

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

---

**HONORABLE CÁMARA.**

Vuestra Comisión Investigadora pasa a informaros sobre la materia del epígrafe.

**I.- COMPETENCIA DE LA COMISIÓN ESPECIAL INVESTIGADORA, AL TENOR DEL ACUERDO DE LA CÁMARA DE DIPUTADOS QUE ORDENÓ SU CREACIÓN.**

La Cámara de Diputados y Diputadas, en su sesión 106, de 20 de noviembre de 2023, ante la petición formulada por 64 diputados y diputadas según lo dispuesto en el artículo 52, N° 1, letra c), de la Constitución Política de la República, y el artículo 313 del Reglamento de la Corporación, acordó la creación de esta Comisión Investigadora. Los patrocinantes de la misma solicitaron su creación con la finalidad de fiscalizar los actos del Gobierno, particularmente, de los ministerios de Salud y de Hacienda, relativos al funcionamiento del sistema de protección financiera para el diagnóstico y tratamiento de enfermedades de alto costo (ley Ricarte Soto), la incorporación de nuevas patologías para ser cubiertas por el sistema, sobre todo en lo relacionado con las políticas de diagnóstico oportuno y tratamiento de la atrofia muscular espinal (AME), y de la forma de precaver eventuales conflictos de interés que se puedan originar por la incorporación de nuevos diagnósticos y tratamientos médicos. Se dispone de un plazo no superior a 60 días para evacuar su informe, y para el cumplimiento de su cometido puede constituirse en cualquier lugar del territorio nacional.

**II.- ANTECEDENTES GENERALES.**

La Comisión investigadora fue creada a raíz de los antecedentes expuestos por los patrocinantes de la misma, en el documento presentado a consideración de la Sala de la Corporación

Esta fue presentada para conocer, indagar e investigar los actos del Gobierno, especialmente, de los Ministerio de Salud y de Hacienda, relacionados con el diseño, implementación y financiamiento de políticas públicas relacionadas al diagnóstico oportuno y tratamiento idóneo de las enfermedades de alto costo, como la atrofia muscular espinal entre otras, y visualizar el manejo de eventuales conflictos de interés que pudieren presentarse.



Firmado electrónicamente

<https://extranet.camara.cl/verificardoc>

Código de verificación: 862C986D15613615

Atendido los múltiples convenios internacionales suscritos por Chile, el Estado debe propender a que el aparato administrativo dirija sus acciones y decisiones a asegurar que ningún niño o niña sea privado del disfrute del más alto nivel respecto de prestaciones sanitarias, a fin de resguardar su derecho a la vida e integridad física y síquica. Dichas consideraciones, debieran ser el principio rector de todas las actuaciones de la administración del Estado, cualquiera sea el Gobierno; los criterios económicos o presupuestarios, no debieran ser óbice al cumplimiento por de los compromisos adquiridos como consecuencia de la suscripción de tratados internacionales, con mayor razón si lo que se encuentra en juego es el denominado interés superior del niño, su salud y vida.

Las enfermedades neuromusculares son un grupo de más de 150 enfermedades que afectan al sistema nervioso periférico y a los músculos. Se caracterizan por producir debilidad muscular progresiva, que puede afectar la movilidad, la respiración, la deglución y la comunicación. Algunas de estas enfermedades son hereditarias, otras son adquiridas; algunas tienen una causa desconocida y todas comparten que no tienen cura. Sin embargo, existen tratamientos que pueden mejorar la calidad de vida y alargar la sobrevivencia de los pacientes. En Chile, se estima que hay entre 5.000 y 10.000 personas con alguna enfermedad neuromuscular.

La atrofia muscular espinal es una enfermedad poco frecuente, aunque cuando es la más frecuente y grave entre las enfermedades neuromusculares. Afecta a 1 de cada 6.000 niños que nacen en Chile, ocasiona mayor tasa de mortalidad en la edad infantil, con consecuencias perjudiciales para el paciente, la familia y el sistema de salud. Fisiopatológicamente se caracteriza por la pérdida de células nerviosas en la médula espinal, llamadas neuronas motoras inferiores o células de la asta anterior; luego, la pérdida de neuronas motoras inferiores conduce a una debilidad muscular progresiva e irreversible, desgaste muscular (atrofia) y bajo tono muscular (hipotonía), que suele ser más pronunciado en los músculos más cercanos al tronco del cuerpo (músculos proximales), como los hombros, caderas y espalda. Todo ello, en definitiva, dificulta gatear, caminar, mover la cabeza, incluso respirar y tragar: funciones básicas que también requieren de musculatura específica. Incluso, muchos pacientes requieren asistencia de silla de ruedas de por vida ya que uno de los músculos más debilitados son los que rodean la columna vertebral. En los casos más severos, la esperanza de vida no supera los dos años.

Esta enfermedad se clasifica en cuatro tipos de acuerdo con la aparición de los síntomas, y la función motora máxima alcanzada; el tipo más frecuente de esta enfermedad es el Tipo 1 y representa 60% de los pacientes, seguido del Tipo 2 que afecta al 27% de los casos, los tipos 3 y 4 son muy poco frecuentes.

En Chile, el diagnóstico de esa patología se realiza oportunamente en la gran mayoría de los casos, aunque podría mejorarse si se incorporara al tamizaje neonatal universal, mientras que el tratamiento ampliamente disponible y garantizado está enfocado en controlar la sintomatología, evitar las complicaciones y el soporte vital en la medida que la enfermedad progresa y el paciente requiere ventilación

mecánica. El aspecto más controversial de la atrofia muscular espinal es su tratamiento farmacológico específico; por el avance tecnológico, se han desarrollado nuevos medicamentos biológicos cuyos altísimos precios los clasifican como el tratamiento más caro del mundo. Los tratamientos señalados son:

a. Nusinersen (Spinraza) de Laboratorio Biogen (REG. ISP F-23.699/23 del 25 de enero de 2018) cuyo costo es de aproximadamente de \$250.000.000 anuales.

b. Risdiplam (Evrysdi) de Laboratorio Roche (REG. ISP N° F-25.709/20 del 7 de octubre de 2020) cuyo costo asciende a US\$340.000 anuales.

c. Onasemnogén abeparvovec (Zolgensma) de Laboratorio Novartis (REG. ISP B2.945/22 del 14 de noviembre de 2022) cuyo costo es de \$1.600.000.000 la dosis única que es necesaria.

La llegada de Nusinersen (Spinraza), que fue considerado en su momento el medicamento más caro del mundo, no estuvo exento de controversias. Uno de los cuestionamientos era los escasos resultados clínicos ante un medicamento altamente costoso, cuestión que dificultó su incorporación a las coberturas tanto del sistema público como del privado. Eso llevó a que los padres se vieran obligados, para financiar el tratamiento, a recurrir a la justicia y exigir al Estado, en el caso de los afiliados a Fonasa, o a la respectiva Isapre, según el caso. Ha sido la Corte Suprema la que ha debido obligar al Estado a financiar dichos tratamientos, a pesar de su renuencia y argumentos en contrario alegando que no hay recursos suficientes para cubrir el tratamiento de todos los pacientes. De hecho y sólo a modo de ejemplo, el máximo Tribunal de Justicia, en causas roles N°19.092-2019 y N°23.057-2019, razonando sobre la base que en casos que existan menores de edad, la determinación de las autoridades de salud siempre debe prevalecer el respeto a los tratados internacionales suscritos y ratificados por Chile, tales como la Convención de Derechos del Niño; debe prevalecer siempre el interés superior del niño por sobre cualquier consideración económica. Con similares razonamientos; la Corte Suprema emplazó al Estado de Chile a suministrar los medicamentos a esos pacientes para resguardarles sus derechos a la vida, a la integridad física y psíquica y a la salud. Se ordenó la aplicación del tratamiento por cuanto con la negativa de “proporcionar un medicamento indispensable para la sobrevivencia e integridad física del hijo de la recurrente, sobre la base de consideraciones de índole administrativa y económica, incurrió en un acto arbitrario que amenazó una garantía fundamental”; de similar modo y argumentos, se ordenó la entrega del fármaco identificado como Risdiplam (Evrysdi), otro de los medicamentos previamente mencionados.

El Ministerio de Salud en sus presentaciones ante la Corte Suprema ha argumentado que el financiamiento de estos medicamentos debería ser mediante la ley N°20.850 que crea un sistema de protección financiera para diagnósticos y tratamientos de alto costo (Ley Ricarte Soto). Sin embargo, la evaluación e incorporación de nuevas tecnologías a este sistema estaría detenida hace varios años por alcanzarse el tope de sustentabilidad del fondo y la negativa del Ejecutivo, durante la discusión de la Ley de Presupuestos para 2023, de incrementar su

presupuesto. Ello es contradictorio, en la medida que la Ley de Presupuestos aprobada, incorpora de forma inédita dentro de la partida del Ministerio de Salud un fondo para financiar las obligaciones emanadas de fallos judiciales para proveer tratamientos a pacientes. Lamentablemente, y guardando las proporciones ante los resultados clínicos de Nusinersen (Spinraza), la espera de fallos judiciales que obliguen el financiamiento de este tratamiento posterga el inicio de su administración y, por tanto, la obtención de mejoras clínicas por parte de los niños que padecen Atrofia Muscular Espinal cuando esos están afiliados a Fonasa. Por otro lado, las Isapres han tendido a financiar el medicamento mediante la Cobertura Adicional para Enfermedades Catastróficas (CAEC) y, con ello, se han evitado retrasos en el inicio del tratamiento. Actualmente 75 niños estarían recibiendo Nusinersen (Spinraza): 43 de cargo al Fondo Nacional de Salud, 26 por la Cobertura Adicional para Enfermedades Catastróficas (CAEC) de las Isapres y 6 bajo estudio clínico. Así las cosas, el 15 de diciembre de 2020 la Cámara de Diputados de Chile aprobó la Resolución N° 1.414; en la que solicitaba al Presidente de la República incorporar la “Atrofia Muscular Espinal en el régimen de coberturas de la ley N° 20.850 sobre sistema de protección financiera ante enfermedades de alto costo o “Ley Ricarte Soto”, sugiriendo asimismo la creación de un plan de ayuda integral para las familias de los pacientes diagnosticados con esta enfermedad”.

El Ministerio de Salud de la época, informó con fecha 31 de marzo de 2021, a la cámara de Diputados -a través del Ord. 1238-, de los pasos a seguir para incorporar nuevas garantías al fondo creado en virtud de la ley N° 20.850; así como de la circunstancia de la inclusión de uno de los fármacos conocidos para el tratamiento de la Atrofia Medular Espinal, que se encontraba en la segunda etapa de evaluación.

Se vio entonces, que la situación se encontraba en un punto de estancamiento entre el Ministerio de Salud, las Isapres, el Poder Judicial y las familias de los pacientes, hasta que en mayo de 2019 la Food and Drug Administration (FDA) de Estados Unidos autoriza Onasemnogén abeparvovec (Zolgensma) para el uso en pacientes con Atrofia Muscular Espinal. Este nuevo fármaco destronó a Nusinersen (Spinraza) como el medicamento más caro del mundo al ascender su costo a US\$ 2,1 millones. Este es una terapia génica, primera en su clase, que a través de un vector viral corrige el gen defectuoso que produce la enfermedad, requiere una única dosis, a diferencia del tratamiento predecesor, respecto del cual se han informado resultados clínicos más favorables al administrarse previo a los dos años. No tuvo que transcurrir gran cantidad de tiempo para que los padres iniciaran las campañas tendientes a alcanzar el financiamiento de este nuevo medicamento. Sin embargo, en noviembre de 2022 recién se registra por el Instituto de Salud Pública (ISP). Como es evidente, el hecho de estar registrado no aseguró su financiamiento ni por el Estado de Chile ni por las Isapres; solo se permitió su distribución y comercialización en territorio nacional, pero no la entrega obligatoria a los pacientes por parte de sus sistemas de salud. En el intertanto múltiples campañas se han desplegado por medios de comunicación y redes sociales, que han alcanzado notoriedad pública, para financiar Onasemnogén abeparvovec (Zolgensma) en una carrera contra el tiempo, dado que en la medida

que pasan los meses el medicamento va disminuyendo su eficacia hasta los dos años, cuando el Laboratorio ya deja de recomendar su administración.

La familia de un niño, Rafael, logró reunir el inalcanzable monto y administrar a su hijo el medicamento. Mientras que el Laboratorio Novartis, desarrollador del fármaco, donó 5 dosis al Estado de Chile durante el Gobierno del expresidente Sebastián Piñera y 2 dosis durante el actual mandato del presidente Gabriel Boric. En ambas ocasiones, se habría creado una comisión ad hoc para que decidiera a qué pacientes administrar dichas dosis donadas, desconociéndose sus integrantes y los resguardos que se habrían adoptado para salvaguardar su imparcialidad y manejar eventuales conflictos de interés.

Mientras tanto, familias que no se vieron beneficiadas de dichas dosis donadas han continuado realizando campañas comunicacionales para recaudar fondos. Lamentablemente, algunos de los niños ya han fallecido, como es el caso de Lucas, y otros siguen esperando mientras el tiempo se les acaba como es el caso de Emiliano, Sofía, Ignacio y, recientemente, Luciana.

Las campañas tomaron tal nivel de notoriedad pública, que un periodista en un programa de televisión en vivo le preguntó al presidente Gabriel Boric sobre la entrega del medicamento a uno de los niños, Emiliano, quien se comprometió en dar respuesta a su madre, Vanessa. Igualmente, en una acción de visibilización que los padres realizaron frente a La Moneda, nuevamente el Presidente se habría aproximado a ellos para señalarles que les daría una respuesta concreta a través del Ministerio de Salud. También en medio de la Cuenta Pública de 2023, una de las asistentes al Congreso Pleno desplegó un lienzo desde la gradería emplazando al Presidente por el caso de Ignacio. Sin embargo, los padres han señalado públicamente que la respuesta del Ministerio de Salud no estaría considerándolos y que no han accedido a reunirse con ellos.

Dentro de las acciones que sí habría realizado el Ministerio de Salud estaría la creación de una nueva comisión ad hoc para analizar y, eventualmente, recomendar la prescripción y administración de Onasemnogén abeparvovec (Zolgensma). Se desconoce, al igual que en las otras comisiones ya mencionadas, los nombres de sus integrantes y los resguardos que se habrían adoptado para salvaguardar su imparcialidad y manejar eventuales conflictos de interés. Paralelamente, los padres de los niños con Atrofia Muscular Espinal continúan reclamando un hermetismo excesivo de dicha comisión ad hoc creada por el Ministerio de Salud, que ya habría declinado recomendar Onasemnogén abeparvovec (Zolgensma) a todos los pacientes evaluados; se piensa que podrían existir conflictos de interés que explicaran la no recomendación, hasta ahora, del uso del medicamento. Una de las razones que sostendría esa afirmación indicada públicamente por los padres es la eventual competencia entre dos laboratorios: Biogen que comercializa Nusinersen (Spinraza) y que requiere una administración de por vida; y Novartis que comercializa Onasemnogén abeparvovec (Zolgensma) y que requiere una dosis única. A este respecto, en sesión de la Comisión de Salud de la Cámara de Diputados, uno de los familiares de los menores que padecen Atrofia Muscular Espinal, Camila Martínez explicó que “los neurólogos niegan la receta del

Zolgensma y se sugiere el uso de Spinraza, que no muestra resultados tan beneficiosos”; en el mismo orden de ideas manifestó además que respecto de la comisión integrada por neurólogos que creó el Ministerio de Salud para estudiar caso a caso la aplicación del fármaco antedicho y que negó su adquisición y aplicación “desconocen quién integró la instancia, ya que el informe no estaba firmado por ningún profesional, y que tampoco se entregó evidencia científica necesaria para dicha determinación; esto, porque se hace referencia a motivos falsos, como que no puede aplicarse luego de seis meses, o si el niño tiene apoyo ventilatorio”.

Todo lo anterior, para las familias afectadas, es impresentable e inexplicable; solo existirían factores económicos o financieros que, por muy atendibles que puedan ser, sólo logran entender el precio máximo que el Ejecutivo colocaría a la vida de sus hijos. Hoy, las familias de los menores que padecen de Atrofia Muscular Espinal carecen de explicaciones, y afirman sentir y sufrir por la poca empatía del Gobierno, en particular del Ministerio de Salud, respecto de la salud de sus hijos, así como de los padecimientos familiares que este proceso implica. Hacen presente que se trata de un calvario sólo entendible por desidia o derechamente por intereses desconocidos por parte de los encargados de estudiar y analizar cada uno de los casos.

Ha tomado alta notoriedad pública cada una de las campañas impulsadas por los padres de los niños con Atrofia Muscular Espinal, dada la baja frecuencia de la enfermedad, el elevado costo de su tratamiento -que lo hace inalcanzable e inconmensurable- y la permanente negativa de las instituciones y autoridades sectoriales para concurrir a su financiamiento. Las consideraciones de orden administrativo y económico constituyen un factor a considerar por parte de la autoridad al diseñar una política pública, establecer protocolos de acción o disponer de los fondos necesarios; pero del mismo modo afirman con firmeza que éstas no debieran primar cuando está comprometido el derecho a la vida y a la integridad física o psíquica de una persona.

Finalmente, se señala que aparece con claridad la decisión de condicionar la salud y vida de niños y niñas que padecen esa enfermedad neuromuscular, que degenera y provoca la pérdida progresiva de las neuronas motoras de la médula espinal, dificultando e impidiéndoles el moverse, comer e incluso respirar a consideraciones materiales y presupuestarias. La aparente inacción de la Administración del Estado resulta arbitraria y desprovista de lógica. No se aprecian acciones, planes, programas ni políticas públicas en orden a avanzar en la discusión, definición e implementación en la detección, tratamiento, acompañamiento y soporte de quienes la padecen y de sus familias.

El objetivo concreto para solicitar la creación de esta Comisión Especial Investigadora es determinar, principalmente, los siguientes aspectos:

1. Diagnóstico. Saber qué políticas públicas, acciones o programas se ha implementado para que éste sea oportuno; con especial consideración al denominado tamizaje neonatal. A este respecto, en caso de no haberse implementado aún política, plan o programa alguno, conocer pormenorizadamente

de los esfuerzos, estudios o comisiones realizados o implementadas para arribar en la presentación de estas políticas, planes o programas; con estimación de recursos destinados y plazos comprometidos.

2. Tratamientos generales. Considerando los cuidados especiales que requiere en el caso de la Atrofia Muscular Espinal; conocer, con el mayor detalle y claridad debida qué políticas, planes y/o programas se han implementado para evaluar su entrega y, en definitiva, proveerlo a los pacientes. Se requiere la estimación de recursos de todo orden que deban comprometerse, así como los plazos presupuestados de estudio, implementación y puesta en marcha.

3. Tratamientos específicos. En vista del conocido alto costo de cualquiera de los tres tratamientos farmacológicos disponibles, es condición esencial que se conozca pormenorizadamente todas y cada una de las gestiones y/o acciones implementadas o por implementar para dar financiamiento y cobertura. Se parte de la premisa que es indispensable que respecto de la salud de los niños que padecen de Atrofia Muscular Espinal, y de sus familias, las instituciones de salud previsional y el Estado, no deben ni pueden esperar que se le otorgue vía judicial.

4. Dosis donadas. En el caso de la donación realizada por el laboratorio Novartis respecto de su fármaco Onasemnogén abeparvovec (Zolgensma), es del todo relevante conocer en detalle los criterios utilizados para la asignación de estos a unos, y las razones fundadas para su no asignación a otros. En este punto, es relevante conocer los criterios de designación de los integrantes de la comisión que revisó las solicitudes y asignó las donaciones, las aproximaciones profesionales y académicas que pudieren tener con la enfermedad neuromuscular de que se trata, y cualquier relación actual o pasada que pudiere existir con el laboratorio productor y donante, o los demás que comercializan los fármacos para el tratamiento de la Atrofia Muscular Espinal. Finalmente es importante conocer los protocolos empleados por parte del Ministerio de Salud para resguardar la imparcialidad y el manejo de los conflictos de interés.

5. Comisión ad hoc. Se debe conocer el detalle de la integración y funcionamiento de esta comisión conformada por el Ministerio de Salud en los mismos términos que los señalados en el numeral precedente. Es decir, conocer cómo y por qué se integró de la manera que ocurrió, cómo se conoció y se resolvió, y cualquier relación profesional de sus integrantes para con los laboratorios que producen y comercializan los fármacos para el tratamiento de la Atrofia Muscular Espinal. Es imprescindible conocer, además, los criterios técnicos de evaluación y selección que utilizó la comisión para recomendar el medicamento, además de las medidas adoptadas para resguardar la imparcialidad y el manejo de los conflictos de interés.

6. Tratamientos de alto costo. Se debe contar con los antecedentes técnicos, científicos y comerciales que permitan comprender el elevado costo de los tratamientos farmacológicos para la Atrofia Muscular Espinal; para de esa forma recomendar o evaluar fórmulas que permitan reducirlos, sobre todo en lo que diga relación con la distribución y administración. Ello, con el objetivo indispensable,

además, de ayudar a la comprensión por parte de las familias y de los cuidadores de los menores que esperan su tratamiento.

### III.- RELACIÓN DEL TRABAJO DESARROLLADO POR LA COMISIÓN EN EL CUMPLIMIENTO DE SU COMETIDO.

A propuesta del Presidente de la Comisión, diputado Tomás Lagomarsino Guzmán, se acordó abordar el tema objeto de la Comisión, tomando en cuenta los siguientes temas:

1. Campañas Atrofia Muscular Espinal.
2. Experiencias internacionales y laboratorios.
3. Otras organizaciones de pacientes buscando financiamiento.
4. Estado de Acuerdos de Riesgo Compartido.
5. Cuidados en domicilio y Pesquisa Neonatal.
6. Estado de la Ley Ricarte Soto.
7. Comisión ad hoc que ha decidido y decide entrega.
8. Fondo de judicialización y posibilidades de más recursos.

La Comisión, para el cumplimiento de su cometido, destinó once sesiones ordinarias, en las que procedió a tomar conocimiento de parte de las autoridades citadas, y de los particulares invitados, sobre la situación que se estudió. Todas ellas expusieron la situación en que se encuentra en la actualidad el tema que les aqueja, por un lado, y la forma en que lo han abordado, por el otro lado. Asimismo, respondieron las consultas que se les formularon durante las respectivas sesiones.

FECHA	INVITADO O CITADO
15/01/2024	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Señora Lunna Martínez de la Campaña "Juntos por Nachito".</li> <li>• Señora Ángela Sandoval de la Campaña "Todos Juntos por Luciana".</li> </ul>
22/01/2024	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Gerente General de Biogen Chile, señora Andrea Dapieve y Director Médico, señor Alejandro Bagliano por Nusinersen (Spinraza).</li> <li>• Directora Médica del Laboratorio Roche, señora Fiorella Santos, por Risdiplam (Evrysdi).</li> <li>• Directora de Asuntos Corporativos de Novartis America Latina y Caribe, señora Irene Argüedas, por Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma). (Se excusó).</li> <li>• Cámara de Innovación Farmacéutica, señora Mariela Formas.</li> </ul>

04/03/2024	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Directora de Asuntos Corporativos de Novartis America Latina y Caribe, señora Irene Argüedas, por Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma).</li> <li>• Alianza Chilena de Agrupación de Pacientes – Achap.</li> <li>• Federación Chilena de Enfermedades Raras – Fecher.</li> <li>• Federación Enfermedades Poco Frecuentes – Fenpof Chile.</li> <li>• Corporación Familias Atrofia Muscular Espinal – Fame Chile.</li> <li>• Fundación Neuromielitis Óptica – NMO Chile.</li> </ul>
11/03/2024	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Director de Cenabast, señor Jaime Espina Ampuero.</li> <li>• Directora de Chile Compra, señora Verónica Valle Sarah.</li> <li>• Fundación Asma Chile.</li> <li>• Fundación Padece.</li> <li>• Red Epilepsia Refractaria de Chile.</li> </ul>
18/03/2024	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Subsecretario de Redes Asistenciales, Dr. Osvaldo Salgado Zepeda.</li> <li>• Ex directora de Chile Compra, señora Trinidad Inostroza.</li> <li>• Fundación Ciudadanas Cuidando, señora Verónica Contreras.</li> <li>• Señora María José Caro Irarrazabal, madre menor Borja.</li> </ul>
08/04/2024	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Subsecretaria de Salud Pública, señora Andrea Albagli Iruetagoiena.</li> <li>• Dr. Juan Francisco Cabello.</li> <li>• Fundación Microtia e Hipoacusia, señora Betsabe Jara.</li> <li>• Corporación de Fibrosis Quística, señora Beatriz Trennert.</li> <li>• Fundación Porfiria Chile, señora Eileen Hudson.</li> </ul>
15/04/2024	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza. (Se excusó).</li> <li>• Directora de Presupuestos, señora Javiera Martínez Fariña. (Se excusó)</li> <li>• Fundación Duchenne, señora Josefina García.</li> <li>• Asociación Chilena de Hipertensión Pulmonar, señora Teresa Muller.</li> <li>• Corporación Esclerosis Múltiple Chile, señora Verónica Cruchet.</li> <li>• Fundación Vasculitis Chile, señora Ximena Romo.</li> <li>• Fundación de Enfermedades Lisosomales, señora Myriam Estivill.</li> </ul>
16/04/2024	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza.</li> <li>• Directora de Presupuestos, señora Javiera Martínez Fariña.</li> </ul>

#### IV.- EXTRACTO DE LAS EXPOSICIONES EFECTUADAS POR LAS AUTORIDADES CITADAS E INSTITUCIONES O PARTICULARES INVITADOS A LA COMISIÓN.

##### **Sesión 3ª, celebrada en lunes 15 de enero de 2024, de 12:31 a 14:21 horas.<sup>1</sup>**

**En representación de la Campaña “Juntos por Nachito”, La señora Lunna Martínez,** señaló que es la tía de “Nachito”, quien actualmente tiene un año con cuatro meses y padece atrofia muscular espinal tipo 1, enfermedad que requiere de la utilización del medicamento más caro del mundo, llamado Zolgensma. Al respecto, leyó una minuta con la cronología de los hechos, etapas, vivencias y problemáticas que han debido pasar como familia, hasta finalmente poder acceder al fármaco a través de la vía judicial.

**En representación de la Campaña "Todos Juntos por Luciana", La señora Ángela Sandoval,** hizo alusión al caso de Luciana, precisando todos los aspectos y obstáculos que han vivido para intentar costear el tratamiento del medicamento Zolgensma. Se trata de un problema real de lucha contra el tiempo, para asegurar la calidad de vida de la niña. Sin embargo, informó que el 27 de julio pudieron acceder al medicamento Spinraza pero luego de un tiempo de analizar su eficacia y, teniendo en consideración que debían realizarlo cada cierto tiempo, optaron por esperar el informe de la comisión evaluadora, conformada por los expertos, quienes habrían aprobado la utilización del medicamento más caro del mundo, pudiendo a la fecha, gracias al fármaco, alcanzar grandes hitos motores que antes eran impensados.

Recalcó la importancia de contar con el tratamiento oportuno a través de un screening neonatal, con objeto de obtener un diagnóstico temprano y adoptar las medidas que sea necesario.

Hizo presente que nunca se dieron los nombres de los médicos integrantes de la comisión, aun cuando si se realiza un seguimiento de cómo va funcionando el tratamiento.

**En representación de la Campaña "Luchemos por Sofía", la señora Dianella Peñaloza,** señaló que es mamá de Sofía Padilla, quien fue diagnosticada con AME tipo 1 en uno de sus controles de niño sano. Comentó los hitos, etapas y problemáticas que han tenido que pasar después del diagnóstico de su hija, recalando que, incluso, optaron por cambiarse de Fonasa a Isapre. Hizo presente que afortunadamente la Isapre aceptó la cobertura de uno de los medicamentos para el tratamiento del AME, y que con eso ha logrado tener un buen avance, juntamente con sus terapias y tratamiento oportuno. Sin embargo, opinó que es muy difícil costear el CAEC, ya que serían alrededor de 100 UF lo

---

<sup>1</sup> [https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307587&prmTipo=DOCUMENTO\\_COMISION](https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307587&prmTipo=DOCUMENTO_COMISION)

que se tiene que pagar en forma anual. Señaló que ha pasado el tiempo, pero de todas formas han querido visibilizar la problemática.

Señaló que a los cuatro meses se comenzó una campaña para acceder al tratamiento Zolgensma, toda vez que este era solo una vez en la vida, pero el Ministerio de Salud nunca estuvo disponible para reunirse. Afirmó que la vida de un niño nunca debe tener un precio y tampoco puede existir un argumento financiero o económico para privar del tratamiento de salud cuando es indispensable, toda vez que el derecho a la vida es una máxima en la legislación nacional. Manifestó que lo vivido es una pena tan grande porque es muy doloroso ver cómo un hijo se va deteriorando en su salud, sin poder hacer nada.

En la actualidad, lamentablemente Sofía ha presentado varios problemas de salud que han afectado considerablemente en su calidad de vida.

**En representación de la Campaña "Todos por Lucas", el señor César Morales** expuso en base a una minuta que dejó a disposición de la Comisión. En términos generales, señaló que es padre de Lucas Morales y la campaña que tuvieron en su oportunidad para financiar un medicamento; ahora solo busca justicia. Contó la experiencia que tuvieron con su hijo y las inclemencias que pasaron en los recintos asistenciales en los cuales se atendió, como también, las problemáticas, falta de empatía y apoyo por parte del Ministerio de Salud.

Hizo presente que pudieron acceder al medicamento Spinraza, donde su evaluación fue positiva, pero ante la imposibilidad de costearlo de por vida y otras razones el menor tuvo un empeoramiento en su calidad de vida. Declaró que Lucas falleció por una neumonía no tratada, no falleció por su enfermedad de base sino por una negligencia médica, a pesar de todas las solicitudes de cuidados especiales que hicieron al establecimiento de salud.

Informó que la evaluación para adquirir el medicamento Zolgensma nunca se realizó, toda vez que la ficha clínica indicó que no era un candidato al fármaco. A mayor abundamiento, recalcó que el médico de cabecera señaló que no podía dar la receta de Zolgensma porque trabajaba en un laboratorio distinto. Luego de dicha respuesta, afirmó que como padres sintieron una impotencia enorme y llevarán a cabo todos los procesos legales que correspondan para poder probar la negligencia médica que existió en el Hospital San Juan de Dios.

Hizo presente, asimismo, que no tuvieron apoyo del Ministerio de Salud, pese a que el propio Presidente de la República se comprometió a ayudarlos, cuestión que no se materializó en la práctica, donde ni siquiera hubo acompañamiento. Opinó que es insólito que se gasten tantos recursos en cosas que valen menos que la vida de un niño, como sería la instalación de una piedra artística o los reportajes relacionados con el gobierno o pronunciamiento militar.

**Sesión 4ª, celebrada en lunes 22 de enero de 2024, de 12:31 a 14:21 horas.**<sup>2</sup>

El director médico y vocero formal de Biogen Chile (Spinraza), **doctor Alejandro Bagliano** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. En primer término, señaló que la neurociencia es la próxima frontera, toda vez que es la primera causa de discapacidad en el mundo y la segunda causa de muerte en el planeta.

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

Hizo presente que la AME es una enfermedad crónica degenerativa que no tiene cura, que genera una disfunción motora que impacta en el desarrollo normal de una persona; capacidad de desplazarse y/o moverse; inserción laboral; independencia; carga de trabajo de familiares; salud general y el funcionamiento de otros sistemas además del motor. Dejó en claro que todos los tratamientos frenan la degeneración y pérdida de neuronas por falta de proteína SMN, pero para cuando los síntomas son detectables, la cantidad de neuronas perdidas ya es significativa, donde 40% de los pacientes (18 de 46) requirieron tratamiento SMN2 adicional luego de recibir terapia génica por estabilización o lentitud en la adquisición de los hitos.

A la fecha, dijo, no existe evidencia comparativa directa y sólida que permita sostener que un tratamiento para AME sea superior en términos de eficacia a otro, lo que no quiere decir que los tres sean iguales. Sin embargo, existen solo dos estudios con comparaciones indirectas de los fármacos. El Nusinersen posee un programa de desarrollo clínico robusto según estándar grade y, cuenta con la mayor cantidad histórica de pacientes a nivel mundial y Real World Evidence que respalda los resultados clínicos con la mayor calidad posible.

Indicó que la eficacia y la seguridad de Spinraza están comprobadas por el mayor conjunto de estudios clínicos de alta calidad y sustentadas por evidencia de la vida real, donde las comparaciones indirectas realizadas entre terapias para AME no son metodológicamente confiables. A su vez, explicó que los pacientes AME prefieren eficacia por sobre comodidad de administración, por tanto, consideró que Spinraza es una excelente alternativa terapéutica en pacientes candidatos de todas las edades y para todos los tipos de AME que puedan beneficiarse de la terapia, agregando que la indicación de cualquier tratamiento para la AME debe basarse en el criterio clínico de un profesional médico, especialista en enfermedades neuromusculares.

---

<sup>2</sup> [https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307588&prmTipo=DOCUMENTO\\_COMISION](https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307588&prmTipo=DOCUMENTO_COMISION)

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

**El director de acceso del laboratorio Roche, señor Nicolás Amenábar** resaltó la importancia de estar presentes en la Comisión y resolver la situación de los pacientes que padecen de AME en Chile, con la finalidad de buscar soluciones en conjunto para ello.

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

**La Directora Médica del Laboratorio Roche, por Risdiplam (Evrysdi), señora Fiorella Santos** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. En términos generales, señaló que la AME es una enfermedad genética neuromuscular autosómica recesiva, progresiva debilitante, causada por una mutación de la neurona motora de supervivencia (SMN1), que conduce a una deficiencia de la proteína SMN, agregando que típicamente es diagnosticada en la infancia, siendo la principal causa genética de muerte en los bebés.

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

Hizo presente que Risdiplam es la primera molécula pequeña modificadora de empalme de la neurona motora de supervivencia-2 aprobada como fármaco modelo para futuros medicamentos transformadores, es decir, el fármaco promueve la inclusión del exón 7, para que se incremente la producción de la proteína SMN funcional. Explicó que es el primer y único tratamiento domiciliario para AME, toda vez que se administra en forma oral, donde la dosis se

calcula en base al peso y edad de cada paciente, precisando que el costo anual del medicamento para un paciente de 7 kg es de \$64.352.043 (9 viales/año). Acotó que Risdiplam, está aprobado por el Instituto de Salud Pública desde el 7 de octubre de 2020 para el tratamiento de la atrofia muscular espinal y se encuentra aprobado en 104 países. Por otro lado, hizo alusión al amplio espectro fenotípico de la enfermedad y al programa clínico de Risdiplam que abarca varios grupos de edad y tipos; sin embargo, no hay estudios en Chile.

Por último, manifestó que el Estado ha gestionado la compra del medicamento para garantizar el tratamiento con Risdiplam a aproximadamente veinte pacientes. El laboratorio Roche ha presentado formalmente propuestas al Ministerio de Salud, para aumentar el acceso de pacientes que necesitan medicamentos para la AME. Finalmente, se refirió a los criterios del programa de uso compasivo en Roche, donde se provisiona el medicamento no aprobado a pacientes individuales sin opciones de otras terapias fuera de un estudio clínico. Hizo presente que este programa tiene fines humanitarios y tiene un procedimiento establecido a nivel global.

Sobre la complejidad de estudios con enfermedades graves y raras, aclaró que el estudio no se hace con un placebo, justamente por cuestiones éticas. Por ello, se toman pacientes con su historia natural, con el objeto de comparar los resultados. Los datos son súper objetivos y claros en el sentido de la diferencia y lo que se ve en la historia natural de los niños sin terapia y con terapia.

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

**En representación de la Cámara de Innovación Farmacéutica, señora Mariela Formas** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. Indicó que representan a veinticuatro laboratorios farmacéuticos, donde Roche y Biogen no son parte, siendo que anteriormente lo fueron.

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

1. Unión Europea: Se utilizan opciones de reembolso flexibles incluyendo reembolsos retroactivos con pagos basados en resultados.

2. España: Financiamiento público por ley mediante un modelo mixto de pago por resultados y pago por volumen.

3. Argentina: Implementa un modelo de "riesgo compartido" donde el Estado paga el 20% del costo inicialmente y luego hace pagos adicionales dependiendo de la evolución del paciente. Explicó que los acuerdos de riesgo compartido (ARC), son un mecanismo de pago entre un productor y un pagador que reembolsa una tecnología sanitaria bajo ciertas condiciones preestablecidas, que permiten ampliar la cobertura de nuevos medicamentos al aumentar eficiencia

del gasto en salud y disminuir el impacto presupuestario. Además, limitan la incertidumbre financiera y permiten lograr el nivel deseado de costo efectividad; por tanto, en la actualidad los ARC se utilizan en al menos dos tercios de los países de la OCDE, impactando positivamente en el ahorro del gasto público.

Respecto al estado del fondo de financiamiento de la Ley Ricarte Soto, afirmó que estaría acotado al 2027, donde no se pueden seguir incorporando terapias y nuevas tecnologías. Por otro lado, hizo alusión a la baja cobertura de nuevos medicamentos que tiene Chile, siendo el país más rico de la Latinoamérica. A mayor abundamiento, tiene los tiempos más prolongados desde el registro hasta obtener cobertura en relación con todos los países analizados en la región.

Por último, manifestó que se requieren condiciones habilitantes para la implementación de modelos y herramientas de financiamiento de las enfermedades de muy alto costo, generando una institucionalidad a cargo de la implementación y monitoreo de los acuerdos; diseño e implementación de protocolos para llevar a cabo los acuerdos de riesgo compartido; diseño de protocolos transparentes y claros en todo el proceso y avanzar en registros; protocolos de evaluación de tecnologías sanitarias con criterios diferenciados para enfermedades raras e instancia de negociación institucional definida en protocolos. Finalmente, estimó relevante reforzar la institucionalidad, con el objeto de elevar los estándares de transparencia, buenas prácticas y aportar a la política pública innovaciones que lleguen a las personas que lo necesiten.

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

### **Sesión 5ª, celebrada en lunes 4 de marzo de 2024, de 12:37 a 14:26 horas.**<sup>3</sup>

**La asesora científica principal y directora global de relacionamiento médico de Novartis, doctora Sandra Reyna** expuso en base a una presentación 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 termina en la muerte o en la ventilación permanente a los dos años. Por su parte, las expectativas en el tratamiento se

---

<sup>3</sup> [https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307589&prmTipo=DOCUMENTO\\_COMISION](https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307589&prmTipo=DOCUMENTO_COMISION)

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 si se entrega antes que se desarrollen los síntomas, donde la fase presintomática proporciona una ventana terapéutica para la intervención y el tratamiento más eficaz 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.

Indicó 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. 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 dosis única, Zolgensma puede reducir la carga a largo plazo 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.

Consultada si existió intervención de Novartis en la elección de pacientes idóneos, afirmó que Novartis no participa en la determinación de los beneficiarios, toda vez que fue el Ministerio de Salud quien lo decidió. Respecto al financiamiento, aclaró que no dan financiamiento a los médicos y, respecto a las organizaciones de pacientes, las apoyan en términos de educación. Reiteró que no existen criterios del laboratorio productor a la 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 presentación que dejó a disposición de la Comisión. En primer término, indicó que constituyen una red de organizaciones de pacientes y familiares con enfermedades de curso crónico, que tienen por objeto 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.

En cuanto a la Ley Ricarte Soto (LRS), recordó 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 con ella se abren grandes expectativas para quienes tienen algún problema de salud sin coberturas, pero hay más personas esperando entrar que las que actualmente están cubiertas. Informó que el artículo 6 establece una periodicidad de tres 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.

Señaló que, a su juicio, 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, de agrupaciones de pacientes y de sociedades científicas. Por tanto, 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 través de la judicialización, donde hasta 2022 se gastaron cerca de \$20.000.000.000 al año. Por último, mencionó que se requiere de una revisión del sistema 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 presentación que dejó a disposición de la Comisión. En primer término, informó que la Federación nació en 2014 y se constituyó legalmente el 28 de febrero de 2018; busca crear una alianza regional que permita construir y desarrollar soluciones para mejorar la perspectiva de enfermedades raras en Latinoamérica y el Caribe.

Indicó que Chile es el país que menos ha avanzado desde la instalación del Plan Piloto de Tamizaje Neonatal, donde las personas se demoran entre siete y doce años en detectar una enfermedad. Dicho retraso impacta en la calidad de vida de los afectados y sus familias, y en el acceso al 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. Las personas con hospitalización domiciliaria en Chile viven expuestas a riesgos variados, pero principalmente ante su condición de electro dependencia y las dificultades integradas con la ley para su protección.

Sostuvo que la mejora en el acceso a terapias de alto costo, sean fármacos, dispositivos, intervenciones quirúrgicas, o estadías prolongadas, debe ser atendida por la autoridad, pues ello conlleva un tremendo impacto que afecta la vida de la persona que lo requiere, y la de su grupo familiar y laboral. 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 Chile (Fenpof), 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 familias. Afirmó la necesidad de obtener respuestas concretas del Estado de Chile, porque no solo les afecta a los pacientes, sino que también, a los cuidadores. Por ello, se necesita contar con un sistema más humanitario, porque para mejorar la salud no solo se requiere mayor financiamiento, sino que se requiere la humanidad en la atención del problema de salud, que no siempre funciona.

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 requiere de terapias para muchas personas, lo cual es de altísimo costo, y necesario para el ciclo vital de los pacientes.

**La presidenta de la Corporación Familias Atrofia Muscular Espinal Chile (Fame), señora Paulina González Moreno** explicó, en primer término, que se trata de una agrupación de pacientes y familiares con diagnóstico de Atrofia Muscular Espinal, con personalidad jurídica desde 2012. Se recibe a todas aquellas familias que quieren ser parte, pacientes que llegan con un diagnóstico reciente, y también a quienes ya han sido diagnosticados cuando niños y hoy se encuentran en edad adulta.

A la fecha han presentado ochenta causas ante tribunales, de las cuales setenta y cinco han obtenido fallo favorable a los pacientes (Fonasa), y que actualmente se encuentran recibiendo sus tratamientos farmacológicos, pero existen diez 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, lo que genera 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 respectiva del Ministerio de Salud jamás ha abierto alguna posibilidad de acceso. En cuanto al screening neonatal, en Chile no existe ese examen para detectarla precozmente, no obstante que en 2023 se solicitó el acceso y cobertura para dicho examen, recibiendo la negativa por parte del Gobierno. 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, cuya respuesta fue nuevamente 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 dos patologías. Ello, 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. Esos pacientes son acogidos por el programa AVI (atención de ventilación invasiva), quienes debiesen recibir en su domicilio la misma atención que reciben en la UCI del hospital; finalmente dicho programa se activa para desocupar camas críticas en el recinto hospitalario. Al respecto, expresó que las atenciones que entrega ese 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 señora Gabriela Jofré** expuso en base a una presentación 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 pasó durante un lapso, 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. Se presenta cuando el 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 2004 con el examen acuaporina se pudo

diferenciar la enfermedad por el origen del anticuerpo afectado. Esta enfermedad se presenta muy similar a la esclerosis múltiple pero cincuenta 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 EMA, el tratamiento directo para NMO y terapias de neuro kinesiólogía necesarias para la rehabilitación.

**Sesión 6ª, celebrada en lunes 11 de marzo de 2024, de 12:32 a 14:10 horas.**<sup>4</sup>

**El director de Cenabast, señor Jaime Espina Ampuero** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. En primer término, manifestó que la Central de Abastecimiento del Sistema Nacional de Servicios de Salud (Cenabast) es un actor fundamental en la red pública de salud, ya que contribuye al bienestar de la ciudadanía, asegurando la disponibilidad y suministro de recursos médicos estratégicos. Posteriormente, respondió las preguntas remitidas a través de la citación, por el Presidente de la Comisión, diputado Tomás Lagomarsino.

Respecto de la visión de la institución sobre la compra de medicamentos de alto costo mediante Acuerdos de Riesgo Compartido (ARC), manifestó que entre los objetivos estratégicos de la institución se encuentra el de “aumentar el acceso y ahorro en medicamentos y otros recursos de salud”. En el mismo sentido, los ARC buscan con su implementación mitigar la incertidumbre en sus principales fuentes de riesgo, que son de orden presupuestario, de efectividad y de costo-efectividad. A su vez, los ARC se insertan dentro de la línea de políticas que buscan generar el máximo valor para los recursos que se destinan al sector salud (valor del dinero). Misma línea de la cual CENABAST busca, a través de su poder de negociación, el obtener mejores condiciones contractuales en sus compras. Afirmó que el uso de los ARC constituye una opción innovadora en Chile, de cómo poder contratar tratamientos de alto costo que presentan cierta incertidumbre sanitaria, sin poner en riesgo los presupuestos del sistema de salud nacional. Se logra así, obtener mayor cobertura de tratamiento junto con obtener descuentos, principalmente del tipo financiero, que son los que se han contratado, dado su fácil implementación.

En cuanto a alguna experiencia exitosa o fallida de compra de medicamentos de alto costo mediante Acuerdos de Riesgo Compartido, señaló que ejemplos de experiencias ya realizadas que han sido para el programa ministerial Ricarte Soto, donde se estableció un ARC del tipo financiero, en el cual el proveedor adjudicado, laboratorio Roche (monoproveedor) presentó en su oferta la entrega de 30.000 unidades del producto Trastuzumab 600 MG/5ML (Herceptin®) de las cuales 3.000 serían bajo la modalidad de riesgo compartido siendo estas no valorizadas. Otro ejemplo, acotó, es la reciente adquisición de

---

<sup>4</sup> [https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307590&prmTipo=DOCUMENTO\\_COMISION](https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307590&prmTipo=DOCUMENTO_COMISION)

Zolgensma, donde si bien no es formalmente un ARC, se puede considerar como un proceso de esa índole, toda vez que se estableció un ARC del tipo híbrido, que consideró un esquema de pago (5 pagos) junto con un descuento en el precio de lista del medicamento (financiero), y condicionando además el pago del dinero en caso de suscitarse el fallecimiento del paciente por causa directamente relacionada con la progresión de la enfermedad (Garantía de resultado clínico).

Esa experiencia, agregó, permitió innovar en la forma habitual de realizar el proceso de abastecimiento, viendo la necesidad de adecuar los procesos internos a una nueva modalidad.

Respecto a qué esfuerzos ha hecho la institución o está realizando para implementar la compra de medicamentos de alto costo mediante Acuerdos de Riesgo Compartido, mencionó investigación de alternativas financieras y de orden terapéutico para la implementación de ARC; contacto vía ley de lobby con la Cámara de la Innovación Farmacéutica, CIF, para analizar la eventual implementación de ARC y sus aspectos procedimentales; coordinación con el Ministerio de Salud para el análisis de las alternativas; recepción de propuestas de laboratorios; monitoreo de los precios internacionales de tratamientos de alto costo, y participación e instancias de investigación y procesos comparados para conocer alternativas en otros sistemas de salud. A mayor abundamiento, explicó que, en general, las ofertas de abastecimiento de productos con ARC implican aumento de presupuesto, y se debe contar con la infraestructura tecnológica y sanitaria para dar seguimiento a los contratos.

Por último, manifestó que si bien esta consulta le compete a la autoridad sectorial (MINSAL), a priori no consideran necesaria una modificación a la normativa de compras públicas. Sin perjuicio de ello, podrían ser consideradas menciones normativas específicas para la adquisición de medicamentos en enfermedades determinadas, siguiendo el criterio utilizado en la ley Ricarte Soto. Finalmente, dejó en claro que más que una modificación a nivel de la propia Ley N° 20.850, contribuiría a una mejor ejecución, eficiencia y eficacia en los procesos de compra, una ampliación de su actual texto reglamentario que, en dicho punto, entregue una mayor contextualización y dimensión de las distintas modalidades que puede presentar o abarcar el riesgo compartido.

**La Fiscal Subrogante de Chile Compra, señora Verónica Palma** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. En primer término, sostuvo que los Acuerdos de Riesgo Compartido (ARC) no están mencionados explícitamente en la ley N° 19.886; sin embargo, corresponden a un contrato de suministro y, por tanto, se rigen por la normativa antes mencionada. Indicó que las compras de productos y servicios de salud realizadas por órganos de la Administración del Estado se encuentran reguladas por la ley N° 19.886 de Compras Públicas, en virtud de su artículo 1° y su reglamento, por lo que debe entenderse que las cláusulas ARC incluidas en los respectivos contratos administrativos se someten a dicha regulación legal y reglamentaria.

Por su parte, agregó que la ley N° 20.850 del Sistema de Protección Financiera para el Diagnóstico y Tratamiento de Alto Costo, establece normas especiales respecto de la adquisición de los productos sanitarios necesarios para el otorgamiento de las prestaciones cubiertas por el sistema que trata dicha ley. Dispone que sin perjuicio de que estas adquisiciones se someten a la ley N° 19.886, por resolución fundada y en circunstancias calificadas –como la insuficiente capacidad de oferta o la necesidad de velar por la continuidad de los tratamientos, Cenabast podrá contratar un mismo producto sanitario con más de un proveedor. Asimismo, señala que cuando Cenabast sea titular de un registro sanitario, podrá contratar a través de la modalidad de trato directo la compra y o importación del producto sanitario, y establece que se podrá contratar por trato directo la compra o importación del producto sanitario cuando no existiere en el mercado chileno proveedores con precios que se ajusten a lo establecido en el artículo 32 de la ley N° 20.850.

En cuanto a la visión de Chile Compra, declaró que la ley N° 19.886 regula procedimientos de compra, más que contratos de características particulares. Como desafío, mencionó que la regla general es la transparencia de las contrataciones, es decir, el sistema de información no está diseñado para resguardar la confidencialidad de las ofertas económicas de los participantes (sí las técnicas). No obstante, el artículo 20 de la ley N° 19.886 establece que los organismos públicos estarán exceptuados de publicar en el sistema de información aquella información sobre adquisiciones y contrataciones calificada como de carácter secreto, reservado o confidencial en conformidad a la ley. Por último, declaró que no existe impedimento legal de incluir cláusulas ARC en contratos regidos por la ley N° 19.886 de compras públicas, sin perjuicio de que existen diferencias respecto de la complejidad en su inclusión.

Finalmente, indicó que en las compras realizadas a través de trato directo no se vislumbran inconvenientes para la inclusión de cláusulas ARC, y en las compras realizadas a través de licitación pública, deben adoptarse resguardos, a fin de no afectar los principios de transparencia, estricta sujeción a las bases, libre competencia, e igualdad ante las bases. Las decisiones de compra son de los organismos públicos y Chile Compra no tiene mayor injerencia en esta temática.

**La jefa del Departamento de Coordinación de Garantías y Prestaciones en Salud, doctora Andrea Guerrero Ahumada** explicó que los ARC basados en resultados son procesos complejos, ejemplificando con Argentina, donde habría costado bastante tiempo su implementación. Expresó que este tipo de acuerdos es el más aconsejado en la medida que exista mayor incertidumbre, pero también es importante diferenciar que es un mecanismo de compra y no una fuente de financiamiento. Respecto a la implementación de los ARC, sostuvo que el Ministerio de Salud reconoce su complejidad en términos legales, procedimentales y, por tanto, se está trabajando en la materia, lo que requiere varios cambios institucionales y administrativos.

**La paciente y colaboradora, señora Gloria Garate** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. En términos generales, informó que la fundación nace como iniciativa para agrupar y apoyar a los pacientes asmáticos crónicos severos, pacientes que en su mayoría no pueden controlar el asma con los tratamientos actuales cubiertos en GES, problema de salud número 61.

Hizo presente que existen más de 1400 pacientes en Chile, según las estimaciones de los especialistas en el tema, con necesidad de tratamientos biológicos disponibles actualmente, que son nombradas en la guía de práctica clínica de asma bronquial en personas mayores de 15 años y más (Benralizumab, Dupilumab, Mepolizumab, Omalizumab y Reslizumab). Dejó en claro que el tratamiento anual estimado oscila entre 6 millones y 14 millones de pesos; actualmente no se encuentran considerados en la Ley Ricarte Soto y, además, no existe examen neonatal que aplique para los enfermos asmáticos severos.

En cuanto a las hospitalizaciones, indicó que el 2022 hubo aproximadamente 6000 hospitalizaciones, con un promedio de 4,5 días camas cada una de esas hospitalizaciones.

Asimismo, contó su experiencia personal en el sistema privado para poder tener la cobertura extracontractual en su Isapre, la cual sería discrecional porque se activa cada seis meses. Sin embargo, su cobertura ha ido bajando, ya que habría empezado en 90% y estaría en 60%; por tanto, existe una merma en la capacidad económica del paciente. Los ataques de asma generalmente son en la noche, pero hoy gracias a los tratamientos biológicos se puede hablar, hacer ejercicio, entre otras cosas. Opinó que el tratamiento en el sistema privado debiese ser permanente.

Por último, sostuvo que los medicamentos biológicos al no estar incorporados en la LRS, son inaccesibles, con lo que el paciente sufre un deterioro muy importante, donde es muy fácil desarrollar otras enfermedades a consecuencia del asma severo.

**La Presidenta de la Fundación Asma Chile, señora Claudia Fuentes** mencionó la experiencia de la señora Iris, paciente que nunca tuvo acceso a medicamentos biológicos y que habría perdido su visión por el uso excesivo de corticoides. Afirmó que existe evidencia científica que respalda el financiamiento de esta clase de medicamento genéticos, que muchas veces mejoran en el 100% la calidad de vida de las personas que padecen enfermedades. A mayor abundamiento, declaró que el 70% de esos 1.400 pacientes son mujeres, quienes han visto mermadas su relación en el trabajo y familia y, lamentablemente, aún no existe respuesta por parte de la autoridad.

**En representante de la Fundación Padece, señores Francisco Tapia Besnier** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la

Comisión. En primer término, informó que es la primera organización sin fines de lucro en Chile, en la lucha por crear conciencia en torno a las enfermedades dermatológicas crónicas inmunomediadas, acompañar a los pacientes diagnosticados y a los que buscan diagnóstico, y abogar por la implementación de políticas públicas de salud para los pacientes que más lo requieren. Afirmó que las enfermedades a la piel que abordan como fundación no son cosméticas, siendo las principales las siguientes cinco enfermedades: hidradenitis supurativa, psoriasis, dermatitis atópica, urticarias crónicas y vitiligo

Por otro lado, opinó que LRS es de carácter universal y ha garantizado el acceso a un número importante de pacientes (27 problemas de salud). Sin embargo, en enfermedades dermatológicas crónicas, es una necesidad no cubierta y un segmento de pacientes que requiere acceso urgente a soluciones terapéuticas de alto costo. Al respecto, informó que solicitaron las doce tecnologías sanitarias por solicitud ciudadana, en tiempo y forma, confiando en que Etesa va a evaluar y tener a la vista los antecedentes que se proporcionaron.

**El doctor Cristian Pizarro** se refirió detalladamente a la enfermedad de psoriasis, señalando que es de carácter inflamatorio que no solo afecta a la piel, sino que también al sistema cardiovascular, incluyendo negativamente en múltiples aspectos del paciente, sea de carácter social (ausentismo laboral y de alta carga financiera) y de percepción (como se ven y como se sienten)

Tiene una prevalencia importante, de un 2%, en la población de Chile. Representa el 3,35% de las interconsultas del hospital digital.

**En representación de la Red Epilepsia Refractaria de Chile, la señora Bárbara Hernández Parra** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. En términos generales, señaló que la epilepsia se define como una enfermedad crónica, de crisis recurrentes; es uno de los trastornos neurológicos crónicos más comunes. Acotó que las crisis, son el conjunto de manifestaciones clínicas (habitualmente transitorias) que se observan cuando las neuronas de la corteza cerebral presentan una descarga eléctrica anormal.

En Chile, se estima que hay alrededor de trescientas mil personas con epilepsia, que constituye casi el 30% de las consultas neurológicas. Explicó que, aproximadamente, el 30% de las epilepsias evoluciona a una forma clínica llamada epilepsia refractaria, que se caracteriza por la persistencia de crisis a pesar de un adecuado tratamiento farmacológico. La epilepsia refractaria es un problema de salud pública, por su gran impacto en el individuo, su familia y su desarrollo en la sociedad (impacto biopsicosocial) así como también su alto impacto económico en cuanto al diagnóstico y tratamiento.

Actualmente, el Ges ampara las epilepsias en niños mayores de un año, pero cuando dicha condición es de tratamiento regular, es decir, las no refractarias.

Los siete problemas fundamentales para la comunidad de pacientes con epilepsia refractaria y sus familias lo constituyen: problemas para el diagnóstico temprano y control de la enfermedad; falta de centros especializados para estudio de casos para evaluación quirúrgica; alto costo de las terapias de rehabilitación y tratamientos coadyuvantes; enfermedades poco frecuentes; el acceso a medicamentos es desigual entre los distintos centros de salud públicos y significan un altísimo gasto de bolsillo en pacientes del sistema privado de salud; hospitalización domiciliaria no atendida por el sistema de salud, e inexistencia de apoyo para la familia y cuidadores

**Sesión 7ª, celebrada en lunes 18 de marzo, de 12:36 a 14:07 horas.**<sup>5</sup>

El Subsecretario de Redes Asistenciales, doctor Osvaldo Salgado Zepeda expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. En primer término, señaló que la asistencia ventilatoria domiciliaria invasiva y no invasiva incluye cobertura para usuarios en todo el ciclo vital, y entrega soporte ventilatorio domiciliario a usuarios crónicos estables cuya condición de base los hace susceptibles de recibir esta prestación domiciliaria, con el objetivo de disminuir la morbimortalidad, costos y mejorar la calidad de vida. Existen cuatro tipos: asistencia ventilatoria no invasiva domiciliaria en personas menores de 20 años (AVNI); asistencia ventilatoria invasiva domiciliaria en personas menores de 20 años (AVI); asistencia ventilatoria no invasiva domiciliaria en adultos (AVNIA), y asistencia ventilatoria invasiva domiciliaria adultos (AVIA).

El objetivo de ese mecanismo es mejorar la calidad de vida de las personas que requieren ventilación respiratoria, disminuyendo los problemas de salud asociados a este estado y a la mortalidad por falta de atención. Además, se trata de ampliar la cobertura de la red asistencial, facilitando el acceso a prestaciones y asistencia en zonas extremas.

En Chile los programas de ventilación domiciliaria nacieron el 2006, con el programa de ventilación no invasiva domiciliaria pediátrico, inicialmente como un programa piloto, que dado sus buenos resultados se logra la implementación a nivel nacional para entregar soporte domiciliario no invasivo e invasivo en niños, y aumentando su cobertura a adultos a partir del 2008 con el soporte domiciliario no invasivo y desde 2012 invasivo para población adulta.

Para la ejecución del Servicio se realiza una licitación centralizada de duración de tres años, prorrogable por la Subsecretaría de Redes Asistenciales, en representación de los 29 Servicios de Salud, los cuales posteriormente realizan un contrato con la empresa adjudicada. Existen tres modalidades: *full service*,

---

<sup>5</sup> [https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307591&prmTipo=DOCUMENTO\\_COMISION](https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307591&prmTipo=DOCUMENTO_COMISION)

mixta e institucional) El problema actual es la existencia de muchos pacientes que requieren soporte ventilatorio crónico, lo que lleva a la conclusión que se deberían construir más hospitales o entregar soporte ventilatorio crónico en el domicilio.

Las hospitalizaciones prolongadas generan otros tipos de problemas, como las infecciones intrahospitalarias, ocupación de camas críticas, tratamientos de alto costo y deterioro en la calidad de vida. En el mismo sentido, el universo de personas integradas al programa desde 2019 a 2023, se ha incrementado.

En cuanto a las prestaciones, señaló que actualmente el servicio de ventilación domiciliaria se entrega en los 29 servicios de salud del país, para usuarios pertenecientes a Fonasa insertos en la red de atención en salud, brindando atención a 2.105 pacientes, de los cuales 844 son pediátricos (317 invasivos) y 1.261 son adultos (94 invasivos).

Mencionó que, al 16 de febrero 2024, hay 101 personas en evaluación para el ingreso a alguna modalidad de soporte ventilatorio en los servicios de salud, información que se encuentra en etapa de validación, por lo que puede variar. El servicio de ventilación domiciliaria entrega equipamiento tecnológico, insumos y acompañamiento de profesionales y técnicos necesarios para el soporte de la prestación.

Respecto a la organización general, mencionó la existencia de tres modalidades: institucional o ministerial, donde el servicio de salud gestiona la adquisición de insumos y equipos y su mantención; externalizada, donde los requerimientos de insumos y equipos son entregados por la empresa externa, y mixta, donde los servicios de salud realizan la contratación a honorarios por suma alzada de profesionales enfermeras y kinesiólogos, y el arriendo del equipamiento e insumos.

Los cuidados se centran en las personas y sus familias; la participación es voluntaria. Se enseñan los cuidados necesarios, con lo cual se facilita la toma de decisiones de manera informada, desarrollando planes de cuidado que respeten los conocimientos, valores, creencias y características culturales. Sin embargo, algunas veces se genera otro tipo de problemática, como los cortes de electricidad, pese a que existe una ley que establece que las empresas no pueden cortar el suministro de energía en estos casos, aun cuando no se paguen las cuentas.

Respecto al tema administrativo, frente a la necesidad de ingreso de un usuario crónico ventilado del nivel secundario o terciario al programa de asistencia ventilatoria domiciliaria: AVI (Invasivo pediátrico) y AVNI (No Invasivo Pediátrico), debe considerarse al usuario ventilado en forma prolongada, más de veintiún días, en condiciones estables por las últimas tres semanas.

En cuanto a los desafíos, mencionó el mejoramiento de la licitación, el aumento de la cobertura y el apoyo a las familias o tutores, especialmente por el incremento de los gastos incurridos. A mayor abundamiento, sostuvo que, como acciones sanitarias complementarias, estarían las prestaciones de la Ley Ricarte Soto, para usuarios según criterios definidos; la entrega de ayudas técnicas; la

coordinación con otras estrategias de la red asistencial, como los programas de postrados APS, hospitalización domiciliaria, y Ges de fibrosis quística.

Por último, se refirió a las denuncias de familias que señalan que solo se les entregan insumos para diez días, debiendo costear el resto, y la falta de mantención de los ventiladores mecánicos de que disponen para los pacientes. Al respecto, detalló que han realizado un catastro desde los servicios de salud y no relatan reclamos, pendiente información en el resto, asimismo, no existe instrucción desde el nivel que las familias compren insumos, toda vez que las canastas de insumos se elaboran para dar cobertura mensual a los pacientes que lo requieren. Por su parte y dada algunas situaciones, como la falta de insumos por quiebre de stock nacional e internacional de algunos productos (agua bidestilada/ Laboratorio Sanderson; Cánulas Shiley), se ha requerido gestionar y apoyar de manera centralizada el abastecimiento, generando colaboración entre los establecimientos para proveer de los insumos requeridos.

**El académico Facultad de Medicina de Universidad Católica, doctor Manuel Espinoza** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. En términos generales, señaló que los mecanismos de compras habituales operan bajo condiciones de certeza; se compran unidades o cantidades y, por su parte, los acuerdos de riesgo compartido (ARC) innovan en cuanto ya que no compran unidades, sino que implementan un mecanismo de compra que administra riesgo. En este último caso, los riesgos son de carácter financiero (gastar más de lo presupuestado) y o en la generación de valor (menos beneficios de los esperados). Preciso que el ARC no es un instrumento para negociar precios unitarios, pero si otorga la oportunidad, a lo largo del proceso, de lograr un acuerdo en una negociación del precio unitario, aun cuando no está pensando para ello.

Debido a las características del comprador (Estado que necesita adquirir el medicamento) y vendedor (empresa sin competencia), se requiere un ambiente propicio de negociación, o ciertas bases que den la oportunidad de llegar a un buen acuerdo, haciendo alusión al sistema de evaluación de tecnología robusta que dé confianza a ambas partes.

Respecto a las experiencias internacionales con ARC, los datos han dado cuenta de lo positivo de dichos acuerdos, especialmente por el ahorro generado, que dice relación con cuánto se habría gastado en la tecnología o medicamento -precio de mercado- si se hubiere comprado sin ARC, siendo Francia el país que ha reportado más de 1300 millones de euros en ahorro por este tipo de convenios en un año.

**La ex directora de Chile Compra, señora Trinidad Inostroza** expuso en base a la misma presentación. Mencionó que llevan años trabajando en temas de contratación pública y adquisición de medicamentos. Explicó que los ARC se encuentran consagrados en el artículo 18 del reglamento de la LRS,

siendo un procedimiento particular, que se aplica a los productos que se adquieren para cumplir con los objetivos de esa ley.

Es un procedimiento complejo que contempla dos grandes etapas claramente diferenciadas, una previa a la compra y luego la etapa de adquisición propiamente tal. En ellas intervienen diferentes entidades y actores, con competencias y responsabilidades diferentes. En el mismo sentido, los ARC considerados en la evaluación efectuada, de conformidad con lo establecido en la LRS, son de carácter vinculante para la Central Nacional de Abastecimiento; sin embargo, el desafío es conjugar dos cuerpos legales distintos, como son las leyes N°s 20.850 y 19.886, que regulan fases distintas de la adquisición, y que a su vez ejecutan dos entidades diferentes, el Ministerio de salud a través de la Subsecretaría de Salud Pública y Cenabast.

Los ARC, aun cuando no están expresamente reconocidos ni mencionados en la Ley de Compras, se les aplica toda vez que se trata de contratos a título oneroso, que permiten el acceso a nuevas tecnologías y productos sanitarios bajo ciertas condiciones acordadas, maximizando el valor del dinero público y para la consecución de objetivos previamente definidos. Por sus características particulares, requieren de una regulación al detalle, que responda a la complejidad de esta clase de contratos. En el mismo sentido, manifestó que la modificación de la Ley de Compras (ley N° 21.634) ha incorporado nuevos procedimientos de contratación, abriendo la oportunidad de diseñar un procedimiento particular para los ARC. Asimismo, el artículo 7, letra d) número 7 de la ley N° 19.886, que entra en vigor el 12 de diciembre del 2024, hace referencia señala que “Otros procedimientos especiales de contratación: son aquellos que establezca el reglamento, cuando las necesidades de compra de las entidades públicas sujetas a esta ley no puedan ser satisfechas mediante alguno de los procedimientos contemplados en el presente artículo”. En síntesis, sostuvo, es factible implementar los ARC pues el marco legal actual no lo impide, no obstante, es necesaria una mesa de trabajo, en el Minsal, para viabilizar la implementación de ARC mediante los instrumentos normativos adecuados.

Por último, sugirió la incorporación de estos acuerdos como un procedimiento especial de contratación, para la adquisición, en general, de medicamentos de alto costo y, también, la instalación de capacidades en Chile a través de seminarios, encuentros técnico - científico, y académicos, que faciliten la capacitación de equipos técnicos, la transferencia de conocimientos, experiencias nacionales e internacionales de diseño, implementación y evaluación de ARC.

**En representación de la Fundación Ciudadanas Cuidando, señora Verónica Contreras** expuso en base a una presentación. Indicó que es madre y cuidadora de un hijo con dependencia severa y, por tanto, tiene experiencia con el Ministerio de Salud y con el tema de la hospitalización domiciliaria. Dicha organización nació en 2019, como fundación, conformada por personas cuidadoras no remuneradas, comunitarias y profesionales; con

reconocimiento nacional e internacional, experiencia en diagnóstico, evaluación de necesidades de cuidados en el ámbito socio-territorial, diseño y aplicación de metodologías participativas, gestión de programas y proyectos que buscan innovar con un enfoque educativo, comunitario, de género e interseccional. Contó que fue una de las organizaciones que sacó a los cuidadores de las casas, haciendo la primera marcha con más de 1000 personas cuidadoras, convirtiendo al país en uno de los primeros países que abordaron la situación.

En cuanto a la experiencia con el Ministerio de Salud, señaló que no fue positiva, pues se sintieron solos, con su hijo esperando más de un año con siete meses para ser hospitalizado. Ello constituye un tipo de violencia muy intensa y, además, produjo un gasto elevado para el presupuesto familiar. Acotó que el programa solo daba respuesta cuando se desocupaba un equipo por una persona de alta y recién en ese momento se derivaba el equipo al hogar. En caso contrario, había que tener los recursos necesarios para comprar un equipo. Aclaró que, en la actualidad ha mejorado el sistema de hospitalización domiciliaria, sin embargo, aún queda mucho por avanzar.

En cuanto a su experiencia con la hospitalización domiciliaria de los niños y adolescentes con necesidades especiales de atención en salud (Naneas), el Hospital San Borja, en un principio quiso rechazarla porque pensaba que era lo mismo que el programa del Ministerio de Salud; pero finalmente, término participando para poder irse a casa, resultando una muy buena experiencia.

A su juicio, los programas no se pueden seguir manteniendo sin la participación de las familias y las organizaciones, porque si bien han mejorado considerablemente, aun se debe garantizar una atención digna hacia los cuidadores y pacientes, con todas las herramientas e instrumentos posibles. La madre de Borja, señora María José Caro informó que el 31 de julio de 2020 su hijo necesitaba el medicamento más caro del mundo e intentaron juntar recursos para ello a través de una campaña de recaudación y la visibilización del caso a través de los medios de comunicación. Señaló que pasaron por muchas adversidades en dicho proceso, empezando porque los médicos no otorgan recetas porque puedan ser sumariados, lo que produce una tremenda carga emocional en las familias, e impotencia. Después de un largo tiempo, Borja pudo acceder al medicamento que necesitaba para el tratamiento de la atrofia muscular espinal. Sin embargo, manifestó que los procesos y procedimientos administrativos, como los controles de gestión por parte del Estado están al debe.

Informó que en 2021 se entregó un informe al Presidente de la República para poder optimizar correctamente los recursos al nivel de AME, precisando que el tratamiento precoz es primordial, toda vez que los niños asintomáticos tratados pueden desarrollar sus funciones motoras y musculares en forma completamente normal. A mayor abundamiento, hizo hincapié en la importancia del screening neonatal, con el objeto de poder prevenir este tipo de enfermedades; además, instó a revisar los protocolos existentes.

Contó la historia clínica de algunos niños que han utilizado el medicamento Zolgensma, fármaco que ha repercutido positivamente en la calidad de vida de los menores. Se hace necesario gestionar, dijo, algunos temas pendientes como la necesidad de orientar a las familias y educar en el manejo de pacientes y equipos; apoyo psicológico desde el primer día; presencia de terapeutas y terapias, y la relevancia de contar con equipos de alto costo, como ventiladores y asistente de tos.

Finalmente, argumentó que si bien AME ya dejó de ser la patología más cara del mundo, vienen otras enfermedades con mayores costos y dificultades, las cuales deben ser abordadas por el Estado, haciendo alusión a la Distrofia Muscular de Duchenne.

**Sesión 8ª, celebrada en lunes 8 de abril de 2024, de 12:38 a 14:04 horas.**<sup>6</sup>

**La Subsecretaria de Salud Pública, señora Andrea Albagli Iruretagoyena** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión, donde respondió preguntas sobre la historia del Programa de Pesquisa Neonatal y qué exámenes incluye en la actualidad; cómo se evalúa el programa y que estadísticas manejan tanto en el sector público como privado; costo actual para el Estado; pesquisa neonatal en otros países de Latinoamérica con evidencia comparada; esfuerzos para ampliar la pesquisa; proyecto de pesquisa neonatal ampliada y, situación en el sector privado.

**El doctor Juan Francisco Cabello** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión, quien se refirió a la pesquisa neonatal ampliada en Chile, haciendo alusión a los éxitos y desafíos en la materia.

**La presidenta de la Fundación Microtia e Hipoacusia, señora Betsabe Jara** se refirió a la condición de microtia y a la enfermedad de hipoacusia, y a los síndromes y patologías asociadas, precisando que son enfermedades poco frecuentes. Asimismo, hizo alusión a algunas necesidades que requieren, como la adquisición de audífonos de conducción ósea.

Solicitó el ingreso de estas enfermedades a la Ley Ricarte Soto y, además, que se gestionen mayores recursos para hacer frente a la gran cantidad de nuevas patologías raras y poco frecuentes que van apareciendo y diagnosticando, en virtud de los avances de la tecnología.

**En representación de la Corporación de Fibrosis Quística, señora Beatriz Trennert** en términos generales, hizo alusión a la historia de la Corporación y a los esfuerzos que han realizado para importar los medicamentos necesarios para

---

<sup>6</sup> [https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307592&prmTipo=DOCUMENTO\\_COMISION](https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=307592&prmTipo=DOCUMENTO_COMISION)

el tratamiento de la enfermedad, haciendo alusión a la necesidad de adquirir el fármaco Trikafta, debido a sus grandes efectos positivos en los pacientes. Explicó que la traba de incorporar el medicamento a la Ley Ricarte Soto es solo porque no está incorporado en el registro del Instituto de Salud Pública, circunstancia que ya cambió, pero aún no se ha incorporado.

**En representación de la Fundación Porfiria Chile, señora Eileen Hudson,** comentó que es una agrupación chilena con personalidad jurídica y sin fines de lucro, que representan a personas con sospecha o diagnóstico de porfiria, enfermedad que tampoco se encuentra incluida en la Ley Ricarte Soto. Comentó que la porfiria lo constituyen un grupo de enfermedades ocasionadas por la acumulación excesiva de porfirina, una proteína que ayuda a la hemoglobina a transportar el oxígeno en la sangre, donde los síntomas pueden variar según el tipo específico, afectando el sistema nervioso y otros órganos. Asimismo, hizo alusión a los pacientes que se atienden en Fonasa y en el sector privado.

**Sesión 9ª, celebrada en lunes 15 de abril de 2024, de 12:33 a 14:28 horas.**<sup>7</sup>

**La tesorera de la Fundación Duchenne Chile, señora Josefina García-Huidobro** explicó que desde que se fundó, el objetivo de la organización ha sido brindar información y acompañamiento tanto a los pacientes como a sus familias. Como asociación, informó que postularon dos veces a la “ley Ricarte Soto”, en 2017 y 2019, sin resultado.

Sostuvo que la distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad neuromuscular progresiva que afecta a uno de cada cinco mil varones nacidos, donde en la mayoría de los casos, la madre es la portadora. Se trata de una enfermedad muy cruel, ya que los músculos van debilitándose año tras año, lo que incide en la falta de movilidad de las extremidades superiores e inferiores, así como en cardiopatías graves y problemas respiratorios, que conduce a que los pacientes primero dependan en un ciento por ciento de un ventilador y, luego, de su cuidador o cuidadora, de la misma manera.

Puntualizó que, en la actualidad, existen algunos tratamientos que son de altísimo costo. En ese contexto, como fundación, saben que no solo deben velar por que los tratamientos puedan llegar a Chile y que todos los pacientes tengan la posibilidad de adquirirlos, sino que, paralelamente, deben tomar en cuenta todos los aspectos y necesidades de los pacientes, siendo importantes los protocolos de cuidado, la salud mental del paciente y de su cuidador o cuidadora, su inclusión en la escolaridad y, luego, en la educación superior, y las posibilidades de encontrar trabajo, entre otras.

Agregó que una de las grandes misiones es empoderar a los padres y pacientes, para que sepan que, a pesar de lo difícil que pueda ser tener esta

---

<sup>7</sup> [https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=308323&prmTipo=DOCUMENTO\\_COMISION](https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=308323&prmTipo=DOCUMENTO_COMISION)

enfermedad, se pueden cumplir sueños y metas y tener una excelente calidad de vida. Lo anterior, solo ocurrirá cuando los niños y jóvenes reciban un diagnóstico certero, cuenten con un examen genético, sean atendidos por un equipo médico que sepa de su enfermedad, cuenten con una terapia kinesiológica constante, con buena frecuencia, tengan atención oportuna de los médicos neurólogos, cardiólogos y broncopulmonares, que puedan sumar a sus terapias el entrenamiento respiratorio y que, cuando tengan que pasar de la atención pediátrica a la adulta, cuenten con especialistas.

Por su parte, señaló que también es fundamental contar con un registro de pacientes, para saber cuántos son y cuáles son sus necesidades, precisando que sin todo lo anterior, es imposible contar con políticas públicas que puedan ayudar a los niños y jóvenes.

Por último, explicó que como fundación no pueden bajar los brazos para que los tratamientos que existen para la distrofia muscular de Duchenne lleguen a los niños y jóvenes en Chile.

**El representante de la Fundación Duchenne Chile, señor Francisco Prado** informó que trabaja en el Hospital San Borja Arriarán y desde hace alrededor de veinte años ve pacientes con enfermedades neuromusculares de presentación temprana en la edad infanto-juvenil y, por extensión y seguimiento, hasta la adultez.

Señaló que se ha involucrado con varias fundaciones, como la de Duchenne en su solicitud de plantear algunas cosas que podrían ser vinculantes con la "ley Ricarte Soto" que, más que tratar medicamentos huérfanos de alto costo, tiene que ver con fijar un desde, que permita, a través de ayudas técnicas, escalonadamente, a lo largo del ciclo vital de los muchachos con distrofia muscular de Duchenne, su plena integración social, escolar y laboral, lo que corresponde a cualquier ciudadano que transita desde la infancia hacia la adultez.

Comentó que la distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad afflictiva, que compromete fuertemente no solo la salud física, sino también mental de quien la padece y de su entorno familiar. Es una enfermedad de alto costo, como lo que significa cualquiera de las enfermedades neuromusculares, y tiene una característica bien especial: se presenta después de los dieciocho meses de vida, y, en general el diagnóstico se hace por síntomas a los cuatro años. Existe la posibilidad, como en otras muchas enfermedades neuromusculares, de tener un tamizaje o *screening* neonatal, que permita entrar en forma precoz a distintas instancias de soporte.

Indicó que la característica distintiva de esta enfermedad es que la gran mayoría de los pacientes tiene neuro condición normal y después del momento en que pierden la marcha, que es en una variable en la edad del adolescente, hay una declinación de la función pulmonar que tiene una pendiente sustantivamente mayor a la de una persona que no tiene enfermedades neuromusculares.

Explicó que la buena noticia es que, a través de intervenciones muy simples de rehabilitación respiratoria, esa pendiente y la declinación se proyecta, se hace más tenue y se traslada en cinco años, a lo menos, lo que hace que los muchachos requieran dependencia de soporte ventilatorio no invasivo, que es una instancia que está puesta en los programas ministeriales, a través del programa de ventilación de niños y adultos, de una manera más tardía, lo cual permite que estos pacientes requieran dependencias tecnológicas, generalmente ya en la edad adulta.

Afirmó que este modelo de enfermedad claramente impacta. Un diagnóstico en la infancia, pero que se proyecta en la adultez, como muchas de las enfermedades neuromusculares.

Puntualizó que la fundación está interesada, más que en el análisis específico de medicamentos, en las distintas ayudas técnicas que pueden ser entregadas como otros modelos de enfermedad, como lo que sucedió en algún momento con la esclerosis lateral amiotrófica, que tuvo una incorporación a través de ayudas técnicas y no de medicamentos en específico.

**La presidenta de la Corporación Esclerosis Múltiple Chile, Verónica Cruchet** señaló que la Corporación Esclerosis Múltiple Chile agrupa a todos los pacientes con esclerosis múltiple del país y a sus familiares y luchan por tener beneficios para una vida digna para cada uno de ellos.

Declaró que cuando se hizo la “ley Ricarte Soto” se abrió una tremenda esperanza para millones de chilenos, toda vez esta fue una ley que partió desde la sociedad civil, para dar derechos que se consideran básicos para cualquier persona y para cubrir necesidades que no estaban cubiertas.

Informó que han trabajado codo a codo con todas las autoridades desde el día uno. Han salido a la calle, en las marchas; fueron liderados por el gran Ricardo Soto, quien lamentablemente falleció antes de saber que el proyecto vio la luz. Asimismo, han sido parte fundamental de esta ley, desde sus inicios, en la gestación, en todo el proceso de formación de la ley.

Recordó que, a casi diez años de la publicación de esa ley, de su entrada en vigor, solo hay 27 patologías cubiertas, donde ninguna patología está completa, porque hay un tremendo problema en su abordaje.

Por su parte, aclaró que los beneficios no se pueden medir en la cantidad de medicamentos, sino por el abordaje terapéutico que necesita cada patología específica y, para eso, se necesita de comisiones que sean realmente expertas y que, cuando las autoridades emitan los respectivos decretos o decidan qué medicamento o qué tecnología usar, tengan que hablar con las agrupaciones y con los especialistas recomendados, porque ellos son quienes conocen las necesidades y quiénes son los especialistas que realmente conocen a cabalidad la patología de la cual se está hablando.

Por otro lado, hizo alusión al impacto presupuestario de esta ley, señalando que no se puede medir solamente por el valor determinado de un

medicamento toda vez que, en el caso de la esclerosis múltiple, se ha indicado que el medicamento es muy caro, pero nadie se permite medir el impacto que la enfermedad tiene para la vida de las personas, para el trabajo en la sociedad y para la familia.

Afirmó que la esclerosis múltiple es una patología que, si la persona no recibe los medicamentos adecuados en el minuto preciso, la llevará a una discapacidad inminente, pudiendo la persona quedar discapacitada, sin poder trabajar y no pudiendo ser un aporte para la sociedad, porque va a pasar hospitalizada. También, otra persona de su familia va a tener que dejar de trabajar para cuidarla y, en ese caso, ya serían dos personas por familia que van a dejar de ser un aporte para la sociedad, con todo lo que eso implica.

Aclaró que una patología no es más importante que otra, sino que todas son importantes, igual de graves y terribles para las personas que la viven, no obstante, recordó que la mayoría de las personas que padecen de esclerosis múltiple integran el grupo de adultos jóvenes de una población.

En el mismo sentido, sostuvo que los países desarrollados invierten tiempo y plata en investigar la esclerosis múltiple. Así, ha resultado ser la patología que más avances científicos ha tenido en el mundo, en los últimos quince años, debido al grupo etario afectado por la enfermedad.

Declaró que lamentablemente, la ministra de Salud, señora Ximena Aguilera, ha ignorado de forma tremenda a todas las agrupaciones de salud. Ha desconocido absolutamente todo el trabajo que han hecho durante quince años, porque la ley lleva diez, pero las agrupaciones llevan trabajando en la ley quince años.

**La presidenta de la Asociación Chilena de Hipertensión Pulmonar (Hapchi), señora Teresa Muller** comentó que la asociación es una organización sin fines de lucro, que adquirió su personalidad jurídica en 2013. Desde, entonces, Hapchi ha evolucionado y trabajado con comunidades locales e internacionales, comprometiéndose con la educación de pacientes, cuidadores, familiares y profesionales de la salud.

Señaló que la hipertensión pulmonar es una enfermedad rara, grave y mortal. Es un tipo de presión arterial alta, que afecta las arterias de los pulmones y el lado derecho del corazón. Es una patología de muy rápida progresión y lo único que existe para frenarla son los tratamientos. En la hipertensión arterial pulmonar los vasos sanguíneos de los pulmones se estrechan, bloquean o destruyen. El daño hace más lento el flujo sanguíneo a través de los pulmones, la presión en las arterias pulmonares aumenta, por lo que el corazón debe trabajar más para bombear sangre a través de los pulmones.

En la actualidad, aún no hay cura para esta patología, pero sí existen tratamientos que han ayudado a vivir y mejorar la calidad de vida de quienes padecen la enfermedad, detallando que tiene prevalencia en mujeres jóvenes, aun

cuando también se da en adultos mayores; en realidad, le da a cualquier persona, incluso a niños.

En relación con la ley N° 20.850, indicó que están en esto desde hace quince años, pese a constituirse legalmente en 2013, pero estuvieron en el proceso antes de que se iniciara la aplicación de la ley Ricarte Soto.

Respecto a su caso, contó que el primer proyecto ingresó a tramitación, estableciendo la incorporación de tres tratamientos de alto costo que, sin duda, fue un gran avance y estaban muy felices y esperanzados. Sin embargo, fue dado a un número específico de pacientes, solo los de tipo 1 idiopáticos, dejando a un importante grupo y subgrupo sin terapia, toda vez que existen cinco tipos de hipertensión pulmonar.

Dicha iniciativa legal buscaba apoyar a los pacientes y sus familias con tratamientos de alto costo y con acceso universal; sin embargo, el mensaje estuvo muy lejano de las expectativas que se generaron en un inicio.

Actualmente, la ley ni siquiera cumple con la consigna de dar cobertura frente a terapias de alto costo. En su caso, se han cambiado arbitrariamente, o sea, sin análisis de los médicos expertos, los tratamientos por medicinas de la India. Todo esto ha generado grandes deterioros en los pacientes, los cuales, a través de las diferentes plataformas de reclamos del ISP y OIRS, están haciendo sus reclamos por las descompensaciones que tienen con este tipo de tratamiento. Lamentablemente, eso está sucediendo en este minuto, por tanto, afirmó que no es que la enfermedad haya avanzado porque sí, sino que ello fue por el cambio de tratamiento

En cuanto a las pesquisas neonatales, no tienen cobertura, pero sí los pacientes con hipertensión pulmonar congénita. Sería importante ampliar la pesquisa, a fin de obtener cobertura para ese tipo de hipertensión pulmonar, cuando ya no se encuentra el diagnóstico. O sea, se debe generar un examen para hacer la pesquisa y un tratamiento adecuado, en caso de que fuera necesario. En cuanto a los biomarcadores, o sea, a los análisis de sangre, en este minuto no los hay, porque América Latina no hace mucha investigación en materia de genética de la hipertensión pulmonar.

Respecto al tema de la hospitalización domiciliaria, señaló que no pueden estar con ese tipo de hospitalización, porque todos son pacientes de alta complejidad y se necesita una UCI cardíaca. Eso suele suceder porque se ocupan hartas UCI cardíacas y hartos ECMO, porque no hay un tratamiento adecuado o porque hay un tratamiento que no se da a tiempo.

Hizo presente que en las redes asistenciales existen retrasos en los flujos para la derivación de pacientes a centros de referencia, sobre todo en regiones; falta de expertos y de centros de referencia, como asimismo pocos médicos acreditados. Además, a nivel nacional, existe carencia de enfermeras que entiendan tanto de los flujos de pacientes, como de los parámetros de la ley. Opinó que falta educar mucho al personal de la salud en atención primaria, para lograr que no haya atrasos en las atenciones porque, si no se sabe hacer la pesquisa ni el examen correcto, no se hace la derivación y simplemente el paciente va a fallecer, lo

cual debiera evitarse. Destacó que no están en contra de terapias bioequivalentes, en la medida en que estas sean evaluadas e indicadas de la mano de los expertos y con el seguimiento que corresponda.

Por otro lado, manifestó que los protocolos de esta ley no han sido revisados ni actualizados desde hace mucho tiempo. Están trabajando con las guías clínicas de 2015, aun cuando ya están disponibles las de 2022, razón por la cual se debería trabajar con estas últimas; sin embargo, no se ha hecho revisión de los protocolos. Tampoco se ha revisado el método de evaluación para la incorporación de tecnologías sanitarias, método reconocido mundialmente, porque en esta ley se mezclan enfermedades de alta y baja prevalencia, lo que no resulta justo.

Afirmó que, si no hay tratamientos adecuados, son pacientes carísimos para el Estado; si hay tratamiento adecuado, la sobrevida es grande y no es necesario jubilarse, se puede seguir trabajando, siendo un aporte para el Estado.

Por último, dejó la siguiente reflexión del médico egipcio Mahmoud Fathalla, premio ONU 2009, que dice: *“La mayoría de las personas no se están muriendo a causa de enfermedades incurables; se están muriendo, porque, en ciertas sociedades, aún no se ha decidido que vale la pena salvarles la vida.”*

**La directora de la fundación Vasculitis Chile, señora María Ester Bustos** compartió lo que han señalado también las agrupaciones respecto de que tener cualquier patología en Chile es un costo para la familia y para el paciente. Afirmó que al Estado le sale más barato eso, que atender al paciente cuando está en condición crítica.

Hizo presente que, lamentablemente, para quienes tienen enfermedades raras, a veces los diagnósticos en vasculitis se demoran años; hay casos que se han demorado más de siete años en diagnosticar. Entonces, cuando llega el diagnóstico, la persona ya está muy deteriorada y, generalmente, con compromiso de los órganos: pulmones, corazón y riñón, en el caso de la vasculitis.

La vasculitis es la inflamación de los vasos sanguíneos, y dependiendo de dónde se localice la inflamación, es el tipo de vasculitis. Así, tenemos vasculitis que afecta a los vasos sanguíneos pequeños, medianos y grandes. Por ejemplo, tenemos la arteritis de Takayasu, enfermedad que básicamente afecta a las arterias del corazón. Respecto a la vasculitis de vasos pequeños, esta se centra básicamente en las vías respiratorias superiores, y en lo que se llama la patología granulomatosis con poliangeítis, ex-Wegener.

Se trata de una organización sin fines de lucro cuyo objetivo es acompañar a los pacientes, familiares y cuidadores. El diagnóstico no siempre se conoce, ni siquiera algunos médicos conocen y menos saben de los tratamientos.

Esta patología en particular, la granulomatosis con poliangeítis, para la cual se está pidiendo el medicamento Rituximab, que se ocupa en otras patologías, es de las más estudiadas y conocidas. Han debido auto educarse, autoinformarse, primero, con Vasculitis Foundation, que es la Fundación de Vasculitis, en Estados

Unidos, quienes les mandaron sus protocolos, guías clínicas e información que han entregado para postular a la “ley Ricarte Soto” en cada uno de los cuatro decretos anteriores, donde inicialmente, se decía que el Rituximab no servía para nada, que no estaba aprobado, lo cual, ciertamente, no es así ahora.

Afortunadamente, manifestó, ha podido financiar su tratamiento, porque no todos tienen la posibilidad de hacerlo, y cuando un paciente con este tipo de vasculitis, o de otros tipos, requiere de una terapia biológica, es cuando comienzan sus problemas, pero no para las personas afiliadas a Isapres porque, por ley, las Isapres están obligadas a entregar la contraprestación y, además, se activa el seguro catastrófico. En el caso de las personas afiliadas a Fonasa, ha habido pacientes que han muerto por no recibir el medicamento, pues esta patología no está ni en el Ges, ni en la “ley Ricardo Soto”, razón por la cual Fonasa no está obligado a entregarle la cobertura con el mencionado medicamento. Muchos pacientes desconocen el tema; la solución sería presentar un recurso de protección, para lo cual se requiere abogado, pero no mucha gente lo sabe.

Respecto a los exámenes neonatales, indicó que desconocen si necesitan este tipo de examen, sin embargo, estiman importante ampliar la cobertura de este tipo de exámenes para las otras enfermedades.

Sobre las atenciones de hospitalización domiciliaria, afirmó que han tenido un solo caso de hospitalización domiciliaria que funcionó muy bien.

Respecto a los medicamentos bioequivalentes, señaló que se supone que es igual al original, porque ya se liberó la prescripción del laboratorio para financiar sus estudios, pero la diferencia no es muy mayor en costo. O sea, si el original vale, 1.800.000, el otro costará 1.500.000, es decir, no hay mucha diferencia.

Sostuvo que su principal requerimiento es la adquisición del medicamento, toda vez que está probada su eficiencia a nivel internacional y nadie puede reclamar que no existe evidencia clínica, como si dijeron cuando se postuló a la “ley Ricarte Soto”. Este medicamento, además, se ocupa mucho en los pacientes con lupus, con artritis reumatoide y en otras patologías y, está en todas las guías clínicas.

**La directora ejecutiva de la Fundación Chilena de Pacientes de Enfermedades Lisosomales de Chile, señora Myriam Estivill** valoró que nunca los hayan desconocido, porque desde hace años están trabajando en diferentes aspectos relacionados con salud y siempre que han solicitado audiencia, han estado disponibles.

Informó que la agrupación es una fundación sin fines de lucro y está en ella, porque su hija tiene una enfermedad lisosomal, la enfermedad de Gaucher, que fue diagnosticada en el 2000. Desde ese año, época en que se hablaba muy poco de estas enfermedades y no había ninguna posibilidad de tener cobertura, están trabajando en la materia.

Señaló que cuando se conformaron, primero, como corporación, eran cinco pacientes de Gaucher en Chile. Después fueron apareciendo otras enfermedades lisosomales y formaron una fundación. En los últimos años, han aparecido grupos de pacientes con otras enfermedades que se han unido.

Afirmó que se trata de enfermedades que representan poca incidencia, pero de alto costo, no solo monetario, sino también familiar, emocional y económico, porque hasta hoy el diagnóstico es muy difícil de encontrar, precisando que no existe un diagnóstico temprano oportuno, aunque se ha avanzado en el tema.

Hizo presente que no solo se enferma el paciente, sino también su entorno familiar, sobre todo las madres, toda vez que es tremendo ser madre de un hijo enfermo, es terrible, porque uno quisiera que los niños no pasaran por todo esto.

Contó que su hija estuvo tres meses hospitalizada. Se enfermó a fines de 1999 y recién en julio de 2000 la diagnosticaron, porque antes no había diagnóstico en Chile, sino que había que enviar los exámenes fuera del país. Era mucho más difícil; había que pagarlo en dólares. Hoy, por lo menos, se pueden diagnosticar varias enfermedades en el país, pero aún falta, todavía no se diagnostican a tiempo.

Respecto de la "ley Ricarte Soto", afirmó que es el sentir de todos, porque cuando se juntaron había esperanza, donde miles de familias tenían la esperanza de acceder a diagnósticos y tratamientos, pero lamentablemente, esa unión que había desde antes que se tramitara el proyecto de ley Ricarte Soto y durante su tramitación, se diluyó en el tiempo y todos se apartaron.

Hizo presente que las evaluaciones científicas de las evidencias se han incorporado como barreras para la incorporación de nuevas tecnologías, y el decreto modificatorio dice que el 86% fue desfavorecido. Por su parte, comentó que la ley, actualmente no cubre las necesidades de las enfermedades poco frecuentes. No se han incorporado nuevos tratamientos en seis años, lo que refleja no solo que los recursos financieros son insuficientes, sino que también hay deficiencia en la gestión, en cuanto a la voluntad de avanzar. Opinó que necesitan con urgencia que la ley incorpore nuevos diagnósticos y tratamientos para nuevas patologías.

Respecto de la pesquisa neonatal acotó que, si bien no están incorporadas las enfermedades lisosomales ni las neurodegenerativas, sí es importante que los pacientes que padecen diferentes tipos de patologías accedan a exámenes de confirmación diagnóstica a temprana edad. Apoyan plenamente la pesquisa neonatal, porque es importante contar con la cobertura financiera para esos exámenes, algunos de los cuales están incorporados en la ley Ricarte Soto. Es muy importante tener un diagnóstico a tiempo, porque así también se puede tener un tratamiento temprano.

Respecto de la hospitalización domiciliaria, informó que muchos de sus pacientes tienen su terapia en domicilio debido a su condición de postrado o movilidad reducida. También, algunos de los pacientes usan oxígeno dependiente y requieren de esa prestación en sus hogares.

**Sesión 10ª, celebrada en martes 16 de abril de 2024, de 8:50 a 10:02 horas.**<sup>8</sup>

**La Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza** se refirió a la situación de la Ley Ricarte Soto, haciendo alusión a sus ventajas, desventajas, mecanismos de priorización, problemáticas, limitaciones y desafíos presentes como futuros.

**La Directora de Presupuestos, señora Javiera Martínez** expuso en base a una presentación que dejó a disposición de la Comisión. En términos generales, explicó que la ley N° 20.850, publicada el 6 de junio de 2015, crea un Sistema de Protección Financiera para diagnósticos y tratamientos de alto costo que otorga cobertura financiera a diagnósticos, medicamentos, alimentos y elementos de uso médico, de demostrada efectividad y que representen un alto costo para las familias. Con esa ley, se estableció un fondo de recursos, el "Fondo de Diagnósticos y Tratamientos de Alto Costo", con el que se financiarían las prestaciones garantizadas por el sistema, permitiendo otorgar cobertura a todo aquel que lo requiera, independiente de su afiliación de salud.

Con la finalidad de garantizar el adecuado financiamiento de las prestaciones de salud y la sustentabilidad del Fondo, la ley estableció una regla de sustentabilidad financiera, la que indica que el conjunto de tratamientos de alto costo que cubrirá el Sistema de Protección Financiera deberá tener un costo anual esperado igual o inferior al 80% de los recursos anuales del Fondo. Por su parte, acotó que los diagnósticos y tratamientos de alto costo que cubrirá el Sistema de Protección Financiera para Diagnósticos y Tratamientos de Alto Costo se determinan mediante un decreto supremo del Ministerio de Salud, suscrito por el ministro de Hacienda, los cuales deben cumplir un conjunto de criterios.

Respecto a las fuentes de ingreso del fondo, afirmó que los aportes fiscales anuales fueron de \$30.000 millones en 2015, \$60.000 millones en 2016 y, \$100.000 millones en 2017 y años siguientes (ajustado IPC). Asimismo, se reciben donaciones y aportes de la cooperación internacional. Declaró que la ley establece claros y transparentes procedimientos y metodologías para la inclusión de diagnósticos y tratamientos al Sistema de Protección Financiera, lo que evita la discrecionalidad y conflictos de interés en la toma de decisiones. Puntualizó que, las estimaciones realizadas por Dipres el 2021, muestran que la regla de sustentabilidad definida en la ley (gasto proyectado debe ser como máximo el 80% de los recursos disponibles para el año siguiente) lo que se dejaría de cumplir el 2027. Ahondó que el aumento de costos por sobre lo estimado en 2019 (DS 4), se debe a una combinación de factores, tales como, el aumento en precios por sobre lo esperado, debido a la pandemia del Covid-19 y, el flujo de ingreso anual de pacientes por sobre

---

<sup>8</sup> [https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=308154&prmTipo=DOCUMENTO\\_COMISION](https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=308154&prmTipo=DOCUMENTO_COMISION)

lo esperado, especialmente en patologías que los tratamientos garantizados corresponden a tratamientos de segunda línea.

Por último, explicó que aun cuando los informes de sustentabilidad se elaboran y publican únicamente cuando exista la publicación de un nuevo decreto supremo, la Dirección de Presupuestos (Dipres) se encuentra constantemente monitoreando el flujo financiero del Fondo y el funcionamiento del sistema, en conjunto con Fonasa, el Ministerio de Salud y otros actores relevantes.

#### V.- INFORMES Y DOCUMENTOS RECIBIDOS POR LA COMISIÓN.

La Comisión recibió antecedentes referidos a las exposiciones efectuadas por las personas invitadas y citadas a sus sesiones, todos los cuales están contenidos en la página referida a la Comisión Especial Investigadora (CEI 40).<sup>9</sup>

#### VI.- LISTADO DE OFICIOS DESPACHADOS Y DOCUMENTOS RECIBIDOS POR LA COMISIÓN EN EL MARCO DE SU INVESTIGACIÓN.

Durante el ejercicio de su cometido, la Comisión despachó varios oficios de carácter administrativo, para el cumplimiento de su cometido. Además de ello, despachó los siguientes oficios, formulando las consultas o requiriendo la información que a continuación se detalla:

Oficios	Fechas	Destinatario	Materia	Repuesta
05	17/01/2024	Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza.	Solicita remitir los siguientes antecedentes que indica.	06/05/2024
06	17/01/2024	Ministro de Hacienda, señor Mario Marcel Cullell.	Solicita remitir todos los estudios de sustentabilidad financiera del Fondo de Diagnósticos y Tratamientos de Alto Costo, realizados por la Dirección de Presupuestos, en virtud del artículo 9 de la ley N°20.850.	
07	17/01/2024	Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza.	Solicita informar sobre el caso de los menores Luciana, Ignacio y Lucas, quienes padecen o padecieron Atrofia Muscular Espinal Tipo 1 (AME), remitiendo las actas y todos los antecedentes de la Comisión Experta Evaluadora, especialmente los	

<sup>9</sup> <https://www.camara.cl/legislacion/comisiones/integrantes.aspx?prmID=4181>

Oficios	Fechas	Destinatario	Materia	Repuesta
			integrantes de la misma y los argumentos que fundamentaron para otorgar o no el medicamento Zolgensma.	
08	17/01/2024	Director del Fondo Nacional de Salud, señor Camilo Cid Pedraza.	Solicita informar sobre el caso del menor Ignacio, quien padece de Atrofia Muscular Espinal Tipo 1, señalando las razones que se tuvo para presentar apelación a la resolución dictada por la Corte de Apelaciones en beneficio del paciente.	
09	17/01/2024	Directora del Hospital San Juan de Dios de Los Andes, señora Ana Lazcano Lemus.	Solicita informar sobre las razones y motivos por los cuales el menor Lucas, quien padecía de Atrofia Muscular Espinal Tipo 1, habría quedado sin médico tratante.	Reemplaza oficio 16
10	17/01/2024	Director del Instituto de Salud Pública, señor Rubén Verdugo Castillo.	Solicita informar sobre los estudios clínicos referidos al tratamiento aplicable para la Atrofia Muscular Espinal Tipo 1, que estarían actualmente en ensayo clínico.	
11	17/01/2024	Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza.	Solicita informar sobre los estudios clínicos referidos al tratamiento aplicable para la Atrofia Muscular Espinal Tipo 1, que estarían actualmente en ensayo clínico.	06/05/2024
12	17/01/2024	Director del Instituto de Salud Pública, señor Rubén Verdugo Castillo.	Solicita informar sobre el caso de Ignacio, quien padece de Atrofia Muscular Espinal Tipo 1, cuándo se tomó conocimiento de su condición; la fecha de creación de la Comisión Experta Evaluadora y, los fundamentos técnicos que determinaron el rechazo del tratamiento del medicamento Zolgensma.	
13	17/01/2024	Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza.	Solicita informar sobre el caso de Ignacio, quien padece de Atrofia Muscular Espinal Tipo 1, señalando cuándo se tomó conocimiento de su condición; la fecha de creación de la Comisión Experta Evaluadora, y los fundamentos técnicos que determinaron el rechazo del tratamiento del medicamento Zolgensma.	14/05/2024
14	17/01/2024	Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza.	Solicita designar a algún funcionario asesor de dicho Ministerio, a fin de que concurra en forma presencial a las sesiones de esta Comisión Investigadora, de tal manera que sea un interlocutor de la misma.	04/03/2024
	17/01/2024	Ministro de Hacienda, señor	Solicita designar a algún funcionario asesor de dicho Ministerio, a fin de que concurra	

Oficios	Fechas	Destinatario	Materia	Repuesta
15		Mario Marcel Cullell.	en forma presencial a las sesiones de esta Comisión Investigadora, de tal manera que sea un interlocutor de la misma.	
16	23/01/2024	Directora Hospital San Juan de Dios, Dra. Midori Sawada T.	Solicita informar sobre las razones y motivos por los cuales el menor Lucas, quien padecía de Atrofia Muscular Espinal Tipo 1, habría quedado sin médico tratante.	01/03/2024
17	26/01/2024	Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza.	Solicita informar sobre la situación que afecta al menor que se individualiza en documento adjunto, quien fue diagnosticado con Atrofia Muscular Espinal Tipo 1 e ingresado a los seis meses al protocolo del Ministerio de Salud para adquirir el tratamiento de Zolgensma.	06/05/2024
18	11/03/2024	Presidente Cámara de Diputados	Solicita el acuerdo de la Sala para prorrogar en 15 días su mandato con la finalidad de continuar escuchando a otras organizaciones que se requiere para el cumplimiento de su cometido. El plazo inicial vence el 28 de marzo, y se solicita el acuerdo para prorrogarlo hasta el 17 de abril de 2024.	18/03/2024
19	12/03/2024	Director de Cenabast, señor Jaime Espina Ampuero.	Solicita informar cuántos son los medicamentos, desagregados por tipo de fármaco, por región y por año, desde los últimos cinco años, que se han perdido de ser usados, sea por vencimiento, por no entrega oportuna, por sobre stock o por otra razón. Interesa tener un detalle pormenorizado, atendido el grave e importante daño que ello ocasionaría al erario nacional.	06/05/2024
20	08/04/2024	Presidente Cámara de Diputados	Solicita el acuerdo de la Sala para prorrogar en 21 días su mandato para con la finalidad de continuar escuchando a otras organizaciones que se requiere para el cumplimiento de su cometido. El plazo vence el 17 de abril, y se solicita el acuerdo para prorrogarlo hasta el 11 de mayo de 2024.	
21	15/04/2024	Ministra de Salud, señora Ximena Aguilera Sanhueza.	Reitera oficios N°s 5, 7, 11,13 y 17 pendientes de respuesta.	
	16/04/2024	Subsecretaria de	Solicita informar sobre cuáles serían las 26	06/05/2024

Oficios	Fechas	Destinatario	Materia	Repuesta
22		Salud Pública, señora Andrea Albagli I.	patologías nuevas que se incorporarían en el programa de Pesquisa Neonatal Ampliada.	

#### VII.- CONSIDERACIONES QUE SIRVAN DE BASE A LAS CONCLUSIONES O A LAS PROPOSICIONES RECHAZADAS POR LA COMISIÓN.

No hubo.

#### VIII.- CONSIDERACIONES QUE SIRVEN DE BASE A LAS CONCLUSIONES Y PROPOSICIONES APROBADAS POR LA COMISIÓN.

Con el **voto favorable unánime de los diputados y diputadas presentes**, señores y señoras Mónica Arce Castro, Danisa Astudillo Peiretti, Félix González Gatica, Tomás Lagomarsino Guzmán (Presidente), Hernán Palma Pérez, y Consuelo Veloso Ávila **se aprobaron (6 votos a favor) las siguientes consideraciones, conclusiones y propuestas formuladas de consenso:**

##### 1. Campañas de pacientes de tratamientos de alto costo.

Si bien es de público conocimiento las actividades solidarias que se realizan en nuestro país para financiar la salud, sean estas a microescala (completadas, bingos, rifas, entre otros) o mega escala (ej. Teletón), hace algunos años se han viralizado, aprovechando el uso de las redes sociales, campañas individuales para financiar tratamientos de alto costo. Ejemplos en esta materia existen muchos hace muchísimos años y que han ido progresivamente en aumento.

Sin embargo, la llegada de las campañas individuales para recaudar recursos para pacientes con atrofia muscular espinal rompe los esquemas conocidos hasta hoy. El elevadísimo costo del tratamiento genético en cuestión, la viralización por redes sociales, la cobertura mediática y la presión a tomadores de decisión en distintos niveles no ha tenido precedentes.

Dado este explosivo avance, el Estado de Chile no ha podido establecer mecanismos que le permitan adecuadamente procesar estos requerimientos y la presión que se ejerce con el análisis de la evidencia científica asociada a los tratamientos y la forma de adquisición que asegure el buen uso de los recursos públicos que le cabe como responsabilidad.

##### 2. Evaluación de tecnologías sanitarias (Etesa).

Es fundamental fortalecer la política de evaluación de tecnologías sanitarias para poder analizar adecuada y minuciosamente la evidencia científica

asociada a los tratamientos de alto costo. La ley N° 20.850 estableció el estándar de oro en la capacidad y calidad de la evaluación de este tipo de tecnologías, así como el manejo de conflictos de interés, con la metodología que tiene para su incorporación al fondo; sin embargo, el financiamiento de tratamientos de alto costo por fuera de esta ley empobrece el análisis y genera retrocesos en esta materia.

Para el caso de atrofia muscular espinal, y según quedó de manifiesto en la sesión celebrada el 16 de abril de 2024, existió un conflicto de interés entre uno de los especialistas en neurología infantil que integraba la comisión que asesoró al Ministerio de Salud para decidir la entrega de Onasemnogén abeparovec con un laboratorio de la competencia que pudo haber inhibido al profesional de entregar este nuevo medicamento. Este conflicto de interés se suscitaba al participar de un ensayo clínico de otro tratamiento para el mismo diagnóstico. Dicha relación, al no ser desmentida, cuestionada, desarticulada o despejada del debate, confirma que la regulación por fuera de la Ley Ricarte Soto es insuficiente para asegurar la probidad y transparencia necesaria en la utilización de recursos públicos para costear los casi \$2.000.000.000 (dos mil millones de pesos) por dosis del medicamento en cuestión.

Es un desafío para el Estado de Chile regular la entrega y adquisición de tratamientos de altísimo costo por fuera de la Ley Ricarte Soto para contar con mayores estándares ético-legales y de evaluación de evidencia científica.

Tardíamente el Ministerio de Salud desarrolló un protocolo titulado "Tratamiento con Onasemnogén abeparovec para personas con atrofia muscular espinal tipo 1, el cual estipula el proceso de evaluación de casos clínicos posibles de ser beneficiarios de este tratamiento y que fue publicado mediante la resolución exenta N°1.574, del 24 de noviembre de 2023. Dicha evaluación será desarrollada por una comisión ad hoc, contemplando los aspectos económicos, éticos, sociales y de equidad. Adicionalmente, los tiempos autoimpuestos por este protocolo al Ministerio de Salud terminan no cumpliéndose según se constató en la sesión realizada el 15 de enero de 2024, afectando directamente los derechos constitucionales a la vida y a la integridad psíquica y física de las personas, amparados en el artículo 19, N° 1, de la Constitución Política de la República.

Sea cual sea el caso, el establecimiento de comisiones ad hoc, como las que fueron conocidas en la Comisión Especial Investigadora, son metodologías de baja calidad para definir la prescripción de tratamientos de alto costo. Esto dado que no cuentan con cuerpo legal claro que les dé sostén y, por tanto, sin el manejo adecuado de conflictos de interés.

Es fundamental fortalecer el Departamento de Evaluación de Tecnología Sanitaria del Ministerio de Salud, o crear una agencia que evalúe de forma lo más imparcial posible los nuevos tratamientos. En el caso de la Ley

Ricarte Soto es relevante remunerar a los integrantes de la Comisión de Recomendación a fin de reglar de mejor forma dicha instancia decisonal.

Posterior a la ley N° 20.850, en 2020 se creó el Comité de Drogas Oncológicas de Alto Costo (CDAC) que tiende a fragmentar la política de tratamientos de alto costo considerando que la Ley Ricarte Soto financia también drogas oncológicas de alto costo. Es relevante el esfuerzo de rectoría que haga el Ministerio de Salud para mantener ordenada la política de financiamiento de tratamientos de alto costo, o que se genere una definición en cuanto a la diferenciación de aquella destinada a tratamientos oncológicos.

### 3. Donación de medicamentos.

Se conoció del caso de donación, al Estado de Chile, de medicamentos de alto para la atrofia muscular espinal, tanto en el Gobierno anterior como en el actual. La decisión de a quiénes se les entregaba dichas donaciones, en algunos casos, fue discrecional y sin una metodología clara, lo cual pudo haber incidido en que hubo pacientes que no fueron considerados para su entrega y, por tanto, que hubiera habido conflictos de interés en la decisión. De hecho, durante las sesiones de la Comisión, una agrupación de pacientes se adjudica el haber ellos enviado al Ministerio de Salud de aquel entonces la nómina de pacientes que recibieron dichos medicamentos donados.

El Ministerio de Salud debe reglar claramente el procedimiento por el cual se reciben donaciones para tratamientos de alto costo por parte de laboratorios, y cómo se decide la entrega de esos medicamentos a los pacientes.

### 4. Tratamientos de elevadísimo costo.

Chile y los Estados del mundo están desafiados por la llegada de nuevos medicamentos cuyo costo ya sobrepasa todo límite. El primero de estos es Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) que corresponde al primer medicamento genético, es decir, que puede corregir un error genético, en este caso para la atrofia muscular espinal. El siguiente fármaco de estas características, que aún no ha sido registrado en Chile, es Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevydis) para la distrofia muscular de Duchenne.

A pesar de que la ley N° 20.850 fue expresamente creada para tratamientos de alto costo y esta no contó con un techo de costo para incorporar medicamentos, cabe preguntarse si esta política pública es capaz de responder a una generación de fármacos cuyo costo ya no son cientos de millones de pesos, sino son miles de millones de pesos. Esto dado que la incorporación de tratamientos de estas características consumiría rápidamente el fondo disponible en la ley. De todas formas, al no existir otra política pública dirigida a estos medicamentos y no contar la ley N° 20.850 con un techo de costo, es esta normativa la que debe tender a acoger este tipo de tratamientos.

Sea cual sea la normativa mediante la cual el Estado adquiriera estos tratamientos, la compra por unidad siempre será más ineficiente, por lo cual se debe tender a su adquisición por volumen o mediante acuerdos de riesgo compartido (ARC) según se comentará más adelante.

#### 5. Judicialización de tratamientos de alto costo.

El Estado de Chile ha sucumbido ante la judicialización. Prueba de ello es la incorporación en la Ley de Presupuestos del Sector Público para los años 2023 y 2024, de un fondo en la Partida del Ministerio de Salud destinado a financiar los fallos en materia de tratamientos de alto costo.

Lo anterior, toma mayor gravedad considerando que en junio de 2022 no se incorporó nuevas tecnologías a la Ley N° 20.850 dado que se había alcanzado el techo de sustentabilidad financiera. El Estado de Chile decidió responder a la judicialización, en vez de fortalecer la política pública destinada a financiar de forma ordenada y sistemática, y con evaluación de la evidencia científica los tratamientos de alto costo.

Esta medida, de por sí, es altamente discriminatoria dado que no todos los pacientes o sus familias son capaces de llevar un proceso judicial hasta la Corte Suprema para que se falle y se ordene al Estado de Chile la entrega de un medicamento de estas características.

Se debe propender a que los recursos destinados al Fondo de Judicialización sean traspasados a la Ley Ricarte Soto en la medida que se puedan incorporar nuevos tratamientos a esta.

Debe existir un acercamiento con el Poder Judicial a fin de establecer estándares que aseguren certeza jurídica frente a la incertidumbre de sentencias que obliguen al Estado a financiar tratamientos futuros de elevado o elevadísimo costo.

#### 6. Acuerdos de riesgo compartido.

Ninguno de los últimos gobiernos había logrado implementar un acuerdo de riesgo compartido (ARC) para la adquisición de medicamentos de alto costo compartiendo el riesgo entre el Estado y el laboratorio innovador. Del análisis de las experiencias anteriores se obtiene que siempre se habían realizado descuentos por volumen. Todo lo anterior, a pesar de que la ley N° 20.850 instaló expresamente esta modalidad de adquisición en su artículo 7°.

Tanto el director de Cenabast como la directora de Chile Compra descartaron que se requiera de modificaciones legales para la implementación de los acuerdos de riesgo compartido, aunque su realización podría facilitar la ejecución. Lo que sí se requiere son modificaciones en los reglamentos, sea de la ley N° 20.850 o de la Ley de Compras Públicas, para mejorar su implementación.

En febrero de 2024 se realizó el primer acuerdo de riesgo compartido que correspondió a uno de resultado clínico; sin embargo, este correspondió al fallecimiento del paciente por lo cual es el resultado clínico más básico que pudiera haberse implementado.

#### 7. Servicio de atención de usuario con soporte ventilatorio en domicilio.

Se conocieron denuncias de falta de insumos y mantenimiento de equipos del programa en comento, y tanto la Ministra de Salud como el Subsecretario de Redes Asistenciales se comprometieron a realizar una auditoría amplia al programa, cuyo informe final y medidas adoptadas será enviado a la Comisión de Salud de la Cámara de Diputadas y Diputados para su conocimiento.

Por ello, se sugiere por esta Comisión que dicho informe de auditoría no exceda el plazo de seis meses desde aprobado el informe.

No queda claro de lo expuesto por el Subsecretario de Redes Asistenciales a quién le corresponde la contraparte técnica para fiscalizar el cumplimiento de los contratos con empresas externas que prestan estos servicios.

#### 8. Pesquisa Neonatal.

Ha existido inacción de las autoridades que manejan el presupuesto en cuanto a la ampliación de la pesquisa neonatal dado que, en los años 2017, 2018, 2019 y 2023 ha existido recomendación favorable para su incorporación en la Ley de Presupuesto para Sector Público, y no se ha concretado.

Si bien Chile fue pionero en Latinoamérica en su programa de pesquisa neonatal que incorporó dos patologías, con el correr de los años se quedó atrás en comparación con otros países de la región, que fueron ampliándola y manteniendo una tasa de cobertura adecuada (Costa Rica 29 patologías en pesquisa con cobertura 97,7%; Uruguay 21 patologías y cobertura 99,2%; y Chile 2 patologías y cobertura 98%). Además, se debe fortalecer la fiscalización de la aplicación de la pesquisa neonatal en el sector privado (Isapres).

El Estado de Chile está perdiendo la oportunidad de pesquisar precozmente patologías en recién nacidos, lo cual sería un beneficio para ellos y sus familias, pero que también mejoraría la eficiencia del sistema de salud dado que el diagnóstico tardío de estas patologías requiere un tratamiento aún más complejo y costoso.

#### 9. Agrupaciones de Pacientes.

La Ley Ricarte Soto y la Ley del Cáncer, entre otras, han surgido gracias al trabajo realizado y desplegado por las agrupaciones de pacientes de nuestro país ya que no estaban en los programas de los gobiernos en que se

discutieron. Es por ello por lo que las agrupaciones de pacientes deben ser permanentemente escuchadas y se debe fortalecer su participación en todas las discusiones sanitarias.

Así como se plantea lo anterior, se deben tener en cuenta los eventuales conflictos de interés que pueden surgir considerando que la industria farmacéutica, a través de las organizaciones de la sociedad civil, presiona a los tomadores de decisión.

Atendido que no fue posible escuchar a todas las entidades o agrupaciones de pacientes existentes, la Comisión recomienda escucharlas y convocarlas en otras instancias legislativas o fiscalizadoras de la Cámara de Diputadas y Diputados. Entre otras, a las siguientes: Asociación Autoinflamatorias Chile, Asociación XLH Chile, Corporación Familia Duchenne Chile, Fundación Josseline Fernández Cuevas, Fundación Me Muevo, Fundación Familia Miastenia Chile, Fundación Síndrome de Angelman Chile, Asociación Esclerodermia Chile, Fundación del Síndrome de Vogt, y Red Chilena de Pacientes Reumáticos.

#### 10. Estancamiento de la Ley Ricarte Soto

Ha existido desidia en la aplicación de la ley N° 20.850, conocida como Ley Ricarte Soto, desde 2021 hasta la fecha. El Gobierno anterior sabiendo que debía publicarse en junio de 2022 el 5to. Decreto, para incorporar nuevas tecnologías, y sabiendo que se había alcanzado el techo de sustentabilidad, no se incorporaron recursos adicionales en la Ley de Presupuestos para el año 2022. El Gobierno actual en conocimiento de la situación de la Ley Ricarte Soto, tampoco ha incorporado recursos adicionales en las leyes de Presupuestos para los años 2023 y 2024.

Es responsabilidad del Gobierno impedir el estancamiento de esta ley considerando que se alcanzó el techo de sustentabilidad, y que desde 2019 los egresos del fondo superan a los ingresos anuales, según quedó demostrado en la presentación de la Directora de Presupuestos, en la sesión respectiva.

Se recomienda, encarecidamente, al Ministerio de Salud y al Ministerio de Hacienda, se adopten las medidas pertinentes para aumentar el presupuesto de la Ley Ricarte Soto sea a través de la Ley de Presupuestos para el Sector Público o a través del Boletín 15.047-11 que modifica la ley N° 20.850, en actual tramitación.

\* \* \* \* \*

#### **IX.- Diputada informante: señora Mónica Arce Castro.**

\* \* \* \* \*

Tratado y acordado según consta en las actas correspondientes a las sesiones de los días 20 de diciembre de 2023 (constitutiva), 15 y 22 de enero, 4, 11 y 18 de marzo, 8, 15 y 16 de abril, y 6 de mayo de 2024, con la asistencia de los diputados y diputadas Mónica Arce Castro, Danisa Astudillo Peiretti, Félix González Gatica, Tomás Lagomarsino Guzmán (Presidente), Enrique Lee Flores, Carla Morales Maldonado, Benjamín Moreno Bascur, Hernán Palma Pérez, Marlene Pérez Cartes, Hugo Rey Martínez, Natalia Romero Talguía y Consuelo Veloso Avila.

Asistieron, asimismo, los diputados Jaime Naranjo (en remplazo de Danisa Astudillo), y Frank Sauerbaum y Bernardo Berger (en reemplazo de Hugo Rey).

Sala de la Comisión, a 6 de mayo de 2024.-



**ANA MARIA SKOKNIC DEFILIPPIS**  
Abogado ~~Secretaria~~ de Comisiones