



# USO DE ATALUREN EN ESPAÑA: INCOHERENCIAS ADMINISTRATIVAS Y ASPECTOS ÉTICOS IMPLICADOS

## USE OF ATALUREN IN SPAIN: ADMINISTRATIVE INCOHERENCES AND ETHICAL IMPLICATIONS

PILAR PACHECO LÓPEZ<sup>1</sup>, MARÍA ANTONIA MEROÑO SAURA<sup>2</sup>, ANA ARANDA GARCÍA<sup>3</sup>

1. Hospital General Universitario Morales Meseguer. Servicio de Farmacia. C/ Marqués de los Vélez s/n 30008. Murcia. [pilarpacheco17@gmail.com](mailto:pilarpacheco17@gmail.com)

2. Hospital Perpetuo Socorro. Servicio de Farmacia. C/ Sebastián Feringán, 12. 30205 Cartagena Murcia. [toxims\\_15@hotmail.com](mailto:toxims_15@hotmail.com)

3. Servicio de Gestión Farmacéutica. Servicio Murciano de Salud. C/ Central, 7. 3º planta. 30100 Espinardo. Murcia. [ana.aranda@carm.es](mailto:ana.aranda@carm.es)

### RESUMEN:

**Palabras clave:**

Ataluren, Duchenne, distrofia, financiación, equidad.

Recibido: 23/11/2020

Aceptado: 16/08/2021

La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética rara para la que sólo existe ataluren como tratamiento autorizado. Este fármaco fue aprobado en 2014 por la Agencia Europea del Medicamento (EMA) de manera condicional, es decir, a la espera de más resultados que demuestren sólidamente su eficacia y seguridad. En la actualidad, aún se mantiene esta autorización "condicional" por lo que todavía no se han despejado todas las dudas sobre los beneficios reales del fármaco. En España, ataluren es un medicamento no financiado. La decisión de no financiación ha generado un profundo debate, sobre todo porque se continúan financiando los tratamientos de los niños que fueron iniciados antes de la decisión de no financiación. Se trata de una situación controvertida que abarca aspectos complejos sobre gestión sanitaria y prestación farmacéutica, donde la evidencia científica adopta un papel fundamental. Además, se entremezclan las motivaciones de las agencias reguladoras y la industria farmacéutica en los procesos de investigación y autorización de fármacos. En el centro del debate están implicados algunos pilares de la bioética como la justicia y la equidad, así como determinados principios legales como la protección del menor.

### ABSTRACT:

**Keywords:**

Ataluren, Duchenne, dystrophy, financing, equity.

Duchenne muscular dystrophy is a rare genetic disease with only ataluren like pharmaceutical treatment available. This drug received a conditional authorization by the European Medicines Agency (EMA) in 2014, meaning that it was commercially available while waiting for more solid results that demonstrate the efficacy and safety. Currently, the authorization still maintains the "conditional" modality, and the actual health benefits of the drug still remain unclear. In Spain, ataluren is not financed by the National Health System. The decision of non-financing has generated a heated debate, especially because in those patients who-

se treatment were started prior to the non-financing decision the drug has continued being funded. This controversial situation encompasses complex aspects of pharmaceutical and health management related to scientific evidence, the motivations of regulatory agencies and the pharmaceutical industry in the processes of drug investigation and authorization. Furthermore, as the center of the debate, some pillars of bioethics such as justice and equity, as well as certain legal principles, such as the protection of minors, are involved.

## 1. Introducción

La decisión del Ministerio de Sanidad de no financiar ataluren dio lugar a un profundo malestar entre los familiares de pacientes afectados por la enfermedad de Duchenne, los cuales hacen visible su lucha por la inclusión de este tratamiento en nuestro sistema sanitario mediante numerosos medios de comunicación, cartas al defensor del pueblo, e incluso reclamaciones y demandas a la Administración pública en algunos casos. Uno de los principales puntos de debate es qué hacer con los pacientes que ya habían iniciado tratamiento con ataluren en el espacio de tiempo comprendido entre la autorización para la comercialización del fármaco en 2014<sup>1</sup> y la decisión de no financiación en España en 2016<sup>2</sup>. Suspender el tratamiento en un paciente que ya lo ha iniciado, tras conocer que no se financia su uso, o continuarlo bajo la financiación pública que, sin embargo, deniega el inicio de tratamiento para los nuevos pacientes, son las dos opciones que se han planteado en varias ocasiones en nuestro país durante los últimos años. Esto constituye una consideración relevante desde la perspectiva de la equidad. Por otro lado, existe un grupo de pacientes que han aceptado participar de manera altruista en un ensayo clínico con el fármaco, asumiendo así la posibilidad al azar de recibir placebo, lo cual supondría una discriminación frente a quienes pudieran recibir directamente el fármaco por razón de la presión social, si, finalmente, el fármaco es eficaz. No obstante, el paciente que recibe directamente un tratamiento que está siendo sometido aún a ensayos clínicos, sin conocer aún sus efectos y sin las garantías que aporta un ensayo

clínico asume el riesgo que supone la incertidumbre de su eficacia y seguridad.

El objetivo de este trabajo es revisar la situación en España del acceso a ataluren en los pacientes con enfermedad de Duchenne. Se aborda el asunto desde la perspectiva ética, administrativa y legal a propósito de una resolución del Tribunal Superior de Justicia de la Región de Murcia ante la no financiación del tratamiento para un paciente concreto.

## 2. Ataluren y enfermedad de Duchenne

La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética de herencia recesiva ligada al cromosoma X que produce debilidad y atrofia muscular progresiva. Afecta sobre todo a varones, y en Europa la sufren 0,5 por cada 10.000 habitantes, lo que equivale a un total de alrededor de 25.000 personas<sup>3</sup>. Se considera una de las llamadas “enfermedades raras”. Está provocada por una síntesis errónea de la distrofina muscular, lo que conduce a un deterioro irreversible de los músculos que empieza a manifestarse a los 3-4 años y desemboca en la pérdida total de la capacidad de caminar antes de los 12 años de edad. La esperanza de vida media es de 25 años<sup>4</sup>.

Existe una variante de esta enfermedad que afecta aproximadamente al 10-15 % del total y se debe a una mutación sin-sentido en el gen de la distrofina (nmDMD)<sup>5</sup>, la cual podría ser restaurada por ataluren se-

1 Translarna. European Medicines Agency. 2018. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/translarna>. [citado 8 de junio de 2020]

2 Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social - Profesionales de la Salud - Buscador situación financiación medicamentos. <https://www.msbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do?metodo=verDetalle&cn=704475>. [citado 8 de junio de 2020]

3 European Commission. Eurostat. Population and population change statistics. EU-27 population continues to grow. EC Eurostat Website. Accessed Oct 15, 2013. Updated 2012. [citado 4 de junio de 2020].

4 Grupo de Estudio de Enfermedades Neuromusculares. Sociedad Española de Neurología. Algoritmos diagnósticos en las miopatías hereditarias. [www.sen.es](http://www.sen.es). [citado 2 de junio de 2020]

5 Pichavant C, Aartsma-Rus A, Clemens PR, Davies KE, Dickson G, Takeda S, et al. “Current status of pharmaceutical and genetic therapeutic approaches to treat DMD”. *Molecular Therapy Journal*. 2011;19(5):830-40.

gún indican los estudios que han llevado al desarrollo de esta molécula. Inicialmente el fármaco se autorizó para pacientes de 5 o más años con esta mutación, cuatro años más tarde, en 2018, la EMA aprobó la extensión de la indicación a partir de los 2 años<sup>6</sup>. En ambos casos con una autorización condicionada a la espera de resultados definitivos de los estudios en curso.

La débil evidencia del fármaco ha llevado a una situación de incertidumbre respecto a su uso. Esto lleva a plantearse si la EMA priorizó el hecho de cubrir una necesidad de tratamiento insatisfecha en una enfermedad rara frente al conocimiento a ciencia cierta de los efectos beneficiosos del fármaco.

La EMA se mantiene a la espera de conocer los resultados de un estudio multicéntrico, aleatorizado, doble ciego, de 18 meses, controlado con placebo y seguido de una extensión de etiqueta abierta de 18 meses, según un protocolo acordado, los cuales deben presentarse antes de septiembre de 2022, y pretenden confirmar la eficacia y seguridad de ataluren en pacientes ambulatorios de 5 o más años con enfermedad de Duchenne y la mutación específica<sup>7</sup>.

### 3. Eficacia de Ataluren

Las evidencias disponibles sobre la eficacia de ataluren son muy débiles. No se ha podido demostrar que incremente la producción de distrofina muscular ni tampoco su efecto a largo plazo sobre el curso y la progresión de la enfermedad<sup>8</sup>. Esta débil evidencia se encuentra recogida en la ficha técnica del medicamento<sup>9</sup> y en el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR)<sup>10</sup>.

En el ensayo clínico en fase II<sup>11</sup> (controlado con placebo aleatorizado doble ciego) se observó, tras 48 semanas, una mejoría en la capacidad de ejercicio testada mediante un test de marcha de 6 minutos, al comparar el grupo de ataluren con el grupo placebo. La valoración global de los resultados obtenidos para evaluar el rendimiento muscular planteó dudas sobre la significación clínica de algunos hallazgos. Respecto a la seguridad del fármaco, los efectos adversos presentados por los pacientes durante el ensayo no fueron relevantes, pero aún no hay datos a largo plazo dada la corta duración de los experimentos realizados<sup>12</sup>.

El Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT), documento publicado por la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS), evalúa las evidencias disponibles sobre el fármaco y sirve de base al ministerio para establecer las condiciones de financiación y a las comunidades autónomas para el posicionamiento del fármaco en sus sistemas de salud. En este caso, el Ministerio de Sanidad se pronunció de manera firme no incluyendo ataluren de la Cartera de servicios comunes de prestación farmacéutica, en base a que ataluren no es un fármaco que haya demostrado efecto sobre el curso y la progresión de la enfermedad. En los estudios presentados hasta la fecha por el laboratorio comercializador según se recoge en el IPT del fármaco publicado en 2017<sup>13</sup>.

Esta situación de no financiación no sólo ha ocurrido en España, ya que otros países de la Unión Europea han decidido no financiar el medicamento por falta de eficacia, y también Estados Unidos, donde la Food and Drug Administration (FDA) ha rechazado la autorización de este medicamento por el mismo motivo<sup>14</sup>. A fecha de re-

6 EMA Summary of opinion (post authorisation). Translarna@ (31 de mayo de 2018). [https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-translarna-ii-37\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-translarna-ii-37_en.pdf)

7 Informe EPAR de Traslarna. (29 de septiembre de 2020) [https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/translarna-epar-medicine-overview\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/translarna-epar-medicine-overview_en.pdf)

8 Informe de Posicionamiento Terapéutico de ataluren.pdf. (04 de mayo de 2017) <https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/IPT-ataluren-Translarna-distrofia-muscular-Duchenne.pdf>

9 Ficha técnica de Traslarna.pdf (23 de julio de 2020). [https://cima.aemps.es/cima/pdfs/es/ft/113902003/FT\\_113902003.pdf](https://cima.aemps.es/cima/pdfs/es/ft/113902003/FT_113902003.pdf)

10 Informe EPAR de Traslarna. (29 de septiembre de 2020) [https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/translarna-epar-medicine-overview\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/translarna-epar-medicine-overview_en.pdf)

11 PTC Therapeutics. A Phase 2B Efficacy and Safety Study of PTC124 in Subjects With Nonsense-Mutation-Mediated Duchenne and Becker Muscular Dystrophy. [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov); 2020 mar Report No.: NCT00592553. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00592553>. [citado 4 de junio de 2020].

12 EMA Summary of opinion (post authorisation). Translarna@ (31 de mayo de 2018). [https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-translarna-ii-37\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-translarna-ii-37_en.pdf)

13 Informe de Posicionamiento Terapéutico de ataluren.pdf. (04 de mayo de 2017). <https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/IPT-ataluren-Translarna-distrofia-muscular-Duchenne.pdf>

14 FDA Rejects New Drug Application for Traslarna to Treat DMD | Duchenne Muscular Dystrophy. *Duchenne Muscular Dystrophy Jesse's Journey*. 2017 <https://www.jessesjourney.com/fda-rejects-new-drug-application-translarna-treat-dmd/> [citado 4 de junio de 2020].

dación de este artículo, Traslarna® está comercializado en un total de 21 países de la UE como: Austria, Bélgica, Francia, Dinamarca y Holanda entre otros, lo que no significa, necesariamente, que se haya incluido en el sistema de financiación, ya que los sistemas sanitarios y las políticas de financiación de medicamentos difieren de unos países a otros. En Reino Unido, por ejemplo, el fármaco se usa desde 2016 siguiendo las condiciones de un “acuerdo de acceso administrado” de 5 años que se acordó con el Sistema Británico de Salud y el laboratorio comercializador del fármaco, con lo que se proporciona un acceso reembolsado a los pacientes enfermos candidatos a Traslarna® durante el tiempo establecido y a la espera de confirmar su eficacia para efectuar posibles cambios en este acuerdo de uso<sup>15</sup>.

#### 4. Las asociaciones de pacientes

Los pacientes y familiares que conviven con la enfermedad de Duchenne se enfrentan diariamente a dificultades propias de las enfermedades raras; desconocimiento del diagnóstico y/o tratamiento, dificultad de acceso a la información, falta de inversión económica para investigación, escasos recursos para sustentar los cuidados requeridos por estos pacientes etc. Es entendible, desde un punto de vista humano, que confíen en lo que se les ofrece como la única esperanza dentro de la angustia diaria que padecen y que es provocada por la situación de desamparo, una mejora en la precaria calidad de vida que tienen o tendrán sus hijos en apenas unos pocos años.

Al conocer la decisión de no financiación del fármaco por la sanidad española, a pesar de estar autorizado su uso en la Unión Europea, los padres de los menores enfermos se sintieron “abandonados” por el sistema sanitario, lo que les está llevando a iniciar una serie de reclamaciones mediante las asociaciones de pacientes, llegando algunos casos incluso a la interposición de demandas a la comunidad autónoma. Existe una clara necesidad de buscar soluciones que proporcionen integración social, sanitaria, educativa y laboral de las personas con enfer-

medad de Duchenne, pero también existen una serie de complejidades y, a veces, incoherencias administrativas que dificultan la comprensión de los familiares de las decisiones en política sanitaria.

Desde Duchenne Parent Project España<sup>16</sup>, la asociación más representativa de padres de niños con Duchenne en nuestro país, se recogen fondos para ayudar a los pacientes y difundir los avances en las investigaciones sobre la enfermedad. Desde aquí se está luchando para conseguir la financiación pública de ataluren. Del mismo modo, la Asociación de Enfermedades Neuromusculares de Castilla La Mancha, en colaboración con la Federación Española de Enfermedades Neuromusculares, aboga por el uso financiado del fármaco y ayuda a interponer reclamaciones a la dirección médica del centro hospitalario que lo deniega y, en segunda instancia, a la Consejería de Sanidad<sup>17</sup>.

Otro ejemplo más de la presión social ejercida por las asociaciones se muestra en la carta enviada por el Defensor del Pueblo de Navarra a la Consejería de Salud en febrero de 2019<sup>18</sup> tras conocer la resolución de la Comisión central de farmacia navarra de denegar el uso del fármaco en un paciente. En esta carta se citan entre otros el artículo 24 de la Convención de los derechos del niño<sup>19</sup>, en donde se establece la obligación de los poderes públicos de prestar la atención sanitaria que fuese necesaria para combatir la enfermedad con los medios disponibles, y se cita también la Constitución española (art. 43 y 49)<sup>20</sup> que reconoce el derecho a la protección de la salud, y compelen a los poderes públicos a organizar y tutelar la Salud Pública a través de medidas preventivas y de las prestaciones y servicios necesarios, así como otras leyes forales de Navarra para pedir la aprobación de uso del fármaco en un niño enfermo.

16 Duchenne Parent Project España. <https://www.duchenne-spain.org/> [citado 6 de junio de 2020].

17 Protocolo-ataluren.pdf. (enero de 2019) <http://www.asemgalicia.com/wp-content/uploads/PROTOCOLO-ATALUREN.pdf>

18 Resolución del Defensor del Pueblo de Navarra (Q19/53). <http://www.defensornavarra.com/index.php/es/Resoluciones/2013-2019/2019/Resolucion-del-Defensor-del-Pueblo-de-Navarra-Q19-53>[citado 11 de junio de 2020]

19 Instrumento de Ratificación de la Convención sobre los Derechos del Niño, adoptada por la Asamblea General de las Naciones Unidas el 20 de noviembre de 1989.pdf. 31 de diciembre de 1990. BOE-A-1990-31312

20 Constitución española (BOE núm.311, de 29 de diciembre de 1978)

15 NHS England » NHS England successfully negotiates access to new drug treatment for children with duchenne muscular dystrophy. <https://www.england.nhs.uk/2016/07/drug-treatment/> [citado 8 de junio de 2020]

## 5. Sistema europeo de regulación de medicamentos: dificultades de la legislación actual

El sistema europeo de regulación de medicamentos funciona como una red en la que participan la Comisión europea, las autoridades reguladoras de medicamentos de los distintos Estados miembros de la UE, la EMA y el Espacio Económico Europeo (EEE). El objetivo es garantizar que los pacientes de la UE tengan acceso a medicamentos de calidad, eficaces y seguros.

El sistema europeo presenta diferentes vías para la autorización de un fármaco. El procedimiento centralizado permite comercializar un medicamento basándose en una única evaluación europea y si se concede dicha autorización de comercialización, esta será válida en toda la UE. Este es el procedimiento que se realiza para los medicamentos innovadores, como ataluren para el que se realizó una única solicitud de autorización a la EMA, que es extensible a todos los países de la UE<sup>21</sup>. Existe también, la autorización condicionada de fármacos cuando el posible beneficio de la disponibilidad inmediata del medicamento supera el riesgo inherente al hecho de que aún se requieren datos adicionales<sup>22</sup>. Sin embargo, una vez que se ha concedido la autorización de comercialización, las decisiones referentes al precio y el reembolso del mismo se toman en los estados miembros tras negociación con la compañía farmacéutica.

Además de la complejidad de la legislación sobre medicamentos nuevos en el contexto de un sistema de autorización centralizado con diferentes sistemas sanitarios de los países miembros de la UE, en la enfermedad de Duchenne, como en todas las enfermedades raras, existen una serie de dificultades añadidas que frenan o ralentizan mucho la investigación sobre nuevos fármacos. Por una parte, al tratarse de enfermedades que afectan a una proporción muy pequeña de la población, es muy complicado poder realizar ensayos clínicos ade-

cuados, puesto que se dispone de un tamaño muestral muy pequeño. Por otra parte, la industria farmacéutica no se encuentra igual de incentivada a iniciar costosas investigaciones para patentar una molécula que se va a comercializar y emplear en muy pocos enfermos y que, a pesar de tener un precio de venta muy elevado, quizás no llegue a amortizar la inversión de la investigación.

## 6. Gestión sanitaria: implicaciones de la financiación pública en la disponibilidad de medicamentos

La Cartera de servicios comunes<sup>23</sup>, que recoge las características de la prestación farmacéutica, se rige por el Real Decreto Legislativo 1/2015 de 24 de julio<sup>24</sup>, el cual en sus antecedentes indica que el RDL 16/2012 introduce una modificación estructural al sistema de fijación de precios de los medicamentos, mediante un esquema de medicamentos seleccionados introduciendo una tendencia a la financiación selectiva según criterios como el coste-efectividad y la valoración del impuesto presupuestario, entre otros elementos cualitativos que han ido modulando la cartera de medicamentos financiados.

La autorización de medicamentos huérfanos la realiza la EMA para todo su ámbito de actuación y, en España, se ratifica por la AEMPS, y se establecen las condiciones de dispensación en el territorio nacional, sin embargo, para su utilización en el sistema público es el Ministerio de Sanidad el que establece las condiciones de financiación y, en caso de financiarse, el precio público.

Si bien la autorización de uso no es condicionante de la decisión de financiación por un Estado, tradicionalmente se han asociado ambos conceptos, dado lo inusual de que un fármaco recientemente introducido en el mercado para una enfermedad grave, y de alto coste, no fuera también financiado con fondos de la Sanidad pública, más aún tratándose de un fármaco de uso hospitalario. Quizás el matiz que diferencia a ataluren de otros casos

21 The European regulatory system for medicines. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/leaflet/european-regulatory-system-medicines-european-medicines-agency-consistent-approach-medicines\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/leaflet/european-regulatory-system-medicines-european-medicines-agency-consistent-approach-medicines_en.pdf) [citado 8 de junio de 2020]

22 EMA. Conditional marketing authorisation. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/conditional-marketing-authorisation> [citado 30 de abril de 2021]

23 Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social - Profesionales - CS-PF-PrestacionFarmaceutica. <https://www.mscls.gob.es/profesionales/prestacionesSanitarias/CarteraDeServicios/ContenidoC5/5PrestacionFarmaceutica/PF-PrestacionFarmaceutica.htm>. [citado 18 de junio de 2020].

24 Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio. <https://www.boe.es/eli/es/rdlg/2015/07/24/1> [citado 8 de agosto de 2020]

es que este fármaco se ha aprobado como tratamiento específico para la enfermedad, aunque con baja evidencia sobre eficacia, por lo que se está debatiendo extensamente sobre su inclusión en la financiación española.

Además de la necesaria evaluación en función del coste-efectividad, para la distribución de los recursos, la complejidad radica en el carácter finito de éstos, lo que obliga a establecer prioridades. Así, al ponerlos a disposición de una determinada enfermedad o grupo de pacientes, se sustraen recursos para otros enfermos y otras enfermedades. Esto se denomina *coste de oportunidad*<sup>25</sup>, que hace referencia al coste de las posibilidades de financiación que se han dejado de atender por haber distribuido los recursos de forma prioritaria hacia otras demandas o necesidades. También incluye el concepto de eficiencia de Pareto, según el cual el bien resultante de la asignación de recursos a un fin específico debe ser mayor que el mal que se produce en las áreas o sujetos donde se han dejado de asignar.

Ya que ataluren no está comercializado en España, las solicitudes de uso en nuestro país han de tramitarse de manera individual bajo la modalidad de “uso en condiciones especiales” lo que implica cumplir una serie de requisitos para prescribir y administrar el fármaco, los cuales vienen establecidos en el Real Decreto 1015/2009 de 19 de junio<sup>26</sup>. Este Real Decreto permite autorizar el acceso a medicamentos que estando autorizados en España no se encuentren comercializados, pero sí que lo estén en otros países. Se puede iniciar así tratamientos en la Sanidad pública que finalmente lleguen a no estar financiados lo que plantea una clara incongruencia.

## 7. Resolución del Tribunal Superior de Justicia de Murcia sobre solicitud de Ataluren<sup>27</sup>

La sentencia puesta por el Tribunal Superior de Justicia (TSJ) de Murcia con fecha 19 de julio de 2019 sobre el acceso de un paciente al tratamiento con ataluren es

25 Jovell AJ. “Ética de las decisiones sanitarias”. *Medicina Clínica*. 2005;124(15):580-2.

26 Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio. <https://www.boe.es/eli/es/rd/2009/06/19/1015> [citado 8 de agosto de 2020]

27 STSJ MU 1751/2019 - ECLI:ES:TSJMU:2019:1751 <https://www.poderjudicial.es/search/documento/TS/8872510/actos%20y%20procedimiento%20administrativo/20190823> [citado 2 de junio de 2020]

sólo uno de los ejemplos que muestran como un asunto sanitario se ve judicializado, fruto del malestar y desacuerdo generado entre la Administración pública y los pacientes, una vez autorizado el fármaco por la EMA.

En el caso ocurrido en Murcia se evalúa si se han vulnerado derechos fundamentales del menor implicado como se denuncia en base a la resolución de la Dirección General de Planificación, Investigación, Farmacia y Atención al Ciudadano con fecha 31 de julio de 2018 mediante la que se denegó la financiación de ataluren, acorde a la legislación vigente, una vez prescrito el tratamiento por el servicio de neuropediatría del hospital de referencia.

Los derechos fundamentales supuestamente vulnerados por esta decisión son: la vida y la integridad física y la igualdad ante la ley que se recogen en los artículos 15 y 14 de la Constitución. Se alega y argumenta lo siguiente:

Respecto a la posible desigualdad denunciada por el hecho de que otro menor de la Región estuviera recibiendo tratamiento financiado con ataluren presentando la misma indicación de uso del fármaco que el menor demandante, la parte demandante informa que en nuestra Región se ha prescrito este mismo fármaco a tres menores, de modo que, la demanda considera probado que la única razón por la que se le deniega la financiación para el tratamiento de su hijo es por motivos económicos, “única razón inmotivada que se da por la Administración”.

– La Administración (parte demandada) argumenta que se trata de un fármaco no comercializado en España ni financiado por el Sistema Nacional de Salud (SNS), por lo que no se ha aprobado su uso a nivel interno para este paciente en la Región de Murcia. Considera la Comisión que el único tratamiento que ha demostrado sólidamente mejorar la progresión de la enfermedad son los corticoides y que ataluren no tiene suficiente evidencia científica demostrada. Así lo comunicó la AEMPS un año antes de la negativa del fármaco a través de su Informe de Posicionamiento Terapéutico, donde se motivan detalladamente las causas que impiden considerar en la actualidad al ataluren como un fármaco eficaz en Duchenne.

Responde la Administración que no se han vulnerado tales derechos fundamentales que alega la demanda: ni el de la vida porque no queda probado que el tratamiento con este fármaco pueda producir una mejoría en el curso de la enfermedad que sufre el menor ni en sus condiciones de vida, ni tampoco el de la igualdad ante la ley, en comparación con el caso de otro niño que estaba siendo tratado en la Región Murcia, puesto que la autorización del uso ha de ser individualizada, previa evaluación de la comisión responsable.

El tribunal que resuelve no considera una vulneración estricta del derecho a la vida ni a la integridad del menor, pero sí considera claro que la falta de suministro del referido tratamiento vulnera el derecho a la igualdad recogido en el art. 14 de la CE. En ningún momento se ha tenido en cuenta el interés superior del menor, produciéndose una vulneración de un derecho, aun no fundamental, cuando por criterios meramente económicos y de manera inmotivada se rechaza la solicitud del uso compasivo<sup>28</sup> (art. 17 RD 1015/09)<sup>29</sup> sin considerar estos parámetros clínicos y los principios bioéticos que avalan el interés superior del menor.

Realmente, aunque la demanda y el tribunal se centra en que la razón inmotivada de la no tramitación del fármaco es por motivo económico, en varias ocasiones, la Administración explica que no se ha demostrado la eficacia del fármaco y es por ello, en consonancia con lo que dice el IPT, por lo que se decide no financiar. En cualquier caso, es la Comisión interministerial de precios la que decidió no financiar el fármaco para todo el SNS, ya que las comunidades autónomas no tienen competencia en financiación. Sin embargo, ante situaciones dramáticas, en ocasiones se toman decisiones para casos concretos, asumiendo de esta forma competencias que no le corresponden. Estas decisiones pueden dar lugar a inequidades

28 Debemos puntualizar que, aunque la sentencia introduce el término de “uso compasivo” en referencia a la petición de ataluren, no se trataba, en el momento de la resolución ni en la actualidad, de un medicamento de uso compasivo, ya que, al estar comercializado, y aun siguiendo en fase de investigación, no se trata de un fármaco que aportara, de forma gratuita, el laboratorio farmacéutico a pacientes que no pueden incluirse en un ensayo clínico, como establece el RD 1015/2009.

29 Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio. <https://www.boe.es/eli/es/rd/2009/06/19/1015> [citado 8 de agosto de 2020]

en el territorio nacional y a interpretar como diferente el acceso a medicamentos entre territorios. Estas situaciones, que pueden dar problemas de equidad, se incrementan durante el lapsus de tiempo que existe entre la autorización del fármaco por las Agencias reguladoras y la decisión de financiación en el SNS, especialmente cuando la financiación reduce las indicaciones aprobadas.

## 8. Equidad y justicia en salud

El acceso al tratamiento de las distintas enfermedades está estrechamente relacionado con principios fundamentales de la bioética como equidad y justicia. Cuando coexisten incongruencias administrativas y legales, como las que nos ocupan en este caso, toma especial relevancia el debate sobre los mismos.

La equidad constituye una de las principales preocupaciones en un sistema de salud público descentralizado. El artículo 91 del RD legislativo 1/2015<sup>30</sup> que habla de igualdad territorial y coordinación, en su punto 5 indica que “Las medidas tendentes a racionalizar la prescripción y utilización de medicamentos y productos sanitarios que puedan adoptar las comunidades autónomas no producirán diferencias en las condiciones de acceso a los medicamentos y productos sanitarios financiados por el Sistema Nacional de Salud, catálogo y precios. Dichas medidas de racionalización serán homogéneas para la totalidad del territorio español y no producirán distorsiones en el mercado único de medicamentos y productos sanitarios” por lo tanto, el acceso a ataluren no debería, en base a esta norma, regularse de manera autonómica, pues se establecen así, como ha ocurrido previo a su resolución de no financiación, diferencias entre los pacientes de los distintos territorios del país.

El análisis de la equidad en salud es complejo. Se entiende que debe consistir en el reparto o acceso equitativo de los servicios de salud a toda la población, sin embargo, siendo esta muy diversa en sus características y en su distribución, no puede confundirse equidad con el concepto de igualdad, ya que aplicar la igualdad sería injusto pues no tiene en cuenta las diferencias en-

30 Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio. <https://www.boe.es/eli/es/rdlg/2015/07/24/1> [citado 8 de agosto de 2020]

tre los individuos y grupos “La equidad en salud tiene muchos aspectos y lo mejor es verla como un concepto multidimensional”<sup>31</sup>. La equidad incluye la justicia de los procesos y, por lo tanto, debe prestar atención a la ausencia de discriminación en la prestación de la asistencia sanitaria. Un caso concreto en cuanto a asistencia médica, sería por ejemplo pensar que un reparto equitativo dotaría con el mismo número de especialistas por número de habitantes a todas las provincias de España, sin embargo, no existen las mismas necesidades de atención médica especializada en todas las zonas geográficas de nuestro país, ya que también hay que tener en cuenta que hay poblaciones con mayor número de personas mayores que otras o con mayor cantidad de población de riesgo, que son potencialmente susceptibles de atención médica en mayor medida que una población joven. Por tanto, aquí una distribución justa no es la igualitaria sino la que tiene en cuenta las diferentes condiciones de las personas que van a recibir los recursos, los cuales deben distribuirse de forma justa.

Estamos, por otro lado, ante un dilema que afecta a uno de los principios de la bioética personalista, el de sociabilidad y subsidiariedad, el beneficio del paciente individual que repercute en la sociedad y el apoyo de ésta en su conjunto (como colectivo) a la individualidad. La sociabilidad se consigue mediante regulaciones y políticas que permitan financiar las prestaciones farmacéuticas más eficientes, de modo que, los recursos limitados de los que disponemos lleguen a todos por igual y en caso de desigualdad a aquellos que más lo necesiten.

A la luz de todo lo expuesto anteriormente queda claro que el tratamiento adecuado de las enfermedades raras, como la distrofia muscular de Duchenne, y el uso racional de los medicamentos huérfanos, como ataluren, constituyen un reto para el SNS, donde aún faltan por resolver algunos aspectos confusos de la legislación que dan lugar a diversos dilemas éticos como, por ejemplo: ¿Buscar el beneficio de una mayoría puede llegar a perjudicar al individuo? ¿Se beneficiaría al individuo financiando un fármaco que no ha demostrado

eficacia? ¿Se tendrá que instaurar una nueva figura en la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales? ¿O debería ser una solución que se aporte desde otra administración, como las de servicios sociales? La tendencia actual en moléculas de reciente autorización y donde también hay incertidumbre en su eficacia, es llegar a acuerdos de riesgo compartido en la financiación del fármaco, lo ideal para la Administración pública sería pagar solo por los tratamientos individuales que realmente son efectivos y seguros.

## 9. Conclusiones

Desde la perspectiva legal-administrativa, en el caso aquí presentado, se respetó, por parte de la Consejería de sanidad regional, la normativa sobre prestación farmacéutica, acatando la directriz nacional de financiación del fármaco, que contaba con una resolución expresa de no financiación. No obstante, la sentencia del Tribunal Superior de Justicia de la Región de Murcia, comentada en este trabajo, supuso la autorización en un paciente concreto del uso de ataluren en el servicio público de salud contradiciendo los criterios establecidos por el Ministerio de Sanidad. En este caso, se primó la decisión favorable de Europa para la autorización del fármaco al criterio legal de financiación en España.

Desde la perspectiva ética es preciso un amplio debate en aquellas situaciones donde sigue existiendo incertidumbres en el beneficio clínico que aportan, evitando trasladar estas incertidumbres a los propios pacientes y familiares. La equidad en el acceso a medicamentos eficaces que impactan en la salud de los pacientes debería estar garantizada sin descuidar una correcta gestión sanitario-económica basada en el coste-eficiencia de los recursos empleados contribuyendo así a la sostenibilidad del sistema sanitario.

## Referencias

Burgunder JM, Schöls L, Baets J, Andersen P, Gasser T, Szolnoki Z, et al. “EFNS guidelines for the molecular diagnosis of neurogenetic disorders: motoneuron, peripheral nerve and muscle disorders.” *European Journal of Neurology*. 2011;18(2):207-17.

31 López Pardo CM. *Conceptualización y valoración de la equidad en salud*. Rev Cuba Salud Pública. 2006 33(3).



- Constitución española (BOE núm.311, de 29 de diciembre de 1978)
- Duchenne Parent Project España. <https://www.duchenne-spain.org/>[citado 6 de junio de 2020].
- EMA. Conditional marketing authorisation. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/conditional-marketing-authorisation> [citado 30 de abril de 2021]
- EMA Summary of opinion (post authorisation). Translarna® (31 de mayo de 2018). [https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-translarna-ii-37\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop/chmp-post-authorisation-summary-positive-opinion-translarna-ii-37_en.pdf)
- European Commission. Eurostat. Population and population change statistics. EU-27 population continues to grow. EC Eurostat Website. Accessed Oct 15, 2013. (Updated 2012). [citado 4 de junio de 2020].
- FDA Rejects New Drug Application for Translarna to Treat DMD | Duchenne Muscular Dystrophy | Jesse's Journey. Canada. Duchenne Muscular Dystrophy. Jesse's Journey. 2017. <https://www.jessesjourney.com/fda-rejects-new-drug-application-translarna-treat-dmd/> [citado 4 de junio de 2020]
- Ficha técnica de Traslarna. (23 de julio de 2020). [https://cima.aemps.es/cima/pdfs/es/ft/113902003/FT\\_113902003.pdf](https://cima.aemps.es/cima/pdfs/es/ft/113902003/FT_113902003.pdf)
- Grupo de Estudio de Enfermedades Neuromusculares. Sociedad Española de Neurología. Algoritmos diagnósticos en las miopatías hereditarias. [www.sen.es](http://www.sen.es). [citado 2 de junio de 2020].
- Informe de Posicionamiento Terapéutico de ataluren. pdf. (04 de mayo de 2017). <https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/IPT-ataluren-Translarna-distrofia-muscular-Duchenne.pdf>
- Informe EPAR de Traslarna.pdf (29 de septiembre de 2020). [https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/translarna-epar-medicine-overview\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/translarna-epar-medicine-overview_en.pdf)
- Jovell AJ. "Ética de las decisiones sanitarias". *Medicina Clínica*. 2005;124(15):580-2.
- López Pardo CM. "Conceptualización y valoración de la equidad en salud" *Revista cubana de salud pública*. 2006; 33(3).
- Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social - Profesionales de la Salud - Buscador situación financiación medicamentos. <https://www.msbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do?metodo=verDetalle&cn=704475>. [citado 8 de junio de 2020]
- Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social - Profesionales - CS-PF-PrestacionFarmaceutica. <https://www.msbs.gob.es/profesionales/prestacionesSanitarias/CarteraDeServicios/ContenidoCS/5PrestacionFarmaceutica/PF-PrestacionFarmaceutica.htm>. [citado 18 de junio de 2020].
- NHS England » NHS England successfully negotiates access to new drug treatment for children with duchenne muscular dystrophy. <https://www.england.nhs.uk/2016/07/drug-treatment/>. [citado 8 de junio de 2020]
- Pichavant C, Aartsma-Rus A, Clemens PR, Davies KE, Dickson G, Takeda S, et al. "Current status of pharmaceutical and genetic therapeutic approaches to treat DMD". *Molecular Therapy Journal*. 2011;19(5):830-40. <http://www.asemgalicia.com/wp-content/uploads/PROTOCOLO-ATALUREN.pdf>
- PTC Therapeutics. A Phase 2B Efficacy and Safety Study of PTC124 in Subjects With Nonsense-Mutation-Mediated Duchenne and Becker Muscular Dystrophy. [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov); 2020 mar Report No.: NCT00592553. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00592553>. [citado 4 de junio de 2020].
- Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio. <https://www.boe.es/eli/es/rd/2009/06/19/1015> [citado 8 de agosto de 2020]
- Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio. <https://www.boe.es/eli/es/rdlg/2015/07/24/1>[citado 8 de agosto de 2020]
- Real Decreto-Ley 16/2012, de 20 de abril. <https://www.boe.es/eli/es/rdl/2012/04/20/16> [citado 8 de agosto de 2020]
- Resolución del Defensor del Pueblo de Navarra (Q19/53). <http://www.defensornavarra.com/index.php/es/Resoluciones/2013-2019/2019/Resolucion-del-Defensor-del-Pueblo-de-Navarra-Q19-53>[citado 11 de junio de 2020]

STSJ MU 1751/2019 - ECLI:ES:TSJMU:2019:1751 <https://www.poderjudicial.es/search/documento/TS/8872510/actos%20y%20procedimiento%20administrativo/20190823> [citado 2 de junio de 2020]

The European regulatory system for medicines. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/leaflet/european-regulatory-system-medicines-european-medicines-agency-consistent-approach-medicines\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/leaflet/european-regulatory-system-medicines-european-medicines-agency-consistent-approach-medicines_en.pdf) [citado 8 de junio de 2020]

Translarna. European Medicines Agency. 2018. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/translarna>. [citado 8 de junio de 2020]

Zozaya N, Villoro R, Hidalgo Á, Sarria A. "Criterios de financiación y reembolso de los medicamentos huérfanos". Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (AETS) - Instituto de Salud Carlos III, Ministerio de Economía y Competitividad. Madrid. 2016.