

**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°5

CELEBRADA EL DÍA LUNES 4 DE MARZO DE 2024, DE 12:37 A 14:26 HORAS.

SUMA

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

ASISTENCIA

Asistieron de manera presencial los diputados y diputadas Félix González, Tomás Lagomarsino, Enrique Lee, Carla Morales, Benjamín Moreno, Hugo Rey, Natalia Romero y Consuelo Veloso.

El diputado Jaime Naranjo reemplazó, en esta sesión, a la diputada Danisa Astudillo.

Como invitados, concurrió la Directora de Asuntos Corporativos de Novartis América Latina y Caribe, señora Irene Argüedas y la doctora Sandra Reyna, Asesora Científica Principal y Directora Global de Relacionamento Médico de Novartis; el presidente de la Alianza Chilena de Agrupación de Pacientes – Achap, señor Gonzalo Tobar Carrizo; por la Federación Chilena de Enfermedades Raras – Fecher, señor Leopoldo Cubillos; la vicepresidenta de la Federación Enfermedades Poco Frecuentes – Fenpof Chile, señora Jessica Cubillos Arellano acompañada por la señora Deysi Zuñiga Godoy; la presidenta de la Corporación Familias Atrofia Muscular Espinal – Fame Chile, señora Paulina González Moreno; por la Fundación Neuromielitis Óptica – NMO Chile, señoras Gabriela Jofré y Claudia Chaparro Cruz. Además, participó en representación del Ministerio de Salud, la Jefa del Departamento de Coordinación de Garantías y Prestaciones en Salud, doctora Andrea Guerrero Ahumada, acompañada por la asesora legislativa Evelyn Reyes Reyes y, también, estuvieron presentes el señor Cesar Morales y la señora Eugenia Silva.

Actuó como Secretaria Abogada, la señora Ana María Skoknic Defilippis y, como abogado ayudante, el señor Ignacio Vásquez Mella.

CUENTA

Se han recibido los siguientes documentos:

1.- Oficio de la Ministra de Salud (N°761), mediante el cual responde a uno de la Comisión y designa como representante del Ministerio a la Jefa del Departamento de Coordinación de Garantías y Prestaciones en Salud, Dra. Andrea Guerrero Ahumada para concurrir en forma presencial a las sesiones de esta Comisión. Respuesta Oficio N°: 14/2024

2.- Comunicación del Hospital San Juan de Dios, mediante la cual responde oficio de la Comisión sobre las razones y motivos por los cuales el menor Lucas, quien padecía de Atrofia Muscular Espinal Tipo 1, habría quedado sin médico tratante. Respuesta Oficio N°: 16/2024

3.- Solicitud de audiencia de la Red Epilepsia Refractaria de Chile (REECH), a fin de ser escuchados en la sesión correspondiente a las Agrupaciones de Pacientes que no tienen cobertura para tratamientos de alto costo.

4.- Solicitud de audiencia de la Fundación Porfiria Chile, a fin de presentar las circunstancias de esta enfermedad para que se les considere en la Ley Ricarte Soto.

5.- Solicitud de audiencia de la Fundación Microtia e Hipoacusia Chile.

6.- Solicitud de audiencia de la Directora de la Corporación de Fibrosis Quística Chile.

7.- Solicitud de audiencia de la Corporación Ayuda al niño con Artritis Juvenil - Chile.

8.- Solicitud de audiencia de la presidenta de la Fundación Chile Asma e Iris Lorca.

9.- Solicitud de audiencia de la Fundación Padece, la primera entidad sin fines de lucro en Chile dedicada a la concientización y apoyo a personas afectadas por enfermedades dermatológicas inmunomediadas crónicas.

10.- Solicitud de audiencia de la Asociación Autoinflamatorias Chile.

11.- Solicitud de audiencia de la presidenta de la asociación XLH Chile, señala que el XLH es una enfermedad rara, crónica y progresiva la cual tiene un tratamiento de un muy alto costo que hace imposible el acceso a las familias.

12.- Solicitud de audiencia de la Fundación Duchenne Chile.

13.- Solicitud de audiencia de la de Asociación Chilena Hipertensión Pulmonar Hapchi.

14.- Solicitud de audiencia de la fundación Josseline Fernández Cuevas para la investigación y divulgación sobre la enfermedad de Wilson en Chile.

15.- Solicitud de audiencia de la Directora de Participación e Incidencia Fundación Me Nuevo.

16.- Solicitud de audiencia de la Corporación Esclerosis Múltiple Chile (CorpEM Chile).

17.- Solicitud de audiencia Directora y fundadora FELCH.

18.- Solicitud de audiencia de la Asociación Esclerodermia Chile.

19.- Solicitud de audiencia de la Fundación para el tratamiento del Síndrome de Angelman FAST Chile.

20.- Solicitud de audiencia de Ciudadanas Cuidando.

21.- Solicitud de audiencia de la Fundación Síndrome de Vogt Koyanagi Harada y Uveítis Chile

22.- Solicitud de audiencia de la Fundación Vasculitis Chile.

23.- Solicitud de audiencia de la Red Chilena de Pacientes Reumáticos.

ORDEN DEL DÍA

La asesora Científica Principal y Directora Global de Relacionamento Médico de Novartis, doctora Sandra Reyna expuso en base a una presentación¹ que dejó a disposición de la Comisión.

En primer término, se refirió a la historia natural de Atrofia Muscular Espinal AME, sus características y la importancia de diagnosticarlo tempranamente, toda vez que la edad de inicio del tratamiento es crítica.

Comentó que la AME tipo 1 es una enfermedad que progresa rápidamente y que generalmente resulta en la muerte o la ventilación permanente a los 2 años. Por su parte, las expectativas en el tratamiento se extienden más allá de la función motora y respiratoria e incluye la función bulbar, precisando que para los cuidadores, los trastornos del habla, que puede llevar a consecuencias sociales, es uno de los síntomas más significativos de la AME.

Hizo presente que el tratamiento es más eficaz se da antes que se desarrollen los síntomas, donde la fase presintomática proporciona una ventana terapéutica para la intervención y el tratamiento más eficaces antes de que se produzca una pérdida sustancial de neuronas motoras.

A mayor abundamiento, explicó que el diagnóstico rápido y la intervención temprana con terapias modificadoras de la enfermedad son críticas para detener la pérdida de moto neuronas, prevenir la progresión de la AME y proporcionar los mejores resultados a los pacientes. Afirmó que ZOLGENSMA es el único tratamiento de una sola dosis que reemplaza el gen SMN1 ausente o defectuoso, restableciendo la producción de la proteína SMN crítica y permitiendo a los pacientes lograr el mejor resultado posible según el estado de su enfermedad y la edad del tratamiento.

¹ <https://www.camara.cl/legislacion/comisiones/documentos.aspx?prmID=4181> (Sesión 5)

Sostuvo que la terapia génica ofrece un enfoque específico y duradero en comparación con otras aproximaciones terapéuticas, agregando que existe terapia génica aprobada para diferentes enfermedades en todo el mundo.

Por último, reiteró que Zolgensma es una terapia genética transformadora y altamente innovadora para una enfermedad genética progresiva y devastadora como lo es la Atrofia Muscular Espinal, donde con una dosis única, Zolgensma puede reducir la carga a largo plazo de la AME en los pacientes, las familias y los sistemas de salud, al reemplazar las terapias que deben repetirse de por vida por una que requiere de una sola aplicación.

Finalmente, informó que Novartis está trabajando en asociación con gobiernos y sistemas de salud de todo el mundo - incluyendo Chile - para identificar y definir nuevos modelos de acceso sostenible.

El diputado Lee respecto a las 7 dosis donadas que se entregaron al Ministerio de Salud, preguntó si existió intervención de Novartis en la elección de pacientes idóneos.

El diputado Lagomarsino comentó que el medicamento que comercializan se puede entregar hasta los 2 años, no obstante, consultó si también existe algún criterio de peso a la hora de prescribir.

Además, preguntó si se entrega en territorio nacional algún tipo de financiamiento a médicos o neurólogos infantiles u organizaciones de cualquier otro tipo.

La Directora de Asuntos Corporativos de Novartis America Latina y Caribe, por Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma), señora Irene Argüedas afirmó que Novartis no participa en la determinación de los beneficiarios, toda vez que fue el mismo Ministerio de Salud quien lo decidió.

Respecto al financiamiento, aclaró que no dan ningún tipo de financiamiento a los médicos y, respecto a las organizaciones de pacientes, las apoyan en términos de educación.

La asesora Científica Principal y Directora Global de Relacionamento Médico de Novartis, doctora Sandra Reyna reiteró que no existen criterios del laboratorio productor a hora de determinar los pacientes idóneos, sino que el Ministerio de Salud es quien dicta los estándares para suministrarlos.

El presidente de la Alianza Chilena de Agrupación de Pacientes – Achap, señor Gonzalo Tobar Carrizo expuso en base a una presentación² que dejó a disposición de la Comisión.

En primer término, indicó que son una red de organizaciones de pacientes y familiares con enfermedades de curso crónico, que tienen por objetivo incidir positivamente en la toma de decisiones y en las políticas públicas que tengan como fin mejorar el acceso a la salud de todas las personas.

² <https://www.camara.cl/legislacion/comisiones/documentos.aspx?prmID=4181> (Sesión 5)

En cuanto a la Ley Ricarte Soto LRS, informó que fue publicada el 6 de junio de 2015, toda vez que nació de una necesidad de la ciudadanía y no de un programa de Gobierno.

Sostuvo que la LRS conlleva grandes expectativas para quienes tienen algún problema de salud sin coberturas, sin embargo, hay más personas esperando entrar que las que actualmente están cubiertas.

Informó que el artículo 6 establece una periodicidad de 3 años para la dictación de un nuevo decreto de coberturas, precisando que el cuarto decreto, se encuentra en vigencia desde el 1 de julio de 2019 (18 de enero) y para julio de 2022 debería haber comenzado a regir un nuevo decreto, cuestión que aún no se realiza.

A mayor abundamiento, señaló que existe poca sustentabilidad financiera a largo plazo y no existen los recursos necesarios para la incorporación de nuevas patologías, pese a que hay más de 7770 solicitudes, emanadas de pacientes, agrupaciones de pacientes y sociedades científicas, en consecuencia, se estima que la LRS no tenga fondos para el 2028.

Hizo presente que la ley de tratamientos de alto costo es incapaz de dar soluciones a problemas de salud con tratamientos de altísimo costo, lo que está produciendo una fuga a judicialización, donde hasta 2022 se gastaron cerca de \$20.000.000.000 al año.

Por último, mencionó que se requiera de una revisión del sistema LRS con participación ciudadana, a través de una mesa técnica o similar y, además, asegurar el financiamiento vía impuesto o parte del seguro universal, teniendo en consideración las falencias que se estarían generando.

El tesorero de la Federación Chilena de Enfermedades Raras – Fecher, señor Leopoldo Cubillos expuso en base a una presentación³ que dejó a disposición de la Comisión.

En primer término, informó que la federación nació el 2014 y se constituyó legalmente el 28 de febrero de 2018, y busca crear una alianza regional que permita construir y desarrollar soluciones para mejorar la perspectiva de enfermedades raras en Latam y El Caribe.

Por su parte, dejó en claro que Chile es el país que menos ha avanzado desde la instalación del Plan Piloto de Tamizaje Neonatal, donde las personas se demoran entre 7 a 12 años en detectar una enfermedad y este retraso impacta en su calidad de vida y acceso a tratamiento en caso de existir.

Asimismo, señaló que la hospitalización domiciliaria en la actualidad no tiene consideración con los requerimientos de interacción social que tienen niños, niñas y adolescentes, es decir, es incompatible con la asistencia a una escuela con programa de integración.

³ <https://www.camara.cl/legislacion/comisiones/documentos.aspx?prmID=4181> (Sesión 5)

A mayor abundamiento, las personas con hospitalización domiciliaria en Chile viven expuestos a riesgos variados, pero principalmente ante su condición de electrodependencia y las dificultades integradas con la ley para su protección.

Sostuvo que la mejora al acceso a terapias de alto costo, sean fármacos dispositivos, intervenciones quirúrgicas o estadías prolongadas debe ser atención de la autoridad gracias al impacto significativo que podría implicar en la vida no solo de la persona que lo requiere, sino también de su grupo familiar y laboral.

Por último, manifestó que es una responsabilidad enorme ser la voz de los pacientes porque muchas veces no pueden participar o se encuentran inhabilitados.

La vicepresidenta de la Federación Enfermedades Poco Frecuentes – Fenpof Chile, señora Jessica Cubillos Arellano en términos generales, manifestó que la LRS en la actualidad no resuelve la situación de crisis que sufren las personas con enfermedades raras y poco frecuentes, donde si bien cumple ciertos criterios y permite respuesta para muchas personas, lamentablemente está desfasada en cuanto a la realidad que tienen algunas familiar.

Afirmó que se necesitan respuestas concreta del Estado de Chile, porque no solo les afecta a los pacientes, sino que también, a los cuidadores, en consecuencia, se necesita contar con sistema más humanitario, porque para mejorar la salud no solo se requiere mayor financiamiento.

Por último, afirmó que los niños no solo merecen un medicamento o un tratamiento adecuado (al igual que las personas adultas), sino que necesitan la posibilidad de tener una hospitalización correspondiente a sus necesidades.

Acotó que se requieren terapias para muchas personas y ese tratamiento también es de altísimo costo y necesario para el ciclo vital de los pacientes.

La presidenta de la Corporación Familias Atrofia Muscular Espinal – Fame Chile, señora Paulina González Moreno en primer término, indicó que son una agrupación de pacientes y familiares con diagnóstico de Atrofia Muscular Espinal, con personalidad jurídica desde el año 2012, donde reciben a todas aquellas familias que quieran ser parte de la agrupación, pacientes que llegan con un diagnostico reciente y también a quienes ya han sido diagnosticados cuando niños y hoy se encuentran en edad adulta.

Indicó que a la fecha han presentado 80 causas ante tribunales, de las cuales 75 han sido con fallo a favor de los pacientes (Fonasa) que actualmente se encuentran recibiendo sus tratamientos farmacológicos, pero existen 10 causas aún a la espera, cuya representación es completamente gratuita para todas las familias.

Por otro lado, hizo presente que en Chile son muy pocos los profesionales que manejan la AME, generándose diagnósticos tardíos y erróneos.

Respecto a la Ley Ricarte Soto, afirmó que AME no recibe cobertura de esta ley, pese a todas las postulaciones y esfuerzos realizados, la comisión investigadora de MINSAL jamás han abierto alguna posibilidad de acceso.

En cuanto al Screening Neonatal, informó que en Chile no existe este examen para detectar de forma precoz la Atrofia Muscular Espinal, sin embargo, el año 2023 se solicitó el acceso y cobertura para este examen, recibiendo la negativa por parte del Gobierno, al ser antiético por no tener cobertura de los tratamientos.

Posteriormente, en octubre 2023, se reunieron con la Ministra de Salud para conversar y solicitar nuevamente se incluya AME en el listado de ampliación a pesquisa neonatal, la respuesta nuevamente fue negativa, pero esta vez con el fundamento de que es, el Ministerio de Hacienda quien no aprueba más recursos para ampliar el actual listado de screening neonatal, el cual no es actualizado desde 1992 y que solo cubre 2 patologías, pese a que mientras más pronta sea la pesquisa, mejor será la adherencia a los tratamientos en las enfermedades raras, huérfanas o poco frecuentes.

Respecto a la hospitalización domiciliaria, mencionó que en el caso de AME, quienes tienen acceso a hospitalización domiciliaria son aquellos pacientes con AME tipo 1 y que se encuentren en situación de electro dependencia. Estos pacientes son acogidos por el programa AVI (atención ventilación invasiva), quienes debiesen recibir en su domicilio la misma atención que reciben en la UCI del hospital, finalmente este programa se activa para desocupar camas críticas en el recinto hospitalario.

Al respecto, expresó que las atenciones que entrega este programa son realmente deficientes, los pacientes muchas veces quedan desatendidos porque el personal contratado no llega a sus turnos, la canasta de insumos clínicos tampoco cumple con los estándares necesarios, los profesionales no conocen muchas veces el equipamiento respiratorio que el paciente tiene en el hogar por lo tanto no los usan.

Por último y como aclaración pública, sostuvo que en el último año se ha mencionado mucho y de forma errónea que las dosis de Zolgesma donadas por Novartis a Chile, fueron gestionadas por el Ministerio de Salud, información completamente falsa porque las dosis que Novartis dono fue la respuesta al trabajo conjunto de Fame.

En representación de la Fundación Neuromielitis Óptica – NMO Chile, la señoras Gabriela Jofré expuso en base a una presentación⁴ que dejó a disposición de la Comisión.

En primer término, contó su experiencia personal con la enfermedad neuromielitis óptica, detallando los síntomas, problemáticas y dificultades que paso durante un lapso de tiempo, eventos que incluso la habrían dejado tetrapléjica y con visión borrosa un tiempo.

Explicó que la neuromielitis óptica es un trastorno del sistema nervioso central que afecta principalmente los nervios del ojo (neuritis óptica) y la médula espinal (mielitis). La neuromielitis óptica también se denomina trastorno del espectro de la neuromielitis óptica o enfermedad de Devic. Esta enfermedad se presenta cuando el

⁴ <https://www.camara.cl/legislacion/comisiones/documentos.aspx?prmID=4181> (Sesión 5)

sistema inmunitario del organismo reacciona contra sus propias células del sistema nervioso central, principalmente en los nervios ópticos y la médula espinal, aunque a veces también en el cerebro.

Manifestó que en la actualidad existe un fármaco específico para la enfermedad (Satralizumab), el cual tiene un valor anual de \$78.000.000, precisando que solo una persona en Chile lo estaría utilizando. Las demás, personas utilizarían otro tipo de tratamientos menos efectivos y con muchas consecuencias negativas.

Hizo presente que tanto la NMO y la Esclerosis Múltiple son enfermedades desmielinizantes y autoinmune. La NMO es la enfermedad prima hermana de la esclerosis múltiple, por lo que existen muchos diagnósticos de Esclerosis Múltiple que son NMO. En el 2004 con el examen aquaporina 4 se pudo diferenciar la enfermedad por el origen del anticuerpo afectado. Esta enfermedad se presenta muy similar a la esclerosis múltiple pero 50 veces más fuerte en sus brotes y en sus secuelas permanentes.

Por último, declaró que como Fundación están en representación de los pacientes para pedir que incorporen a la NMO en la Ley Ricarte Soto con los medicamentos en común que tienen con la EM, el tratamiento directo para NMO y terapias de neurokinesiólogía necesarias para la rehabilitación.

El diputado González comentó que muchas personas estuvieron diagnosticadas con esclerosis múltiple y lograron ingresar a la LRS, sin embargo, posteriormente quedaron fuera al ser diagnosticados con otra enfermedad, haciendo alusión a la neuromielitis óptica, circunstancia que trajo muchas consecuencias negativas, por tanto, estimó prudente ingresar dicha patología a la LRS.

Por otro lado, hizo presente que el actual medicamento que se otorga genera una inmunosupresión total, lo que es totalmente peligroso, toda vez que una se vuelve susceptible a cualquier otra enfermedad, por tanto, es necesario tener un medicamento específico para la enfermedad, como sería la Satralizumab.

El diputado Lee comentó que los relatos son conmovedores, sin embargo, afirmó que existen muchas demoras en el sistema, tanto para enfermedades comunes y raras.

Opinó que se debe avanzar en establecer que si fueron acogidas algunas condiciones de una enfermedad en la LRS, no por aparecer otro tipo de diagnóstico específico, se deje de cubrir al paciente toda vez que ya tienen beneficios incorporados.

Preguntó a FAME si hubo seguimiento de los pacientes con AME.

La diputada Veloso opinó que es muy frustrante lo que estaría aconteciendo en el sistema de salud público.

Por su parte, acotó que se emitirá un diagnóstico y se recabarán las historias, pero la piedra de tope real es el presupuesto de la nación y si existe la capacidad de solventarla este tipo de tratamientos, pese a que nadie debiese quedar exento de un tratamiento que realmente necesita.

El diputado Lagomarsino preguntó si el medicamento Satralizumab se encuentra dentro de las solicitudes a la LRS y quien sería el paciente que actualmente lo estaría utilizando y de qué forma.

En cuanto a la entrega de las dos últimas dosis de Zolgensma, consultó si se ajustó a parámetros objetivos. Asimismo, cuáles fueron los criterios para las 5 dosis iniciales.

Consultó si por las deficiencias del programa AVI domiciliaria, se han hecho llegar algún reclamo formal a las autoridades.

Por último, preguntó a las demás organizaciones, si han solicitado financiamiento para la LRS y cuál es la opinión de que en la ley de presupuestos se ha haya decidido financiar un fondo de judicialización en vez establecerlo directamente en la ley.

La Jefa del Departamento de Coordinación de Garantías y Prestaciones en Salud, doctora Andrea Guerrero Ahumada respecto al diagnóstico de Esclerosis Múltiple y el de Neuromielitis Óptica, afirmó que la problemática que se generó es que la ley es bastante específica para avanzar y resguardar la transparencia y lograr la mayor eficiencia, como también, la costo efectividad, en consecuencia, no siempre un mismo medicamento sirve para otra enfermedad, además, existen muchas diferencias que se deben analizar.

En representación de la Fundación Neuromielitis Óptica – NMO Chile, la señoras Gabriela Jofré aclaró que el único tratamiento que existe para Neuromielitis Óptica es la Satralizumab y, en Chile, solo un paciente lo utiliza, quien accedió mediante un seguro complementario que tenía contratado hace muchos años, sin embargo, a los 70 años dejaría de cubrir y por ende quedaría solo con otros tratamientos.

La presidenta de la Corporación Familias Atrofia Muscular Espinal – Fame Chile, señora Paulina González Moreno afirmó que el laboratorio no participó en la elección de pacientes para ser candidato a Zolgensma, sino que Fame envió una nómina de los pacientes que cumplían los requisitos al Ministerio de Salud, haciendo alusión a las primeras 5 dosis.

En cuanto a las últimas 2 dosis, mencionó que el Ministerio de Salud a través de una comisión de expertos, que a la fecha no se conocen sus nombres, determinó quienes eran los pacientes idóneos para dicho medicamento.

El presidente de la Alianza Chilena de Agrupación de Pacientes – Achap, señor Gonzalo Tobar Carrizo explicó que la judicialización es un acto inequitativo porque solo puede ser utilizado por quienes tienen recursos. Además, existe un tema de eficiencia porque solo se ordena la adquisición de un medicamento pudiéndose comprar muchos a menor costo, con una buena mirada de política pública o con acuerdo de riesgo compartido.

Asimismo, hizo presente que si han pedido por Lobby mayores recursos para la LRS.

El tesorero de la Federación Chilena de Enfermedades Raras – Fecher, señor Leopoldo Cubillos indicó que más que ingrese una patología con nombre y apellido, sería más impórtate que ingrese un medicamento determinado al ser más amplio su utilización en diversas enfermedades.

La vicepresidenta de la Federación Enfermedades Poco Frecuentes – Fenpof Chile, señora Jessica Cubillos Arellanoa afirmó que no se puede improvisar pero si se puede realizar una estrategia común, antes que la LRS se quede sin recursos al 2028.

ACUERDOS

No se adoptaron acuerdos.

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 **14:26** horas.

ANA MARÍA SKOKNIC DEFILIPPIS
Secretaria Abogado 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
(CEI 40)**

SESIÓN EN FORMATO MIXTO:

(Presencial y vía telemática)

Sesión 5ª, celebrada en lunes 04 de marzo de 2024,
de 12:37 a 14:26 horas.

Preside el diputado señor Tomás Lagomarsino.

Asisten las diputadas señoras Carla Morales, Natalia Romero y Consuelo Veloso, y los diputados señores Félix González, Enrique Lee, Benjamín Moreno, Hugo Rey y Jaime Naranjo, en reemplazo de la diputada Danisa Astudillo.

Concurren como invitados la directora de Asuntos Corporativos de Novartis para América Latina y el Caribe, señora Irene Arguedas; la asesora científica principal y directora global de Relacionamento Médico de Novartis por Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma), doctora Sandra Reyna; el presidente de la Alianza Chilena de Agrupaciones de Pacientes, Achap, señor Gonzalo Tobar Carrizo; de la Federación Chilena de Enfermedades Raras, Fecher, el señor Leopoldo Cubillos; la vicepresidenta de la Federación de Enfermedades Poco Frecuentes, Fenpof Chile, señora Jessica Cubillos Arellano, acompañada por la señora Deisy Zúñiga Godoy; la presidenta de la Corporación Familias Atrofia Muscular Espinal, FAME Chile, señora Paulina González Moreno, y de la Fundación Neuromielitis Óptica, NMO Chile, las señoras Gabriela Jofré y Claudia Chaparro Cruz.

En representación del Ministerio de Salud, participa la jefa del Departamento de Coordinación de Garantías y Prestaciones en Salud, la doctora Andrea Guerrero Ahumada, acompañada por la asesora legislativa Evelyn Reyes Reyes.

En calidad de oyentes participan el señor César Morales y la señora Eugenia Silva.

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.

La señora Secretario dará lectura a la Cuenta.

*La señora **SKOKNIC** (Secretaria) da lectura a la Cuenta.*

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- En el Orden del Día, corresponde escuchar, en primer lugar, a la directora de Asuntos Corporativos de Novartis para América Latina y el Caribe, señora Irene Arguedas, y a la asesora científica principal y directora global de Relacionamento Médico de Novartis por Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma), doctora Sandra Reyna.

Luego de escuchar a las primeras invitadas vamos a hacer una ronda de preguntas y después vamos a escuchar a las agrupaciones de pacientes y entidades que los representan, que también están convocadas para hoy.

Tiene la palabra la señora Irene Arguedas.

La señora **ARGUEDAS**, doña Irene (directora de Asuntos Corporativos de Novartis para América Latina y el Caribe) [vía telemática].- Señor Presidente y miembros de la comisión, en primer lugar, quiero agradecer, en nombre de Novartis, la apertura de este espacio, el cual nos permitirá compartir información que, definitivamente, es de gran relevancia para la labor de esta comisión.

Además, quisiera agradecerles especialmente la invitación que nos cursaron la vez pasada, cuando por razones de logística y la premura de la invitación no pudimos participar de manera directa; sin embargo, enviamos información, que esperamos haya sido de utilidad para los miembros de esta comisión.

Mi nombre es Irene Argüedas. Soy la directora de Asuntos corporativos de Novartis en la región Andina, Centroamérica y el Caribe. Me acompaña la doctora Sandra Reina, asesora de Científica Principal y directora global de Relacionamento Médico, quien tiene una vasta experiencia en enfermedades de origen genético y un amplio conocimiento de la trayectoria de Zolgensma como terapia para la atrofia muscular espinal.

A sabiendas, señor Presidente, de que para la sesión de hoy tienen varios invitados, hemos preparado una presentación corta, de diez minutos, para complementar la información que ya se les hizo llegar, oportunamente, a finales de enero. Posteriormente, si hubiese consultas, estaremos en la mejor disposición de atenderlas.

Sin más, señor Presidente, le devuelvo la palabra para que, si así lo estima, se la conceda a la señora Reina.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra la señora Sandra Reina.

La señora **REYNA**, doña Sandra (directora de Relacionamento Médico de Novartis) [vía telemática].- Buenas tardes, señor Presidente. Gracias a usted, a los diputados, a las diputadas y a las familias presentes por tener el honor, nuevamente, de presentarles muy rápidamente una ligera exposición de lo que es la terapia génica de atrofia muscular espinal.

Como dijo la señora Argüedas, mi compromiso con ustedes, ahorita específicamente, es bajo mi trabajo de asociada de Científica Principal y directora global de Relacionamento Médico, pero también por mi experiencia clínica, dado que hace muchos años tengo el honor de trabajar con familias con atrofia muscular espinal (AME) en los Estados Unidos de América.

El contenido de mi presentación de hoy será muy ligero.

Quiero muy brevemente hablar de lo que es la historia actual de la enfermedad, así como de sus características y la importancia del diagnóstico temprano.

También quiero ligeramente abordar lo que son las terapias génicas, en particular Zolgensma, cómo funciona y qué la distingue de otras terapias disponibles.

Además, me quiero referir a qué resultados pueden esperarse del uso de esa terapia y qué han demostrado esos estudios.

Al último dejaré unos mensajes.

Para empezar, sabemos muy bien que en esta enfermedad la edad de inicio es crítica. Según la edad del niño, al momento del diagnóstico, sabemos muy bien qué genotipo puede tener, ya sea tipo 1, 2, 3 y 4 e, incluso, tipo 0, pero más significativo es ver el número de copias que esos pacientes pueden presentar, lo cual puede dictar en sí lo que es su presentación clínica.

Los resultados de la historia natural mejoran para los pacientes con AME que tienen tipo 2, 3 y 4.

Lo más relevante de la lámina que pueden observar es que el AME tipo 1 es una enfermedad de progresión rápida y que generalmente resulta en la muerte o ventilación permanente a los dos años de edad.

Como pueden ver, aquí hay una base de datos, como el PNCR y el NeuroNext, lo cual, precisamente, pudieron obtener esta información y captar que niños no tratados tenían una vida corta y aparte tenían una alta relación con su ventilación permanente para poder respirar.

¿Cuál es la expectativa? Aparte de la función motora y la función respiratoria, también podemos ver que hay una función bulbar, la cual se ha mejorado muchísimo. Y eso es principalmente importante, porque para los cuidadores los trastornos del habla, que pueden llevar a consecuencias sociales bastante serias, son uno de los síntomas más importantes y significativos para esas familias.

Hemos podido demostrar que, aparte de lograr función motora y respiratoria, podemos ver una función bulbar.

Aquí, como he mencionado, es crítico ver la fase presintomática. Eso realmente es la ventana terapéutica

que existe para un mejor tratamiento de esos pacientes, que van a obtener una mejor respuesta clínica.

Eso proporciona una ventana terapéutica para la intervención y el tratamiento más eficaz, antes de que se produzca una pérdida sustancial de neuronas motoras.

El diagnóstico rápido y la intervención temprana con los tratamientos modificadores de la enfermedad son críticos para detener la pérdida de motoneuronas, o prevenir la progresión de AME y proporcionar los mejores resultados.

Esto se basa, primero, en que cada paciente es único. Las expectativas del tratamiento deben ser personalizadas, lo que es muy importante, porque es la relevancia en este niño afectado, y cómo está afectado y cuáles son sus características basales.

En el momento del diagnóstico, es importante saber la edad de este niño y qué progresión ha tenido la enfermedad.

Zolgensma es el único tratamiento de una sola dosis que reemplaza el gen SMN1, que está ausente o defectuoso en estos pacientes.

Las terapias modificadoras de la enfermedad no son una cura. Por lo tanto, debemos seguir tratando de mejorar las funciones motoras en estos pacientes no solo con tratamiento, sino estableciendo las funciones y el mantenimiento que siguen siendo los resultados más significativos de tratamiento en pacientes con AME.

Como dije hace un segundo, el diagnóstico temprano es algo muy importante, porque el diagnóstico precoz y la intervención terapéutica, con esos tratamientos modificadores de la enfermedad, conducen a mejores resultados. La fase presintomática proporciona esta ventanilla terapéutica para una intervención y un tratamiento más eficaz.

Los estudios publicados han sugerido que la edad al iniciar el tratamiento es el factor más crítico en la respuesta terapéutica que en la terapia complementaria.

En la siguiente lámina, lo más importante es recalcar que la atención multidisciplinaria es clave. ¿Por qué? Porque se requiere un grupo de especialistas, como fisioterapeutas, neurólogos, hematólogo y terapeutas ocupacionales, para conseguir las máximas capacidades funcionales de los pacientes, así como para mejorar la calidad de vida de ellos.

Pero no solo eso. Las medidas de apoyo son un aspecto esencial de los cuidados de la AME. Es importante que el personal sanitario no tenga la percepción de que los pacientes no necesitan más cuidados después del tratamiento.

Sabemos muy bien que la terapia génica ofrece un enfoque específico y duradero. Como pueden ver en la pantalla, ha sido comparada con otras aproximaciones terapéuticas y la terapia génica tiene la ventaja de que directamente repara o reemplaza el gen defectuoso; corrige las expresiones anormales a nivel molecular; suministra dosis terapéuticas continuas, comparadas con los picos farmacocinéticos de la terapia de reemplazo enzimático, y logra un tratamiento específico hecho para una enfermedad específica.

En la siguiente lámina podemos observar una tabla.

Se ha demostrado que hace más de 35 años se presentó el primer estudio, que se realizó en 1989, en pacientes con melanoma avanzado y, desde ese entonces, se ha avanzado aún más consecutivamente en otras enfermedades, hasta el punto de lograr, en el 2019, la aprobación del tratamiento de pacientes afectados con AME con terapia génica.

Sabemos que ahorita hay terapia génica en enfermedades neuromusculares. Es sumamente emocionante ver que la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) ya tiene dos aprobados en el mercado. El primero, como se dijo, para la distrofia muscular de Duchenne, que es el *delandistrogene-moxeparvovec*, y en atrofia muscular espinal, que es el *Onasemnogene abeparvovec*.

Como pueden ver en la lámina, todavía hay medicamentos en estudio, ensayos clínicos fase 1 y 2, más de 20 de ellos en las enfermedades listadas en la diapositiva.

Como se observa, el Zolgensma tiene un programa de desarrollo clínico sólido. Tenemos más de diez programas, que han sido ya lanzados, para estudios. Muchos de ellos se pudieron utilizar para aprobar el registro de Zolgensma. Lo hemos estado haciendo en Europa y en muchos otros países.

No solo se ha visto la intervención intravenosa, sino también en estudios de intervención [...]. También tenemos un registro muy importante llamado *restore*, por lo tanto seguimos recopilando datos de nuestros pacientes.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Señora Reyna, le pido que vaya concluyendo su presentación.

La señora **REYNA**, doña Sandra (directora de Relacionamento Médico de Novartis) [vía telemática].- En las siguientes *slides* hablaré sobre la eficacia, la durabilidad y la seguridad de Zolgensma.

Entonces, podemos ver que los hitos motores y la función bulbar se han logrado como parte de la eficacia de Zolgensma, en los cuales podemos demostrar, especialmente en los pacientes presintomáticos, que ellos han presentado en un ciento por ciento las habilidades de sentarse y de pararse y en un 93 por ciento han estado caminando.

También se ha presentado en pacientes sintomáticos un 92 por ciento de éxito en el juego de sentarse más de cinco segundos, y esos son niños bastante afectados.

Asimismo, la rapidez y eficacia de Zolgensma, que ha sido logrado en escalas, como Chop Intend, en menos de un mes, han aumentado más de nueve puntos en nuestra escala, y por supuesto la función bulbar que mencioné.

En la siguiente *slide* voy a demostrar la seguridad, que ha sido muy relevante, pues ha generado supervivencia sin acontecimientos adversos ni efectos secundarios graves. Si hay efectos secundarios, estos son identificables, previsibles y manejables, con un seguimiento de estos pacientes durante tres meses.

También podemos ver la durabilidad de esos pacientes cuando son tratados con Zolgensma, que está proporcionando, en forma sostenida y continua, la expresión de la función de la proteína SMN en todo el sistema nervioso central y en el cuerpo, como también puede mantener estos hitos.

El mensaje final que quiero dejarles a todos ustedes es principalmente que la terapia génica es transformadora y altamente innovadora.

Acá podemos ver que con una sola dosis se logra este tipo de eficacia. Esto viene a reemplazar las terapias que deben repetirse de por vida, porque se requiere de una sola dosis y una aplicación.

Además, es urgente reconocer la necesidad del tamizaje neonatal y la intervención temprana como terapias modificadoras.

Como muy bien sabemos, Novartis está trabajando en asociación con gobiernos y sistemas de salud de todo el mundo, incluyendo a Chile, para identificar y definir nuevos modelos de accesos sostenibles.

Todos los pacientes que recibieron las siete dosis de Zolgensma sin costo fueron entregadas por Novartis al gobierno chileno entre 2021 y 2022, y también fueron preseleccionados por el Ministerio de Salud sin intervención alguna de Novartis.

Les agradezco mucho su atención.

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

Ofrezco la palabra a los diputados para formular consultas.

Tiene la palabra el diputado Enrique Lee.

El señor **LEE**.- Señor Presidente, en cuanto a la última información entregada por la expositora, me gustaría que ella precisara si las siete dosis que se entregaron al gobierno chileno entre 2021 y 2022 fueron sin intervención de Novartis. ¿A qué se refiere ella cuando dice sin intervención? ¿Esas dosis fueron dadas al gobierno como parte de un estudio clínico? ¿Hubo algún registro? ¿Tenemos algún resumen de los resultados de esas terapias?

Gracias, señor Presidente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muy buena pregunta, diputado Lee.

Si me permiten, formularé dos preguntas. Iba a consultar sobre lo mismo, pero el diputado Lee me sacó las palabras de la boca.

Se ha señalado que el medicamento que ustedes comercializan o distribuyen se puede entregar hasta los dos años de edad. Pero quiero saber si hay un criterio de peso mutuamente excluyente con la edad a la hora de prescribir o hablar de la utilidad del mismo.

Asimismo, quiero saber si ustedes entregan financiamiento a médicos o neurólogos infantiles o a otras organizaciones de cualquier otro tipo en territorio nacional.

Esas son mis dos preguntas, que se suman a la pregunta del diputado Lee respecto de a qué se refieren ustedes con "sin intervención de Novartis" en las dosis donadas.

Tiene la palabra la señora Irene Argüedas.

La señora **ARGUEDAS**, doña Irene (directora de Asuntos Corporativos de Novartis América Latina y el Caribe) [vía telemática].- Gracias, señor Presidente.

Por su intermedio, respondo al cuestionamiento del diputado Lee.

Respecto de la no intervención, eso significa que Novartis no participó en la selección de los destinatarios de esas dosis, por cuanto estas fueron entregadas al Ministerio de Salud de Chile, el cual dispuso de ellas según su criterio.

En cuanto al último punto, permitiré que la doctora Reyna se refiera al tema de los dos años de edad.

Sobre el tema del financiamiento, no damos ningún financiamiento a médicos.

Respecto del financiamiento a organizaciones de pacientes, como parte de la práctica regular de los laboratorios en la industria, tenemos apoyo a organizaciones de pacientes precisamente para el logro de sus propios fines y para efectos educativos.

Muchas gracias.

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

Tiene la palabra la señora Sandra Reyna.

La señora **REYNA**, doña Sandra (directora de Relacionamento Médico de Novartis) [vía telemática].- Señor Presidente, solo para recalcar lo que estamos hablando sobre el protocolo en sí.

El valor del diagnóstico y el tratamiento temprano de todos los pacientes con AME, habilitado especialmente por el tamizaje neonatal, están reconocidos en las guías de tratamientos internacionales y en las declaraciones de consenso.

En Chile, Zolgensma se encuentra registrado como una terapia génica indicada para el tratamiento de pacientes pediátricos menores de dos años de edad, aquejados por la atrofia muscular espinal, con mutaciones bialélicas en el gen de supervivencia de las neuronas motoras 1.

Sin embargo, serán realmente las autoridades del Ministerio de Salud las indicadas para explicar las consideraciones que tuvieron en cuenta para establecer la edad, que fue de nueve meses como límite máximo, en vista de que no fue realmente como se registró en Chile.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- A modo de aclaración, no es un criterio del laboratorio productor, sino del Ministerio de Salud. ¿Eso es lo que usted nos está diciendo?

La señora **REYNA**, doña Sandra (directora de Relacionamento Médico de Novartis) [vía telemática].- Correcto, señor Presidente. El Ministerio de Salud es el que dicta lo que realmente va a estar puesto en la etiqueta del tratamiento para los pacientes en el país.

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

Concluimos esta primera parte de la sesión de hoy, que había quedado pendiente desde antes del receso legislativo.

A continuación, ofreceremos el uso de la palabra a los integrantes de las agrupaciones de pacientes convocadas a la presente sesión.

En representación de la Alianza Chilena de Agrupaciones de Pacientes (Achap), tiene la palabra el señor Gonzalo Tobar Carrizo.

El señor **TOBAR** (presidente de Alianza Chilena de Agrupaciones de Pacientes).- Señor Presidente, buenas tardes y muchas gracias por la invitación a esta comisión especial investigadora.

Para nosotros, como parte de la sociedad civil, es sumamente importante estar presentes y ser escuchados en nuestros planteamientos, dudas y propuestas para esta política pública que sabemos es superimportante.

La Alianza Chilena de Agrupaciones de Pacientes es una red de organizaciones de pacientes y familiares que hoy está integrada por casi 15 organizaciones, las cuales representan a pacientes y familiares con problemas de salud de tipo crónico. Aquí tenemos un paraguas donde están abiertas y estamos recibiendo a agrupaciones de pacientes con enfermedades poco frecuentes, otras prevalentes, de tipo reumatológico, de cáncer, de tipo neurológico, todo lo cual está enmarcado dentro de la cronicidad como punto central en las enfermedades que hemos detectado.

Sabemos que la Ley Ricarte Soto fue publicada en julio de 2015. Tuvo su origen a partir de una necesidad de la ciudadanía. Nosotros siempre dejamos claro que esto no fue parte de un programa del gobierno de la época, sino que el gobierno de ese entonces tuvo que hacerse cargo de esta necesidad ciudadana. De hecho, el periodista Ricarte Soto participó con mucha fuerza y permitió su visibilidad con la marcha de los enfermos. Por lo tanto, dicha iniciativa nació como una necesidad para dar respuesta a algo que estaba pasando en las calles.

Para nosotros es sumamente importante la Ley Ricarte Soto en cuanto integra e incorpora la participación ciudadana en los procesos de la ley, lo cual consideramos que es un gran hito. También, incorpora participación ciudadana en los procesos internos de la ley en el sistema Ricarte Soto, como veremos en una de las imágenes más

adelante en la presentación. Asimismo, dicha ley viene a incorporar acceso universal a las políticas públicas de salud, algo que hasta el momento no era del todo firme.

Como alianza, la relación que tenemos con la Ley Ricarte Soto es bastante estrecha. Previamente a la ley, hicimos todo el acompañamiento legislativo en el Congreso Nacional a todo el proyecto de ley cuando se presentó por la ex-Presidenta Michelle Bachelet, en enero de 2015, en La Moneda. Hoy, la ley Ricarte Soto da cobertura a 27 problemas de salud. En la alianza, nosotros representamos 13 problemas de salud que están incorporados en la ley Ricarte Soto.

La ley Ricarte Soto incorpora y crea dos comisiones ciudadanas. Hoy tenemos dos miembros en la Comisión Ciudadana de Control y Vigilancia. Están incorporados cuatro miembros de la sociedad civil -nosotros tenemos dos- y también tenemos a un miembro de la Comisión de Recomendación Priorizada, que funciona para la dictación de cada decreto, donde hay dos representantes de la sociedad civil, y a mí me toca ser uno de los miembros de esta comisión.

Como alianza, permanentemente nosotros estamos buscando instancias participativas, instancias de *lobby*, para transmitir nuestras preocupaciones, nuestro parecer respecto a la ley, porque queremos que la ley funcione al máximo y que sea lo más eficiente posible.

Hoy, esto está sacado de los datos abiertos de Fonasa. A diciembre de 2023, hay cerca de 50.000 personas beneficiarias de la ley; activas, hay 35.000 personas.

El panorama actual es que hoy día la ley Ricarte Soto -esto lo hemos repetido en varias instancias- conlleva grandes expectativas para quienes tienen problemas de salud sin cobertura, porque el sistema mismo de la ley Ricarte Soto establece un mecanismo de solicitud ciudadana, donde cualquier persona que está enferma, cualquier médico tratante, cualquier familiar de un paciente o cualquier miembro de alguna organización de pacientes puede hacer una solicitud pública, a través de

un formulario que está disponible en la página web de la ley Ricarte Soto, en el Ministerio de Salud; por lo tanto, el primer accionar que tienen los pacientes cuando están enfrentados al alto costo es generar una solicitud ciudadana de cobertura a través del sistema de la ley Ricarte Soto.

Hoy sabemos que hay más de 50.000 personas que se han beneficiado con la ley, pero es sumamente importante recalcar y repetir una vez más -nosotros siempre lo estamos repitiendo- que hay más personas esperando entrar a la ley Ricarte Soto de las que actualmente están cubiertas; hay muchas patologías, muchos problemas de salud que todavía no tienen solución a través de la ley Ricarte Soto y, finalmente, que hay miles de personas que dependen de su ingreso a la ley para la continuidad de su tratamiento o para su mayor beneficio de salud.

Finalmente, esto fue lo que pasó con el decreto, que iba a ser el cuarto o quinto, y que se iba a establecer en 2022. Hoy tenemos un decreto modificadorio que debería entrar en régimen este año, con tres tecnologías para dos problemas de salud: esclerosis múltiple y artritis reumatoide, donde se incorporan nuevas tecnologías, con el ánimo de ampliar la oferta, de modo que así pueda haber mayor disposición de medicamentos y de fondos para cubrir otras tecnologías que no están incorporadas.

Para nosotros, esto que les estoy mostrando aquí, que es la resolución N° 667, de agosto de 2021, es un problema muy importante, porque ya se establece que para la continuación de los tratamientos incluidos en el cuarto decreto se debería considerar únicamente el reemplazo de tratamiento garantizado por tecnologías que evidencien un mayor costo-efectividad o la inclusión de nuevos tratamientos cuyo efecto sea neutro en el gasto esperado.

Esto es lo que pasó con el decreto modificadorio que va a entrar en régimen este año: solamente pudieron ingresar tecnologías sanitarias que fuesen costo-ahorradoras o que no generaran tanto presupuesto, porque finalmente el fondo

está demasiado estresado para seguir gastando dinero nuevo en tecnologías que no están incorporadas.

Por lo tanto, esa es la razón por la cual habrían entrado solamente tratamientos para problemas de salud que ya estaban cubiertos, que, en este caso, eran esclerosis múltiple y artritis reumatoide, y solamente un par de tratamientos, en la medida en que fueran únicamente costo-ahorradores o no generaran necesidad de fondos nuevos.

Nos enfrentamos al problema que ya veníamos diciéndoles como organización de pacientes, como alianza chilena de agrupación de pacientes, en el mismo momento del proyecto de ley, que los fondos que se estaban destinando a la ley iban a ser insuficientes y que en algún momento nos íbamos a quedar cortos. Se habla ya de que la ley Ricarte Soto va a quedar sin fondos para 2028, según lo que ha dicho Hacienda, y lo importante es rescatar que hasta el corte previo al nuevo decreto 2025, que se está buscando hacer, hay 7.770 solicitudes emanadas de pacientes, de organizaciones de pacientes y sociedades científicas, para buscar cobertura, que es lo que yo les contaba al principio, que esta es una ley que genera mayores expectativas en la sociedad, porque cada persona puede generar una solicitud a través del sistema de Ricarte Soto.

Otro de los problemas que hoy día estamos viviendo es que, con el avance de la medicina, con la inflación y con una serie de otras cosas más, nosotros estamos enfrentados a que la ley de tratamiento de alto costo la -ley Ricarte Soto- está siendo incapaz de dar solución al problema de salud con tratamientos de altísimo costo. Entonces, estamos en esta paradoja de que hicimos una ley de alto costo, pero no podemos incorporar tecnologías que son efectivamente de un altísimo costo, porque la ley tiene fondos limitados, y esto está produciendo una fuga hacia la judicialización, que también consideramos que es algo inequitativo, que no es la forma como se tiene que hacer una política pública en salud, y hasta 2022, según Fonasa, se habían gastado cerca de 20.000 millones al año en

judicialización para el tratamiento de pacientes individuales.

Aquí mostramos el informe trimestral que emana de la Dipres, al cierre del año pasado, donde se establecen que hay disponibles 138.970 millones de pesos. Esto también es sumamente importante, porque es la forma en que nosotros comunicamos cómo está funcionando la ley. Cuando una paciente, que no tiene cobertura en la ley, cuando un único tratante quiere ingresar a un paciente con un tratamiento que no está en la ley, y uno escucha que finalmente no hay fondos en la ley, hoy día nosotros podemos ver que hay 138.970 millones de pesos disponibles al cierre del año pasado. Esto tiene toda una explicación técnica, pues hay fondos que están amarrados por tecnologías sanitarias, hay que asegurar, finalmente, la sustentabilidad financiera a largo plazo, pero para el paciente en su casa es muy complejo entender que no haya fondos, siendo que hay 3.000 millones de pesos que se obtuvieron solamente en ganancias de capital por intereses.

Otro de los problemas es que necesitamos una revisión de la ley Ricarte Soto. Hay protocolos de atención que necesitamos renovar y mejorar. Hay pacientes que se hacen resistentes a los tratamientos que están incorporados en la ley Ricarte Soto, por lo que necesitamos también ir ingresando familias terapéuticas, no solamente una acción por cada patología, sino que, cuando esos pacientes se hacen resistentes o refractarios, necesitamos también entregarles otra tecnología que esté cubierta para poder asegurarles la continuidad del tratamiento.

Como comentamos al inicio del proyecto de ley Ricarte Soto, hasta hoy y a casi diez años de la ley Ricarte Soto no hay forma de conocer el estado de la solicitud de ingreso del sistema de la ley Ricarte Soto, por los pacientes. Entonces, hemos tenido problemas con pacientes que van al médico tratante, este les dice que lo ingresarán allí, pero pasan tres, cuatro o cinco meses, y el paciente no tiene ninguna noticia y ha finalizado

con que el médico ya no está funcionando en el hospital, nunca hizo el ingreso, y el paciente quedó a la deriva, sin saber siquiera si está ingresado o no.

Entonces, hemos pedido y hemos sido superreiterativos sobre este tema con el ministerio, de contar con un sistema que rastree y que nos permita ver en qué estado está la solicitud de ingreso al sistema de la ley Ricarte Soto.

Otro de los problemas es que no todos los médicos tratantes, que deberían estar dando indicaciones terapéuticas con la ley Ricarte Soto, están ingresados en el sistema; por lo tanto, los pacientes tienen que ir dando bote y buscar un médico que esté registrado en el sistema, para que ese médico los pueda subir al sistema. Y sabemos que hay carencias en los profesionales en el manejo de las plataformas para hacer las solicitudes de los medicamentos. Muy unido a ello, existe falta de personal encargado de la ley N° 20.850 en los hospitales, específicamente de enfermeras, que son las que tienen que dar cuenta de la aplicación de estos medicamentos.

Conocemos casos, como el hospital de Antofagasta, donde hay una sola enfermera para todo lo que es la modalidad Hospital de día, y se tiene que hacer cargo, entre otras cosas, de la ley Ricarte Soto con pacientes reumatológicos, con pacientes inflamatorio-intestinales, y otros más. Estas personas, finalmente, no están dando abasto, y el subdirector médico del hospital nos contaba que una de las peores cosas que les pasa, como hospital, es que el médico o el profesional de la salud se vaya de vacaciones o con licencia médica, porque quedan con un vacío asistencial bastante importante.

Para finalizar esta exposición, algunas propuestas que traemos, como sociedad civil, que siempre hemos repetido, es revisar el sistema de la ley Ricarte Soto con participación ciudadana, quizás con la creación de alguna mesa técnica o similar en el ministerio, donde nos podamos sentar con los referentes técnicos ministeriales para ver distintas soluciones a largo plazo; hacer una actividad

pública con la sociedad civil para transparentar y explicitar los procesos de la ley Ricarte Soto. Para eso, también estamos hablando con distintos ministerios sobre la ley Ricarte Soto para hacer alguna actividad pública, donde se dé cuenta de la ley Ricarte Soto, y asegurar el financiamiento, vía impuesto, o parte del seguro universal.

Cuando nosotros escuchamos que el gobierno quiere hacer una reforma tributaria, de repente nos gustaría escuchar que se pudiese asegurar, a través de algún impuesto, algún financiamiento a largo plazo, o cuando escuchamos que el gobierno quiere hacer una reforma de salud, también nos gustaría escuchar que dentro de todo este *pull* del seguro universal pudiese haber un pedacito que asegurara tratamientos de alto costo, porque estos van a seguir subiendo; las inyecciones presupuestarias no seguirán subiendo mucho, pero los tratamientos va a seguir subiendo, y hay una necesidad interminable de tratamientos y coberturas que busca la sociedad civil.

Es cuanto puedo informar.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias, don Gonzalo.

Vamos a terminar el bloque de las agrupaciones de pacientes y, luego, vamos a dar la palabra a los integrantes de la comisión.

A continuación, escucharemos al representante de la Federación Chilena de Enfermedades Raras (Fecher).

Tiene la palabra el señor Leopoldo Cubillos.

El señor **CUBILLOS** (tesorero de la Fecher).- Señor Presidente, como representante de la sociedad civil, agradezco a usted y a todos los presentes por darnos esta oportunidad para intervenir en esta instancia de participación ciudadana, la cual es muy relevante para nosotros, como agrupación de pacientes.

Primero, felicitar a Gonzalo por su presentación. Empatizamos completamente con lo que él ha relatado en esta sala sobre la realidad que viven los pacientes en el

proceso de buscar un diagnóstico y ser atendidos en los hospitales de nuestro país, ya sean públicos o privados.

Segundo, vengo en representación de la federación, porque la persona titular que haría la presentación es un paciente, y la otra directora, quien vive en la comuna de Villa Alemana -también es paciente-. Por lo tanto, por defecto, los tuve que reemplazar.

Soy marido y cuidador de una paciente de enfermedad rara: el síndrome de Sapho, enfermedad autoinmune de carácter reumatológico, cuyo tratamiento es con un medicamento de alto costo: los llamados biológicos, que tiene una periodicidad mensual para tener una calidad de vida mejorada. Hablamos de los medicamentos que tienen un valor de alrededor de 2 millones y medio de pesos mensuales, y de ahí hacia arriba. Eso es lo que me lleva a participar en las agrupaciones de pacientes.

La Federación Chilena de Enfermedades Raras nace bajo la participación ciudadana en el proceso de la denominada ley Ricarte Soto en su nacimiento. Las agrupaciones de la sociedad civil se tuvieron que involucrar gracias a lo que nos pasó, y lo que nos convocó -como dijo Gonzalo- fue la marcha de los pacientes para tener acceso a medicamentos de alto costo mediante la denominada ley Ricarte Soto que, en un comienzo, nos motivó y nos hizo participar.

Lamentablemente, la "ley Ricarte Soto" se convirtió en un GES 2 y discrimina entre las personas que tienen acceso a tratamiento y las que no, por una cantidad de patologías.

Dicho lo anterior, como dije, mi nombre es Leopoldo Cubillos, tesorero de la Federación Chilena de Enfermedades Raras de hace cuatro años.

La comisión investigadora de la "ley Ricarte Soto" tiene por objetivo 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.

La Fecher, como les comenté, nace en el año 2014 y su constitución legal se realiza el 28 de febrero de 2018. Su primer directorio formal se constituye en junio del 2019.

Fecher es miembro del grupo para las Enfermedades Raras en el Caribe y América Latina (Ercal). Busca crear alianzas con estas organizaciones regionales que nos permitan construir y desarrollar soluciones para mejorar la perspectiva de las enfermedades raras para Latinoamérica y el Caribe.

Es una organización que reúne agrupaciones de personas con patologías o enfermedades raras, poco frecuentes, ya sean individuales o colectivas. Acompañamos en la constitución legal y en el diseño de planes estratégicos de estas agrupaciones de pacientes. Muchas de ellas son patologías bien raras que componen una sola persona, dos o tres personas a nivel nacional o, incluso, una persona a nivel mundial.

¿Qué hacemos? Ayudamos a las personas en su representación, ya sea en temas legales, de información y de orientación.

Apoyamos el desarrollo en diversas áreas de la investigación, ya sea genética, económica, de salud pública y de políticas públicas en este tipo de instancias en las que se nos da la oportunidad de representar a los pacientes, siendo su voz y la de sus familias.

Apoyamos el desarrollo en diversas áreas de la investigación, ya sea a nivel nacional o internacional, y tratamos de incluirlos en las políticas públicas a nivel nacional entregándoles nuestro apoyo o nuestra crítica cuando corresponde y a las organizaciones que corresponda.

Chile es el país que menos ha avanzado desde la instalación del plan piloto de tamizaje neonatal. Las personas, en Chile, se demoran entre 7 a 12 años, según nuestro catastro propio del año 2019, y este retrasa el impacto en la calidad de vida y el acceso al tratamiento de las personas. Apoyamos el desarrollo en diversas áreas de la investigación, como ya comenté.

La hospitalización domiciliaria no tiene consideración con los requerimientos de interacción social que tienen los niños, niñas y adolescentes, incompatibles con la asistencia a una escuela con programas de integración.

Las personas con hospitalización domiciliaria, en Chile, viven expuestas a riesgos variados, pero principalmente por su condición de electrodependencia y las dificultades integradas con la ley para su protección. La tipificación de electrodependiente no depende del equipo sanitario.

La mejora al acceso de terapias de alto costo, sean fármacos, dispositivos, intervenciones quirúrgicas o estadías prolongadas, debe ser atención de la autoridad gracias al impacto significativo que podría implicar en la vida no solo de las personas que lo requieren, sino también de su grupo familiar y laboral, si existiera.

Eso quería comentar en esta comisión.

Vengo en representación de Alejandro, de Judit y Carla, las personas que componen el directorio de la federación. Es una responsabilidad enorme para nosotros, como cuidadores, ser la voz de los pacientes en estas instancias, ya que por su condición física y de salud muchas veces no pueden participar. Así que, para nosotros, es un tremendo desafío representarlos y ser su voz en esta instancia.

Gracias, señor Presidente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- A continuación, tiene la palabra la vicepresidenta de la Federación de Enfermedades Poco Frecuentes (Fenpof Chile), señora Jessica Cubillos Arellano, acompañada por la señora Deysi Zúñiga Godoy.

Queremos conocer su opinión y visión sobre lo que trata esta Comisión Especial Investigadora.

Tiene la palabra la vicepresidenta de Fenpof Chile, señora Jessica Cubillos.

La señora **CUBILLOS**, doña Jessica (vicepresidenta de Fenpof Chile).- Señor Presidente, mi nombre es Jessica Cubillos.

Soy madre de tres hijos. Principalmente me mueve ella. ¿Quién es ella? Luciana González, quien mañana va a cumplir 12 años y vive con una enfermedad poco frecuente como lo es el Síndrome de Rett.

Hoy, estoy alzando la voz no solo por ella, sino por las personas que representamos como Federación de Enfermedades Poco Frecuentes en Chile.

No me voy a extender en lo que ya mencionaron mis compañeros de causa, tanto Gonzalo como Leopoldo, respecto del estado actual de la Ley Ricarte Soto, sino que quiero hablarles desde el lado humano, desde el lado de lo que vivenciamos. Además, a propósito de lo que nos preguntó el diputado Tomás Lagomarsino, quiero decir que nosotros resumimos esa información, la tenemos en un Excel y, al finalizar esta presentación, se la haremos llegar. Ahí pudieron participar las 19 organizaciones que componen nuestra federación y la mayoría de ellas en este minuto, a excepción de FAME -luego va a venir la presentación de Paulina-, no está contemplada en la Ley Ricarte Soto, y como bien dijo Gonzalo, esta es una ley que en el fondo está estresada y, de alguna manera, también está sobredemandada. Esa es la realidad actual de la ley.

Respecto de lo mismo, si bien la ley Ricarte Soto se levanta como un proyecto valioso que, de alguna manera, respondió al llamado de la comunidad hace un par de años, hoy por hoy no resuelve todas las situaciones de crisis y de emergencia que viven las personas con enfermedades poco frecuentes, con una enfermedad rara, una enfermedad huérfana y tampoco resuelve lo que vivimos quienes cuidamos.

Muchas veces, cuidar significa hacerlo 24/7; 27 horas cuidando puede ser también una comparación respecto del evento que nos convoca una vez al año; 27 horas es una exageración, pero es la realidad de muchas mujeres que cuidan las 24 horas sin descanso.

Hoy por hoy, si bien esta ley cumple ciertos criterios y permite sin duda dar respuesta a muchas personas, está ciertamente desfasada en cuanto a la realidad que

enfrentan las familias con enfermedades poco frecuentes. En Chile se estima que son 2 mil enfermedades poco frecuentes. Si eso lo traducimos en número de personas afectadas, quiere decir que aproximadamente 1 millón 500 mil personas en este país vive con este tipo de condiciones poco frecuentes.

En nuestra organización se agrupan enfermedades tales como microtia e hipoacusia, Síndrome de Menkes, Síndrome de Turner, autoinflamatorias, Duchenne, Porfiria, Charcot, Dravet, Vogt-Koyanagi-Harada y Uveítis, Citrulinemia, Síndrome de Rett y AME.

Somos muchos los que necesitamos respuesta del Estado de Chile; no del gobierno de turno.

Mi hija mañana cumple 12 años y la mitad de la vida de ella he estado alzando la voz; me he estado movilizándolo, así como también mis compañeros de causa.

¿Cuánto tiempo más tenemos que esperar para que tengamos soluciones? ¿Cuántas vidas más se van a perder si el Estado de Chile no da respuesta? ¿Cuántas mujeres más van a tener problemas de salud mental? Porque cuidar también nos afecta, no solo en lo físico, sino también en salud mental.

Si bien hoy la ley Ricarte Soto -vuelvo a insistir- responde a algunos de estos tipos de enfermedades, ciertamente no alcanza a cubrir todas las necesidades existentes. Es un sistema estresado, una ley que, como bien dijo Gonzalo, probablemente se va a quedar sin fondos en el 2028, y ¿qué vamos a hacer?

Por otra parte, es fundamental que la red de salud, sobre todo quienes son administradores de la misma, esté informada de esta ley, para que puedan dar buena asesoría, puedan comunicar a las familias.

Es impactante vivir con una condición poco frecuente; más encima golpear puertas y que nadie te entienda o que desconozca la información y no sepa dónde derivarte también hace todo menos humano, menos empático y es un sistema que debiese cambiar. No solo se trata de números,

no solo se trata de tener mayor financiamiento, sino también de mayor educación en la red.

Por último, quiero decir que hay organizaciones o grupos de familias que no pertenecen a organizaciones "paraguas" o a una organización propia. Hay casos que son únicos en nuestro país y están llevando solos esta batalla o esta causa, y el sistema no da abasto, no se les reconoce y no hay hospitalización que los pueda sostener.

Nuestros hijos no solo merecen un medicamento o un tratamiento, como también las personas adultas, merecen tener la posibilidad de una hospitalización que responda a la necesidad de esa persona, de ese paciente. No todo es tratamiento médico ni un tratamiento de alto costo. Es importante saber que para sostener y mejorar la calidad de vida de estas personas necesitamos terapias y eso también puede ser de alto costo.

Las personas electrodependientes gastan mucho dinero para poder sostener la vida de sus familiares porque hay un costo altísimo en energía. Las terapias también son de alto costo y hay que pensar que este tipo de condiciones o enfermedades poco frecuentes son para el ciclo vital. No se acaba; se acaba lamentablemente cuando la persona fallece. No podemos esperar que eso ocurra. Ya murieron muchos. ¿Vamos a seguir esperando que mueran más personas? ¿Qué va a hacer el Estado de Chile?

Muchas gracias por su atención y espero que esta no sea una reunión más, no sea una comisión más y podamos lograr garantías reales para estos chilenos, en memoria de quienes ya no están.

Muchas gracias.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Agradezco a la señora Jessica Cubillos por su conmovedor testimonio.

Tiene la palabra la presidenta de la Corporación de Familias con Atrofia Muscular Espinal, señorita Paulina González.

La señorita **GONZÁLEZ**, doña Paulina (presidenta de la Corporación de Familias con Atrofia Muscular Espinal).- Señor Presidente, mi nombre es Paulina González, soy la

presidenta de FAME Chile hace ya seis años y también madre de una niña con atrofia muscular tipo 1, que tiene 12 años.

FAME Chile partió hace 14 años por la necesidad de las familias de poder reunirse y compartir sus experiencias de vida. Más que nada para conversar y acompañarse, porque hace 14 años no existía ningún tratamiento para la atrofia muscular. Desde hace 12 años contamos con personalidad jurídica.

FAME Chile recibe a todas las familias que quieran participar y ser parte de esta agrupación. Nosotros no buscamos pacientes ni los obligamos a estar o a irse. Los pacientes llegan porque reciben un diagnóstico y porque muchas veces el médico que los diagnosticó les menciona que existe una agrupación de pacientes y, en el caso de los pacientes que son del área pública, ellos llegan buscando una asesoría para la representación legal para el acceso a uno de los tratamientos.

Hoy, hemos representado más de 80 causas en tribunales para el acceso al tratamiento, donde hemos perdido solamente cinco causas, y hoy tenemos más de 75 pacientes recibiendo tratamiento costado por el Estado, entre ellos Spinraza y Risdiplam.

No leeré la presentación de manera completa, sino que iré resumiendo.

Nuestra agrupación, hace algunos años, logró formar un banco de ayudas técnicas en el sistema respiratorio para poder apoyar a todos los pacientes que hoy no tienen acceso a un asistente de tos o a un ventilador mecánico, para que puedan ser dados de alta y tratados en sus casas. Estos equipos no solo se les facilitan a las familias, sino también a hospitales y clínicas privadas. Cabe mencionar que mencionar que lamentablemente en ningún hospital público y en ninguna de las clínicas existen asistentes de tos, que son de vital importancia para un paciente AME que está pasando por una neumonía. Estos equipos se entregan a las familias, en préstamo, por un tiempo determinado y cuando el paciente sale de su

gravedad, lo devuelve a la agrupación, nosotros los mandamos a mantención y los hacemos circular por todos nuestros niños. Así, los equipos ya han pasado por más de 50 familias.

También trabajamos con la ayuda de las farmacéuticas, presentando proyectos para educar a las familias y también a los profesionales. Quiero hacer hincapié en el tema los profesionales porque lamentablemente en Chile son contados con los dedos los profesionales que manejan la Atrofia Muscular Espinal, AME, por eso, en muchos hospitales ocurren negligencias con los pacientes, porque estos llegan con un diagnóstico tardío o erróneo y, muchas veces, en vez de consultar a un especialista del área broncopulmonar, deciden simplemente intubarlos o hacerles una traqueostomía que, muchas veces, no es necesaria; así, condenan a esos pacientes a vivir de forma electrodependiente el resto de sus vidas.

En el caso de las familias también trabajamos en entregarles educación por medio de jornadas educativas, que son proyectos que presentamos a las farmacéuticas para contar con el apoyo económico, auspicio para traer médicos de fuera del país que trabajan en las investigaciones activas de los nuevos tratamientos y de los que ya existen. Todo esto se lo entregamos de forma gratuita a los pacientes. En nuestras jornadas ningún paciente ni profesional paga una entrada para educarse.

Referente a la ley Ricarte Soto no me puedo explayar porque la verdad es que mis compañeros ya dijeron todo. No contamos con cobertura en la ley Ricarte Soto, pese a que hemos postulado a todos los decretos. La única respuesta que se nos entrega desde el ministerio es que la patología AME es demasiado cara y que con solo un par de pacientes se consumiría el fondo completo; por lo tanto, no podrían dejar recursos para el resto de las patologías que ya existen dentro de la ley. Jamás hemos tenido una respuesta ciento por ciento formal.

Esta patología tampoco cuenta con *screening* neonatal. Hace un año nos reunimos con la señora Tania Herrera

Martínez, jefa de División de Planificación Sanitaria del Ministerio de Salud, en mayo del 2023, solicitándole tener acceso al nuevo listado que se estaba trabajando para *screening* y su respuesta, la verdad, fue vergonzosa. Nos dijo que era antiético que los pacientes con AME accedieran a un *screening* neonatal. Le respondí que es antiético que el Estado no entregue acceso a *screening* neonatal cuando hay tres tratamientos que están vigentes. Luego, nos reunimos con la ministra de Salud y también conversamos sobre el mismo tema y ella nos dio una respuesta un poco más amplia. Claramente, nos dijo que no era antiético, pero que lamentablemente esto no pasaba por el Ministerio de Salud, sino que era el Ministerio de Hacienda el que no autorizaba los fondos para que se ampliara el listado de nuevas patologías en el *screening* neonatal.

Hoy contamos con un protocolo para entregar tratamientos a los pacientes, pero lamentablemente sigue llegando tardío. Si no tenemos un *screening*, ese paciente igual recibe un diagnóstico tardío. Entonces, no sirve de nada todo el esfuerzo que se hace por entregar un medicamento de tan alto costo si finalmente igual llega tardío y las expectativas que hoy tiene el Ministerio de Salud para estos pacientes no se logran cumplir ciento por ciento. Todos sabemos que un acceso a un tratamiento temprano nos entrega mejor calidad de vida.

Respecto de la hospitalización domiciliaria puedo mencionar que gran parte de los pacientes AME tienen acceso a ella, sobre todo los AME tipo 1, electrodependientes, que parte del programa AVNI-AVI del Ministerio de Salud, que funciona pésimo en todos los sentidos y que hemos denunciado muchas veces al ministerio. ¿Por qué funciona pésimo? Porque lamentablemente los pacientes electrodependientes necesitan un profesional las 24 horas del día y a los pacientes AME, y a la gran mayoría, solo se les entrega un servicio por 12 horas, siendo la mamá la que tiene que seguir con el cuidado el resto de la noche sin poder

trabajar ni dormir. Muchos de los TENS, ni siquiera lo son, solamente son técnicos de educación media y tampoco llegan a los turnos. Cuando las familias hacen las denuncias nadie les contesta el teléfono. Oximed, que es la empresa que tiene la licitación, tampoco responde ni da soluciones y los pacientes, lamentablemente, quedan al cuidado de alguien de su familia que no es un profesional de salud y, por tanto, no tiene por qué manejar lo relacionado con la ventilación mecánica o mantención de una traqueostomía o gastrostomía.

Lamentablemente, por la falta de profesionales en los domicilios de electrodependientes, muchos pacientes han fallecido, porque a la mamá le gana el sueño o el cansancio y al despertar ha encontrado a su hijo muerto. También pasa por la mala mantención que Oximed entrega a los equipos respiratorios de los pacientes. Los equipos que los pacientes tienen en sus casas no reciben mantención y también lo hemos denunciado al Ministerio de Salud. Hay equipos, como es el caso de ventiladores mecánicos, que tienen ciertas horas de función y después de eso tienen que pasar por una mantención obligada, que Oximed no hace. Hay pacientes que tienen más de 6 años el mismo ventilador sin ninguna mantención. Por lo tanto, es un servicio que lamentablemente funciona pésimo también la parte de insumos. Los insumos que se les entregan a los pacientes solo alcanzan para 10 días y los 20 días restantes del mes los tiene que costear la familia, buscando en las redes sociales quién los vende más baratos.

En este punto de la aclaración pública quiero comentar algo que mencionó la doctora Sandra Reyna en su presentación de Novartis, sobre las dosis gestionadas para el Estado de Chile. No fue un trabajo del Ministerio de Salud ni del gobierno anterior. Fue un trabajo que hizo FAME Chile, durante 2 años, con Novartis. Conseguimos esa donación para Chile y, claramente, teníamos que involucrar al Ministerio de Salud para que se nos abriera la posibilidad de contar con un centro público de diagnóstico y administración, ya que, hasta ese momento, los pacientes

que recibían Zolgensma, por alguna donación de la muy conocida ruleta, solamente eran atendidos en la Clínica Las Condes. La donación era solamente de la dosis. Todo lo relacionado con la hospitalización y los controles que vienen después era costado por la familia. Sabrán lo que cuesta hoy día un bono en una clínica privada, que no tiene ningún convenio con Fonasa, y la gran mayoría de los pacientes que se atendían ahí eran de Fonasa y hoy tienen deudas millonarias.

Los primeros cinco pacientes fueron de un listado que FAME Chile envió al ministerio. Ninguno de estos pacientes fue escogido por el ministerio ni mucho menos por el entonces ministro Enrique Paris, porque comprenderán que, en su calidad de ministro no se puede involucrar, decidiendo quién sí y quién no. Le mandamos un listado de pacientes que cumplían el rango de edad que nos indicaba el laboratorio. Dentro de todo nuestro listado solo había cinco pacientes que cumplían el rango de edad y algunos ya recibían otro tratamiento, pero, como estaban dentro del rango, les dimos la oportunidad de recibir la terapia génica. Entre ellos, hay dos electrodependientes. Tengo que mencionar que a esos pacientes no se les hizo seguimiento desde el Ministerio de Salud y no todos mostraron la mejoría que necesitaban o que se esperaba. Incluso, una de estas pacientes pasó de ser ventilada por mascarilla a ser electrodependiente.

Las dos últimas dosis sí fueron administradas por el Ministerio de Salud, porque en esa fecha ya existía la comisión de expertos, que ellos indican. Esos pacientes fueron postulados por sus médicos tratantes. Ahí están los nombres de los primeros cinco y, después, de los segundos dos pacientes, uno fue postulado a esta comisión por el doctor Ricardo Erazo y la segunda paciente por la doctora Bernardita Suárez. Son los dos beneficiarios que el ministerio, o su comisión de expertos, decidió que podían recibir el tratamiento. Esas fueron las siete dosis que se donaron.

Respecto de la Ley de Presupuestos también hemos hecho una campaña, que el diputado Félix González debe conocer, ya que muchas veces nos apoyó con los escritos que se mandaron al gobierno anterior, del cual no obtuvimos ninguna respuesta. El año pasado tampoco tuvimos respuesta del gobierno actual.

Se han presentado propuestas para incluirnos en la Ley de Presupuestos. Más abajo, pueden encontrarlas. Se las hemos entregado al Ministerio de Salud, al Ministerio de Hacienda, y a la Contraloría. En la última ocasión se las entregamos, en mano, a la senadora Ximena Rincón, que, en ese entonces, era la Presidenta del Senado. Nunca tuvimos respuesta alguna y tampoco tuvimos acceso a la Ley de Presupuestos. Por lo tanto, nuestra agrupación no recibe absolutamente ningún beneficio del Estado más que lo que se está entregando hoy con el protocolo Zolgensma, que, como mencioné delante, sigue llegando tarde. Tenemos tres pacientes a la espera de recibir la dosis. Uno de ellos lleva más de dos meses esperando y el protocolo indica que la respuesta tiene que ser en cinco días, no en dos meses.

Muchas gracias, Presidente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias, doña Paulina González, por su completa exposición.

Corresponde escuchar a la Fundación Neuromielitis Óptica, NMO Chile, cuya invitación fue solicitada por el diputado Félix González. Vienen en su representación, las señoras Gabriela Jofré y Claudia Chaparro.

Tiene la palabra la señora Gabriela Jofré.

La señora **JOFRÉ**, doña Gabriela (presidenta de la Fundación Neuromielitis Óptica, NMO Chile).- Señor Presidente, en honor al tiempo, vamos a comenzar. Mi nombre es Gabriela Jofré, presidenta y fundadora de la Fundación NMO Chile. Hoy vengo con Claudia Chaparro, quien también es de la directiva de la fundación y, además, ambas somos pacientes. La fundación tiene por objeto apoyar y acompañar a los familiares con la enfermedad neuromielitis óptica.

El 17 de julio de 2019 fue el día que dejé de caminar. Pensé que había sido el peor día de mi vida. Tenía en ese momento 28 años y una vida sana; además, era una mujer independiente y trabajadora. Sin entender lo que estaba sucediendo, fui a la Clínica Dávila. Por suerte era la más cercana a mi casa y la que tenía cobertura en mi plan de isapre. Tenían un equipo de neurólogos que conocían la esclerosis múltiple, la NMO, dándome tratamiento de inmediato con pulsos de metilprednisolona para desinflamar mi médula.

Mientras tanto, me empezaron a hacer muchos exámenes, incluso algunos que se mandaron a la Clínica Mayo en Estados Unidos. Mi diagnóstico en ese momento aún no lo sabían, pero tenía una lesión medular y una en el cerebro. Durante este periodo de hospitalización, la doctora a cargo se acercó a mi mamá, le tocó el hombro y le dijo: "Cómprele una silla de ruedas, que ella nunca más va a volver a caminar". En ese momento, habían pasado cinco días desde que tenía una vida totalmente normal a tener que aprender a tener una vida sin caminar.

Después de 15 días, estando hospitalizada el 1 de agosto, a las 05:00 horas, comencé a sentir como si tuviera un cinturón de fuego apretando mis caderas, que iba subiendo con un dolor inimaginable. Cada vez que subía, la parte de abajo quedaba sin sensibilidad. En ese momento fue cuando quedé tetraplégica. Tenía visión borrosa y, además, dificultad para hablar. Ese día realmente fue el peor día de mi vida. Veía muy borroso y solo intentaba mirar a mi mamá para despedirme de ella con lo poco que podía hablar. Obviamente pensé que hasta ahí había llegado y que me iba a morir. Por suerte, en la clínica me atendieron rápidamente para hacerme plasmaféresis y así hacer que mis anticuerpos no me siguieran atacando.

Me diagnosticaron con esclerosis múltiple, enfermedad que todos conocemos por la gran lucha que implica; pero en ese instante me hicieron muchos otros exámenes con los cuales descubrieron que no tenía solamente una lesión,

sino que más de cien lesiones medulares, tanto de esclerosis múltiple como de NMO. Con la plasmaféresis tuve muy buenos resultados. En un par de días mi visión volvió.

Al pasar los siguientes días mi fuerza en los brazos volvió levemente y mi control del cuerpo. Con neurokinesiólogía comencé todo desde cero: a comer, a sentarme, a lavarme los dientes, entre otras cosas. Mientras tanto, seguían viendo que ahora ya mi diagnóstico había cambiado. Por tener estas lesiones que son de NMO y esclerosis múltiple finalmente me diagnosticaron con neuromielitis óptica. En ese momento ya era totalmente difícil entender lo que era la esclerosis múltiple como para, adicionalmente, entender lo que era el NMO. En ese instante empezaron todos los pensamientos de cómo iba a costear la enfermedad, porque ahora ya no tenía esclerosis, sino que tenía NMO. Automáticamente, quedé fuera de los tratamientos de la ley.

Seguí incansablemente con la neurokinesiólogía y empecé a caminar sin sentir las piernas. Pasé de la silla de ruedas al burrito, luego a estar de pie, después a caminar la mayoría del tiempo bien. Mientras aprendía a caminar, arrastraba de la clínica una cuenta millonaria que no sabía cómo iba a pagar. Tampoco sabía cómo iba a continuar después con los tratamientos ni entendía qué era la enfermedad.

Llevo casi cinco años con tratamiento gracias a la ayuda de mis neurólogos. Realmente es gracias a ellos, que haya podido reducir las cuentas de la isapre para pagarles y aún así llevo muchas cuentas millonarias aún por pagar.

Hace un año y medio pude entrar a la ley Ricarte Soto por mis lesiones de esclerosis múltiple y acceder al tratamiento sin costo; pero aún así tengo todas las deudas que vienen conmigo.

Pero Belén no tuvo la misma suerte que yo. Ella tiene 19 años y vive en la Región de Valparaíso. Se atendió en el hospital Van Buren por un dolor en sus ojos y espasmos en su brazo y su pierna derecha. Le dieron corticoides en bajo nivel, la mandaron a su casa y le dijeron que en un

mes vuelva a pedir hora con un neurólogo. No encontró atención ni donde atenderse, y, al pasar los días, perdió la visión de sus dos ojos, además de padecer parálisis de su pierna y brazo derecho, que eran secuelas irreversibles. Se tuvo que ir a atender a Santiago en el hospital de la Universidad Católica para acceder al tratamiento.

Ellos la diagnosticaron con NMO y le dieron rituximab, que es un medicamento para prevenir las crisis de NMO. La cuenta le salió más de 12 millones de pesos, cuenta familiar que no pudieron pagar y hasta el día de hoy no se puede administrar todas las dosis de los medicamentos, por lo que tiene ahora debilidad en su pierna izquierda.

Tener un tratamiento adecuado y evitar una recaída no puede ser un factor de suerte. Esto no puede determinar la gravedad de las secuelas que debemos afrontar los pacientes después de un brote. El diagnóstico oportuno y el tratamiento adecuado debería ser el mismo para todos y no debería estar supeditado al conocimiento y manejo que tenga el médico de urgencia que trata al paciente o a los recursos que tengan disponible en el centro de salud, como hacer una resonancia magnética a tiempo.

La neuromielitis óptica es un trastorno del sistema nervioso central que afecta principalmente los nervios ópticos y la médula espinal, que es también conocida como el síndrome de Devic. Esta enfermedad puede causar ceguera en uno o dos ojos, debilidad o parálisis de las piernas o brazos, espasmos dolorosos, pérdida de sensibilidad, hipo y vómitos incontrolables, mal funcionamiento de la vejiga y de los intestinos, fatiga muscular y problemas para hablar.

En los niños, la neuromielitis óptica puede causar confusión, convulsiones o estado de coma. Esta enfermedad ataca a todos los anticuerpos de nuestro cerebro e impide que las conexiones lleguen a la respuesta que se envía al cerebro, por lo tanto, no llegan todos los movimientos. Puedo decir que quiero mover un brazo o una pierna y

realmente mi cuerpo no hace la reacción que envía mi cerebro.

Para diagnosticar la enfermedad se hacen unos exámenes que son la anti aquaporina 4, anti-MOG, resonancia magnética y aspectos visuales que puedan tener los pacientes. Los tratamientos son todos *off-label*, o sea, significa que ninguno de estos tratamientos son para la enfermedad. En la presentación observamos la rituximab, que es uno de los medicamentos que se utiliza para los tratamientos de esclerosis múltiple, con una gran efectividad de disminuir los brotes siguientes de la enfermedad.

Los otros medicamentos son azatioprina, micofenolato mofetil y corticoides; pero ahora tenemos un medicamento que realmente es para la enfermedad, que está en Chile y ya está aprobado. Sin embargo, el valor anual de este medicamento es de 78 millones de pesos. Son inyecciones mensuales que se aplican de forma subcutánea. Esto evita los frecuentes brotes que se pueden tener con la enfermedad. La frecuencia de brotes es de cada tres años y cada uno de estos puede aumentar el nivel de secuelas o dar lugar a nuevas secuelas permanentes como la ceguera, parálisis, entre otros.

Se estima que somos 300 pacientes en Chile. Estos pacientes y sus familias deben afrontar las consecuencias físicas, psicológicas y económicas de esta enfermedad. Por cierto, hay niños incorporados dentro de esos 300 pacientes; sin embargo, solo un paciente adulto tiene acceso al medicamento para la NMO, que es el Satralizumab, y el resto de los pacientes estamos con otros tratamientos que son *off-label*.

Asimismo, ocho de cada diez pacientes tienen ceguera en uno o ambos ojos. Ocho de cada diez pacientes tienen debilidad o parálisis en sus extremidades, y nueve de cada diez viven con dolor neuropático.

Tanto la NMO como la esclerosis múltiple son enfermedades desmielinizantes y autoinmunes. La NMO es la enfermedad primo hermana de la esclerosis múltiple, por

lo que existen muchos diagnósticos que realmente son casos de neuromielitis óptica.

En 2004, con el examen de Aquaporina 4, se determinó que el anticuerpo afectado era algo diferente. Esta enfermedad se presenta en forma muy similar a la esclerosis múltiple, pero 50 veces más fuerte en sus brotes y en sus secuelas permanentes.

Fuimos tratados por muchos años como pacientes con esclerosis múltiple. Nuestros mismos pacientes que en ese momento estaban diagnosticados con esclerosis múltiple fueron parte de las agrupaciones que apoyaron y lucharon por integrarse a la Ley Ricarte Soto, pero, luego de ser diagnosticados con neuromielitis óptica, quedaron fuera de los tratamientos.

En 2015, cuando la esclerosis múltiple fue parte de la Ley Ricarte Soto, se consideró a 2.700 personas, pero se olvidaron de los 300 pacientes con NMO que buscábamos las mismas terapias.

Estoy aquí por todos los pacientes con NMO que no pueden hacerlo. Estamos aquí para mirarlos a los ojos por todas las personas que perdieron la visión por no haber tenido un tratamiento adecuado. Estamos aquí en nombre de las familias, que también se han empobrecido y han tenido que dejar de trabajar por cuidar a sus familiares.

Por todo ello, les pedimos que incorporen la neuromielitis óptica a la Ley Ricarte Soto, con los medicamentos en común que tenemos para la esclerosis múltiple y con el tratamiento directo que es para la NMO, además de todos los tratamientos para la neurokinesiólogía, que son indispensables para disminuir las secuelas provocadas por los brotes.

Muchas gracias por su tiempo y su atención.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Gracias a usted, señora Jofré.

Habiendo recibido y escuchado a todas las agrupaciones, ofrezco la palabra a los integrantes de la comisión que quieran hacer preguntas o referirse a lo que hemos escuchado.

Tiene la palabra el diputado Félix González.

El señor **GONZÁLEZ** (don Félix).- Señor Presidente, muchas gracias por haber accedido a todas las invitaciones que se pidieron.

Primero, quiero saber si el Ministerio está presente *online* o en la sala.

Voy a referirme a la última exposición sobre neuromielitis óptica.

Uno de mis hijos tiene neuromielitis óptica. Según entiendo, es uno de los pocos niños diagnosticado con dicha enfermedad. No me voy a inhabilitar, porque cualquier decisión que se tome no me favorece de manera alguna.

En ese sentido, es útil explicar o resaltar cosas que dijo la señora Gabriela Jofré. Una de ellas es que muchas personas diagnosticadas con esclerosis múltiple fueron parte de la campaña para poder ingresar a la Ley Ricarte Soto. De hecho, lograron hacerlo, pero después les dijeron que el anticuerpo que las atacaba era otro y que, por lo tanto, no tenían esclerosis múltiple, sino neuromielitis óptica, por lo que estaban fuera de la Ley Ricarte Soto.

Las personas que fueron beneficiadas por dicha ley son la mayoría, pero cerca de 300 quedaron fuera precisamente porque es un diagnóstico distinto. Si bien el desarrollo de la enfermedad es muy similar, las secuelas y consecuencias de la neuromielitis óptica son mucho peores.

Mi hijo, que tiene 10 años, padece una enfermedad incurable, que va a ser para toda la vida, y la posibilidad de que tenga recaídas es alta. Además de que dicha enfermedad debiera estar dentro de la Ley Ricarte Soto, también debiera considerarse que existe un medicamento específico, al cual se refirió la señora Gabriela Jofré. ¿Por qué? Porque el tratamiento actual que están recibiendo no está autorizado para niños, así que tampoco es para adultos.

Retomando la idea, hay una diferencia importante, cual es que el tratamiento es una inmunosupresión total. Entonces, después de que se aplica la quimioterapia -a mi

hijo se le aplicó hace un par de días; estuve con él durante la noche-, la neuróloga dice que el paciente salió superbién y que tiene cero anticuerpos, cero defensas; sin embargo, si él se llegara a contagiar por un resfrío, podría fallecer. En cambio, este otro medicamento, que está autorizado para adultos y es más específico, no deja a las personas con esa inmunosupresión total que consigue exitosamente el Rituximab.

Por eso, es importante que el Estado de Chile pueda entregar el tratamiento que corresponda a cada una de esas enfermedades. En este caso, el tratamiento para la neuromielitis óptica es el Satralizumab, no otro. El otro tratamiento es para otras enfermedades.

Existiendo en Chile, y teniendo autorización del Instituto de Salud Pública y siendo recetado por los profesionales correspondientes, la responsabilidad del Estado es cubrir el costo de ese medicamento, independientemente de su costo, porque va a pasar lo mismo que está ocurriendo con la AME, circunstancia en la cual los niños mueren. ¿Por qué ocurre aquello? El Estado no ha podido entender que termina pagando igual, porque la corte les dice que tienen que pagar, que tienen que comprarlo de a uno por uno, pudiendo negociar el precio y programar la compra. El Estado lo tiene que pagar igual, no puede evadirlo, pero llega tarde con la AME. Si no se corrige esa situación, seguirá llegando tarde, porque hay un paciente que tiene el tratamiento, probablemente por razones privadas, y el resto no lo tiene.

Entonces, esta enfermedad vale para todas las demás. Pero quiero referirme a esta porque es rara, poco conocida; de hecho, uno se la explica a los amigos, pero a las tres semanas se la tiene que volver a explicar.

Este anticuerpo, el anti-acuaporina 4, dice "sí, esto es lo que tiene". Después de haber pasado varias semanas en el hospital para hacer un montón de exámenes de todo tipo, buscando Bartonella y de todo, se logra encontrar ese anticuerpo. El anti-acuaporina 4 significa que por los canales de agua puede llegar a todos lados; la

enfermedad se llama neuromielitis óptica, porque suele atacar el nervio óptico. Entonces, es una enfermedad muy brutal.

Las comisiones investigadoras no son resolutivas, pero creo que va a tener efecto en la medida en que este gobierno tenga oídos y voluntad. Evidentemente, no me refiero al representante del ministerio que hoy está presente, sino, probablemente, a la ministra y al Presidente de la República.

Gracias.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias, diputado Félix González.

Tiene la palabra el diputado Enrique Lee.

El señor **LEE**.- Señor Presidente, cada uno de los relatos de las vivencias de las familias y de las personas son, indudablemente, conmovedores y muy parecidos a lo que uno y ustedes hemos vivido toda la vida. Esa es la triste realidad no solo de las enfermedades raras, porque hay enfermedades super comunes que a veces no tienen los resultados esperados, muchas veces catastróficos, porque hay demora en la atención. No solo hay listas de espera en enfermedades raras, sino también en enfermedades hipercomunes y que todos sabemos cómo se solucionan, pero los pacientes están esperando y están muriendo. Esa es la realidad.

Entonces, para no salirme del objeto principal de esta comisión investigadora, debemos avanzar en algunos aspectos fundamentales.

Primero, respecto del último tema expuesto, si algunas condiciones fueron acogidas por la Ley Ricarte Soto no porque apareció un método de diagnóstico específico que podrá cambiarle el nombre de la enfermedad -me refiero a la especificidad de la causa-, todo el escenario es prácticamente el mismo.

Por lo tanto, me parece brutal que se les saque de los beneficios que ya se han incorporado, como es el caso de la neuromielitis óptica.

Señor Presidente, considero como punto relevante el tema de Zolgensma. Entiendo que fue la fundación FAME la que finalmente consiguió esas siete dosis. Y no me quedó claro, y me gustaría saberlo, dado que en la primera respuesta de Novartis sobre cuál fue su procedimiento, simplemente dijeron: "Minsal seleccionó, nosotros nos desentendemos". Luego, FAME nos dice: "Nosotros participamos en la selección de los primeros cinco. Los últimos dos fue el Minsal el que seleccionó". Pero no nos dice que no hubo seguimiento.

Quiero insistir en el tema del seguimiento, porque entiendo que, para incorporar tratamientos, terapias o medicamentos nuevos, Fonasa tiene que hacer un ingreso inicial con un cierto nivel de seguimiento para poder incorporarlos antes a su programa de prestaciones. No importa el nombre que tenga ese programa de prestaciones.

Entonces, la pregunta concreta...

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Disculpe que lo interrumpa, diputado Lee. Es para solicitar el acuerdo de prorrogar por quince minutos la sesión, con el objetivo de terminar la ronda de preguntas y respuestas.

¿Habría acuerdo?

Acordado.

Continúa con la palabra el diputado Lee.

El señor **LEE**.- Gracias, señor Presidente.

La pregunta concreta es para FAME, con el objeto de que se nos pueda especificar si hubo seguimiento, porque me parece grave que la incorporación de terapias en Chile no cuente -lo establecido en la ley- con que tengan algún tipo de seguimiento inicial.

Gracias, señor Presidente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra la diputada Consuelo Veloso.

La señora **VELOSO** (doña Consuelo).- Por su intermedio, señor Presidente, saludo a nuestros invitados, en su mayoría mujeres.

Considero muy complejo este espacio de discusión, y transparentando un poco como parlamentaria lo que me pasa

es muy frustrante, porque se exponen muchas situaciones que conllevan una complejidad de la que hacerse cargo, y lo sabemos. Eso también es importante señárselos. En ningún caso, pretendo ser la aguafiestas, pero es un problema muy complejo.

Nosotros vamos a emitir un diagnóstico, vamos a recabar sus historias -todas ellas igualmente importantes- y probablemente de nuevo nos vamos a encontrar con una piedra de tope: tal tratamiento a tal enfermedad no estuvo incorporado en la ley de Presupuestos.

Por ello, es importante poner sobre la mesa las problemáticas relacionadas con lo presupuestario: si el Estado hoy tiene la capacidad de financiar los tratamientos de todas y cada una de estas enfermedades que son sumamente caras.

Creo que debería tener la capacidad; por cierto, que sí.

En este país, nadie debería morirse por el bolsillo; es decir, si usted tiene recursos para pagar un tratamiento mensual, usted lo paga. Estoy segura de que en Chile hay gente que tiene la capacidad de pagárselo. El problema es que la gran mayoría no tiene esa capacidad.

Como representante política, considero necesario poner esa discusión sobre la mesa, porque, de cierta forma, nos vamos por el lado y nos preguntamos cuál es el problema de fondo. El problema de fondo es que el Estado no tiene suficientes recursos. ¿De dónde se sacan esos recursos? Bueno, habrá que verlo.

Es un desafío pendiente que tenemos por todas las enfermedades raras a otras enfermedades que son comunes y que tampoco tienen tratamiento, como cuando uno va a un consultorio y no le pueden obturar una muela, porque no tienen resina.

Esos son los problemas de un país donde la gente se muere por la falta de recursos, sea por una enfermedad rara o no. Por cierto, el caso de ustedes es absolutamente mucho más extremo.

Esa es una pelea importante que debemos dar respecto de la recaudación que hace el Estado, que sostiene a la gran mayoría del país. En este sentido, el Estado tiene un rol fundamental para sostener al país, sobre todo a quienes no pueden mantenerse solos, que somos o son la gran mayoría. Todavía digo "somos", porque llevo muy poquito en este espacio. Vengo de una familia donde muchas veces era un problema poder atenderse en una determinada salud. Entonces, decíamos: "Voy a la salud privada y voy a pagar por una hora, en lugar de esperar la hora del especialista en el hospital regional", porque si lo hacía tenía que esperar dos meses o quizás morir en el camino.

Pongo eso sobre la mesa para recoger la pena y la frustración que sienten, porque en nuestro país hay una frustración muy compartida, muy sentida. No hay que perder de vista cuáles son las razones de fondo.

Para terminar, solo en cuanto a la discusión presupuestaria, sería importante tener presentes esos tratamientos que, al menos, en lo concreto, hoy deberían estar incluidos por la ley Ricarte Soto, pero a los que no se les asignó el presupuesto suficiente.

Eso que no conocían, por ejemplo, existe esto, pero no van a hacer los controles, no van a hacer las mantenciones de las máquinas, no van las profesionales y no llegan. Eso es algo concreto e importante con lo que podríamos partir en cuanto a lo que compete a nuestras facultades.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Muchas gracias, diputada Veloso.

También tengo algunas preguntas.

La primera es para la señora Gabriela Jofré, de la fundación NMO Chile.

Señora Gabriela, usted planteó que hay un paciente que accede a Satralizumab. ¿Usted sabe cómo accede? ¿Es vía judicial o pago particular?

La segunda pregunta es si Satralizumab está dentro de las 7.770 solicitudes de incorporación de tecnología a la ley Ricarte Soto.

En relación con doña Paulina González, de la Fundación de Atrofia Muscular Espinal, respecto de la entrega de estas dos últimas dosis que usted planteó que el Minsal había decidido qué pacientes la iban a recibir, ¿usted considera que dicha decisión se ajustó a parámetros objetivos? Al menos, respecto de esos dos últimos casos.

En cuanto a los cinco anteriores, usted señaló que, en la práctica, fue a través de una tómbola. Así, al menos, lo entendí. Pediría que nos aclarara cuál fue el criterio o lo que usted sabe del criterio utilizado en esos cinco pacientes de las primeras dosis.

Respecto de lo que usted plantea del programa de atención de ventilación invasiva domiciliaria (AVI), los planteamientos -expuestos muy someramente en el informe que nos leyó- la consulta es si usted ha hecho llegar algún reclamo formal a la Subsecretaría de Redes Asistenciales por FAME o por otra vía, y si pudiera remitírmelos, porque esto es parte de los antecedentes que queremos revisar en la comisión.

A las agrupaciones paraguas de Fenpof, Fecher y la Alianza Chilena de Agrupaciones de Pacientes si hay algunos aspectos de mejoramiento de la ley Ricarte Soto que planteó bien el señor Gonzalo Tobar, que tienen que ver con el seguimiento de los pacientes; pero, en estricto rigor, el gran problema es financiero; es decir, que los 100.000 millones de pesos que se reajustan año a año por el IPC, en 2028 ya no alcanzarán para seguir cubriendo la totalidad de las tecnologías y los pacientes ya incorporados.

¿Ustedes han solicitado formalmente al Ejecutivo, sea en el anterior gobierno o en el actual, un aumento del financiamiento de la ley Ricarte Soto? ¿Qué respuesta han recibido? ¿Cuál es su opinión en cuanto a que el año antepasado, en la discusión de la Ley de Presupuestos de 2022 para 2023 -que se repitió en la de 2023 para 2024- se incorporó el fondo de judicialización, que está dentro de la partida 16 del presupuesto de Salud, en que se incorporó una determinada cantidad de recursos para

financiar los fallos judiciales? ¿Qué opinan sobre que se haya decidido financiar un fondo de judicialización, en vez de haber aportado dichos recursos a la ley Ricarte Soto en cuanto al incremento del presupuesto?

Tiene la palabra la doctora Guerrero.

La señora **GUERRERO**, doña Andrea (jefa del Departamento de Coordinación de Garantías y Prestaciones en Salud).- Muchas gracias, Presidente.

Había una primera consulta que hizo el diputado Félix González sobre la razón por la cual NMO no estaba considerada en la ley Ricarte Soto, siendo que inicialmente tenía tratamientos similares a los de esclerosis múltiple. ¿Por qué se hacía esa diferencia? Entiendo que esa es la duda.

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

El señor **GONZÁLEZ** (don Félix).- Señor Presidente, lo que digo es que, como es de difícil diagnóstico, muchas personas fueron diagnosticadas como esclerosis múltiple, y estaban en la ley Ricarte Soto; sin embargo, de la noche a la mañana, se perfeccionó el diagnóstico y ahora tiene otro nombre, porque es una enfermedad diferente, y quedaron fuera, siendo incluso similares algunos tratamientos, y estamos pidiendo que se incorpore el más específico. Pero también hay terapias y una serie de medidas que debieran tomarse, y simplemente se queda fuera por ese motivo.

La señora **GUERRERO**, doña Andrea (jefa del Departamento de Coordinación de Garantías y Prestaciones en Salud).- Sí. Muchas gracias.

Efectivamente, la ley Ricarte Soto establece los mecanismos por los cuales se incorporan los problemas de salud y las tecnologías que están garantizadas a la ley. También, tenemos reglamentos y manuales que regulan cómo se implementa esta normativa.

Efectivamente, la ley es bastante específica respecto de cómo hay que avanzar para resguardar que haya transparencia y método científico tanto en el diseño como

en la priorización y que se logre la mejor relación costo-efectividad, así como la mayor eficiencia en el uso de los recursos públicos.

En ese sentido, la ley y toda su normativa establecen que se deben evaluar pares de problemas de salud y tecnologías; es decir, la evaluación siempre tiene que ser en pares. Por ejemplo, la esclerosis múltiple se evalúa en conjunto con la tecnología correspondiente, en este caso, el rituximab.

Eso entra a un proceso que se inicia con las solicitudes ciudadanas -que pueden provenir de laboratorios y otras agrupaciones-, las cuales se evalúan en cuanto a su pertinencia, vale decir, que estén bien hechas, sean válidas y cumplan con los aspectos administrativos correspondientes.

Posteriormente, si las solicitudes son válidas, se aplican ciertos criterios de salud pública -que también están establecidos en la ley-, y las que pasan estos primeros criterios entran a una evaluación de tecnología sanitaria, que es la evaluación de evidencia.

¿Por qué la ley establece que se evalúe de ese modo y por qué como autoridades de Salud necesitamos evaluar los pares y no solo las tecnologías? Porque en todo este proceso, incluso partiendo desde la evaluación de la evidencia científica, es muy distinto evaluar los resultados de un mismo medicamento para el problema de salud 1 que para el problema de salud 2.

Por lo tanto, desde la etapa de evaluación de la evidencia científica, necesitamos diferenciar si ese medicamento está siendo solicitado para el problema 1 o para el problema 2, pero además debemos tenerlo presente en los pasos siguientes, que tienen que ver con determinar cuántos pacientes esperan el tratamiento.

Entonces, va a ser distinto si evalúo el rituximab para esclerosis que para NMO, por lo que necesito hacer informes diferenciados, ya que los resultados de eficacia y efectividad son distintos para ambos problemas de salud. Incluso -aunque entiendo que no ocurre en este caso-, un

mismo medicamento podría tener registro sanitario para tratar un problema de salud, pero no para el otro.

En consecuencia, necesariamente debemos diferenciar para qué estamos evaluando este medicamento, es decir, determinar si es para un problema de salud o para el otro. Dependiendo de eso, estos casos se van analizando en cada etapa, hasta la etapa final, en la que se estima el impacto presupuestario. Ahí vemos el costo del tratamiento, que incluso ahí podría cambiar, dependiendo del número de pacientes que lo requieran, pero también podría cambiar la posología, o sea, cuál es la indicación que tiene ese paciente para ese problema de salud, que puede ser distinta a la indicación en el tratamiento del problema de salud 2.

Para cumplir con todo este proceso que establece la ley, no de manera antojadiza, sino resguardando la rigurosidad científica, necesito separar estos pares para su evaluación e ir avanzando progresiva y secuencialmente en todo este proceso de la "ley Ricarte Soto".

Una vez que tengo definido el listado de pares, el cual pasó todos los criterios que, como señalé, son los primeros que se aplican, la nómina pasa a la etapa de evaluación de la evidencia y luego a la fase de recomendación priorizada, para lo cual tenemos una comisión con participación ciudadana. Se hace un ranquin de priorización, porque sabemos que no tenemos los recursos y que lamentablemente no nos alcanza para atender todas las solicitudes que se hacen, razón por la cual la ley también resguardó la priorización. Finalmente, se hace un estudio de impacto presupuestario para esperar la decisión final por parte de la autoridad.

Eventualmente, con el fondo respectivo disponible, el cual es informado por el Ministerio de Hacienda, se determina qué pares de problemas de salud y tecnologías priorizadas pueden quedar. Una vez que los pares quedan definidos, se establece un protocolo que está establecido dentro del decreto y que, por ende, también está normado.

Lamentablemente, en este caso, el protocolo establece que el rituximab es para la esclerosis y no para otras patologías. Entonces, lo que se debiera hacer en estos casos es que, para un próximo decreto, se estudie el rituximab para la otra patología, con todo el detalle que les he mencionado.

Ahora bien, para adelantarme a otra pregunta que se planteó con respecto al medicamento nuevo, el satralizumab, me imagino que ustedes saben, pues lo deben haber solicitado, que ya está en el registro de solicitudes para el decreto 2025, pero estas son patologías y tecnologías nuevas y en este momento, como lo señaló Gonzalo Tobar en su presentación, que fue clarísima, tenemos un informe del Ministerio de Hacienda que da cuenta de que no hay holgura.

Entonces, si las condiciones no cambian, aunque el medicamento esté en la solicitud, sea priorizado y pase por todas las etapas que mencioné, si no hay un fondo disponible, no vamos a poder incorporar tecnologías nuevas. Ni esa ni ninguna otra que pudiera ser priorizada.

Gracias, Presidente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Para terminar de escuchar las respuestas de nuestros invitados, solicito una prórroga de aproximadamente diez minutos.

¿Habría acuerdo?

Acordado.

A continuación, escucharemos las respuestas de la Fundación NMO Chile.

Tiene la palabra la señorita Gabriela Jofré.

La señorita **JOFRÉ**, doña Gabriela (presidenta Fundación NMO Chile).- Señor Presidente, respecto de la solicitud, efectivamente, esta fue ingresada. Hablamos con el laboratorio para entender bien cómo eran los estudios del medicamento y cuál era su efectividad en comparación con el rituximab, pero eso solo lo hicimos desde nuestra área, desde nuestra propia investigación como pacientes. Lo hicimos con la única intención de que más neurólogos nos pudieran explicar con mayor detención cuáles eran las

diferencias concretas entre el rituximab y el satralizumab.

Lo que sí sabemos es que el único tratamiento que tenemos y se asigna para la neuromielitis óptica es el rituximab, con una administración de cada seis meses.

La única paciente que tiene satralizumab en este momento está diagnosticada hace once años, pero primero recibió un diagnóstico de esclerosis múltiple y solo hace cuatro años, si no me equivoco, fue diagnosticada con neuromielitis óptica, porque el rituximab no tenía el mismo efecto en su cuerpo y le generaba más brotes, lo que le causó ceguera y parálisis en una de las piernas.

Cabe señalar que ella accedió a este y a otros medicamentos por un seguro complementario que tenía contratado hace más de veinte años. Por lo tanto, reclamaba constantemente para que le pudieran cubrir las dosis anteriores a la "ley Ricarte Soto", porque primero tenía un diagnóstico de esclerosis y luego tuvo que cambiarse al satralizumab, medicamento que lleva administrándose hace casi un año, pero su seguro solo le cubre hasta los 70 años, que los cumple el próximo mes. Así que el próximo mes deja de administrarse el medicamento.

El seguro dejará de cubrirla a los 70 años y volverá a no tener las terapias indicadas, por lo cual tendremos que volver a las otras alternativas.

Muchas gracias por la pregunta.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra la señorita Paulina González.

La señorita **GONZÁLEZ**, doña Paulina (presidenta de la Corporación de Familias con Atrofia Muscular).- Señor Presidente, en lo referente a lo que nos preguntaba sobre las primeras cinco dosis, efectivamente, el laboratorio no participó en la elección de los pacientes, ya que el ministro Paris solo nos solicitó que le entregáramos la información de los pacientes que podían cumplir el rango de edad.

En la base de datos solo existían cinco pacientes que todavía no cumplían los dos años. Algunos de ellos ya tenían otras terapias, pero como tenían menos de dos años, quisimos ir un poquito contra la corriente, porque, por lo menos acá, a los pacientes electrodependientes nunca se les había dado la oportunidad de recibir este tratamiento.

Por lo demás, dentro de los que fueron postulados a la famosa ruleta mundial, el laboratorio no permitía la postulación de pacientes electrodependientes, pero nosotros incluimos dentro de este listado a dos de ellos. El ministerio aprobó la nómina y luego fue validada por el equipo clínico del Hospital Calvo Mackenna, donde se aplicaron las siete dosis, pero ellos no participaron en la selección de pacientes.

Los otros dos pacientes sí fueron acogidos por esta comisión de expertos, que ya existía en ese entonces, y a partir de ahí el ministerio pidió que cada médico tratante postulara a los beneficiarios para la evaluación clínica de estos expertos, pero la verdad es que no conocemos sus nombres, aunque, según el ministerio, son expertos en atrofia muscular espinal. No sabemos quiénes son porque es algo que el ministerio jamás ha transparentado, ya que, según ellos, es para resguardar la seguridad de estos profesionales que eligen a los pacientes.

Esos dos niños sí cumplían con los criterios. De hecho, una era una niña con Fonasa, diagnosticada con AME tipo II, que no iba a tener acceso a ningún tratamiento si no había una demanda al Estado de por medio, aunque lamentablemente las demandas son un poquito jugar con la suerte, porque no siempre se ganan. Muchas veces tenemos que depender no sé si del estado de ánimo o de la voluntad de los ministros de la Corte Suprema, quienes finalmente votan por darle la vida o no a un paciente. Pero, bajo ese ministerio, así fueron escogidos los primeros cinco niños.

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

Muchas gracias.

Tiene la palabra el señor Gonzalo Tobar, para que nos informe brevemente respecto del fondo de judicialización.

El señor **TOBAR** (presidente de la Alianza Chilena de Agrupación de Pacientes, Achap).- Muchas gracias, señor Presidente.

Quiero comentarles que en nuestra presentación pusimos que efectivamente siempre estamos abocados a participar y a mostrar los [...] que hay en la ley Ricarte Soto.

Pero, a instancias suyas, señor Presidente, el 19 de octubre de 2022 fuimos invitados a la Tercera Subcomisión Mixta de Presupuestos del Senado, para hablar de la ley Ricarte Soto en la ley de presupuestos. En ese momento, para el presupuesto 2023, la ley Ricarte Soto se reajustaba en 11.438 millones de pesos y se creaba este fondo de compensación por daños a terceros y/o a propiedad, por 22.946 millones de pesos. Eso significaba que se estaba destinando para judicialización el doble de lo que se estaba destinando para reajuste en la ley Ricarte Soto.

Nosotros, como Alianza Chilena de Agrupaciones de Pacientes, siempre hemos entendido que la judicialización es un acto inequitativo, a la que solo pueden llegar quienes tienen el soporte económico para contratar equipos legales, equipos de abogados, donde también se permite que la industria termine permeando y llegando a la organización de pacientes financiando equipos de abogados y donde finalmente no hay una compra y no hay un gasto eficiente, porque el Estado se obliga a comprar o se obliga al ministerio a comprar un tratamiento para un paciente, otro tratamiento para otro paciente, y no se hace una compra más eficiente, con acuerdo de riesgo compartido o con políticas o con miras de política pública con mejores descuentos, etcétera.

La otra pregunta que nos hizo fue si habíamos pedido aumento de fondos. Efectivamente, también como alianza hemos pedido *lobby* con el ministerio; hemos tenido *lobby* con Andrea, en lo referente al Ministerio de Salud, pero,

desde allí nos han dicho que el camino es ir a la Dipres. Así que también hemos pedido ley de *lobby* con la Dipres, pero ahí nos cerraron la puerta, nos dijeron que eso no les corresponde a ellos; entonces, hemos tenido que volver al Ministerio de Salud, y así tenemos todo un registro de una serie de audiencias de *lobby*.

También es importante mencionar que habíamos tenido muy mala suerte con el acceso a la ministra de Salud respecto del tema de Ricarte Soto, pero en una última reunión, donde estuvo presente, le hicimos saber esto, así que se comprometió a darnos una ley de *lobby* para las organizaciones de pacientes y ver el tema de la ley Ricarte Soto, que nos preocupa sobremanera.

Muchas gracias, señor Presidente.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tenemos una solicitud en curso que fue encomendada. Entonces, le pedimos que la retomara para poder compartirla con ella.

La señora **SKOKNIC**, doña Ana María (Secretaria).- Para efectos de la versión taquigráfica, lo que él dice es que ella le iba a dar una reunión de ley de *lobby*.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra el señor Leopoldo Cubillos.

El señor **CUBILLOS** (tesorero de la Fecher).- Señor Presidente, quiero comentar que la realidad de la esclerosis múltiple, que es la enfermedad que padece la niña, y las personas que ella representa, acongoja a todas las agrupaciones de pacientes, porque vemos que la ley Ricarte Soto en un principio, como comenté anteriormente, es una ley de acceso a medicamentos de alto costo y en el camino se transformó en un Ges 2.

Nosotros, como agrupación de pacientes, junto con Gonzalo, con Jessica y con otras personas que han participado en todos estos procesos de dar ideas, iniciativas para que se formulen nuevas políticas para tener acceso a los medicamentos, hago un llamado a ustedes como diputados, en el sentido de que, básicamente, lo que nosotros pedimos es que más que ingrese una patología con nombre y apellido es que ingresen medicamentos, porque

ustedes se han dado cuenta de que tanto el Rituximab, como antiguamente el infliximab Remicade, que le hace bien a las personas que padecen el mal de Crohn, también hace bien a otras patologías, con evidencia científica comprobada; son menos personas, sin embargo, no tienen acceso a ese medicamento, y otras personas que sí están en la ley Ricarte Soto lo tienen.

Así, todos los años van a ir evolucionando medicamentos para patologías menos conocidas, que paralelamente ocupan el principio de ese medicamento para otra enfermedad poco frecuente, huérfana o más rara, que son casos únicos.

Entonces, accederá a la ley Ricarte Soto quien grite más fuerte o quien tenga más familia vinculada o más *lobby*, lo cual iría contra uno de nuestros principios básicos, que es luchar por el acceso universal de todos.

Hago hincapié en ver la posibilidad de que ingresen medicamentos, ya sea el Rituximab, el infliximab Remicade, el ustekinumab Stelara y otros biológicos para diferentes patologías, en vez de que hagan seguir luchando a los pacientes, a sus familiares y a sus agrupaciones por salir con la bandera de quien ingresa una ley y quien no.

Eso es lo que quiero decir.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- Tiene la palabra la señora Jessica Cubillos.

La señora **CUBILLOS**, doña Jessica (vicepresidenta de Fenpof Chile).- Señor Presidente, brevemente, me sumo a las palabras de Gonzalo y de Leopoldo, y solo quiero hacer hincapié en algo que no se debe olvidar. Todos los días nace un niño, todos los días vamos a ver incrementadas las necesidades y estas solicitudes que realizamos como organizaciones y representantes de familias y de personas que viven con una enfermedad poco frecuente.

No podemos improvisar, pero sí creo que podemos hacer una estrategia común. Esto no está dando abasto. Ya sabemos y ya se mencionó que la ley Ricarte Soto se va a quedar sin fondos en 2028.

¿Qué vamos a hacer con los que vienen por nacer? Debemos hacer una estrategia común, y así como al diputado le tocó

en una situación personal tener esta vinculación con una enfermedad poco frecuente, créanme que a cada uno de ustedes también le va a tocar, de manera directa o indirecta, y también van a tener que cuidar a un otro. Nos vamos a morir todos nosotros, pero tenemos que generar cambios reales, sustanciales, concretos, que alivianen el sentir, el día a día de las personas que vienen.

Quizás mi hija no va a lograr tener nada. Hoy existe un medicamento -solo me detengo un segundo, porque nunca hablo de ella- que fue aprobado para el Síndrome de Rett por la FDA en Estados Unidos en abril del año pasado y es de un altísimo costo. Sin duda, no llegará aquí y si llega, ninguno de nosotros, de las familias con hijos con Síndrome de Rett lo podrá adquirir. Aun así, creo que el camino estratégico es hacer un trabajo en colaboración, como lo estamos haciendo las organizaciones de pacientes, como bien lo ha dicho Gonzalo, tocando la puerta una y otra vez. Cada vez que ha sido posible, cada vez que se nos ha llamado, aquí estamos.

Vamos a seguir en este plan de colaboración y a ustedes probablemente les va a tocar vivir una situación como la que estamos viviendo nosotros y no puede ser que el Estado o el gobierno de turno no cumpla con lo que necesitamos: con un derecho de salud, equidad y dignidad sobre todas las cosas.

Gracias.

El señor **LAGOMARSINO** (Presidente).- A ustedes.

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

-Se levantó la sesión a las 14:26 horas.

CLAUDIO GUZMÁN AHUMADA

Redactor

Jefe Taquígrafos de Comisiones.