



VALPARAÍSO, 31 de agosto de 2022

RESOLUCIÓN N° 117

La Cámara de Diputados, en sesión 68° de fecha de hoy, ha prestado aprobación a la siguiente

RESOLUCIÓN

Considerando que:

La atrofia muscular espinal (AME) es una enfermedad neurodegenerativa que tiene origen genético e impide el desarrollo normal y adecuado de los músculos. En los casos más severos puede causar la muerte durante los primeros años de vida del paciente.

En efecto la AME afecta las neuronas motoras de la médula espinal, por lo que impide a quienes la padecen de la fuerza necesaria para realizar actividades motoras esenciales como respirar, comer, caminar. Se estima que es la primera causa genética de muerte de niños en el mundo (1), con una incidencia mundial descrita entre 1/6.000 y 1/10.000 nacimientos; y una tasa de portadores entre 1/35 y 1/50 (2).

Se conocen tres subtipos de atrofia muscular espinal (3):

-Tipo 1, también conocida como enfermedad de Wednig-Hoffman: Se inicia durante los primeros seis meses de vida, es la más común, pero a su vez la forma más severa de la enfermedad. Genera incluso la incapacidad de sentarse y sin un soporte ventilatorio la mayoría fallecen antes de los 3 años de vida.

-Tipo 2: Presenta una gravedad intermedia y se detecta entre los 3 y 15 meses de edad. Pueden sentarse, pero no caminar por sí solos. El grado de compromiso respiratorio es intermedio. También es común que se presente un temblor rápido conocido como mini-poli-mioclonus. Presenta una sobrevida de 68,5% a los 25 años.

-Tipo 3 o también conocida como enfermedad de Kugelberg-Welander: Es la forma más leve de la enfermedad y de inicio más tardío, y que se presenta en la infancia o adolescencia. Los pacientes pueden caminar por sí solos, no presentan su sistema respiratorio comprometido y su

SEÑOR MINISTRO DE HACIENDA



expectativa de vida es normal.

Lamentablemente esta enfermedad no tiene cura, sin embargo, durante muchos años se han efectuado varios ensayos clínicos con tratamientos para mejorar la calidad de vida y sobrevida de los pacientes. Por ejemplo, se han utilizado medicamentos como ácido valproico, salbutamol, fenoterol, fenilbutirato y L-Carnitina, sin embargo, ninguno de ellos ha logrado mejorar la expectativa o calidad de vida de los pacientes (4).

Recientemente se han desarrollado medicamentos que han resultado ser más exitosos en cuanto a detener los efectos degenerativos de esta enfermedad o mejorar la calidad de vida de los pacientes. Así, por un lado, se puede mencionar Spinraza: medicamento que logró un gran avance en el tratamiento de la enfermedad, cuestión que no habían logrado otros medicamentos hasta entonces.

El costo de Spinraza es de unos US\$100.000 por ampolla, según se indicia, se deben utilizar cuatro ampollas para el tratamiento de inducción más una dosis de mantenimiento cada cuatro meses. De esta manera el costo anual asciende a US\$600.000. Con el tipo de cambio actual a la moneda chilena, sería aproximadamente \$500.000.000 pesos al año.

Por otro lado, y aún más recientemente, se desarrolló el medicamento Zolgensma. Se trata de una terapia génica que se usa para tratar a niños de 2 años con AME. Zolgensma se administra como una infusión de una sola vez en una vena y ha demostrado tener resultados exitosos (5).

La gran polémica que se generó por Zolgensma y particularmente Novartis que es la farmacéutica dueña de la patente, viene dada por su alto precio. En efecto, actualmente se trata del medicamento más caro del mundo con un valor de US\$ 2,1 Millones. Es decir, cerca de \$1.700 Millones de pesos. Que como es de esperar, cualquiera de los tratamientos exitosos para esta enfermedad son de un costo que excede sustancialmente la capacidad económica de la inmensa mayoría de las familias chilena.

Por esta razón que se hace necesario prestar apoyo gubernamental para ayudar a esas familias a solventar estos costosos tratamientos, sobre todo pensando en que el éxito de ellos está condicionado al hecho de que se administren a los pacientes dentro de los primeros dos años de vida, como es el caso de Zolgensma. Es decir, las familias tienen 2 años para reunir más de \$US 2 millones, cifra que la mayoría no alcanza a reunir en toda una vida.



LA CÁMARA DE DIPUTADOS RESUELVE:

Solicitar a S. E. el Presidente de la República, al Ministro de Hacienda y a la Ministra de Salud diseñar un mecanismo de apoyo económico mediante subsidio, la incorporación de la enfermedad a la ley N° 20.805 sobre Protección Financiera para Tratamientos de Alto Costo, u otro mecanismo financiero adecuado para apoyar a aquellos pacientes que padecen Atrofia Muscular Espinal, y que les permita adquirir los costosos medicamentos necesarios para su tratamiento. Particularmente los tratamientos mediante Spinraza y Zolgensma cuyo valor asciende a \$500 Millones y \$1.700 Millones de pesos respectivamente, y particularmente del medicamento Zolgensma, cuyo éxito depende de que se aplique dentro de los primeros 2 años de vida del niño o niña.

Lo que me corresponde poner en conocimiento de US.

Dios guarde a US.,

ALEXIS SEPÚLVEDA SOTO
Primer Vicepresidente de la Cámara
de Diputados

**JUAN PABLO GALLEGUILLOS
JARA**
Prosecretario accidental de la Cámara
de Diputados

Anexo

Notas:

- 1) Ver en: [https://www.clinicalascondes.cl/BLOG/Listado/Neurologia-Infantil/Que-es-la-Atrofia-Muscular-Espinal-\(AME\)](https://www.clinicalascondes.cl/BLOG/Listado/Neurologia-Infantil/Que-es-la-Atrofia-Muscular-Espinal-(AME))
- 2) CASTIGLIONI, CLAUDIA, LEVICÁN, JORGE, RODILLO, ELIANA, GARMENDIA, MARÍA ANGÉLICA, DÍAZ, ALEJANDRA, PIZARRO, LORENA, & CONTRERAS, LUIS. (2011). Atrofia muscular espinal: Caracterización clínica, electrofisiológica y molecular de 26 pacientes. Revista médica de Chile, 139(2), 197-204. <https://dx.doi.org/10.4067/S0034-98872011000200009>
- 3) Disponible en: <http://www.scielo.org.co/pdf/anco/v32n1/v32n1a03.pdf>
- 4) Idem.
- 5) Disponible en: <https://www.zolgensma.com/pdf/la-ame-despues-del->