

**CEI N° 40 ENCARGADA DE FISCALIZAR LOS ACTOS DEL GOBIERNO
RELACIONADOS CON EL FUNCIONAMIENTO DEL SISTEMA DE PROTECCIÓN
FINANCIERA PARA EL DIAGNÓSTICO Y TRATAMIENTO DE ENFERMEDADES
DE ALTO COSTO Y LA INCORPORACIÓN DE NUEVAS COBERTURAS EN ÉSTE.
(CEI 40)**

**PERÍODO LEGISLATIVO 2022- 2026
371ª LEGISLATURA
SESIÓN ORDINARIA N°4
CELEBRADA EL DÍA LUNES 22 DE ENERO DE 2024, DE 12:30 A 14:20 HORAS.**

SUMA

1. Continuó su cometido y dio cumplimiento a lo encomendado en su mandato.

ASISTENCIA

Asistieron de manera presencial los diputados y diputadas Mónica Arce, Danisa Astudillo, Félix González, Marta González, Tomás Lagomarsino, Enrique Lee, Carla Morales y Consuelo Veloso.

Como invitados, en representación de Biogen Chile, el señor Juan Pedro Corona Tejeda y de manera telemática desde Buenos Aires, el señor Alejandro Bagliano, Director Médico y vocero formal; el Lic. Ramiro López, Director de Unidad de Enfermedades Neurodegenerativas; el Lic. Claudio Covini, Director de Acceso y; el doctor Joaquin Pedré, Gerente de Value & Access; la Directora Médica del Laboratorio Roche, señora Fiorella Santos junto al señor Nicolás Amenábar; en representación de la Cámara de Innovación Farmacéutica, la señora Mariela Formas. Además, participaron en calidad de oyentes las señoras Lunna Martínez y Eugenia Silva y el señor César Morales.

Actuó como secretario abogado (S) el señor Ignacio Vásquez Mella.

CUENTA

Se han recibido los siguientes documentos:

1.- Excusa de Novartis Chile, por no ser posible su participación por compromisos agendados previamente. Sin embargo, conscientes del valor de la transparencia, remite información detallada sobre cada uno de los temas requeridos en la invitación cursada.

2.- Comunicación de la Presidenta de Fame Chile, mediante la cual solicita audiencia para dejar a disposición la experiencia que tiene su asociación

de pacientes respecto de los tratamientos que abordan la Atrofia Muscular Espinal (AME), considerando los tipos I, II, III y IV.

ORDEN DEL DÍA

El Director Médico y vocero formal Biogen Chile (Spinraza), doctor Alejandro Bagliano expuso en base a una presentación¹ que dejó a disposición de la Comisión.

En primer término, señaló que la neurociencia es la próxima frontera, toda vez que es la primera causa de discapacidad en el mundo y la segunda causa de muerte en el planeta.

Explicó que existen tres terapias para tratar la Atrofia Muscular Espinal (AME), Nusinersen (Intratecal específico que actúa a nivel de la motoneurona), Risdiplam (Vía oral) y Onasemnogene abeparvovec-xioi (Terapia génica con única dosis; vector viral), donde todos los mecanismos de acción buscan el mismo objetivo, es decir, detener la progresión de la enfermedad al aumentar la producción de la proteína SMN funcional en el paciente.

Hizo presente que la AME es una enfermedad crónica degenerativa que no tiene cura, que genera una disfunción motora que impacta en el desarrollo normal de una persona; capacidad de desplazarse y/o moverse; inserción laboral; independencia; carga de trabajo de familiares; salud general y el funcionamiento de otros sistemas además del motor.

Dejó en claro que todos los tratamientos frenan la degeneración y pérdida de neuronas por falta de proteína SMN, pero para cuando los síntomas son detectables, la cantidad de neuronas perdidas ya es significativa, donde 40% de los pacientes (18 de 46) requirieron tratamiento SMN2 adicional luego de recibir terapia génica por estabilización o lentitud en la adquisición de los hitos.

Afirmó que a la fecha, no existe evidencia comparativa directa y sólida que permita sostener que un tratamiento para AME sea superior en términos de eficacia a otro, lo que no quiere decir que los tres sean iguales, sin embargo, existen solo dos estudios con comparaciones indirectas de los fármacos.

Hizo presente que Nusinersen posee un programa de desarrollo clínico robusto según estándar grade y, cuenta con la mayor cantidad histórica de pacientes a nivel mundial y Real World Evidence que respalda los resultados clínicos con la mayor calidad posible.

Manifestó que la eficacia y la seguridad de Spinraza están comprobadas por el mayor conjunto de estudios clínicos de alta calidad y sustentadas por evidencia de la vida real, donde las comparaciones indirectas realizadas entre terapias para AME no son metodológicamente confiables.

¹ <https://www.camara.cl/legislacion/comisiones/documentos.aspx?prmID=4181> (Sesión 4)

Asimismo, explicó que los pacientes AME prefieren eficacia por sobre comodidad de administración, por tanto, consideró que Spinraza es una excelente alternativa terapéutica en pacientes candidatos de todas las edades y para todos los tipos de AME que puedan beneficiarse de la terapia, agregando que la indicación de cualquier tratamiento para la AME debe basarse en el criterio clínico de un profesional médico, especialista en enfermedades neuromusculares.

El Director de Unidad de Enfermedades Neurodegenerativas, licenciado Ramiro López continuó la presentación, señalando que Biogen ha demostrado un compromiso constante y trabajo conjunto con las autoridades y la comunidad de AME desde 2017, con el objetivo de que todos los pacientes de todos los tipos y edades de AME pueden ser tratados en Chile.

El diputado Lagomarsino preguntó cuántos pacientes en Chile reciben Nusinersen, precisando cuantos lo reciben por indicación médica o por orden judicial.

Asimismo, reflexionó sobre los eventuales rechazos de otros tratamientos disponibles por posibles conflictos de interés, toda vez que la comisión experta que evalúa la entrega del medicamento Zolgensma, estaría compuesta por un médico que habría participado del estudio clínico de Spinraza, lo que podría haber incidido a la hora de indicar o aprobar el medicamento, por tanto, consultó si conocen de algún conflicto de interés que se pudo generar o suscitar.

El Director de Unidad de Enfermedades Neurodegenerativas, licenciado Ramiro López respecto de la cantidad de pacientes, afirmó que no tiene un método para tener esa información.

El Director Médico y vocero formal Biogen Chile (Spinraza), doctor Alejandro Bagliano en cuanto al estudio clínico, aclaró que no existe ningún tipo de influencia en el tratamiento o eventual conflicto de interés con respecto de alguna agrupación de pacientes o médicos y, tampoco, tienen conocimiento de un eventual conflicto de interés que se pudiere generar.

Asimismo, esbozó que dentro del estudio no se cobra, ya que está considerado producto de la investigación, en consecuencia, no es producto comercial.

El diputado González consultó si los médicos que prescriben el fármaco reciben de ustedes algún beneficio de cualquier especie.

En representación de Biogen Chile (Spinraza), señor Juan Pedro Corona Tejeda afirmó que respetan el criterio clínico y no tienen ningún tipo de influencia o estímulo para la prescripción.

La diputada Arce opinó que parece extraño y contradictorio que sean los responsables de los laboratorios quienes señalen que no existen conflictos de interés. Informó que en el caso particular del menor Lucas Morales, cuando los papas preguntaron si se le podía entregar la receta de Zolgensma, el médico dijo que no podía entregarlo porque trabajaba para el laboratorio Biogen que proporciona Spinraza.

El Director Médico y vocero formal Biogen Chile (Spinraza), doctor Alejandro Bagliano sostuvo que los protocolos indican que la decisión es del investigador principal y el sponsor no tiene nada que hacer. En otras palabras, el médico se tiene que basar en el criterio clínico profesional para dichos efectos, agregando que los pacientes y cuidadores pueden retirarse del protocolo.

El Director de Acceso del Laboratorio Roche, señor Nicolás Amenábar afirmó que es muy importante estar presente en la Comisión y resolver la situación de los pacientes que padecen de AME en Chile, buscando soluciones en conjunto para ello.

La Directora Médica del Laboratorio Roche, por Risdiplam (Evrysdi), señora Fiorella Santos expuso en base a una presentación² que dejó a disposición de la Comisión.

En términos generales, señaló que la AME es una enfermedad genética neuromuscular autosómica recesiva, progresiva debilitante, causada por una mutación de la neurona motora de supervivencia 1 (SMN1), que conduce a una deficiencia de la proteína SMN, agregando que típicamente es diagnosticada en la infancia, siendo la principal causa genética de muerte en los bebés.

Explicó que el cuerpo tiene dos genes muy similares que producen la proteína SMN, la SMN1 que produce toda la proteína SMN que necesitamos para el control y movimiento del músculo y la SMN2 que sólo produce alrededor del 10% de la proteína SMN que necesitamos para que los músculos funcionen. En individuos sanos el gen SMN1 es capaz de producir suficiente proteína para que el cuerpo funcione normalmente, pero en individuos con AME debido a la mutación de la SMN1, cuentan solo con el "respaldo" del gen SMN2, que produce insuficientes cantidades de proteína SMN funcional.

Hizo presente que Risdiplam es la primera molécula pequeña modificadora de empalme de la neurona motora de supervivencia-2 aprobada como fármaco modelo para futuros medicamentos transformadores¹, es decir, el fármaco promueve la inclusión del exón 7, para que se incremente la producción de la proteína SMN funcional.

Explicó que es el primer y único tratamiento domiciliario para AME, toda vez que se administra en forma oral, donde la dosis se calcula en base al peso y edad de cada paciente, precisando que el costo anual del medicamento para un paciente de 7 kg es de \$64.352.043 (9 viales/año).

Acotó que Risdiplam, está aprobado por el Instituto de Salud Pública desde el 7 de octubre de 2020 para el tratamiento de la Atrofia Muscular Espinal y se encuentra aprobado en 104 países.

² <https://www.camara.cl/legislacion/comisiones/documentos.aspx?prmID=4181> (Sesión 4)

Por otro lado, hizo alusión al amplio espectro fenotípico de la enfermedad y al programa clínico de Risdiplam que abarca varios grupos de edad y tipos de AME, sin embargo afirmó que no tuvieron ningún tipo de estudio en Chile.

Por último, manifestó que el Estado ha gestionado la compra del medicamento para garantizar el tratamiento con Risdiplam a aproximadamente 20 pacientes, donde el laboratorio Roche ha presentado formalmente propuestas al Ministerio de Salud, con el objetivo de poder aumentar el acceso de pacientes que necesitan medicamentos para la AME.

Finalmente, se refirió a los criterios del programa de uso compasivo en Roche, donde se provisiona el medicamento no aprobado a pacientes individuales sin opciones de otras terapias fuera de un estudio clínico. Hizo presente que este programa tiene fines humanitarios y tiene un procedimiento establecido a nivel global.

El diputado Lee declaró que Chile no tiene capacidad para realizar estudios clínicos y generalmente el ISP lo solicita a entidades internacionales.

Estimó prudente conocer cuál es el medicamento más efectivo para el tratamiento del AME, en términos generales.

El diputado Lagomarsino reflexionó cómo se avanza en medicamentos con alto costo que a la vez tensionan los sistemas de salud.

El diputado González preguntó si los médicos que prescriben algún tipo de fármaco reciben algún beneficio.

La diputada Marta González señaló que los valores de los medicamentos son altísimos y se generan dudas o preguntas de por qué existen fármacos que llegan a precios tan elevados, teniendo en consideración el avance de la ciencia que ha permitido trabajar en salud y curar enfermedades. Lo anterior, porque muchas veces existen medicamentos pero las familias no pueden solventarlos de ninguna manera.

Declaró que se deben realizar esfuerzos internacionales para poder financiar esta clase de medicamentos.

El diputado Lagomarsino preguntó si existe algún tipo de conflicto de interés que el laboratorio pueda transparentar en relación con alguno de los integrantes de la comisión experta del Ministerio de Salud.

La Directora Médica del Laboratorio Roche, por Risdiplam (Evrysdi), señora Fiorella Santos respecto al tema de la complejidad de estudios con enfermedades graves y raras, aclaró que el estudio no se hace con un placebo, justamente por cuestiones éticas, entonces se toman pacientes con su historia natural, con el objeto de comparar los resultados.

Afirmó que los datos son súper objetivos y claros en el sentido de la diferencia y lo que se ve en la historia natural de los niños sin terapia y con terapia.

Por otro lado, declaró que no existe ningún conflicto de interés o beneficio a los médicos tratantes.

El Director de Acceso del Laboratorio Roche, señor Nicolás Amenábar

comentó que respecto de los acuerdos de riesgo compartido, se tuvo una última reunión con el Ministerio de Salud el 12 diciembre de 2022, donde se presentó un mecanismo de riesgo compartido basado en resultados clínicos para poder tratar pacientes con Risdiplam en Chile, donde solo se paga el tratamiento en su totalidad si los resultados clínicos lo avalan y en caso de no ser así, se devuelve un alto porcentaje del costo. Agregó que desde el 12 septiembre 2023 no han tenido más conversaciones al respecto, sin perjuicio, esperan que la propuesta sea analizada por el Minsal para su implantación.

Respecto a si el tratamiento fue postulado a la Ley Ricarte Soto, indicó que estaría en proceso de evaluación.

En representación de la Cámara de Innovación Farmacéutica, señora Mariela Formas expuso en base a una presentación³ que dejó a disposición de la Comisión.

Indicó que representan a 24 laboratorios farmacéuticas, donde Roche y Biogen no son parte, siendo que anteriormente lo fueron.

En cuanto a la experiencia internacional en el financiamiento de enfermedades de alto costo, mencionó tres casos.

1. Unión Europea: Se utilizan opciones de reembolso flexibles incluyendo reembolsos retroactivos con pagos basados en resultados.
2. España: Financiamiento público por ley mediante un modelo mixto de pago por resultados y pago por volumen.
3. Argentina: Implementa un modelo de "riesgo compartido" donde el Estado paga el 20% del costo inicialmente y luego hace pagos adicionales dependiendo de la evolución del paciente.

Explicó que los acuerdos de riesgo compartido (ARC), son un mecanismo de pago entre un productor y un pagador que reembolsa una tecnología sanitaria bajo ciertas condiciones preestablecidas, que permiten ampliar la cobertura de nuevos medicamentos al aumentar eficiencia del gasto en salud y disminuir el impacto presupuestario. Además, limitan la incertidumbre financiera y permiten lograr el nivel deseado de costo efectividad, por tanto, en la actualidad los ARC se utilizan en al menos dos tercios de los países de la OCDE, impactando positivamente en el ahorro del gasto público.

Respecto al estado del fondo de financiamiento de la Ley Ricarte Soto, afirmó que estaría acotado al 2027, donde no se pueden seguir incorporando terapias y nuevas tecnologías

Por otro lado, hizo alusión a la baja cobertura de nuevos medicamentos que tiene Chile, siendo el país más rico de la Latinoamérica, donde además, tiene los

³ <https://www.camara.cl/legislacion/comisiones/documentos.aspx?prmID=4181> (Sesión 4)

tiempos más prolongados desde el registro hasta obtener cobertura en relación con todos los países analizados en la región.

Por último, declaró que se requieren de ciertas condiciones habilitantes para la implementación de modelos y herramientas de financiamiento de las enfermedades de muy alto costo, generando una institucionalidad a cargo de la implementación y monitoreo de los acuerdos; diseño e implementación de protocolos para llevar a cabo los acuerdos de riesgo compartido; diseño de protocolos transparentes y claros en todo el proceso y avanzar en registros; protocolos de evaluación de tecnologías sanitarias con criterios diferenciados para enfermedades raras e instancia de negociación institucional definida en protocolos.

Finalmente, estimó relevante reforzar la institucionalidad, con el objeto de elevar los estándares de transparencia, buenas prácticas y aportar a la política pública innovaciones que lleguen a las personas que lo necesiten.

El diputado Lee preguntó cómo se hace el acuerdo de riesgo compartido en el caso de Zolgensma donde es solo una sola dosis.

El diputado Lagomarsino valoró la iniciativa de la transparencia de la Cámara Innovación Farmacéutica, con el objeto de transparentar los eventuales conflictos de interés que tienen algunos laboratorios con médicos y agrupaciones diversas.

En representación de la Cámara de Innovación Farmacéutica, señora Mariela Formas aclaró que este tipo de acuerdos de riesgo compartido en terapias de monoterapias si se hacen basadas en resultados y eso lo han hecho varios países de Europa.

Respecto a los avances de las propuestas de acuerdos de riesgo compartido que se hayan realizado por parte de laboratorios al Estado, aclaró que son negociaciones comerciales donde los gremios no pueden, ni siquiera, conocer estas materias por ley, sin embargo, en el marco institucional han visto avances sustantivos, especialmente en el presupuesto que rige para el 2024, toda vez que se aprobó la incorporación en el Ministerio de Salud de dos personas que estarán a cargo del diseño, control y seguimiento institucional de los ARC.

La diputada Morales solicitó invitar en audiencia a la Corporación de Padres de niños con Distrofia Muscular de Duchenne

La diputada Arce comentó que los laboratorios no están obligados legalmente a responder ciertas materias, por tanto, hizo un llamado a responder algunas interrogantes de buena fe.

1. Si han donado o no dosis de fármacos a Chile. En caso de ser afirmativo, si sean realizado seguimientos de dichos casos y cuáles son los resultados.

2. Transparentar en forma voluntaria si existe alguna vinculación con neurólogos chilenos y, si es así, señalar el tipo de contrato o incentivos existentes,

teniendo en cuenta que dichos especialistas son los únicos que pueden diagnosticar y recetar los tratamientos para los menores con Atrofia Muscular Espinal.

Cabe hacer presente que no se despacharon oficios al respecto por ser una entidad particular que no tiene la obligación de responder, sin embargo, los representantes de las farmacéuticas tomaron nota de las interrogantes.

A mayor abundamiento, el Director de Acceso del Laboratorio Roche, señor Nicolás Amenábar, expresó que transparentará toda la información que poseen al respecto, anticipando que no tienen conflictos de interés y no otorgar ningún estímulo o incentivo a los médicos tratantes.

ACUERDOS

Se adoptaron los siguientes acuerdos:

1. Oficiar a la Ministra de Salud, para que informe sobre la situación que afecta al menor que se individualiza en documento adjunto, quien fue diagnosticado con Atrofia Muscular Espinal Tipo 1 e ingresado a los seis meses al protocolo del Ministerio de Salud para adquirir el tratamiento de Zolgensma; sin embargo, a la fecha no existe pronunciamiento por parte de la autoridad.

Al respecto, señale las medidas que se están adoptando para solucionar la problemática, teniendo en consideración que solo le quedarían dos meses para sobrepasar la edad límite establecida. (Solicitud diputada Arce)

2. Acordó recibir en audiencia para una próxima sesión por definir, a la Presidenta de Fame Chile, para que expongan sobre su experiencia en pacientes respecto de los tratamientos que abordan la Atrofia Muscular Espinal (AME), considerando los tipos I, II, III y IV. (Solicitud diputado Lagomarsino)

El debate suscitado en esta sesión queda archivado en un registro de audio a disposición de las señoras y de los señores diputados de conformidad a lo dispuesto en el artículo 256 del Reglamento de la Cámara de Diputados.

Habiendo cumplido con su objeto, la sesión se levanta a las **14:20** horas.

IGNACIO SEBASTIÁN VÁSQUEZ MELLA
Secretario abogado (S) de la Comisión

**COMISIÓN ESPECIAL INVESTIGADORA ENCARGADA DE
FISCALIZAR LOS ACTOS DEL GOBIERNO RELACIONADOS CON EL
FUNCIONAMIENTO DEL SISTEMA DE PROTECCIÓN FINANCIERA PARA
EL DIAGNÓSTICO Y TRATAMIENTO DE ENFERMEDADES DE ALTO
COSTO Y LA INCORPORACIÓN DE NUEVAS COBERTURAS EN ESTE**

SESIÓN EN FORMATO MIXTO:

(Presencial y vía telemática)

Sesión 4ª, celebrada en lunes 22 de enero de 2024,
de 12:30 a 14:21 horas.

Preside el diputado señor Tomás Lagomarsino.

Asisten las diputadas señoras Mónica Arce, Danisa Astudillo, Marta González, Carla Morales y Consuelo Veloso, y los diputados señores Félix González y Enrique Lee.

Concurren, como invitados, el representante de Biogen Chile, señor Juan Pedro Corona Tejeda; el director médico de Biogen, señor Alejandro Bagliano; el director de la Unidad de Enfermedades Neurodegenerativas, licenciado Ramiro López; el director de Acceso, licenciado Claudio Covini; el gerente de Value & Access, doctor Joaquín Pedré; la directora médica del Laboratorio Roche, señora Fiorella Santos, acompañada del señor Nicolás Amenábar; la representante de la Cámara de Innovación Farmacéutica, señora Mariela Formas, y en calidad de oyentes las señoras Lunna Martínez y Eugenia Silva, y el señor César Morales.

TEXTO DEL DEBATE

-Los puntos suspensivos entre corchetes [...] corresponden a interrupciones en la transmisión telemática.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- En el nombre de Dios y de la Patria, se abre la sesión.

El señor Secretario dará lectura a la Cuenta.

*-El señor **VÁSQUEZ** (Secretario ayudante) da lectura a la Cuenta.*

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- ¿Habría acuerdo para invitar a la Fundación de Atrofia Muscular Espinal (Fame)?

Acordado.

Antes de iniciar el Orden del Día, comunico a los señores diputados y señoras diputadas que he remitido dos correos. Un primer correo a todos los diputados y diputadas de la Cámara, a fin de abrir la posibilidad de que puedan remitirnos invitaciones de agrupaciones de pacientes con tratamiento de alto costo, que puedan ser recibidos en esta comisión.

Hasta el momento, solo nos ha llegado información del diputado Félix González, pero quedamos atentos a ver qué otras agrupaciones de pacientes se proponen, a fin de invitarlos cuando tratemos esta materia y abrir el abanico, dado que el objeto de la comisión son las enfermedades de alto costo. Hemos partido con la atrofia muscular espinal por la connotación pública que ha tenido.

También envié un correo muy similar a la Federación Chilena de Enfermedades Raras, a la Federación Chilena de Enfermedades poco Frecuentes y a la Alianza Chilena de Agrupaciones de Pacientes, para escucharlos en el espacio que vamos a tener para este tipo de agrupaciones, que va a ser idóneamente en la siguiente sesión, para entrar en materia e invitar a las instituciones del Estado.

Hago presente que para la sesión de acuerdos de riesgos compartidos, vamos a invitar al director del Cenabast, a

la directora de ChileCompra y a la exdirectora de ChileCompra, señora Tatiana Inostroza, para que nos puedan ilustrar sobre el tema de acuerdos de riesgos compartidos.

Sin más que informar, les doy la bienvenida a nuestros invitados: la gerente de Biogen Chile, señora Andrea da Pieve; al director médico de Nusinersen, señor Alejandro Bagliano -vía telemática desde Buenos Aires-; al señor Juan Pedro Corona Tejeda; al licenciado Ramiro López, director de la Unidad de Enfermedades Neurodegenerativas, y al licenciado Claudio Covini, director de Acceso.

Tiene la palabra el señor Juan Pedro Corona Tejeda.

El señor **CORONA** (representante de Biogen Chile).- Saludo al Presidente y a los integrantes de la comisión.

Quiero comunicarles las disculpas de nuestra mánager, Andrea da Pieve, quien desafortunadamente por compromisos no pudo asistir. Sin embargo, para atender esta invitación, quiero presentarles a las personas que tanto desde Buenos Aires como yo, localmente, estaremos atendiendo esta sesión. Me acompaña el director médico, doctor Alejandro Bagliano; Ramiro López y Claudio Covini. Estaremos a sus órdenes para sus preguntas, posteriormente a la presentación que nos dé Alejandro Bagliano.

Si no disponen de otra cosa y siendo respetuosos con el tiempo, pido que le dé la palabra al doctor Alejandro Bagliano, para que nos haga su exposición.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra el señor Alejandro Bagliano.

El señor **BAGLIANO** (director médico de Biogen) [vía telemática].- Señor Presidente, agradezco a los integrantes de la comisión la invitación para participar.

Biogen es una compañía tecnológica líder fundada en 1978, entre otros científicos, por dos premios Nobel: Walter Gilbert y Phillip Sharp. Está focalizada en neurociencias y es pionera en desarrollo e innovación para enfermedades complejas y devastadoras para la vida de los pacientes.

Las enfermedades neurológicas representan la primera causa de discapacidad y la segunda de muerte a nivel

mundial. Estamos presentes con oficinas en 40 países y nuestros productos están en más de 80 países. Contamos además con múltiples áreas de desarrollo de innovación.

En estos diez minutos voy a hablarles sobre Nusinersen, la molécula de Spinraza, pero también me gustaría abordar algunos puntos en los que creemos que hay desinformación, en base a los testimonios que se encuentran en el documento que nos hicieron llegar.

Al día de hoy existen tres terapias para tratar la atrofia muscular espinal: Nusinersen, que es oligonucleótido antisentido, un modificador del *splicing* específico para actuar a nivel del Exon 7, del gen SMN2, y que se administra por vía intratecal, esto es, la dosis completa se vuelca al espacio donde se encuentran las neuronas motoras afectadas; Risdiplam, que es una molécula química, modificadora también del *splicing*, en forma no específica y que se administra por vía oral; por último, la terapia génica, que consiste en la administración endovenosa de un vector viral modificado para incluir copias del gen SMN en aquellas células que hayan sido infectadas en el paciente por parte de este vector.

El mecanismo en las tres terapias realiza la misma acción, que es aumentar la producción y cantidad de proteína SMN, funcional en el paciente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Doctor Bagliano, quiero expresar que no todos los integrantes de la comisión son del área de la Salud, por tanto, le pido que pueda ser un poco menos técnico, para que puedan entender la presentación los demás integrantes de esta comisión.

El señor **BAGLIANO** (director médico de Biogen) [vía telemática].- Muy bien, en resumen, tenemos una molécula biológica, como es Nusinersen, que se pega específicamente en un área única del ARN. El ARN son las moléculas que les permiten a las células producir las proteínas.

Risdiplam es una molécula química que también modifica de forma no específica, es decir, no se pega específicamente solo en esa zona, pero produce un efecto

en cuanto a los cortes del ARN para que se produzca mayor proteína funcional.

Y en el caso de la terapia génica, hay una cápsula de un virus, un vector viral, que es modificada y en donde se le agrega lo que sería la cadena del gen SMN para que esta sea implantada en las células que infecta este vector, que pueden ser neuronas o no neuronas. Pero solo aquellas que son infectadas van a producir esa proteína SMN.

De manera que las tres producen el mismo efecto, cual es aumentar la cantidad de proteína SMN, que genera la enfermedad por disminución de esta proteína, en estos tipos celulares, que son las neuronas.

Podemos resumir, entonces, que la atrofia muscular espinal es una enfermedad genética por falta del gen, crónica, progresiva y que lleva a la discapacidad y a la muerte según la severidad. El tratamiento temprano de esta patología acerca la curva de desarrollo a la de una persona normal. Esto es porque el tratamiento, una vez instaurado, preserva las motoneuronas que, hasta ese momento, tiene el paciente. Una neurona que muere es una neurona que no se recupera. Todos los pacientes, independientemente de su tipo, tienen la misma enfermedad.

En la imagen siguiente se muestra que la atrofia muscular espinal es una enfermedad que, consideramos, no tiene cura. Todos los tratamientos frenan la degeneración y la pérdida de neuronas por falta de proteína SMN, pero, cuando los síntomas son detectables, la cantidad de neuronas perdidas ya es significativa.

En un artículo científico publicado recientemente, se observó que el 79 por ciento de los pacientes con síntomas, al momento de recibir terapia génica, necesitó un segundo tratamiento, debido a una respuesta subóptima del primero. También lo podemos expresar en este estudio como el 40 por ciento del total de pacientes de la cohorte, si incluimos aquellos pacientes asintomáticos al momento de recibir la primera terapia. Esto pone en claro que, por ahora, la enfermedad es incurable, pero tratable.

Actualmente no existe evidencia comparativa directa y sólida que permita aseverar que un tratamiento para atrofia muscular espinal sea superior a otro en términos de eficacia. No estoy queriendo decir que los tres sean iguales. Existen publicados solo dos estudios con comparaciones indirectas, es decir, que no comparan exactamente lo mismo, pero tienen deficiencias a nivel matemático, estadístico y científico. Por lo tanto, su nivel de calidad como evidencia no los hace aceptables para la toma de decisiones médicas o sanitarias, según se lee textualmente en el organismo de Canadá. Compartimos conclusiones publicadas por organismos de salud de diferentes países sobre los datos aportados en ambas comparaciones indirectas. Insisto, en el documento que les vamos a compartir ustedes dispondrán de todas las fuentes con datos, con los respectivos links de los trabajos científicos de esta presentación.

Ahora bien, con respecto a la evidencia acumulada de Nusinersen, ustedes están viendo desplegados los 10 estudios del plan de desarrollo clínico, que permitió demostrar la eficacia y la seguridad de Nusinersen para aprobar a este como tratamiento. Los estudios clínicos principales fueron realizados con un grupo de control placebo y bajo la modalidad de doble ciego para pacientes e investigadores. Involucró a un amplio espectro de pacientes: sintomáticos, asintomáticos, pacientes infantes, niños, adolescentes y adultos jóvenes. Al día de hoy, este plan de desarrollo tiene algunos estudios cerrados, pero otros se encuentran en curso. Todos los estudios pivotaes fueron robustos bajo el estándar de calidad de evidencia Grade.

En la siguiente imagen vemos que el grupo de estudios clínicos agrupó a un total de 380 pacientes a nivel global, de los cuales 5 son de Chile. Luego de su aprobación como tratamiento y ante la imposibilidad ética de contar con un grupo placebo en los estudios, se ha continuado con la recolección de datos de eficacia y

seguridad a través de estudios de evidencia en vida real y registros de pacientes.

Hasta hoy, Nusinersen es el tratamiento que cuenta con el mayor set de estudios y la evidencia más robusta. Nusinersen continúa con estudios adicionales en curso y controla a más de 14.000 pacientes a nivel global.

A partir de la abundante experiencia recolectada en estos años, se han realizado análisis que brindan una alta calidad de evidencia, como son los metaanálisis, sobre la eficacia y seguridad del producto, tanto para pacientes tipo I, II y III como también en pacientes infantes, adolescentes y adultos de hasta 65 años de edad.

Los datos de la vida real, analizados mediante metaanálisis y publicados por Coratti y colaboradores en 2021, muestran que luego de agrupar los resultados de 19 estudios que comprendían un total de 916 pacientes, incluyendo a los de tipos II y III y con grupos etarios que iban de pacientes pediátricos, adultos y hasta 65 años, se beneficiaron significativamente las escalas evaluadas de miembros superiores e inferiores y la cantidad de metros caminados.

Cabe destacar que el aumento de un punto en la escala, por ejemplo, de miembros inferiores -la HFMSE- puede significar que un paciente pase de no caminar a caminar con asistencia o de caminar con asistencia a caminar sin ella.

También, al observar la columna de la derecha, la de no tratados, ustedes podrán ver cómo la enfermedad progresó y disminuyó los puntajes. Eso se traduce como un incremento en la discapacidad, la pérdida de independencia del paciente y una disminución en su calidad de vida.

Entonces -repito-, Nusinersen se aplica periódicamente vía intratecal. Lo recalco porque esta vía permite que la dosis llegue totalmente al sitio donde se encuentran las motoneuronas afectadas, esto es, en la médula espinal. Esta vía, por lo tanto, garantiza que la dosis de Nusinersen sea adecuada para cualquier edad y peso del paciente.

Además, quiero asegurarme de que no se confunda eficacia y comodidad. Según un estudio publicado durante 2023, basado en una encuesta realizada a pacientes con atrofia muscular espinal de todos los tipos y a sus cuidadores, ellos, que provenían de nueve países de Latinoamérica, estaban bajo tratamiento o sin tratamiento. Cuando se les preguntó que clasificaran en importancia los diferentes aspectos de su enfermedad y tratamiento, a base de puntajes, ellos siempre pusieron por delante en importancia la eficacia, representada por la función motora y la respiración, por sobre la vía de administración, que está recuadrada.

Repasando algunos puntos o conclusiones señalados, puedo señalar lo siguiente: la atrofia muscular espinal no tiene cura hasta hoy. El inicio temprano de la enfermedad preserva las neuronas del paciente al reducir o frenar la progresión de la enfermedad; la eficacia y la seguridad de Spinraza están comprobadas con el mayor conjunto de estudios clínicos de alta calidad y sustentadas por evidencia de la vida real; las comparaciones indirectas realizadas entre terapias para AME no son metodológicamente confiables; los pacientes con atrofia muscular espinal prefieren, puestos ante muchas opciones, eficacia por sobre comodidad de administración. Por lo tanto, desde Biogen, consideramos que Spinraza es una excelente alternativa terapéutica en pacientes candidatos de todas las edades y para todos los tipos de AME que puedan beneficiarse de la terapia. Ahora, la indicación de cualquier tratamiento para atrofia muscular espinal debe basarse en el criterio clínico de un profesional médico especialista en enfermedades musculares.

Luego de llegar a esto, quisiera pasarle la última parte al licenciado Ramiro López Dibberns, para que hable sobre la relación de Biogen con la atrofia muscular espinal en Chile.

El señor **LÓPEZ** (director de la Unidad de Enfermedades Neurodegenerativas) [vía telemática].- Señor Presidente,

por último, queremos compartir con ustedes el camino que Biogen ha transitado en Chile en estos últimos seis a siete años, en conjunto con todos los actores del sistema de salud. Como ustedes saben, Biogen obtuvo la aprobación del registro sanitario en enero de 2018, hace ya seis años, luego de haberlo presentado ante el ISP en forma muy temprana, a meses de haber obtenido la aprobación de la FDA.

Desde ese momento y hasta ahora, Biogen ha presentado la evidencia científica y las distintas actualizaciones de dicha evidencia, incluyendo los estudios pivotaes y toda la evidencia de estudios de vida real, que confirman la eficacia y la seguridad de Nusinersen en todos los tipos de AME y para todas las edades.

A su vez, ante el ministerio en Chile, ha presentado un estudio Grade de alta calidad y ha implementado un estudio clínico en Chile con seis pacientes, ofreciendo la medicación en forma gratuita en esa metodología.

También ha presentado distintas propuestas de acuerdos comerciales innovadores: dos reducciones de precio significativas en pro del acceso y cuatro postulaciones a la ley Ricarte Soto, con el objetivo de que todos los pacientes de los distintos tipos de AME y edades que se benefician de la terapia se puedan tratar.

Finalmente, queremos concluir diciendo que Biogen ha demostrado su compromiso durante todos estos años; continúa y continuará trabajando con las autoridades y todos los actores del sistema de salud y la comunidad de AME, para encontrar una solución que permita darles cobertura a todos los pacientes que se puedan beneficiar de la terapia.

Con esto cierro y doy el pase a Juan Pedro Corona, que está presente con ustedes.

El señor **CORONA** (representante de Biogen Chile).- Señor Presidente, aprovecho nuevamente para dar las gracias por esta invitación a la comisión. Quiero entregar el documento referido que contiene toda la información que hasta el momento se ha entregado al Ministerio de Salud

en las diferentes cuatro postulaciones a la ley Ricarte Soto, así como también un juego de quince sets de referencias bibliográficas que son las fuentes que sustentaron la presentación, para consideración de ustedes.

Abrimos el espacio para preguntas respecto de cualquier situación.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- ¿Podría enviarnos esto por vía digital, por favor, para que puedan subirse a la plataforma del Congreso Nacional?

Agradezco su presentación. Nos ilustra bastante sobre el curso que ha tenido Nusinersen en Chile.

Al día de hoy, ¿cuántos pacientes en Chile están recibiendo Nusinersen? ¿Cuántos lo reciben por indicación médica, sin orden judicial, y cuántos lo reciben por fallo judicial? Lo anterior, en vista de que han postulado cuatro veces su medicamento a la ley Ricarte Soto y ninguna vez han podido ingresar. Por cierto, vamos a dedicar una sesión al estado de la ley Ricarte Soto.

Ustedes plantearon que hay seis pacientes en estudio clínico. Uno de los temas más polémicos que se ha levantado en torno a la atrofia muscular espinal es el eventual rechazo o no indicación del otro tratamiento disponible, que es Onasemnogene Abeparvovec, cuyo nombre comercial es Zolgensma, mientras que ustedes son Spinraza. Vamos a ser equitativos en hablar de los nombres comerciales o genéricos siempre. Eventualmente, habría un conflicto de intereses, producto de que algunos de los integrantes de la comisión, que ha decidido la entrega o no de Zolgensma, estarían participando de dicho estudio clínico.

Por consiguiente, como estarían participando en el estudio clínico de seis pacientes de Nusinersen o Spinraza, aquello podría haber influido a la hora de haber indicado o aprobado, porque, obviamente, en la medida en que los casos de atrofia muscular espinal tomaron connotación pública, el ministerio decidió la conformación de una comisión de enfermedades

neurodegenerativas, que tiene muchos integrantes, algunos más conocidos que otros; pero existe la preocupación de las familias, según lo que nos han transmitido, de que, como algunos de sus integrantes participan del estudio clínico de Spinraza, eso habría podido influir en que no hayan aprobado en dicha comisión la entrega del otro medicamento, del cual sabemos que su aprobación es más reciente en el registro sanitario en Chile.

Aprovechando esa misma pregunta, respecto de si ustedes conocen algún conflicto de intereses que pudo haberse suscitado allí, ¿podrían plantearnos algunos conflictos de intereses que se podrían suscitar, no de ustedes mismos como Spinraza o Biogen, pero de alguna de las personas u organizaciones con las que ustedes trabajan, que pudieran ser algunos médicos o, en particular, alguna agrupación de pacientes que haya podido recibir o haya recibido el tratamiento?

Sabemos que el proyecto de ley de fármacos 2, que lamentablemente todavía no ha podido avanzar en el Congreso Nacional ni en el país, trae mecanismos de transparencia de conflictos de intereses muy similares a lo que se llama la Sunshine Act, de Estados Unidos, que no se ha podido implementar. En esa línea, en la mañana, la Cámara de la Innovación Farmacéutica estaba haciendo el lanzamiento de una plataforma interna de sus laboratorios para transparentar estos conflictos de intereses que, antes de cualquier cosa, lo primero es conocerlos.

Tiene la palabra el señor Juan Pedro Corona.

El señor **CORONA** (representante de Biogen Chile).- Señor Presidente, en ese sentido, cedo la palabra a Ramiro López, Claudio Covini y Alejandro Bagliano, porque los temas abarcan tanto asuntos técnicos como de acceso. Me parece que ellos pueden complementar mejor la respuesta.

El señor **LÓPEZ** (director de la Unidad de Enfermedades Neurodegenerativas) [vía telemática].- Señor Presidente, primero, voy a separar la pregunta. Voy a contestar respecto del número de pacientes, y luego le voy a dar la

palabra a Alejandro Bagliano para que conteste acerca del estudio clínico.

Respecto de la cantidad de pacientes, si bien no tenemos forma de dar certeza absoluta de su cantidad, porque no tenemos un método para obtener esa información, creemos que los datos publicados en el artículo que nos enviaron se asemejan bastante a la realidad o serían los reales. De esos, los 26 del ámbito privado, entendemos que no han accedido por vía judicial. Ellos tienen ciento por ciento de cobertura en el ámbito privado para todas las edades y todos los tipos de AME.

En cuanto a si todos los otros lo obtuvieron por vía judicial, tampoco tengo el dato. Eso, quizá, lo tenga alguna autoridad del gobierno más fehacientemente que de nuestra parte.

Dicho eso, le doy la palabra a Alejandro Bagliano para que comente sobre el estudio clínico.

El señor **BAGLIANO** (director médico de Biogen) [vía telemática].- Señor Presidente, en cuanto al estudio Devote que estaba corriendo en Chile, había seis pacientes. En este momento, dicho estudio ha concluido y se está corriendo el estudio Onward, en el cual hay cinco pacientes. Dentro de eso, todos los estudios de Biogen se corren de acuerdo con normas de *good clinical practice* y según las normas de armonización, Declaración de Helsinki, y se cumple con todas las normas regulatorias y legales locales. Por lo tanto, no hay ningún tipo de influencia sobre el tratamiento. Los pacientes pueden dejar el tratamiento cuando ellos o el cuidador lo deseen; lo mismo por parte del médico, si este decide que el paciente que pueda dejar el tratamiento pueda hacerlo. Es independiente del *sponsor*, en este caso, Biogen.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Perfecto, muchas gracias.

Los datos que pusimos en el documento inicial de la comisión especial investigadora fueron los mismos que ustedes, como Biogen, me entregaron a mí en una reunión por ley de lobby que me solicitaron hace hartos meses,

que sostuvimos en Santiago, en la sede del Congreso Nacional.

Para precisar: ¿ustedes no tienen a la vista ningún eventual conflicto de intereses que se pudiera haber suscitado a propósito del estudio clínico que ustedes han promovido en Chile en relación con alguno de los integrantes de la comisión de enfermedades degenerativas, constituida por el Ministerio de Salud?

Insisto: ¿hay algún conflicto de intereses que ustedes pudieran transparentarnos? Aun cuando al día de hoy no hay una obligación legal de hacerlo, para lo cual se requiere que sea promulgada la ley de fármacos 2.

Dada su presencia en esta comisión, reitero mi pregunta en el sentido de determinar si existe algún conflicto de intereses con alguna agrupación de pacientes o algún médico en particular en Chile, que ustedes nos podrían transparentar, más allá de estar participando o no en algunos de los estudios clínicos que sí han impulsado en nuestro país.

Tiene la palabra el diputado Enrique Lee.

El señor **LEE**.- Señor Presidente, dado que estaban hablando del estudio clínico, me gustaría que nos detallaran qué tipo de diseño exactamente es el que se está utilizando en ese estudio.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Perfecto, muchas gracias.

Para responder las preguntas tiene la palabra el señor Alejandro Bagliano.

El señor **BAGLIANO** (director médico de Biogen) [vía telemática].- Señor Presidente, en este momento es un estudio tanto en Devote como en Onward quizás un poco complejo como para describirlo ahora, pero podemos enviarles la información completa del diseño del estudio para que lo tengan a disposición, y después contestarles cualquier pregunta que surja de la documentación de ese diseño.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Diputado Lee, tiene la palabra.

El señor **LEE**.- Señor Presidente, comprendo que puede ser un poco complejo-técnico ir a las particularidades de un diseño de investigación. Solo estoy pidiendo la cosa general. ¿Se trata de un estudio ciego, de doble ciego? De ese tipo.

Ojalá me pudieran responder ahora.

El señor **BAGLIANO** (director médico de Biogen) [vía telemática].- Señor Presidente, en este momento lo que se está haciendo es un estudio de extensión, donde no es ciego; tanto el investigador como los pacientes conocen qué están recibiendo.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Gracias. En relación con la otra consulta sobre eventuales conflictos de intereses que se pudieran suscitar a raíz de la comisión que ha decidido la entrega de medicamentos -la comisión de enfermedades neurodegenerativas-, a propósito de la eventual participación que han tenido en sus estudios clínicos; así como cualquier otro conflicto de intereses que conozcan, sea con profesionales o con agrupaciones de pacientes.

Como dije en su momento, dado que la ley de fármacos 2 no ha sido promulgada en Chile, no existe una regulación en esta materia que los obligue, sin embargo, sería un antecedente importante a fin de avanzar en el objetivo de esta comisión especial investigadora, que es dilucidar distintas problemáticas que han surgido, en particular, con los casos de atrofia muscular espinal.

Tiene la palabra el diputado Enrique Lee.

El señor **LEE**.- Señor Presidente, solo para complementar la primera pregunta. También escuché que estaban adscritos a convenios internacionales relacionados con los estudios clínicos.

Quiero saber si está adscrito al tenor de que los estudios clínicos a nivel internacional, cuando se está evaluando la efectividad de un fármaco, lo que se propone es que la farmacéutica no cobre los fármacos que están siendo utilizados en esos estudios.

En ese sentido, en este caso ¿hay algún cobro a los pacientes que están siendo sometidos al estudio?

Gracias.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra el diputado Félix González.

El señor **GONZÁLEZ** (don Félix).- Señor Corona, los médicos que prescriben su medicamento ¿reciben de ustedes algún beneficio, de cualquier especie?

Lo pregunto directamente, ya que esta es una comisión investigadora, considero que es el momento de hacer esas preguntas.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Y que va en línea con lo que se ha consultado.

El señor **CORONA** (representante de Biogen Chile).- Señor Presidente, no, definitivamente no. Nosotros respetamos el criterio médico de los doctores y no tenemos ningún tipo de influencia o estímulo para la prescripción.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- En cuanto a lo que yo había preguntado, ¿tampoco tiene nada que agregar?

El señor **BAGLIANO** (director médico de Biogen) [vía telemática].- En cuanto a si dentro del estudio clínico se cobraba o no, no. Todo lo que está dentro de un estudio clínico está considerado producto de la investigación y, por lo tanto, no es producto comercial.

Se entrega dentro del marco de ese estudio clínico en forma completamente gratuita.

En cuanto a lo que es conflicto de intereses, no tenemos conocimiento de ningún conflicto de intereses.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Perfecto, muchas gracias.

En todo caso, cualquier antecedente que ustedes puedan tener y que quizá en esta sesión no lo han podido plantear por distintas razones, vamos a estar atentos si lo desean remitir al correo electrónico de la comisión especial investigadora a fin de tener la mayor información para llegar a nuestras conclusiones.

Tiene la palabra la diputada Mónica Arce.

La señora **ARCE** (doña Mónica).- Presidente, por su intermedio saludo a todos quienes nos acompañan.

Me parece extraño y contradictorio que sean los representantes de los laboratorios quienes indican que no existe conflicto de intereses, no por lo que dicen ellos, sino, porque, en el caso particular de Lucas Morales, quien falleció esperando siquiera el diagnóstico, cuando sus padres -tengo su permiso para decirlo- preguntaron si se le podía entregar la receta de Zolgensma a Luquita, el médico tratante dijo que no la podía entregar porque él trabajaba con el Laboratorio Biogen, que distribuye Spinraza.

Por lo tanto, es bastante extraño que un médico sí reconozca -quizá torpemente- que tiene un conflicto de intereses. En este caso, tal vez los mismos laboratorios debiesen investigar esta situación teniendo en cuenta la gravedad, dado que, si eso fue real, se jugó con la vida de un niño que finalmente muere por la actitud de un médico que indica que tiene vínculos con este laboratorio.

Gracias, Presidente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Gracias, diputada Arce.

¿Algo que manifestar con relación a aquello?

Pueden decir que no sabían y que lo investigarán, por último.

El señor **BAGLIANO** (director médico de Biogen) [vía telemática].- Señor Presidente, desconocemos detalles del caso en particular. Repito: lo que dictan los protocolos es que en la decisión de que alguien permanezca o no en protocolo es del investigador principal, el *sponsor* no tiene nada que hacer en esos casos, y el médico investigador principal se tiene que basar en el criterio clínico y profesional.

Por otro lado, los pacientes y/o cuidadores pueden decidir siempre, y en cualquier momento, retirarse de un protocolo.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias.

Le agradecemos su presencia, señor Corona, ¿quiere agregar algo?

El señor **CORONA** (representante de Biogen Chile).- No, señor Presidente; solo quiero agradecer y decirles que estoy a su disposición, esperando que continuemos con las conversaciones.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Gracias a ustedes.

Agradecemos a los representantes de Biogen Chile por su participación e invitamos a ingresar a la directora médica de Laboratorio Roche, señora Fiorella Santos, por Risdiplam; quien participa de manera presencial junto al señor Nicolás Amenábar, a quienes escuchamos atentamente.

Tiene la palabra el señor Amenábar.

El señor **AMENÁBAR** (Laboratorio Roche).- Muchas gracias, señor Presidente.

Mi nombre es Nicolás Amenábar, director de Acceso de Laboratorio Roche-Chile, y me acompaña la señora Fiorella Santos, directora médica del laboratorio.

Para nosotros es muy importante estar acá.

Entendemos que a esta comisión la mueve resolver el problema que tienen los pacientes que padecen atrofia muscular espinal, algo que también compartimos.

En ese sentido, vamos a enfocar nuestra participación en esta comisión en aportar a la búsqueda de soluciones para ellos, más allá de hablar de nuestro producto, sino que solo aprovechar de presentarlo como una solución para los pacientes y ponerlo a su disposición.

Si le parece bien, señor Presidente, le cedo la palabra a Fiorella Santos.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Perfecto.

Tiene la palabra, señora Santos.

La señora **SANTOS**, doña Fiorella (directora médica Laboratorio Roche).- Buenos días, señor Presidente.

Como señaló Nicolás Amenábar, mi nombre es Fiorella Santos. Es un gusto estar acá.

Considerando que ya se habló bastante sobre la atrofia muscular espinal, no voy a ahondar demasiado en la materia, pero hay algunos detalles que son importantes y

que se deben tener presentes para entender el mecanismo de acción del Risdiplam.

La atrofia muscular espinal es una enfermedad genética causada por una mutación en la neurona motora de supervivencia, la 1, lo cual conduce a esta deficiencia de la proteína y hace que se generen todos los problemas musculares que afectan a los pacientes.

Para entenderlo mejor, si miramos a la derecha de la lámina, todos los individuos sanos tenemos la neurona motora de supervivencia-1, que es la encargada de producir la proteína suficiente para que el cuerpo funcione normalmente. También tenemos la SMN2, pero esta última solo tiene un 10 por ciento de funcionalidad, de modo que la SMN1 es la que se encarga de producir la mayor cantidad de proteína.

¿Qué es lo que ocurre con los individuos que tienen AME? Como en estos casos existe una mutación, la SMN1 pasa a comportarse como la SMN2; es decir, los pacientes solo cuentan con las proteínas que no son funcionales. Ese es el principal problema.

Por otro lado, el Risdiplam es la primera molécula pequeña modificadora del empalme de la neurona motora de supervivencia. Para tener más claridad al respecto, el cambio que hace que la SMN1 se convierta en la SMN2 y actúe como la que no funciona se debe a que un exón -una región del genoma-, específicamente el exón 7, no es identificable. Entonces, al no identificarse, la SMN1 se convierte en la SMN2, que, reitero, es la no funcional.

El Risdiplam actúa cambiando el balance de la exclusión del exón 7 y lo hace reconocible. Es como si este medicamento enviara una señal en el momento en que se está haciendo la lectura de esta proteína, para que así la SMN1 reconozca al exón y no sea solo como la SMN2, que no tiene funcionalidad.

Dado que esta molécula pequeña cruza las barreras del cuerpo, tiene una acción más sistémica; es decir, puede estar en todos los tejidos. Esto es relevante porque ahora cada vez vamos a ver que más pacientes con atrofia

muscular espinal alcanzan la adultez. De hecho, ya se está estudiando la función que tiene la SMN en otros tejidos, más allá del sistema nervioso central. Por lo tanto, es importante considerar que esa distribución sistémica se mantiene en niveles adecuados gracias a esta dosificación diaria.

Entre otras ventajas, el Risdiplam tiene buenos resultados en preservar la función deglutoria, lo que es fundamental para que el niño o paciente no pierda su capacidad de deglución. Además, puede ser autoadministrado en el hogar, ya que esta es la vía preferente de los pacientes. Tiene un buen perfil de seguridad -después vamos a ahondar en este punto-, y hay datos que dan cuenta de una eficacia sostenida hasta los cuatro años, en más de 8.500 pacientes tratados, entre los que hay adultos, niños y recién nacidos de 16 días en adelante.

Por último, debido a que su administración es oral, se usan menos recursos hospitalarios, tales como pabellones, sedación, imágenes, etcétera.

Si hay algo que no entiendan, me pueden preguntar.

Como mencioné, el Risdiplam es el primer tratamiento domiciliario para AME. Es una solución que se administra por jeringa para uso oral o por sonda de alimentación para los pacientes que así lo necesitan. El medicamento puede ser autoadministrado o administrado con ayuda de un cuidador, y la dosis siempre se va a calcular basándose en el peso y la edad de cada paciente.

Por ejemplo, si el paciente tiene de dos meses a dos años, serán 0,20 miligramos por kilogramo de peso, mientras que, en pacientes de dos años o más, se dividirá según su peso; vale decir, si tiene menos de 20 kilos, serán 0,25 miligramos por kilo de peso, o si tiene 20 kilos o más, serán siempre 5 miligramos, que es la dosis máxima recomendada, una vez al día, con un volumen máximo de dosis de 6,6 mililitros.

Abajo pueden ver el costo anual para un paciente de 7 kilos. Son 64.352.043 pesos chilenos, considerando nueve

viales al año. Sin embargo, como señalé, eso siempre va a depender del peso y la edad de los pacientes.

En la siguiente lámina podemos ver algunos datos del registro sanitario. Estos son datos de octubre de 2023. No tengo los datos actuales, pero en esta fecha el medicamento estaba aprobado en 104 países. En este mapa pueden ver los países en los que ha sido registrado, aprobado o reembolsado.

En el caso de Chile, el Risdiplam entró a evaluación en enero de 2020 y el proceso duró alrededor de ocho meses. Si bien vemos que ahora hay un aumento en los tiempos de evaluación, principalmente pospandemia, este país fue el segundo en aprobarlo, luego de Estados Unidos.

El medicamento fue considerado como una droga huérfana destinada para una enfermedad rara por autoridades como la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA), de los Estados Unidos, y la Agencia Europea de Medicamentos (EMA), de la Unión Europea, por todas las características de la enfermedad; es decir, por ser una enfermedad crónica debilitante y una necesidad médica no cubierta.

Lo más importante es que sabemos que la atrofia muscular espinal tiene un amplio espectro fenotípico. Por lo tanto, como hay distintos tipos, todo va a depender de la edad de inicio.

Así, tenemos el programa clínico de Risdiplam, que abarca varios grupos de edad y tipos de AME. Tenemos estudios para todos los tipos de atrofia muscular.

Los dos que ven al centro de la diapositiva fueron los primeros estudios que llevamos a cabo, que ya están finalizados, mientras que el Rainbowfish, que se desarrolla en pacientes presintomáticos -ya tenemos algunos datos, pero la investigación sigue en curso-, y el Jewelfish, que considera a pacientes que estaban siendo tratados con otras terapias y que ahora pasaron a recibir Risdiplam, son dos que aún están en fase de desarrollo. Cabe aclarar que ninguno de estos estudios se realizó en Chile.

No sé si quieren conocer los detalles, pero me voy a referir brevemente a cada uno de ellos.

El primero fue el Firefish, que no fue comparado con placebo ni con doble ciego. Este solo comparaba la cohorte con la historia natural de la enfermedad, para ver cuáles serían los resultados.

Por ejemplo, en la primera columna, sobre la historia natural, cuando pensamos en la habilidad de sentarse, en la sobrevida, en la deglución y en la hospitalización, vemos que son siempre números bajos. Así, el 5 por ciento tiene la habilidad de sentarse por cinco segundos sin apoyo, mientras que el 42 por ciento corresponde a la sobrevida, y el problema de la deglución esta en cero por ciento. En general, entre un 4,2 a un 7,6 por ciento de los pacientes tienen episodios que requieren hospitalización al año.

Acá están los resultados en pacientes con tratamiento a los 12, 24, 36 y 48 meses.

Un 64 por ciento logra la habilidad de sentarse a los 48 meses; la sobrevida llega a un 91 por ciento, y un 81 por ciento de los pacientes respira sin ventilación mecánica. Respecto de la deglución, el mejor índice da cuenta de un 96 por ciento de pacientes que mantiene el resultado. La hospitalización al mes 48 es de 0,6 en términos de episodios.

El estudio que se muestra en pantalla, Sunfish, fue comparado con placebo, al primer año. A la izquierda de la lámina vemos la historia natural, considerando el score muscular, MFM32, en cuanto a las funciones motoras. Arriba, a la derecha, el gráfico da cuenta de que a los 12 meses los pacientes ya tenían resultados significativos. Todos los pacientes, incluyendo los de placebo, pasaron a recibir la terapia y siguieron en estudio y las cifras se mantienen estables, como los resultados del score, hasta las 48 semanas.

La lámina siguiente muestra dos escalas. Una mide la fuerza de los miembros superiores, los brazos, y la otra se refiere a la independencia de los pacientes. Ahí vemos

la diferencia, hasta los 12 meses, comparada con el placebo. Después, utilizando Risdiplam, los dos grupos se mantienen estables hasta los 48 meses.

No lo había mencionado antes, pero son pacientes con atrofia muscular espinal tipo 2 o 3, entre 2 y 25 años.

El estudio Jewelfish se refiere a pacientes *switch*, pacientes que ya habían recibido otras terapias y que pasan a recibir Risdiplam. Tenemos dos terapias: Moonfish y Olesoxime, que son experimentales. También tenemos el Nusinersen y la terapia génica. Todos los grupos de tratamiento mostraron un aumento rápido y sostenido en la proteína SMN, funcional, después de los 24 meses de tratamiento con Risdiplam.

A la derecha hay un análisis exploratorio que se hizo con pacientes menores de 2 años. Los primeros pacientes fueron tratados con Spinraza, 33 por ciento. En el *baseline*, uno de tres lograba sentarse; a los 12 meses, con la terapia Evrysdi, dos de tres lograban sentarse, y a los 24 meses todos los pacientes lo lograban.

Abajo, en la lámina, están los pacientes que habían recibido Zolgensma. Dos de tres pacientes lograban sentarse al *baseline*; dos de tres al mes 12 y, al mes 24, tres de tres pacientes lograban sentarse sin apoyo por más de 5 segundos.

Acá vemos la estabilización después de 24 meses.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- En esa parte puede avanzar más rápido, por favor.

La señora **SANTOS**, doña Fiorella (directora médica Laboratorio Roche).- Perfecto.

Este es el estudio Rainbowfish en pacientes presintomáticos. Acá, lo más importante es que se sabe que los daños en las neuronas motoras se inician antes de los propios síntomas. Son pacientes que tienen el diagnóstico, pero todavía no han empezado con ningún síntoma. Entonces, para entender si hay mejoras o no, empezamos a tratar a esos pacientes antes de que aparezcan los síntomas, y se ve que sí. La diferencia de colores que muestra la lámina tiene que ver con la gravedad de

los pacientes. En azul están los pacientes más graves, que tienen solo dos copias, y los pacientes un poco menos graves están en verde, y tienen más de dos copias.

Acá están los *outcomes* secundarios de este mismo estudio, donde se muestra que todos han mejorado siendo tratados antes de los síntomas. Han mejorado en términos de deglución, alimentación, no requirieron ventilación permanente y ninguno fue hospitalizado.

En términos de seguridad, sí hay eventos adversos aún más por el tema de la población. No están relacionados con la terapia, pero es una población de niños y, en general, están más sujetos a eventos adversos, pero todos han sido leves. No requirieron suspensión del tratamiento. Los eventos adversos más frecuentes asociados al uso de los medicamentos del tratamiento son: diarrea, náuseas, rash cutáneo, úlceras bucales y cefalea.

En esta lámina apuntamos, más o menos, a las preguntas que dieron pie a la invitación a esta comisión.

En cuanto a las gestiones del Estado para entrega de los tratamientos, nos referiremos más a la compra del medicamento para garantizar el tratamiento con Risdiplam a aproximadamente 20 pacientes, que lo reciben en el sistema público.

Roche también ha presentado formalmente propuestas al Ministerio de Salud con el objetivo de aumentar el acceso de pacientes que necesitan medicamentos para la atrofia muscular espinal y, en este sentido, hemos tenido tres instancias de presentación, con propuestas de acuerdo de riesgo compartido. Fueron llevadas a cabo en marzo de 2021, octubre de 2022 y septiembre de 2023. Se plantearon distintos esquemas de financiamiento, ya sea fijando un límite de gasto por pacientes o vinculando el precio o reembolso del medicamento con los resultados clínicos del tratamiento.

No hubo ninguna donación de productos, pero puse el Programa de Uso Compasivo para explicarlo, porque tenemos seis pacientes que están en ese programa. Eso es antes de la aprobación, y estos son más o menos los criterios que

se necesitan para los programas de Uso Compasivo en Roche, independientemente del producto, siempre y cuando sea una enfermedad grave, potencialmente fatal y que los pacientes hayan agotado las terapias existentes o no cuenten con terapias disponibles. Son programas en los cuales no se reclutan pacientes. Son pacientes que reciben la terapia de acuerdo a la solicitud del médico tratante, y nosotros, si tenemos el programa abierto, enviamos a la Plataforma de Registro Global la historia del paciente con los respectivos exámenes. Ellos hacen la verificación de criterios de inclusión: diagnóstico, edad y las terapias que ha utilizado. Se califican basándose en la eficiencia clínica de los pacientes. Tenemos seis pacientes. Todos los que enviamos a la Plataforma de Registro Global fueron aceptados.

Para entender un poco, todo se hace a nivel global. A nivel de afiliados solo comunicamos a los órganos reguladores que tendremos importaciones, recibimos las solicitudes de los médicos tratantes y las enviamos a al Registro Global para que hagan la validación de los criterios y ahí se incluyen los pacientes.

Acá los dos programas de Pairs (Patient Access Integrated Registry and Supply). El primero se abrió para pacientes tipo 1 y luego, al mes siguiente, también para el tipo 2. En este tipo de programas se incluyen pacientes hasta que sean aprobados. Una vez que el paciente se incluye en el Registro Global, se cierra automáticamente el programa. En este período hubo seis pacientes incluidos.

Respecto de los protocolos para la entrega del medicamento, cabe mencionar que es una terapia oral, administrada en el domicilio del paciente. Roche sí tiene un programa de apoyo a pacientes (PSP) disponible para todos los que reciben un Risdiplam. Dicho programa implica la preparación del producto, la educación al paciente, la entrega del producto desde la institución hasta el domicilio del paciente y la capacitación.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias.

Ofrezco la palabra.

Tiene la palabra el diputado Enrique Lee.

El señor **LEE**.- Señor Presidente, tengo una duda general.

Esta comisión está encargada de ciertos propósitos, y entiendo que el principal es salvaguardar la entrega de medicamentos que han demostrado efectividad clínica a pacientes en Chile que lo requieren, independientemente de su costo. Si el ministerio ya aprobó esa entrega, se debe entregar, y por eso estamos tratando de buscar si hay algún rompimiento de esas normas -por lo menos es lo que tengo en mi mente-, si el Estado ha cumplido con lo que se ha comprometido, lo que está normado, más allá de que haya situaciones bien puntuales, algunas de tipo ético, otras transgresoras, que nos han llamado la atención.

La diputada ha expresado algunas, que es quien conoce más en detalle los casos.

Pero hasta esta parte, a veces me siento como que estoy en un congreso de enfermedades de resorte genético, que, por cierto, me interesa muchísimo, y ya que nos están presentando eso, no puedo dejar de hablar de eso que nos están presentando, aunque, desde mi punto de vista, se desvía un poco del propósito de la comisión. Acá nos están mostrando estudios en que se compara efectividad con corte.

En la comisión no todos son del área médica ni de investigación biomédica, pero para alguien que tenga un acercamiento mediano a lo que es un estudio clínico, es mezclar peras con manzanas. No podríamos concluir ningún resultado de un *outcomes* con un nivel de eficacia o efectividad clínica, mediante un estudio retrospectivo o mezclando lo que pasó antes con pacientes con historia natural de la enfermedad, con estos que ahora les voy a entregar un medicamento y midiendo toda su evolución neurológica versus otros que, a lo mejor, le voy a estar leyendo lo que decía en la ficha clínica. Quizás, ni siquiera medido en forma adecuada, o distinta.

Dicho eso, me parece bien cuestionable cómo se llega a que estos fármacos realmente son efectivos o, por lo menos, con una magnitud de efecto que podamos darle credibilidad, desde el punto de vista de la medicina basada en evidencia.

Entiendo que el Ministerio de Salud, a través de su última reforma, la de 2002-2003, parte con un criterio de que todo lo que está aprobado en el mundo, que demuestra efectividad en los términos de la medicina basada en evidencia, debe ser entregado a nuestros pacientes. Eso es como concordante con varios Estados en el mundo.

Como país, no tenemos capacidad para hacer estudios clínicos. Normalmente lo que hace el ISP, más que hacer un estudio clínico, es revisar los estudios que vienen de afuera, tal como la FDA, etcétera, y si se demuestra alguna confianza o credibilidad -en este caso, lo dudo- quedan incorporados a esta especie de canasta.

Me gustaría que nos enfocáramos, ya que estamos con la farmacéutica, en quién aprueba finalmente, en el Ministerio de Salud, estos fármacos incorporados, porque entiendo que debe haber algún experto en medicina basada en evidencia o en diseños clínicos para decir este sí, este no; este primero, este segundo; este para los tipo uno, este para los tipo dos; estos para los menores de dos años, estos para los adultos; porque si no vamos a estar discutiendo de forma muy desordenada.

Me abocaría más bien, dado que está la farmacéutica acá, a que nos dijeran, derechamente, si entre los medicamentos que están hoy disponibles en Chile -sin ser políticamente correcto, sino desde la base de las ciencias, la verdad es una sola; aquí no hay dos verdades cuando hablamos del punto de vista científico-, ¿cuál es más efectivo para tal o cual caso? Eso es lo que nos interesa como país: que a los pacientes determinados y caracterizados de una forma les corresponde una y no dos ni mucho menos tres alternativas, sino una que va a ser la que tiene mayor magnitud de efecto para ese paciente en particular.

Llevaría la discusión a ese sentido, porque si no vamos a estar viendo gráficos, difíciles de ver desde esta distancia, de unos estudios que a mí ya me chocan, porque no acepto un estudio de corte para medir magnitud de efecto y menos con tres pacientes. El N, ahí, no sé dónde está metido, pero casi como al azar el asunto. Pero para que usted mismo, en su calidad de Presidente, vaya enfocando hacia lo que realmente puede estar transgrediendo la norma que estamos tratando de investigar.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias, diputado Lee, porque ha dado, en parte, en el meollo del asunto.

Evidentemente, esta comisión especial investigadora tiene hartos temas muy relevantes dentro de un ámbito y que están como en una juguera, donde se entremezclan y se entrelazan. La gracia es dar a la comisión un relato, que puede ser cuestionable o puede haber distintas formas de abordarlo. Claro, pudimos haber partido por uno o por otro, pero más temprano que tarde tendremos la unidad que creo que a usted le va a interesar escuchar, que es Etesa, el Departamento de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Salud.

La gran pregunta es cómo se avanza en medicamentos que puedan tener algún grado de beneficio, de acuerdo con la investigación y a la evidencia científica. Sabemos que tienen un costo muy grande y que tensiona los sistemas de salud, dado que también estos casos toman connotación social.

Creo que ese es uno de los aspectos que está implícito en la comisión investigadora. Pero la gracia que tiene la ley Ricarte Soto es una muy importante, cual es que en el mecanismo de incorporación de una nueva tecnología, tiene que realizarse un estudio de evaluación científica. De hecho, se ingresan las solicitudes de incorporación a la ley Ricarte Soto y el primer filtro es si superan o no el umbral que determina el artículo 6° de la ley Ricarte Soto.

Aquellos que superan el umbral tienen que someterse a una evaluación científica, que la realiza el mismo Ministerio de Salud, a través de Etesa o que la licita a una universidad eventualmente, si es que efectivamente ocurre lo que usted ha planteado. Después pasa a una comisión de priorización, y, eventualmente, si hay recursos -ahí viene el juego entre el Ministerio de Hacienda y de Salud- ingresa a la ley Ricarte Soto.

En la atrofia muscular espinal y en otras materias, dado que la ley Ricarte Soto se ha estancado, se han ido estableciendo lo que llamaría comisiones ad-hoc -que, de hecho, está en el motivo de la comisión especial investigadora-, que son comisiones externas a la ley Ricarte Soto, que es la forma en la cual el Estado de Chile ha buscado generar una política pública en torno a esto, con evaluación seria y en torno a lo que usted ha planteado, es decir, de evaluación tecnología sanitaria, y manejando conflictos de interés, porque todo lo que es ley Ricarte Soto, en las distintas etapas de evaluación científica, de comisión de priorización, tiene que tener una evaluación adecuada en torno a conflictos de intereses, pero las comisiones ad-hoc paralelas que se han ido estableciendo, no tienen ni un mandato legal, no tienen manejo de conflictos de intereses y, por cierto, se transforman en una especie de caja negra que no son fiscalizables mediante los mandatos constitucionales y legales que debería tener el Ministerio de Salud.

Creo que usted ha planteado una cuestión central. Se lo reconozco, diputado, y espero que podamos, en la medida en que avanza la comisión especial investigadora, que eso se vaya dilucidando y tomando más sentido.

En esta sesión no va a tener tanto sentido, pero es importante dentro del relato que hemos buscado generar haber tenido una instancia para escuchar a los laboratorios. Usted ha relevado algo fundamental de esto, que es cómo los sistemas de salud, en el mundo, están siendo tensionados por tratamientos de altísimo costo con evidencia que puede no ser la más robusta.

Ahora, yo tenía unas preguntas.

Si me permite hacer mis preguntas y así usted responde todo en conjunto.

La señora **SANTOS**, doña Fiorella (directora médica de Laboratorio Roche).- Muy bien.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra el diputado Félix González.

El señor **GONZÁLEZ** (don Félix).- Señor Presidente, quiero preguntar si los médicos que prescriben sus medicamentos reciben algún tipo de beneficio.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra la diputada Marta González.

La señora **GONZÁLEZ** (doña Marta).- Señor Presidente, desde el ciudadano común y corriente, ver estos valores altísimos, causa dudas o preguntas de por qué hay medicamentos que llegan a tener este costo tan alto, porque, por otro lado, el avance de la ciencia y todo lo que la ciencia nos ha permitido trabajar en salud y poder salvar vidas y curar enfermedades es, obviamente, algo que a toda la humanidad le ha servido. Pero cuando vemos a las familias con una tragedia, como son estas enfermedades, es distinto decir que no hay ninguna cura, ningún tratamiento ni nada que se pueda hacer a señalar que sí hay algo que se puede hacer, pero igualmente es inalcanzable. Entonces, tener a las familias en esa disyuntiva y en el estrés máximo por tener en riesgo la vida de un hijo y saber que algo se puede hacer, pero que igualmente es bastante inalcanzable, también es una paradoja, como sociedad y como humanidad.

En ese sentido, quiero saber si se han hecho esfuerzos internacionales para generar algún fondo humanitario, porque, en el entendido de que las estadísticas de las personas que usan esos remedios son bajas, sería atendible que eso finalmente pudiese llegar a las familias y ser costado de una u otra manera.

Muchas gracias, Presidente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- El diputado Félix González me quitó la pregunta, pero se agradece que lo haya hecho.

En todo caso, me gustaría saber si ustedes tienen algún conflicto de intereses con alguno de los integrantes de la Comisión de Enfermedades Neurodegenerativas y si han postulado el medicamento a la ley Ricarte Soto o si ha sido incorporado por alguna familia o por un paciente o agrupación de pacientes, que es otro mecanismo.

Además, ustedes plantearon que en 2020, 2021 y 2022 habían participado en mesas de trabajo con el Ministerio de Salud, en las cuales se ha tratado de avanzar en acuerdos de riesgo compartido. Al respecto, ¿se han concretado dichos acuerdos? ¿Cuál es su evaluación de aquellos?

Tiene la palabra, señora Santos.

La señora **SANTOS**, doña Fiorella (directora médica de Laboratorio Roche).- Señor Presidente, el punto que usted mencionó es muy importante para entender también lo que manifestó la señora diputada, cual es el tema de la complejidad de estudios con enfermedades raras y graves y potencialmente con riesgo fatal.

El primer estudio no se hace contra un placebo o doble ciego, justamente por cuestiones éticas. Entonces, dados esos 42 pacientes, se compara la historia natural y los resultados. Entiendo su punto de que no son datos válidos. Es todo lo contrario, porque aun así los datos son objetivos y claros en el sentido de la diferencia y de lo que se ve en la historia natural de los niños sin terapia, cuando miramos el gráfico y la mejora en términos de los *scores* y de los *outcomes* primarios que se buscaron. Pero es por cuestiones éticas que uno no puede hacer ese tipo de estudios con placebo. También ahí viene todo el tema de la complejidad para producir, investigar y desarrollar un tratamiento o un producto para una enfermedad rara.

Sobre la segunda pregunta, no hay conflicto de intereses ni ningún beneficio para los médicos tratantes. Del programa que mencioné, los médicos que solicitaron igual

se enviaron a Global, se aceptó y toda la evaluación se hizo allá.

Señor Presidente, el señor Nicolás Amenábar puede continuar con la palabra.

El señor **AMENÁBAR** (Laboratorio Roche).- Señor Presidente, si se nos escapa alguna pregunta, le pido, por favor, que nos la recuerde.

Respecto de los acuerdos de riesgo compartido, tuvimos una última reunión con el Ministerio de Salud el 12 de septiembre del año pasado, oportunidad en que presentamos un mecanismo de riesgo compartido para tratar pacientes con atrofia muscular espinal con Risdiplam, en Chile. Es un acuerdo de riesgo compartido basado en resultados clínicos, en el cual se evalúa a los pacientes antes de empezar el tratamiento y luego se vuelven a evaluar un año después. Solo se paga el tratamiento en su totalidad cuando los resultados clínicos son alcanzados de acuerdo con el criterio médico. En caso de que no fuese así, se devuelve un porcentaje alto del costo del tratamiento.

Desde el 12 de septiembre de 2023, cuando hicimos esa presentación, no hemos tenido más conversaciones al respecto, sin perjuicio de lo cual asumimos y esperamos que la propuesta esté siendo analizada por el Ministerio de Salud para su implementación, en caso de que lo estime necesario para los pacientes en Chile.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- ¿Ustedes han postulado a la ley Ricarte Soto?

El señor **AMENÁBAR** (Laboratorio Roche).- Sí, este tratamiento fue postulado a la ley Ricarte Soto y está en el listado de evaluación.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- ¿Evaluación científica?

El señor **AMENÁBAR** (Laboratorio Roche).- Probablemente no. No sé si está siendo evaluado en esa segunda etapa, pero está hecha la solicitud. Creo que es lo mismo que se aplica para todos los tratamientos para AME que están en conversación, porque, dado el costo que tienen y el

impacto presupuestario que generan, no están siendo evaluados.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias.

Quizá, la pregunta de la diputada González escapa un poco a lo que ustedes pueden responder, pero para no dejarla sin respuesta diré lo siguiente.

En algunas enfermedades, como, por ejemplo, la hepatitis C, se ha planteado el tema de compras mediante la OPS y también otros fármacos, como para el VIH. En particular, a propósito de lo que usted ha planteado, podemos invitar a algunas personas que han participado en esas compras conjuntas a la OPS, que es una forma interesante de ocupar, sobre todo en tratamientos que son tres o cuatro casos al año. Claramente, el poder negociador de los Estados individualmente, sobre todo en países pequeños como los latinoamericanos en general, es bastante poco, sobre todo en acuerdos de riesgo compartido, que también pueden verse complejizados por la cantidad baja de pacientes.

Entonces, podemos invitar a algunas personas que han participado de las compras conjuntas a la OPS, que, según entiendo, han sido ocupadas para medicamentos de hepatitis C y de VIH. Eso, por lo menos, para tratar de responder la pregunta de la señora diputada y no dejarla sin respuesta.

Agradecemos la presentación de nuestros invitados el día de hoy. Ante cualquier duda que haya quedado pendiente, está disponible el correo electrónico cei40@congreso.cl, de la comisión especial investigadora. Obviamente, estaremos complacidos de recibir antecedentes que puedan surgir y que no hayan podido ser vertidos en esta sesión.

Tiene la palabra el diputado Enrique Lee.

El señor **LEE**.- Señor Presidente, para clarificar, escuché que el ISP les había aprobado sin ningún estudio en Chile, pero luego se indicó que habían entregado fármacos para casos compasivos. ¿Esos casos compasivos eran en Chile o fuera de Chile?

La señora **SANTOS**, doña Fiorella (directora médica de Laboratorio Roche).- Los casos compasivos son en Chile. Son seis pacientes de Chile que recibieron en 2020, cuando empezó, y hasta hoy siguen recibiendo el producto, porque continúan en tratamiento.

El señor **LEE**.- Muchas gracias.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra la diputada Carla Morales.

La señora **MORALES** (doña Carla).- Señor Presidente, no tiene que ver con la presentación, sino solo saber si se puede cambiar el orden de las intervenciones. Tengo que plantear una cuestión relacionada con puntos varios. Necesito irme luego a otra comisión. Entonces, no sé si es posible intervenir antes de la otra expositora y luego retirarme de la sala. ¿No sé si usted lo autoriza?

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra, señora diputada.

La señora **MORALES** (doña Carla).- Señor Presidente, quiero leer una carta de los integrantes de la Corporación de padres de niños con distrofia muscular.

Dice: "Somos una corporación de padres de niños que tienen distrofia muscular, una enfermedad degenerativa y terminal que afecta solo a niños. La enfermedad afecta todos los músculos del cuerpo, incluyendo el corazón, pulmones y el cerebro. Es una enfermedad progresiva; van perdiendo de a poco sus funciones motoras y luego sus funciones vitales.

Aún en Chile no existe una cura, pero en Estados Unidos ya se aprobó una terapia que nos da la esperanza de que nuestros hijos se puedan salvar. Lo que nos preocupa es que su costo es muy alto. Está avaluado en 3.500 millones de pesos, suma impensada, pero, además, tiene una edad determinada en la que se puede administrar.

Es una enfermedad de alto costo que solo los cuidados paliativos que tenemos en Chile tienen sumas muy altas también, y en este momento los costeamos con colectas y rifas de las diferentes familias."

Firma la carta el señor Marcos Reyes Álamos, presidente de la Corporación.

Me gustaría saber si él puede ser invitado a esta comisión.

Gracias.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Por supuesto que lo vamos a tener en consideración.

El diputado Félix González envió una propuesta para invitar a la Fundación NMO Chile, y sumaremos a las familias con distrofia muscular de Duchenne, para saber sobre el tratamiento y, eventualmente, en qué está el proceso. De lo que recuerdo, hace poco se aprobó el medicamento en la FDA; entonces, no sé si el laboratorio ya habrá pedido el registro sanitario en Chile y en qué irá eso. Eventualmente, también podemos averiguarlo.

Agradecemos la presencia de los representantes de Biogen.

Finalmente, tiene la palabra la señora Mariela Formas, vicepresidenta ejecutiva de la Cámara de Innovación Farmacéutica.

La señora **FORMAS**, doña Mariela (vicepresidenta ejecutiva de la Cámara de Innovación Farmacéutica) [vía telemática].- Señor Presidente, muchas gracias por la invitación.

Mientras se carga la presentación, quiero contarles que esta mañana dimos paso al lanzamiento oficial de la plataforma de transparencia de las transferencias de valor, de la Cámara de la Innovación Farmacéutica, en la que participaron senadores y el Colegio Médico. Este fue un esfuerzo de lanzamiento conjunto con el Colegio Médico de Chile, puesto que efectivamente creemos que las interacciones entre la industria farmacéutica, los profesionales de la salud, las instituciones médicas y las asociaciones de pacientes deben ser colaborativas y virtuosas, dado que estas interacciones son muy relevantes para el avance de la biomedicina, para la investigación científica, para nuevas indicaciones de tratamiento existentes, para mejorar y recoger el *feedback* en

farmacovigilancia, en efectos adversos. Reitero, es fundamental que estas interacciones ocurran entre la industria farmacéutica, los profesionales de la salud y las acciones de pacientes.

Sin embargo, para que estas interacciones sean beneficiosas para la sociedad, es necesario que sean transparentes y de acuerdo con un marco de integridad y buenas prácticas, conocido por toda la ciudadanía. Ese es el objetivo que tiene esta plataforma de transparencia: transparentar todos los pagos, beneficios, contratos, honorarios, estudios que hace la industria farmacéutica con profesionales de la salud, instituciones médicas y asociaciones de pacientes; transparentar esas interacciones que conlleven estos pagos, y hacerlo en forma nominal, es decir, con nombre, RUT, el monto, la interacción, el tipo de interacción y el objeto de esa interacción.

De este modo, creemos que efectivamente se puede generar una mayor confianza a la hora de los protocolos, a la hora de conocer cómo la industria interactúa con los profesionales de la salud.

Me parece que tengo un problema con la presentación.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Sí, efectivamente no la estamos viendo. Si pudiera volver a cargarla, por favor.

La señora **FORMAS**, doña Mariela (vicepresidenta ejecutiva de la Cámara de Innovación Farmacéutica) [vía telemática].- Perfecto.

Como el lanzamiento terminó hace algunos minutos, estamos acomodados en el museo donde fue el lanzamiento, por lo que, por supuesto, no tenemos la mejor tecnología para presentar.

Quiero partir esta presentación haciendo el *disclosure* a quienes representamos. Representamos a 24 laboratorios de innovación farmacéutica. Ni Biogen ni Roche son parte de nuestra cámara en este momento; fueron parte en el pasado, pero hoy día no.

Obviamente, esta plataforma de transparencia es una obligación estatutaria para ser miembro de la CIF y para los laboratorios que son parte. No es una moción legal, no es una iniciativa legal, como es el Sunshine Act, en Estados Unidos. Por lo tanto, no podemos obligar al resto de los laboratorios a formar parte de estos *disclosure* de plataforma de transparencia.

Representamos en torno al 90 por ciento de la oferta disponible de medicamentos referentes y originales, y en torno al 50 por ciento de los fármacos disponibles en Chile, bioequivalentes y biosimilares.

Quiero presentarles muy brevemente la exitosa experiencia internacional respecto del financiamiento de enfermedades de muy alto costo, como es el caso de AME; qué modelos y herramientas se han utilizado para, justamente, poder financiar a las personas que lo necesiten y que estas innovaciones lleguen a esas personas, que estos modelos de financiamiento, estas herramientas que puede utilizar el Estado para generar cobertura en estas enfermedades de muy alto costo. ¿En qué estado está la ley Ricarte Soto respecto de su financiamiento?

Ya les conté, y así lo creemos, que la plataforma de transparencia de la CIF es una herramienta que no solo previene, sino que también disminuye la asimetría de información entre la ciudadanía, los médicos y la industria farmacéutica.

Muy brevemente, la experiencia internacional exitosa para estos medicamentos de muy alto costo, donde está la enfermedad de Duchenne, donde está la atrofia muscular espinal, tiene básicamente tres modelos, que se han utilizado en el mundo con éxito: la Unión Europea utiliza las opciones de reembolso flexible, que incluyen reembolso retroactivo con pagos basados en resultados, es decir, cuando la terapia tiene un resultado eficiente médicamente en los pacientes, entonces, la Unión Europea, dependiendo de cada país, reembolsa y paga el tratamiento basado en los resultados. Este es un modelo de acuerdo de riesgo

compartido flexible, que es muy utilizado, especialmente en Inglaterra, Italia y Suiza.

España tiene un financiamiento público por ley, pero tiene un modelo mixto de pago, también basado en resultados y además por volumen. Este es un modelo mixto de acuerdo de riesgo compartido, basado en resultados y en lo financiero. Es ambas cosas, sobre cierto volumen y de acuerdo con ciertos resultados clínicos; entonces, hay una formulación, un algoritmo para generar un precio que permite el acceso a los pacientes que lo necesitan.

Más conocido y cercano a Chile, es el modelo que implementó Argentina para el medicamento de Novartis, donde se hace un acuerdo de riesgo compartido, que el Estado paga el 20 por ciento del costo inicial del tratamiento y luego los pagos del siguiente 80 por ciento dependen de los resultados clínicos que tenga cada uno de los pacientes que ha recibido la terapia.

Muy brevemente, quiero señalar que los modelos de acuerdo de riesgo compartido son mecanismos de pago; es un contrato que hace el Estado con el proveedor de la terapia o de la tecnología sanitaria, donde se reembolsa esta tecnología para generar este acceso, dependiendo de las condiciones preestablecidas en el contrato. Existen dos categorías de acuerdo y una tercera, que es la mixta, que es la que utiliza España, donde hay acuerdos de tipo financiero y acuerdos basados en resultados clínicos. Los de tipo financiero, en general, son basados en la historia de las pesquisas y los volúmenes que lleguen a generarse para poder disminuir la incertidumbre financiera del gasto fiscal. Los acuerdos basados en resultados clínicos, si bien no tienen el efecto de disminuir la incertidumbre financiera ex ante sobre el gasto fiscal, sí es un pago sobre los resultados clínicos específicos que obtengan los pacientes; por lo tanto, el Estado paga si efectivamente la terapia resulta. Como decía, limita la incertidumbre financiera, bajan los costos para quienes necesitan estas terapias con un financiamiento público, y los acuerdos de riesgo compartido son una herramienta

tremendamente usada en el mundo OSD, prácticamente dos tercios de los países usan esta forma para financiar los tratamientos de alto costo y los de muy alto costo.

Para ver el impacto que han tenido los acuerdos de riesgo compartido en el gasto público basta ver esta lámina en la que aparece que Francia generó un ahorro, solo para 2020, de 3.246.000.000 de euros; Italia, el ahorro que generó en 2021, donde se utilizaron menos modelos de acuerdo de riesgo compartido, dada las circunstancias particulares de la pandemia, fue de 344.000.000 de euros; Alemania, 4.000.000.000 de euros; Suecia...

Dejaremos la presentación y tenemos un estudio hecho por la Universidad Católica, que da cuenta de los ahorros de muchísimos más países y de cómo los acuerdos de riesgo compartido pueden implementarse en Chile de acuerdo con el contexto local y las particularidades locales.

Un ejemplo más cercano para nosotros en Sudamérica es Uruguay. Se trata de un acuerdo de riesgo compartido que ofreció Roche al Fondo Nacional de Salud Uruguayo. Y como se aprecia en la lámina, este es un modelo financiero en el que se constata el incremento de los pacientes y el ahorro que se generó en el Estado, dado este acuerdo de tipo suscripción, es decir, donde se paga por el historial de pesquisa. Este es un caso específico de cáncer de mama.

Penúltimo tema, estado del fondo de financiamiento de la ley Ricarte Soto.

Como todos ustedes saben, está acotado al 2027, donde efectivamente no se pueden seguir incorporando terapias nuevas, con nuevas tecnologías, para patologías nuevas.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Disculpe la interrupción.

¿Habría acuerdo para prorrogar la sesión por diez minutos, con el fin de terminar la presentación y formular preguntas?

Acordado.

Continúe con el uso de la palabra.

La señora **FORMAS**, doña Mariela (vicepresidenta ejecutiva de la Cámara de Innovación Farmacéutica) {vía telemática}.- Señor Presidente, estoy en la penúltima lámina.

Como contexto del fondo acotado de la ley Ricarte Soto, que está construido de esa manera y hay que reformular la construcción de financiamiento para poder cambiar esa estructura, sabemos que en Chile tenemos bajísimas tasas de financiamiento público, bajísimas tasas de cobertura, los medicamentos y tratamientos. A excepción de quienes están en las GES y en la ley Ricarte Soto, no están incluidos en los seguros ni públicos ni privados de salud.

Aquí observan un comparativo a nivel regional, porque por supuesto es irrisorio compararnos con los países de la OCDE, como lo hacemos en otras políticas públicas. Aquí nos comparamos solamente a nivel regional y vemos la baja cobertura que tenemos respecto de nuestra propia región, en circunstancias de que somos el país más rico de la región.

Después, tenemos los tiempos prolongados de disponibilidad de cobertura en nuevos medicamentos. Este es un estudio de IQVIA, una de las empresas de inteligencia de mercados globales que hace estudios para toda la industria y para los Estados, especialmente de Europa. Este *wait indicator* es el indicador que marca las coberturas y compara con un benchmark regional. Este estudio también se hace en Europa.

Se puede observar, con sorpresa y orgullosos de nuestro país, que nuestro Instituto de Salud Pública es tremendamente rápido, es el más rápido de la región, no está al nivel de los países europeos, pero está muy cercano, y la aprobación de registros es tremendamente ágil respecto del resto de los países de Latinoamérica.

Sin embargo, al momento de entregar cobertura, donde se incluyen los tratamientos para los problemas de salud en los seguros públicos y privados, somos el último país de la región.

Como dije, con gran sorpresa vemos este indicador, dado que por lejos somos el país de ingreso per cápita más alto de toda Latinoamérica.

Ahora bien, debo declarar que hemos estamos trabajando con el Ministerio de Salud muy firmemente para generar estas condiciones habilitantes. Hemos tenido una estupenda recepción de los departamentos de Etesa de Salud Pública, de los distintos estamentos, como Cenabast, etcétera, para implementar estos acuerdos de riesgo compartido, que son beneficiosos no solo para la industria, sino principalmente para el presupuesto fiscal, para las personas y para la salud pública.

Es esencial generar una institucionalidad a cargo de la implementación y monitoreo de los acuerdos para que exista una institucionalidad, que no solo se haga cargo del diseño, sino también del control y seguimiento de estos acuerdos. Estos acuerdos requieren que exista data, registro, especialmente en los que son basados en resultados, para que efectivamente el Estado pague lo que corresponde y lo que ha sido eficaz y ha cumplido la promesa que ha hecho el laboratorio en el contrato.

Luego, necesitamos protocolos transparentes y claros en el proceso para avanzar en los registros, específicamente en las enfermedades raras, poco frecuentes y de difícil diagnóstico, como es el caso de AME, Duchenne y otras, porque también se requieren criterios de evaluación de tecnología sanitaria con foco diferenciado. No podemos hacer que una patología AME compita con un cáncer de mamas, que obviamente tiene una población infinitamente mayor y una necesidad de salud pública en términos integrales que no puede competir con este tipo de terapias. Por lo tanto, lo que se hace en Europa es generar protocolos diferenciados para la evaluación de tecnologías sanitarias para este tipo de patología.

Además, se requiere una instancia de negociación institucional definida en estos protocolos, para que justamente no se produzcan estos problemas que hoy tienen de cabeza a esta comisión investigadora, donde los

protocolos de asignación, los protocolos de evaluación de tecnología sanitaria y de asignación a los pacientes y coberturas son totalmente transparentes y conocidos por toda la ciudadanía.

Termino con esto y agradezco la oportunidad de presentar estas soluciones que hemos trabajado desde la industria, siempre con el foco en que los gremios tenemos la misión y el deber de articular al sector privado, que representamos, en pro del bien común y, en específico, en esta industria, que es un mercado ético, un mercado de provee bienes públicos, tenemos la obligación de elevar los estándares de transparencia, buenas prácticas y aportar a las políticas públicas y que nuestras innovaciones efectivamente lleguen a las personas que las necesiten.

En ese sentido, queremos ser un aporte, participar de las políticas públicas, de su construcción, donde nuestra experiencia técnica pueda hacer que se cumpla este anhelo de tener una salud pública más equitativa, más justa y también más transparente.

Muchas gracias.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias.

Tiene la palabra el diputado Enrique Lee.

El señor **LEE**.- Señor Presidente, me gustaría saber cómo se comportaría este modelo de riesgo compartido en monoterapias, como con Zolgensma, que es una sola dosis.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra el señor Juan Pedro Corona.

El señor **CORONA** (representante de Biogen Chile).- Señor Presidente, ¿vamos a tener acceso al material que envió el laboratorio que no llegó?

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Sí, lo vamos a publicar en la página web de la comisión especial investigadora.

De todas formas, estuve mirando la carta que enviaron y es bastante completa.

Vamos a reagendar en una fecha en que tengan disponibilidad, para que no haya diferencia entre los distintos laboratorios que hemos invitado.

Por mi parte, complementando la pregunta del diputado Lee, respecto de cómo puede ser el marco de un acuerdo de riesgo compartido para estas enfermedades, en particular, me gustaría saber si han visto algún avance en acuerdos de riesgo compartido en las conversaciones que han sostenido con el gobierno, también en función de lo que planteó el Laboratorio Roche, en el sentido de que hicieron una presentación el 12 de septiembre de 2023 y, posteriormente, no tuvieron ninguna novedad.

Dado que Mariela Formas es parte de la Cámara de Innovación Farmacéutica, tiene un espectro de laboratorios más grande, por lo que, como dije, me gustaría saber si ha habido avances en acuerdos de riesgo compartido.

Por otra parte, más que una pregunta, una reflexión. Obviamente, creo que hay que valorar esta iniciativa de plataforma de transparencia de la Cámara de Innovación Farmacéutica. Para aquellos que no sepan, Estados Unidos hace años tiene la Sunshine Act, plataforma que permite que los distintos laboratorios puedan transparentar los conflictos de intereses que tienen con médicos, agrupaciones, etcétera, y más allá de prohibirlo o permitirlo, el objetivo es transparentarlo.

Había un capítulo de la ley de fármacos 2, que traía algo prácticamente igual a Sunshine Act, y lo que ha desarrollado como una autorregulación la Cámara de Innovación Farmacéutica, pero lamentablemente la ley de fármacos 2 no tiene para cuándo, por distintas razones. Por eso, valoro esta iniciativa.

En segundo lugar, hago un llamado al Ejecutivo, que nos está observando -lo haremos cuando asista la ministra de Salud- a destrabar la ley de fármacos 2 o, si es que no tiene un futuro adecuado, eventualmente comenzar una iniciativa en aquellos aspectos donde hay bastante acuerdo transversal entre los distintos sectores políticos.

Es necesario avanzar, entre otras, en la transparencia de los conflictos de interés.

Tiene la palabra la señora Mariela Formas.

La señora **FORMAS**, doña Mariela (vicepresidenta ejecutiva de la Cámara de Innovación Farmacéutica) {vía telemática}.- Señor Presidente, respecto de cómo funciona un acuerdo de riesgo compartido en una monoterapia, como en el caso de Novartis, no podemos hablar de los aspectos particulares, porque se trata de negociaciones que deben hacerse entre privados, y como ustedes saben los gremios representamos a nuestro sector, pero no podemos hablar de temas comerciales, ni dentro ni fuera de nuestro gremio, ni permitir que se haga entre nuestros asociados. Eso es por ley de competencia, por lo que no podemos conocer materias particulares respecto de las negociaciones.

Ahora, como política pública, sabemos que este tipo de acuerdo de riesgo compartido en monoterapias se realizan, básicamente, sobre la base de resultados, y eso es lo que han hecho España -este país lo hizo en forma mixta-, Argentina e Inglaterra.

Respecto de los avances de las propuestas que haya hecho Roche con el ministerio, repito, son negociaciones comerciales donde, por ley, los gremios no pueden siquiera conocer estas materias.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Pero la pregunta era más en términos generales, es decir, si ustedes han visto algún avance en acuerdos de riesgo compartido, sea con un laboratorio en particular o no.

La señora **FORMAS**, doña Mariela (vicepresidenta ejecutiva de la Cámara de la Innovación Farmacéutica) {vía telemática}.- Señor Presidente, en términos del marco institucional, sí hemos visto avances sustantivos en el presupuesto que rige para el 2024, en que el Congreso Nacional aprobó incorporar a dos personas específicas que van a estar a cargo, dentro del Ministerio de Salud, para llevar a cabo el diseño, el control y seguimiento institucional de los acuerdos de riesgo compartido, y eso nos tiene tremendamente contentos.

También hemos tenido múltiples instancias con personas externas, con los asesores externos, de los cuales muchos vienen desde otros países como Inglaterra e Italia, que son los expertos mundiales en este ámbito.

Efectivamente, a través de la asesoría del Banco Mundial, el ministerio ha solicitado capacitaciones y acompañamiento para implementar, institucionalmente, el marco de acuerdos de riesgo compartido. Hemos tenido múltiples reuniones. Además, se hizo una capacitación con los investigadores de la Universidad Católica que llevaron a cabo el estudio de implementación de acuerdos de riegos compartido en el contexto local.

Asimismo, realizaron una capacitación integral que contó con la presencia de personal de los ministerios de Hacienda y de Salud, de la Contraloría, del Cenabast y del ISP para avanzar en cómo construir este tipo de acuerdos, desde todas las miradas del sector público. Igualmente, participó ChileCompra que, por supuesto, debe dar la venia y ejecutar este tipo de acuerdos, este tipo de contratos específicos.

Entonces, vemos con muy buenos ojos este avance sustantivo y que, efectivamente, desde el Ejecutivo hay iniciativa y tienen la disposición y la convicción de que, avanzar en este tipo de compras innovadoras, es esencial para los pacientes y también para generar certidumbre en el gasto fiscal y crear estas coberturas tan necesarias, especialmente las que se relacionan con enfermedades de muy alto costo.

Como dije, vemos esto con muy buenos ojos, señor Presidente.

El señor **LAGORMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias.

Para cerrar, le ofrezco el uso de la palabra a la diputada Mónica Arce.

La señora **ARCE** (doña Mónica).- Señor Presidente, quiero agradecer la disponibilidad que han tenido nuestros invitados para venir a exponernos sus presentaciones, pero lamento que no lo haya hecho el Laboratorio Novartis Chile SA., porque tenía muchas preguntas importantes para ellos,

teniendo en cuenta que su tratamiento es el más caro que existe en el mundo.

Por otra parte, ya que acá en Chile los laboratorios no están obligados por ley a transparentar ciertas situaciones, los invito cordialmente a contestarnos, si lo consideran pertinente, las siguientes preguntas.

Primero, quiero saber si sus laboratorios han donado dosis de medicamentos a Chile; si se donaron, ¿se ha hecho seguimiento de estos casos? ¿Cuáles han sido sus resultados?

También los invito a transparentar la vinculación con neurólogos chilenos, ya sea por algún tipo de contrato u otro, teniendo en cuenta que ellos son los únicos que pueden diagnosticar y recetar el medicamento para los tratamientos de estos pequeños y transparentar con qué médicos chilenos trabajan actualmente y por qué período.

Insisto, sé que no es una obligación, pero, si lo tienen a bien, los invito a transparentar a esta comisión esos datos, porque si no quedarán ciertas dudas.

Señor Presidente, ¿puedo plantear una cuestión relacionada con puntos varios?

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Sí, señora diputada.

La señora **ARCE** (doña Mónica).- Señor Presidente, la semana pasada me reuní con los padres de José Alonso, un pequeño de siete meses, diagnosticado con AME tipo 1, quien a los seis meses ingresó, por protocolo del Ministerio de Salud, para adquirir Zolgensma. Lamentablemente, a pesar de cumplir con todos los requisitos para optar al medicamento, aún no ha existido ningún contacto por parte del ministerio con la familia.

Dicho eso, solicito oficiar a la ministra de Salud, principalmente con el fin de que se pronuncien sobre este caso en particular con la mayor celeridad posible, entendiendo que el caso ingresó al protocolo hace un mes y que solo le quedan dos meses para sobrepasar la edad límite que establece dicho protocolo en Chile.

En la misma línea, pido que recibamos en audiencia, para que nos relaten su experiencia -ellos nos llamaron y lo solicitaron-, a la familia del pequeño Borja, a quien la mayoría de ustedes conoce, que en 2020 pudo acceder al tratamiento con Zolgensma, que dio resultados positivos para la AME.

En segundo lugar, al igual que la compañera diputada que habló antes, pido que recibamos a Marcos Reyes Álamos, presidente de la Agrupación Familias Duchenne Chile, para saber cuál es el proceso que tienen que seguir quienes padecen esta afección para acceder a un tratamiento oportuno.

Por último, solicito que recibamos a Fernanda Garrido, tía de Amalia, una pequeña que padece el síndrome de Sharp y que necesita un trasplante del timo, intervención que no se realiza en el país, con el objeto de conocer cuáles son los pasos que siguen las familias que padecen enfermedades que no tienen cobertura nacional.

Si lo tienen a bien, pido que tomemos el acuerdo para enviar esos oficios y recibir a estas familias.

Gracias, señor Presidente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- ¿Habría acuerdo para oficiar por el caso de José Alonso? A lo mejor la familia podría remitir a la Secretaría alguna autorización para oficiar por el caso clínico, dado que muchos de estos antecedentes están amparados en el artículo 13 de la ley que regula los derechos y deberes que tienen las personas en relación con acciones vinculadas con su atención en salud.

Entonces, para oficiar sobre los antecedentes clínicos, siempre es importante contar con esa autorización.

¿Habría acuerdo?

Acordado.

Respecto de las solicitudes de invitación a la comisión, más que pedir el acuerdo, me llevo toda la información para ordenarla e ingresarla, en la medida de las posibilidades, porque tenemos la solicitud de invitación del diputado Félix González, a la Fundación Neuromielitis

Óptica y la de la diputada Carla Morales, respecto de la Agrupación Familias Duchenne.

Sumamos, por cierto, a la familia de Borja y a la de Fernanda Garrido, que está esperando trasplante del timo, para escucharla y conocer de ese tema. Esos son los invitados que se han solicitado.

Probablemente, en la primera sesión del 4 de marzo, invitaremos a cualquier otra agrupación de pacientes que está pagando o que está en espera de un tratamiento de alto costo.

Por otra parte, agradecemos a los laboratorios por haber concurrido a esta invitación, ya que, como sabrán, nosotros solo podemos citar a autoridades.

Hay que señalar que la diputada Mónica Arce hizo una invitación a transparentar información respecto de dosis donadas o vinculaciones con neurólogos chilenos y que vamos a estar abiertos a recibirla.

Nuestra intención y único afán es permitir que accedan a los tratamientos, que cuenten con la mejor evidencia científica, los pacientes que lo requieren dentro de los tiempos necesarios. En ese sentido, a medida que vayamos avanzando, esperamos contribuir en responder cada una de las preguntas que han motivado esta comisión especial investigadora.

A la primera sesión asistieron representantes de diversas campañas de pacientes con atrofia muscular espinal.

Esta segunda sesión se ha focalizado en los laboratorios y en la Cámara de la Innovación Farmacéutica.

Para la tercera sesión, que se llevará a cabo la primera semana de marzo, proyectamos recibir a todas las agrupaciones de pacientes y familias que nos falten.

En la cuarta sesión recibiremos a ChileCompra, a la Cenabast, a Trinidad Inostroza, exdirectora de ChileCompra y, probablemente, a propósito de las preguntas de la diputada Marta González, vamos a ver si podemos invitar a alguien que haya participado de las compras conjuntas OPS, que también es un mecanismo interesante, o

de la misma OPS, que ha promovido estas compras conjuntas en ciertos medicamentos.

Posteriormente, entraremos a las hospitalizaciones domiciliarias y pesquisa neonatal, para lo cual invitaremos al subsecretario de Redes Asistenciales, por hospitalizaciones domiciliarias o atenciones domiciliarias, y a la subsecretaria de Salud Pública, por pesquisa neonatal, que es un programa muy pequeño aún, donde solo hay dos patologías. Sin embargo, la intención, desde hace años, es ampliar esa pesquisa.

Después entraremos a la ley Ricarte Soto propiamente tal, donde vamos a invitar a la ministra y a la directora de Presupuestos, dado que la ley N° 20.850 les da funciones a ambas subsecretarías de Estado.

Luego, abordaremos la Comisión ad-hoc y el fondo de judicialización, ingresado en la ley de Presupuestos 2022.

Tiene la palabra el señor Nicolás Amenábar.

El señor **AMENÁBAR** (Laboratorio Roche).- Señor Presidente, solo quiero aprovechar la invitación de la diputada para hacer la transparencia voluntaria a la que nos convocó.

Quiero felicitar a la CIF por su plataforma y dejar de manifiesto que los mecanismos de transparencia interna de Roche, autorregulados y autodefinidos desde nuestra casa matriz y que se aplican a todas las filiales, son tan o más exigentes. Aclaro que no he visto en detalle los de la CIF.

Por lo tanto, cualquier información que esta comisión requiera, podemos facilitarla.

Cabe precisar que no hemos otorgado ningún beneficio a ningún neurólogo.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Perfecto.

Muchas gracias.

Le pido que deje eso por escrito para poder remitirlo por cuanto sería bastante positivo para nosotros, ciñéndonos al objeto de esta comisión.

Por haber cumplido con su objeto, se levanta la sesión.

-Se levantó la sesión a las 14:21 horas.

CLAUDIO GUZMÁN AHUMADA

Redactor

Jefe Taquígrafos de Comisiones