

26 de enero de 2017

EL ACCESO A MEDICAMENTOS NO REGISTRADOS: LAS DIFERENTES SITUACIONES Y SUS PARTICULARIDADES

Para que un producto farmacéutico sea autorizado por la ANMAT e incorporado al Registro de Especialidades Medicinales (REM), debe completar las exigencias regulatorias que garantizan que cumple con los estándares básicos de calidad, eficacia y seguridad.

Sin embargo, existe una demanda real respecto a pacientes específicos, que plantea al Estado Nacional la necesidad de brindar una respuesta en relación al uso de medicamentos que aún no completaron su etapa de registro. Ello se denomina "uso compasivo", entendiéndose como tal a la autorización para administrar un producto farmacéutico antes que haya recibido su aprobación oficial.

La situación descrita se encuentra en consonancia con lo postulado en el Punto 37 de la Declaración de Helsinki, versión 2013, que dice textualmente: "*Cuando en la atención de un enfermo las intervenciones probadas no existen u otras intervenciones conocidas han resultado ineficaces, el médico, después de pedir consejo de experto, con el consentimiento informado del paciente o de un representante legal autorizado, puede **permitirse usar intervenciones no probadas**, si a su juicio ello da alguna esperanza de salvar la vida o aliviar el sufrimiento*".

En concreto, esta normativa resulta aplicable ante la necesidad de tratamiento de situaciones clínicas con alto riesgo de muerte o de severo deterioro de la calidad de vida y para las cuales no exista un tratamiento eficaz disponible en el país

Los diferentes casos y sus implicancias para la comunidad

Existe un lapso que media entre la presentación de un medicamento para su registro y la conclusión del trámite formal. Durante ese período, la no utilización del producto podría afectar la posible recuperación del paciente, aunque el empleo del mismo también implica el riesgo de utilizarlo sin que se haya completado la demostración de las condiciones mínimas exigidas de seguridad y eficacia. Por lo tanto, es imprescindible la intervención de un comité de ética para asegurar la pertinencia de la indicación y la ponderación de los riesgos. Esta intervención, como así también la posterior actuación de la ANMAT, no tiene un carácter restrictivo sobre la facultad del médico para prescribir, sino que se solicita para extremar los cuidados sobre el paciente.

Al analizar el universo de los medicamentos no registrados, se observa que pueden presentarse cuatro situaciones particulares: 1) la del medicamento en investigación; 2) la del medicamento solicitado para un paciente determinado; 3) la del medicamento provisto a quienes participaron de un EFC en el que se comprobó que el producto era beneficioso y 4) el acceso a pacientes que no participaron de un EFC en el que se comprobó que el producto era beneficioso, pero que meritan recibirlo a la brevedad.

1. ESTUDIO DE FARMACOLOGÍA CLÍNICA (*Disposición 6677/10*):

En determinadas circunstancias y como exigencia para el registro de un nuevo medicamento, deben realizarse estudios de farmacología clínica (EFC). En éstos, pacientes con determinadas características son invitados a participar y pueden llegar a recibir un producto farmacéutico que todavía se halla en etapa

experimental, es decir, que aún no se encuentra comprobada totalmente su seguridad y eficacia. El acceso al "medicamento" experimental sólo se permite en el marco de las pautas que define el protocolo del EFC que es evaluado y autorizado por la ANMAT, y que debe contar con la aprobación del Comité de Ética y los compromisos pertinentes de los investigadores actuantes. Los detalles y requisitos que deben cumplirse para la máxima protección de las personas participantes, y en resguardo de la calidad de los resultados, se encuentran expresados en la Disposición 6677/10.

2. ACCESO DE EXCEPCIÓN (*Disposición 10401/2016*)

Este procedimiento está destinado a permitir el acceso a un medicamento no disponible en el mercado farmacéutico argentino por parte de un paciente determinado. Se trata de cumplir con lo postulado por el principio ético de beneficencia, consistente en el deber primario de sanar, cuidar y satisfacer las necesidades vitales de una persona ante una necesidad particular y extraordinaria, tales como la falta de tratamiento específico, la intolerancia a todo tratamiento apropiado existente, la incompatibilidad o la presunción fundamentada de perjuicio de un tratamiento con las drogas disponibles. La ANMAT consideró necesario adecuar las normativas vigentes, de modo que contemple estas situaciones particulares, alentando la utilización racional de las evidencias científicas para definir la pertinencia de la prescripción.

En razón de ello, se aprobó el Régimen de Acceso de Excepción a Medicamentos (RAEM), por medio del cual estableció el procedimiento para el ingreso desde el exterior de medicamentos destinados al tratamiento de un paciente en particular para el que no exista en el país una alternativa terapéutica adecuada. Los medicamentos que se autoricen a ingresar desde el exterior a través del RAEM, deberán estar comercializados en su país de origen. En caso de encontrarse aún en fase de investigación clínica, la norma establece también que tales prescripciones serán sometidas a una evaluación de las evidencias científicas publicadas. La autorización emitida por la ANMAT autoriza a la Dirección Nacional de Aduanas a permitir el ingreso del producto exento de cargos impositivos.

3. ACCESO POST-ESTUDIO (*Disposición 12792/2016*):

La Disposición ANMAT establece, en su punto 6, que *"los participantes que requirieran continuar su tratamiento al finalizar el estudio deberán tener acceso a la intervención que haya resultado beneficiosa o a una intervención alternativa o a otro beneficio apropiado, aprobado por el Comité de Ética en Investigación (CEI) y por el plazo que este haya determinado o hasta que su acceso se encuentre garantizado por otro medio"*.

Esta indicación está en consonancia con lo establecido por otras normativas éticas y legales, tales como:

- Declaración de Helsinki, artículo 34º, versión 2013.
- Resolución 1480/11 del Ministerio de Salud de la Nación (A9. CONSIDERACIONES ESPECIALES PARA ENSAYOS CLINICOS, P19).
- Nuevo Código Civil y Comercial de la Nación, en su Art. 58, "INVESTIGACIONES EN SERES HUMANOS", inciso g

Para atender a esta sensible cuestión, se estableció un procedimiento para autorizar la importación de la medicación destinada al uso exclusivo de las personas participantes en un EFC clínico autorizado por ANMAT.

Ello está contemplado en la Disposición 12792/16, que entre otros aspectos establece que la responsabilidad de la prescripción es del médico tratante y del

Comité de Ética interviniente, que debe preservarse la gratuidad del acceso al producto tanto para el paciente, centro asistencial o el sistema de salud, y que el patrocinador asume la obligación de notificar todos los eventos adversos. El patrocinador podrá realizar la importación del producto con las mismas condiciones en las que lo hacía durante la realización del EFC.

4. ACCESO EXPANDIDO

Como extensión de lo establecido en el artículo 34° de la versión 2013 de la Declaración de Helsinki, debe contemplarse la situación de los pacientes que **no** participaron del EFC pero que, por la gravedad de su patología y ausencia de otro tratamiento eficiente, ameritan recibir un producto aún no registrado en el país pero que ha dado pruebas suficientes de seguridad y eficacia.

Por ello, debe contemplarse la situación particular del acceso a medicamentos que hayan demostrado una ventaja terapéutica durante su utilización en los EFC y que, a juicio del médico tratante, podría resultar beneficiosa para el tratamiento de pacientes **con complicaciones severas de su salud** en los que, por la gravedad de la patología, **no fuera aconsejable demorar la iniciación** de su tratamiento a la espera de completar el proceso habitual de registro.

Por ello, la ANMAT, por medio de la [Disposición N° 828/2017](#), acaba de establecer un régimen especial de acceso para grupos de pacientes que requieren tratamientos con medicamentos no comercializados en el país, siempre que exista el compromiso por parte del propietario del producto de iniciar el proceso de registro a la brevedad. Por ello, la autorización para esta importación especial deberá ser gestionada al mismo tiempo en el que se solicita el registro del medicamento ante la ANMAT o asumiendo el compromiso (*declaración jurada*) de presentarla en un máximo de 12 meses. Puede tratarse de fármacos en investigación o ya aprobados por otras autoridades sanitarias de relevancia.

La provisión del producto debe preservar la gratuidad del acceso tanto para el paciente, el centro asistencial o el sistema de salud.

El acceso Postestudio se diferencia del Acceso Expandido en que está destinado a satisfacer el derecho de los pacientes que contribuyeron con su participación a identificar un medicamento útil, para que puedan seguir recibiendo el producto gratuitamente más allá de la decisión del patrocinador de registrar el producto en el país. En cambio, el Acceso Expandido alcanza a pacientes que no participaron del EFC, pero cuando el patrocinador ha asumido el compromiso de solicitar el registro del producto en el país.

En conclusión, en respuesta a las necesidades de los ciudadanos para el acceso a medicamentos no registrados, la ANMAT desarrolló y completó el marco regulatorio que permite el acceso a dichos productos.