compulsado el 15/05/2019). El gran problema es el precio del tratamiento. "Son 750 mil dólares el primer año, y después son 300 mil dólares", dijo a Clarín el secretario de Salud de la Nación, Adolfo Rubinstein. (Disponible en [https://www.clarin.com/sociedad/spinraza-medicamento-precio-reclaman-cientos-familias\\_0RXx--Qs0Q.html](https://www.clarin.com/sociedad/spinraza-medicamento-precio-reclaman-cientos-familias_0RXx--Qs0Q.html), compulsado el 15/05/2019).

En este contexto, sucintamente descripto, urge contar con información precisa del contenido del convenio recientemente celebrado entre el laboratorio que produce la droga y el Ministerio de Salud y Desarrollo Social de la Nación con el fin de poder dar respuesta clara a las más de doscientas cincuenta familias que esperan acceder a esta droga y así mejorar la calidad de vida de sus hijos/as o familiares cercanos.

En definitiva, el objeto de este pedido de informe no es otro más que conocer de qué modo, ante esta afección gravísima de la salud, el Estado está dando cumplimiento de la manda constitucional-convencional del derecho a la salud y del derecho del acceso a la salud, en particular, teniendo en consideración que la población afectada son niños/as, personas menores de edad.

Por ello, solicito a mis pares legisladores y legisladoras que acompañen el presente proyecto a fin de que sean evacuadas de manera inmediata todas las cuestiones relativas al tema presentado y pueda ser evaluado por esta Honorable Cámara de Diputados.