

INFORME DE GESTIÓN AÑO 2021

DIRECCIÓN DE MEDICAMENTOS ESPECIALES Y ALTO PRECIO



Ministerio de Salud
Argentina

Dirección Nacional de Medicamentos
y Tecnología Sanitaria

AUTORIDADES

Ministerio de Salud de la Nación
Méd. Carla Vizzotti

Secretaría de Acceso a la Salud
Dra. Sandra Tirado

Subsecretaría de Medicamentos e Información Estratégica
Dra. Natalia Grinblat

Dirección Nacional de Medicamentos
Dr. Emiliano Melero

Dirección de Medicamentos Especiales y Alto Precio
Dra. Natalia Soledad Messina

DIRECCIÓN DE MEDICAMENTOS ESPECIALES Y ALTO PRECIO

INFORME DE GESTIÓN 2021

INTRODUCCIÓN

La Dirección de Coberturas de Medicamentos de Alto Precio (DCAP) fue creada mediante Decisión Administrativa 457/2020 el 4 de abril de 2020. Alguno de los objetivos principales del área son la participación en la definición de los criterios para la determinación de la cobertura especial de medicamentos de alto precio y baja prevalencia; el desarrollo de mecanismos de evaluación rápida de medicamentos y tecnología orientada a la toma de decisiones y la asistencia en la resolución de casos especiales de acceso a medicamentos y tecnología como en la producción, registro y análisis de datos específicos.

Mediante la Decisión Administrativa N°384 del 19 de abril de 2021, se modificó la denominación de la Dirección a Dirección de Medicamentos Especiales y de Alto Precio (DMEYAP) manteniendo su dependencia de la Dirección Nacional de Medicamentos y Tecnología Sanitaria (DNMYTS) de la Subsecretaría de Medicamentos e Información Estratégica (SSMEIE) de la Secretaría de Acceso (SAS) del Ministerio de Salud (MS).

El presente informe se propone realizar un análisis pormenorizado de los objetivos y las tareas llevadas a cabo durante el año 2021 por la Dirección.

PROGRAMA DE ENFERMEDADES POCO FRECUENTES

Mediante la Resolución N°1892/2020 el Programa de Enfermedades Poco Frecuentes pasó a estar bajo la dependencia de la Dirección de Medicamentos Especiales y Alto Precio, armonizando de esa manera los objetivos y funciones del Programa con los propuestos por el Decreto N°54/2019 y la Decisión Administrativa N°457/20220.

Acceso a la Salud

El objetivo general del Programa es mejorar el acceso a la salud de las personas con Enfermedades Poco Frecuentes (EPF) en Argentina.

Principales Líneas de Trabajo en Enfermedades Poco Frecuentes (EPF)

Fortalecimiento del Programa Nacional y los Programas Provinciales

Durante el año 2021, se definió la necesidad de contar con una red de referentes provinciales, a los fines de poder federalizar las acciones estratégicas que se desarrollan desde el Programa. Se realizaron 22 designaciones de referentes provinciales, convocando 4 reuniones generales. También se llevaron a cabo 13 reuniones bilaterales con las provincias de San Juan, La Rioja, Catamarca, Chaco, Jujuy, Santa Cruz, Tierra del Fuego, La Pampa, Neuquén, Chubut, Río Negro, CABA y Buenos Aires.

Se realizaron asistencias técnicas permanentes a los referentes provinciales a través de contacto telefónico o correo electrónico.

Se diseñó e implementó un formulario de relevamiento sobre situación de las EPF y su abordaje en cada jurisdicción, a los fines de poder realizar un mapa que permita identificar recursos e implementar las líneas de trabajo.

Se mantuvieron 3 reuniones con el Consejo Consultivo Honorario (CCH) para dar a conocer los avances del Programa Nacional y planificar acciones futuras.

Se presentó el Programa Nacional ante autoridades del Ministerio de Salud, ante la Dirección Nacional de Medicamentos y Tecnología Sanitaria, y ante la Subsecretaría de Medicamentos e información estratégica.

Fortalecimiento de los Servicios de Salud

Se relevaron centros de referencia provinciales, equipos de trabajo y grupos de atención vinculados a determinadas patologías poco frecuentes y se diseñó e implementó un instrumento de relevamiento de datos en 24 jurisdicciones.

Fortalecimiento del Registro Nacional de EPF del Sistema de Información Sanitario Argentino (SISA)

Para esta primera etapa de puesta en marcha del Registro de Enfermedades Poco Frecuentes, se otorgaron usuarios y claves para la carga de las personas afectadas por alguna EPF por parte de los equipos de salud. El resultado fue el alta de 124 usuarios y el registro de 1800 pacientes a diciembre de 2021, contando en la actualidad con usuarios activos en 18 jurisdicciones.

Se impartieron capacitaciones permanentes a los usuarios del registro nacional de los tres subsectores de salud. También se mantuvieron reuniones periódicas con referentes provinciales e institucionales de San Juan, La Rioja, San Luis, Tucumán, Neuquén, Buenos Aires, Hospital Italiano de Buenos Aires, Corrientes, Misiones, Salta, Mendoza, Catamarca, Santa Cruz, entre otras.

En lo referente a la articulación con otras áreas del Ministerio de Salud de la Nación y con el objetivo de garantizar la interoperabilidad de los diferentes sistemas de información que registran EPF se sostuvieron reuniones periódicas con diferentes actores involucrados como SISA, INER y el Sector de Informática de la Dirección Nacional de Cursos de Vida.

Se definieron indicadores y se procedió al análisis de la información del registro.

Comunicación y el acceso a la información

Se realizó un fuerte trabajo en relación a la difusión y comunicación. Se publicó el Listado Nacional de Enfermedades Poco Frecuentes (Resolución Ministerial 641/2021).

Se actualizó la Página Web del Programa Nacional de EPF, donde se rediseñó y se renovaron los contenidos. También se reformó el contenido del sitio de Orphanet Argentina. Se elaboró una carpeta digital de materiales para referentes provinciales.

En lo referente a la sensibilización y capacitación a equipos de salud y actores clave, se trabajó en el diseño e implementación de capacitaciones a equipos del primer nivel de atención. Se preparó a 220 integrantes de equipos de salud de todo el país a través de Telesalud. Se elaboró y publicó en la página web el documento de educación "Mitos sobre EPF". Se trabajó arduamente en la articulación con organizaciones de la sociedad civil lo que permitió la elaboración de una base de datos de asociaciones de pacientes. Se concretó la organización de un evento en conmemoración al Día Internacional de las EPF.

El área tuvo participación activa en eventos de la sociedad civil tales como Fundación FOP, Neurofibromatosis Argentina, HIPUA, GRUPO MITOCONDRIALES ARGENTINA, etc.

A lo largo de todo el año se mantuvieron reuniones con diferentes asociaciones de pacientes y se mantuvo contacto permanente vía telefónica o correo electrónico con diferentes asociaciones, se procedió al auspicio de eventos científicos organizados por las asociaciones, se brindó

asesoramiento integral a pacientes y familias a través del formulario de la página web, vía telefónica y mail. Se contabilizaron más de 78 demandas respondidas, muchas de las cuales se encuentran en seguimiento, según la complejidad del caso.

Se realizó la presentación de los lineamientos del Programa a FADEPOF y ALAPA y se dio a conocer el Registro de EPF a FADEPOF.

Acceso a Tratamiento de Medicamentos de Alto Precio

AME (Atrofia Muscular Espinal)

En lo relativo a la Atrofia Muscular Espinal, la Resolución N°1860/2020 crea la Comisión Nacional para Pacientes con Atrofia Muscular Espina (CONAME), en la órbita del Programa Nacional de Enfermedades Poco Frecuentes, estableciendo su “Reglamento de Organización y Funcionamiento” y las “Pautas para la Cobertura de nusinersen a Pacientes con Atrofia Muscular Espinal”.

Desde el Programa Nacional se coordinaron administrativamente 15 reuniones de la CONAME, se elaboraron actas y dictámenes, y se realizó la compra de nusinersen para pacientes con cobertura pública exclusiva y aprobados por CONAME.

Por otro lado, se manejó durante todo el año el RUTT - AME que a la fecha cuenta con 144 pacientes. Se elaboró y publicó el Instructivo para presentación de casos ante la CONAME así como también la asistencia permanente a médicos de referencia en uso del sistema y carga de datos.

Fibrosis Quística

En el año 2020, se promulgó la Ley N°27.552 que declara de interés nacional la lucha contra la enfermedad de Fibrosis Quística de Páncreas o Mucoviscidosis, estableciendo la protección de la atención de salud, trabajo, educación, rehabilitación, seguridad social y prevención para las personas que padecen dicha enfermedad.

Dicha norma entre sus principales objetivos establece:

- La elaboración de normas de provisión de medicamentos e insumos, las que deben ser revisadas y actualizadas como mínimo cada dos (2) años, a fin de incluir, en la cobertura, los avances farmacológicos y tecnológicos.
- Cobertura integral del cien por ciento (100%) de los medicamentos, suplementos dietarios y nutricionales. Otorgamiento del Certificado Único de Discapacidad (CUD) a la persona diagnosticada.
- Banco de drogas para tratamientos de FQ a nivel nacional.

- Registro estadístico unificado para el subsector público y privado.
- Obligatoriedad de la pesquisa neonatal.

Asimismo, mediante Decreto Reglamentario N° 884/20 se incorpora la Fibrosis Quística como enfermedad priorizada dentro del Programa de Enfermedades Poco Frecuentes (EPF) y se establece que la Subsecretaría de Medicamentos e Información Estratégica deberá adoptar los protocolos y guías de tratamiento necesarios para la definición de las canastas de prestaciones. Asimismo, dispone implementar medidas para procurar y simplificar la provisión de los tratamientos previstos en las guías y protocolos, y elaborar un listado complementario de medicamentos e insumos para hacer frente a las urgencias propias de esta patología, destinado a los y las pacientes con cobertura pública exclusiva.

Durante el 2021, se propició el dictado de la Resolución Conjunta N°1/21 del Ministerio de Salud y la Agencia Nacional de Discapacidad, que aprueba los requisitos para conceder el Certificado Único de Discapacidad a personas con diagnóstico confirmado de Fibrosis Quística.

Consejo asesor para el abordaje de Fibrosis Quística (CAPAFIQ)

A fin de continuar con las políticas trazadas, se coordinaron 4 reuniones a la que fueron convocados la totalidad de los miembros de CAPAFIQ, en las cuales se avanzó en los siguientes puntos estratégicos:

- Se presentó, se discutió y aprobó la canasta de medicamentos entre los que se encuentran los que formarán parte del botiquín que será distribuido a las jurisdicciones provinciales, como complementarios para los pacientes del subsector público; como asimismo los moduladores aprobados por la ANMAT.
- Se detalló cómo fue el proceso de priorización, atendiendo el registro, basándose en las guías de la SAP (Sociedad Argentina de Pediatría) más antiguas y nuevas, y también en base de recomendaciones de expertos realizadas en el exterior. Se compartió la evidencia disponible a los fines de la evaluación de las tecnologías por parte de la CONETEC, habiéndose priorizado en el proceso respectivo para este año 2021.
- Se conformó un equipo de trabajo para comenzar a trabajar en la elaboración de las guías de práctica clínica.
- Se presentó el nuevo Registro Nacional de Fibrosis Quística por parte del Instituto Nacional de Enfermedades Respiratorias.

Registro Nacional de Fibrosis Quística- RENAFQ

A los fines de poder avanzar con la actualización del RENAFQ, se trabajó arduamente con el INER (Instituto Nacional de Enfermedades Respiratorias) para la actualización de su diseño, para poder tener actualizados los pacientes existentes en nuestro país con toda la información necesaria y para facilitar la dispensa de los moduladores que serán provistos por el Estado Nacional a través de este Ministerio de Salud de la Nación. Asimismo, se trabajó junto al SISA para que el rediseño del Registro Nacional de Fibrosis Quística permitiera su interoperabilidad con el Registro Nacional de Enfermedades Poco Frecuentes.

Cabe resaltar que durante el año, se realizaron reuniones y se mantuvo contacto permanente con asociaciones y grupos de pacientes de fibrosis quística a fin de poder brindar asesoramiento y facilitar procesos ante otros organismos o entidades de la salud.

PROGRAMA DE TECNOLOGÍAS TUTELADAS

La Dirección de Medicamentos Especiales y Alto Precio tiene a cargo el funcionamiento y seguimiento del Programa, tal como lo prevé la Resolución N° 1380/2020. Siguiendo el objetivo del Programa Nacional de Tecnologías Sanitarias Tuteladas de velar por una adecuada y correcta utilización de las tecnologías sanitarias, es que en enero de 2021 (Disposición 2/2021) se incorporó al mismo a nusinersen para todos los pacientes portadores de atrofia muscular espinal (AME) tipo I y II del subsector público de todo el país. Para asegurar la eficiencia en la distribución de este recurso de alto precio es que se solicitó a los médicos tratantes que inscriban en el Registro Único de Tecnologías Tuteladas para pacientes con AME I y II (RUTT –AME) a todos aquellos pacientes a los que se les indique nusinersen. Todos los pacientes inscriptos han sido presentados en la Comisión Nacional para Pacientes con Atrofia Muscular Espinal (CONAME) para evitar la inadecuada utilización de dicha medicación teniendo en cuenta datos clínicos objetivables.

Durante el año 2021 la CONAME realizó reuniones mensuales para la presentación y discusión de pacientes. Los resultados se observan en las siguientes tablas:

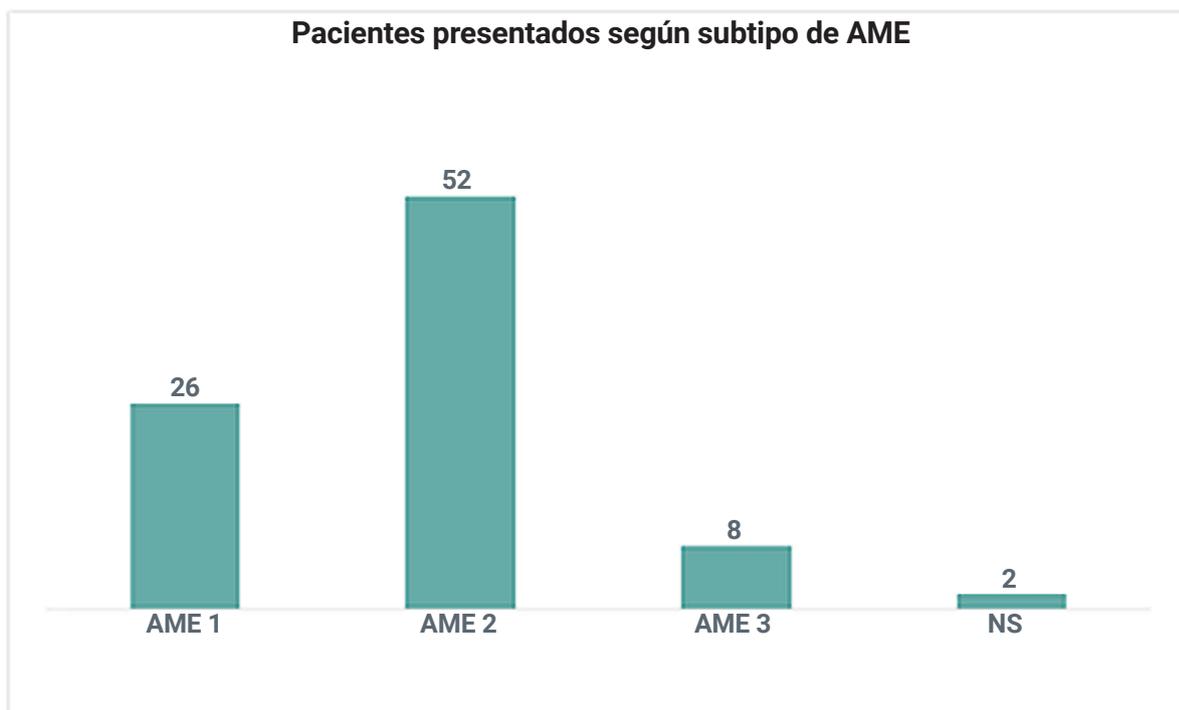
Figura 1. Número de pacientes presentados por año antes y después de la inclusión de nusinersen en el Programa Nacional de Tecnologías Sanitarias tuteladas.



Se observa un claro incremento en el número de pacientes presentados en el año 2021 y sobre todo, luego de la inclusión de nusinersen en el Programa Nacional de Tecnologías Sanitarias Tuteladas.

El número total de pacientes presentados fue de 143; 7 pacientes (12%) en 2019; 38 pacientes (26,5 %) en 2020 y 88 pacientes (61%) en 2021.

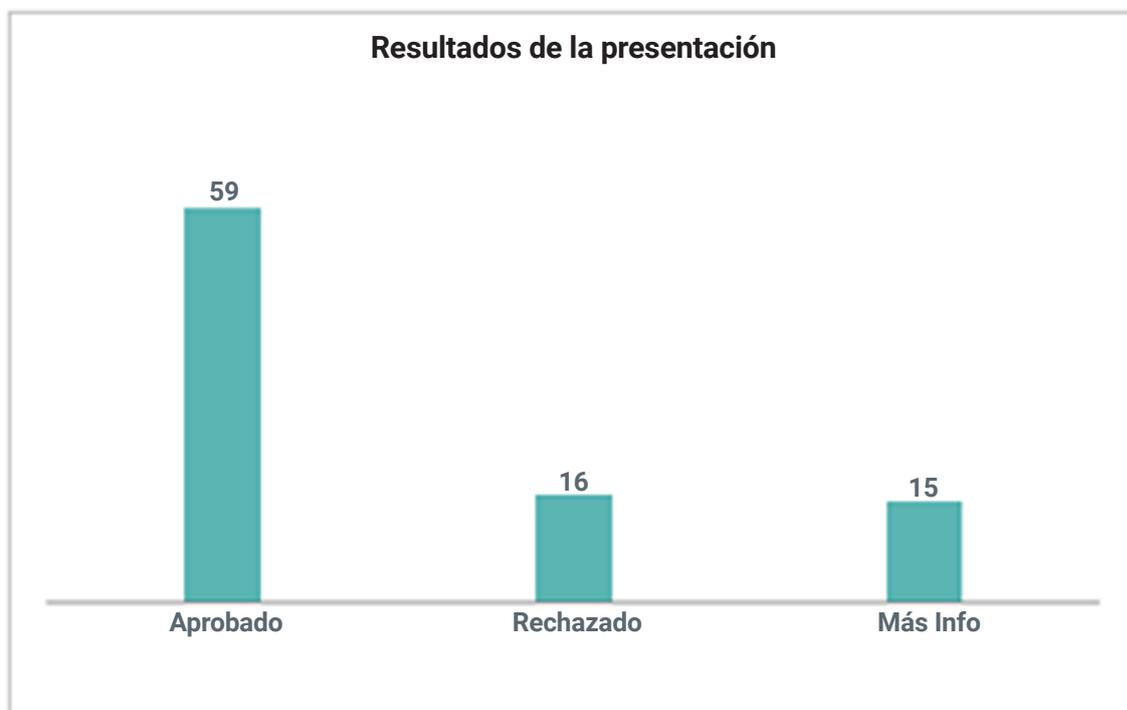
Figura 2. AME por subtipo de los 88 pacientes presentados en el año 2021.



Se observa preponderancia de los AME II, que fueron 52 pacientes (59%), seguidos de los AME I con 26 pacientes (29,5 %) y por último los AME III que fueron solo 8 (9%) para la continuidad del tratamiento. La disminución de las AME III se debe a que a partir de 2021 no se incluyeron nuevos pacientes con este subtipo ya que la disposición de ANMAT no renovó el registro del medicamento para AME III (ANMAT Di 6190/ 2020).

De los 88 pacientes presentados, la mayoría fue aprobado, 58 pacientes. En 14 de los casos se solicitó más información por encontrarse estos incompletos y 16 fueron rechazados por no reunir los criterios de inclusión del anexo II .

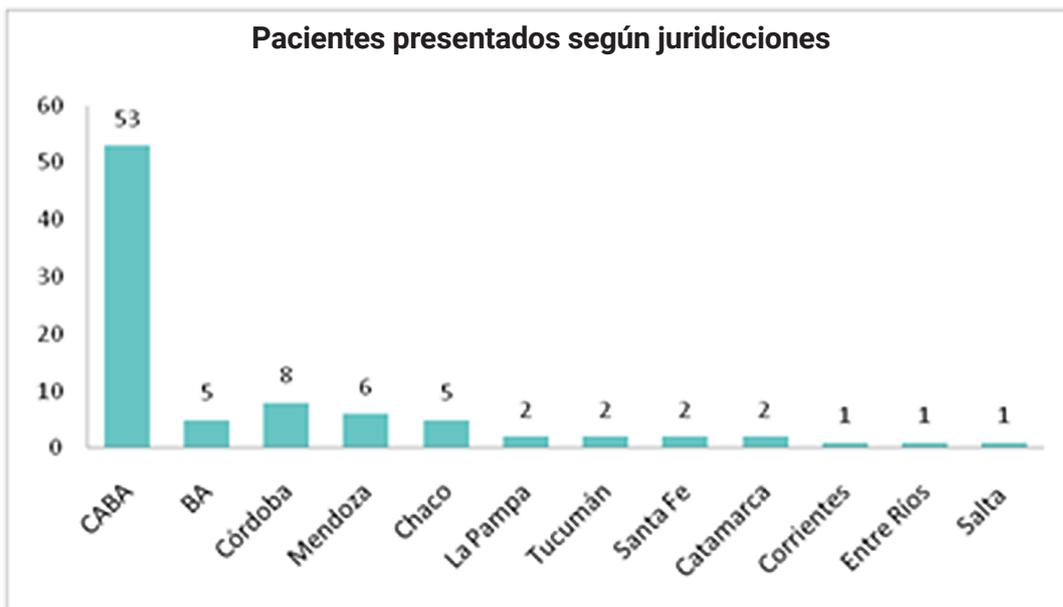
Figura 3



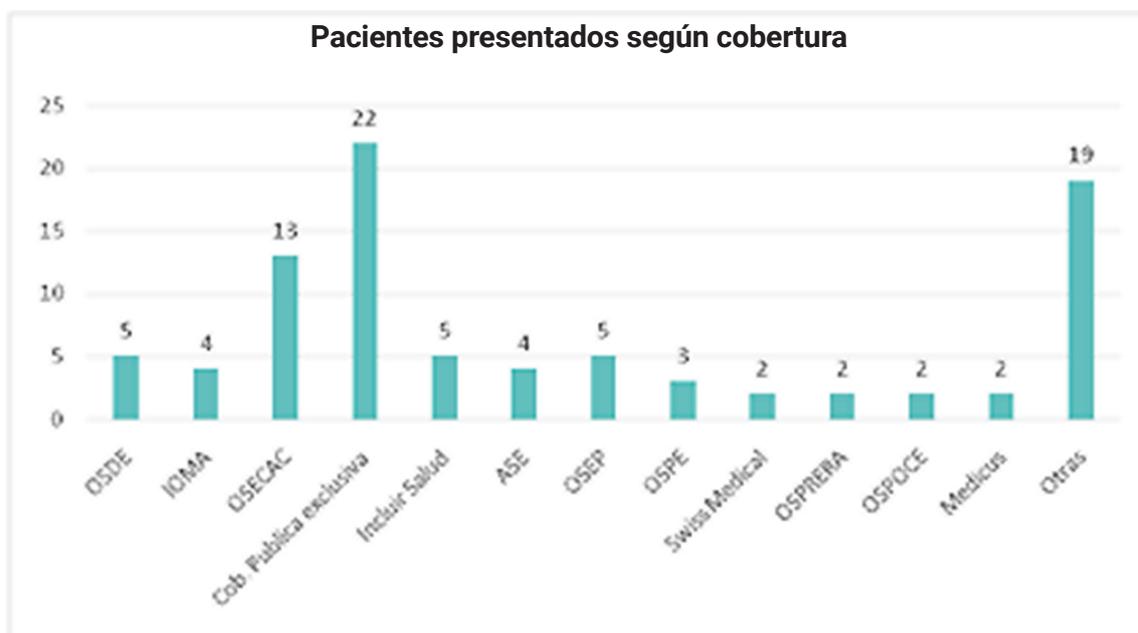
Entre los pacientes en quienes se solicitó más información, no había ninguno con AME I, ya que a este subgrupo se le da prioridad en la presentación, debido a la necesidad de retrasar el progreso de la enfermedad.

Los pacientes presentados a la Comisión proceden de todo el país, pero los datos obtenidos en la **figura 4** se relacionan con el centro donde se administró la medicación. Por eso se observan preponderancia de la Ciudad Autónoma de Buenos Aires, la provincia de Buenos Aires y las ciudades de Córdoba, Mendoza y Chaco.

Las jurisdicciones donde recibieron la medicación se observan en la figura 4 que se encuentra a continuación.



En cuanto a las diferentes coberturas, también se observó una mayor presentación en CONAME desde la inclusión del nusinersen en el tutelaje y desde el reintegro que se hace desde el Ministerio de Salud -Superintendencia de Servicios de Salud de la Nación a través de SUR, a otros subsectores cuyos pacientes se discuten en la CONAME.



En la **figura 5**, se ve la cobertura de los pacientes presentados en la CONAME durante el año 2021. Llama la atención el aumento de pacientes presentados con cobertura pública exclusiva (19 pacientes).

Se observó también una disminución del tiempo entre el comienzo de los síntomas y el diagnóstico de la patología, ya que entre las funciones de la Comisión está la de educación a la comunidad con el objetivo del diagnóstico precoz.

Observamos que el registro muestra una debilidad en el seguimiento de los pacientes a largo plazo, ya que las tablas de seguimiento de estos pacientes están muchas veces incompletas o desactualizadas. Se destaca la necesidad de profundizar el trabajo en este punto para mejorarlo.

MODULADORES PARA EL TRATAMIENTO DE LA FIBROSIS QUÍSTICA

Durante el año 2021 se desarrolló un plan estratégico para la inclusión en el Programa Nacional de Tecnologías Sanitarias Tuteladas al tratamiento con moduladores para los enfermos con fibrosis quística. La cobertura pública de estos medicamentos de alto precio genera alto impacto sanitario y redistributivo en la población de menos recursos. Esto implica que más pacientes tengan los beneficios de la cobertura, y, a la vez, optimizar el uso de los recursos sanitarios basando las decisiones en la evidencia científica.

La Fibrosis Quística (FQ) es una enfermedad que según los datos del Registro Nacional de Fibrosis Quística (RENAFQ) administrado por el Instituto Nacional de Enfermedades Respiratorias (INER) dependiente de la Administración Nacional de Laboratorios e Institutos de Salud (ANLIS), la padecen un total 1458 pacientes en Argentina. Este registro fue reorganizado durante 2021 para poder contar con todos los datos necesarios de los pacientes para la cobertura con los moduladores al subsector público y privados de todo el país. Se conocen alrededor de 2000 mutaciones en el gen CFTR, muchas de las cuales dan lugar a un fenotipo patológico. La mutación más frecuente, la AF508del, representa aproximadamente el 70% de las que se producen en Argentina.

El RENAFQ en 2020 reportó que los pacientes incluidos fueron diagnosticados en 63 centros asistenciales de diferentes provincias del país y 88 pacientes del registro figuran como fallecidos. En relación a la cobertura médica de los pacientes registrados, 539 no tienen ninguna, 659 tienen cobertura completa y 150 pacientes reciben cobertura parcial. Con el objetivo de cubrir la medicación de todos los pacientes que se puedan beneficiar independientemente de la cobertura que posean, es que se realizaron reuniones con los miembros de la CAPAFIQ (Comisión asesora para diferentes estrategias relacionadas con la FQ) y se trabajó en forma interdisciplinaria para crear la disposición para la inclusión en el programa, las guías de tratamiento, los criterios de inclusión de pacientes y el informe de la CONETEC. Las indicaciones de la terapia moduladora del gen son precisas y basadas en la genética y edad del paciente.

La instauración de un tratamiento adecuado en forma precoz y la atención por un equipo especializado permiten disminuir la progresión de la enfermedad y aumentar la sobrevida pero teniendo en cuenta que estas drogas no son curativas.

FACTOR 8 – COMPRA CONJUNTA

La hemofilia es un desorden hemorrágico hereditario y congénito, originado por mutaciones en el cromosoma X. Se caracteriza por la disminución o ausencia de la actividad funcional de los factores VIII o IX, necesarios para la coagulación normal de la sangre.

Dicha enfermedad afecta a los individuos varones, esto quiere decir que es la mujer quien será la portadora y son las personas del sexo masculino quienes presentan los síntomas. En un tercio de los casos, surge como consecuencia de mutaciones espontáneas (sin antecedentes familiares). La tasa de la hemofilia A (deficiencia de factor VIII) es de 1 cada 5.000 a 10.000 nacimientos de varones.

El objetivo de la compra consolidada de Factor VIII es garantizar el acceso a medicamentos de calidad, seguros y eficaces, a precios favorables para la seguridad social; a través de mecanismos de economías de escala y se garantiza el derecho de los pacientes a adquirir su medicación bajo este procedimiento.

Esta estrategia, de la que participan los financiadores, el Ministerio de Salud y el Laboratorio ad hoc, consiste en que cada una de las partes ingrese cada Orden de Provisión de los pacientes al Sistema de Compra Consolidada. Una vez autorizadas, se le enviará una notificación al Laboratorio. Éste, dispone de 72 hs. para entregar la medicación a la farmacia. Este proceso tiene como objetivo principal lograr eficiencia y eficacia en los procesos de compra, además de avalar transparencia durante todo el proceso. Al mismo tiempo, garantiza el uso óptimo de los recursos públicos y el acceso universal en el territorio nacional a medicamentos de calidad.

Los medicamentos que se adquieren mediante este mecanismo, cuentan con certificación vigente de ANMAT, no poseen restricciones para su comercialización y según lo previsto en la Disposición 5743/2009 de ANMAT, pueden tener autorización de comercialización del primer lote, o bien, dictamen favorable de la verificación técnica previa. También, como requisito excluyente para la liberación del pago, deben atenerse al Sistema Nacional de Trazabilidad de Medicamentos.

Con esta estrategia, 589 pacientes tienen asegurado el acceso al tratamiento de profilaxis para la Hemofilia tipo A, de una forma rápida y segura.

Mediante Licitación Pública (N° 80-0034-LPU21), se inició la Compra Conjunta 2020, la cual fue adjudicada a la empresa Takeda Argentina S.A.

En dicho proceso serán partícipes, como en compras anteriores, los financiadores, la Superintendencia de Servicios en Salud (SSSalud), el Instituto Nacional de Servicios para Jubilados y Pensionados (INSSJYP/PAMI), el Programa INCLUIR Salud perteneciente a

la Agencia Nacional de Discapacidad y el Ministerio de Seguridad. En esta oportunidad, se incorpora el Instituto de Obra Social de las Fuerzas Armadas (IOSFA).

En esta partida se compraron 123.526.000 UI, las que se distribuyen entre las partes de la siguiente manera:

	PLASMÁTICO		RECOMBINANTE	
	500 UI	1000 UI	500 UI	1000 UI
INSSJP	202.000	8.414.000	300.000	32.460.000
SSSalud	2.100.000	15.400.000	2.800.000	19.600.000
AND	2.125.000	28.800.000	840.000	6.600.000
IOSFA	25.000	1.235.000	35.000	190.000
MSG	0	1.300.000	0	1.100.000
TOTAL	4.452.000	55.149.000	3.975.000	59.950.000
TOTAL POR TRATAMIENTO	59.601.000		63.925.000	
TOTAL UI	123.526.000			

Para esta licitación se realizó un informe de estimación de precio de referencia y se utilizó el Pliego de Bases y Condiciones Particulares 2019, el Proceso de Compra 80-0017-LPU19 2019, los precios unitarios del Factor VIII recombinante y Plasmático de la compra anterior. Además, se utilizó el Índice de precios internos al por mayor (IPIM), apertura productos farmacéuticos y veterinarios, el tipo de cambio promedio mensual publicado por el BCRA, el relevamiento de expectativa de mercado del mes de julio 2019 elaborado por el BCRA y el sitio especializado en información del mercado farmacéutico ALFABETA.

Luego de arduas negociaciones, se logró que el precio de referencia sea el de agosto del 2020 y que se mantenga al momento de la apertura de la licitación. Los mismos fueron para el factor Recombinante de \$14,2303 y para el factor Plasmático de \$7,1316. Takeda Argentina S.A realizó una oferta menor al precio máximo.

A continuación se puede observar cuál fue el ahorro que obtuvo el Estado Nacional en cada Compra Conjunta desde el año 2017 al 2021.

Precio Venta al Público vs Precio por Compra Consolidada



Fuente PVP: ALFABETA

En la **primera compra** se logró un descuento de 91% en factor Plasmático y un 84% en factor Recombinante que se traduce a un ahorro total de \$1.175.550.070,00 y \$1.087.517.820,00 respectivamente.



Fuente PVP: ALFABETA

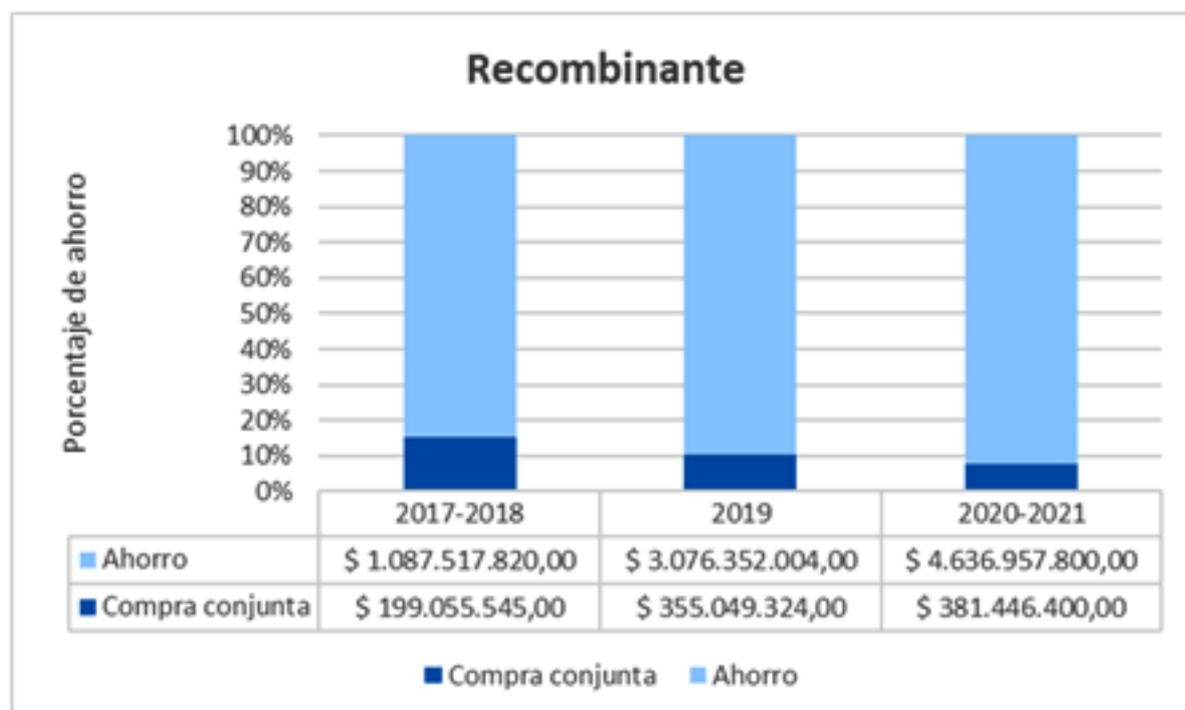
En la **segunda Compra Consolidada** se obtuvo un ahorro del 92% en factor Plasmático del 86% en factor Recombinante que se traduce a un ahorro total de \$2.374.673.056,00 y \$3.076.352.004,00 respectivamente.



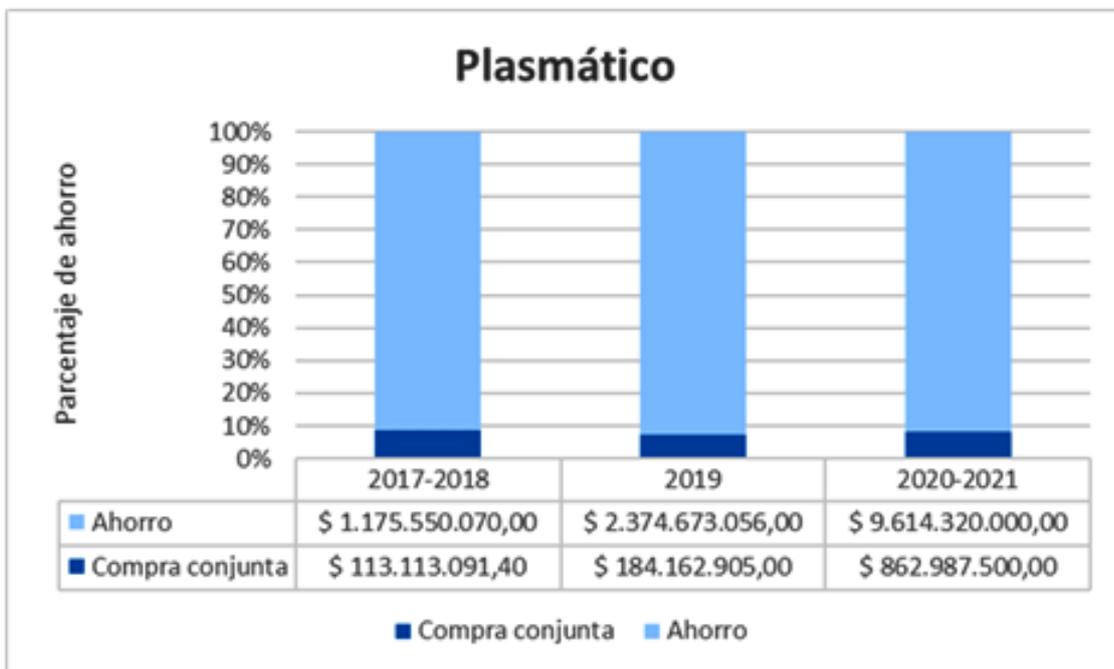
Fuente PVP: ALFABETA

En la **tercera Compra** se obtuvo un ahorro de 92,39% en factor Plasmático y en factor Recombinante un 91,80% que se traduce a un ahorro total de \$9.616.937.925,00 y \$4.638.805.431,00 respectivamente.

Ahorro obtenido con las compras consolidadas



El ahorro se calcula por la diferencia entre el PVP y el precio obtenido en la compra conjunta.



El ahorro se calcula por la diferencia entre el PVP y el precio obtenido en la compra conjunta.

Al presente, cada financiador se encuentra en plena ejecución de la compra y ya comenzó con la distribución de la medicación adquirida. El plazo máximo para la ejecución de este proceso es de 12 meses.

PROGRAMA DE ATENCIÓN AL PACIENTE MIASTÉNICO

El Programa de Atención al Paciente Miasténico fue creado a través de la Resolución N°435/2004, y tiene como principal objetivo el de dar continuidad a los tratamientos a los pacientes sin cobertura de todo el país.

La Miastenia Gravis es una enfermedad autoinmune mediada por anticuerpos que actúan sobre la placa neuromuscular. La incidencia reportada en la Argentina es de 61,33 cada un millón de personas/año, con una prevalencia de 36,71 personas/100.000 habitantes. La enfermedad tiene dos picos de incidencia, el primero entre los 20/40 años de edad, siendo la relación mujer/varón de 2/1; el segundo pico de incidencia es entre personas de entre 55/65 años de edad con una relación mujer/varón de 1/1.

Objetivo general

Asistir en el ámbito de la Nación a los pacientes miasténicos sin cobertura médica, mediante la entrega de medicación específica para la atención de la miastenia.

Objetivos específicos

- Lograr el diagnóstico precoz de la enfermedad para mejorar la calidad de vida.
- Fortalecer la capacidad de los efectores públicos y de los equipos de salud.
- Brindar medicación específica en tiempo oportuno y adecuado.
- Fortalecer la prevención de complicaciones.
- Promover la participación social y del entorno familiar.

El tratamiento debe ser individualizado, en función de las necesidades de cada paciente. Entre los medicamentos utilizados, los anticolinesterásicos han constituido una forma de tratamiento básico, siendo útiles para mejorar los síntomas miasténicos; ellos actúan disminuyendo la hidrólisis de acetilcolina mediante la inhibición de anticolinesterasa.

El bromuro de piridostigmina es el tratamiento de elección, por sus menores efectos colaterales colinérgicos y por su acción más prolongada.

El mestinon / bromuro de piridostigmina se encuentra inscripto en el Registro de Especialidades Medicinales (REM), en la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología (ANMAT) Certificado N°18.673 con titularidad ejercida por la firma ROEMMERS S.A.I.C.F. En la actualidad el certificado se encuentra vigente para su comercialización. Todo ello conforme lo informado por la ANMAT en la nota NO-2020-72663541-APN-DGIT#ANMAT.

Durante el año 2021 se avanzó en las siguientes tareas:

- Comunicación fluida con las jurisdicciones, con las cuales se logra la actualización de los referentes.
- Actualizaciones en la incorporación del padrón de pacientes al Sistema Integrado de Información Sanitaria (SISA).
- Firma de convenios con las provincias.
- Ampliación de la orden de compra N°80-1135-OC21 del procedimiento COMPR.AR 80-0030-CDI21.
- Iniciación del nuevo procedimiento de compra para la cobertura del período 2021.
- Planificación y distribución de entregas a las jurisdicciones.

PROVINCIAS CON CONVENIOS FIRMADOS
Ciudad de Buenos Aires
Catamarca
Chaco
Chubut
Córdoba
Formosa
La Pampa

PROVINCIAS CON CONVENIOS FIRMADOS
Mendoza
Misiones
Rio Negro
San Juan
Santa fe
Tierra del Fuego
Tucumán

Provincias que recibieron medicamento en el 2021, las jurisdicciones asistidas fueron:

PROVINCIA	TOTAL ENVIADO	COMPRIMIDOS
BUENOS AIRES	5980	598000
CHACO	200	20000
CORDOBA	913	91300
ENTRE RIOS	349	34900
FORMOSA	86	8600
MENDOZA	1086	108600
SALTA	783	78300
SAN JUAN	270	27000
SAN LUIS	239	23900
SANTA FE	1762	176200
SANTIAGO DEL ESTERO	435	43500

Proyección de las provincias que faltan recibir medicamento con el porcentaje de participación

Provincia	a enviar	Frascos	% de participación
CABA	62.109	621	3,41%
Catamarca	33.355	334	1,83%
Chubut	40.831	408	2,24%
Corrientes	6.901	69	0,38%
Jujuy	23.579	236	1,29%
La Pampa	14.377	144	0,79%
La Rioja	16.102	161	0,88%
Misiones	12.077	121	0,66%
Neuquén	42.269	423	2,32%
Rio Negro	5.176	52	0,28%
Santa Cruz	14.377	144	0,79%
Tucumán	3.163	32	0,17%

ANÁLISIS DE LOS MEDICAMENTOS IMPORTADOS BAJO EL RÉGIMEN DE ACCESIBILIDAD DE EXCEPCIÓN (EX RAEM)

Mediante la Disposición 4616/2019 la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (ANMAT) aprueba el Régimen de Accesibilidad de Excepción a Medicamentos que establece el procedimiento de autorización de importación para los productos enumerados en el artículo 2° que se transcribe a continuación.

ARTÍCULO 2°.- SUPUESTOS / ÁMBITO DE APLICACIÓN

El Régimen de Accesibilidad de Excepción a Medicamentos es aplicable a los siguientes supuestos:

- a) Medicamentos que no se encuentren registrados ante esta ANMAT pero que sí estén registrados en un país incluido en el Anexo I del Decreto N° 150/92 (T.O. 1993) y que se destinarán a tratar un paciente en particular.
- b) Medicamentos que no se encuentren registrados ante esta ANMAT pero que sean requeridos por la Secretaría de Gobierno de Salud de la Nación para atender una Emergencia Sanitaria, según lo establecido en el artículo 1° de la Resolución Conjunta 470/92 ex MEyOSP - 268/92 ex MSyAS, texto ordenado por Resolución Conjunta 748/92 ex MEyOSP - 988/92 ex MSyAS y sus modificatorias y que se destinarán a tratar un número aún no determinado de pacientes; y
- c) Medicamentos que se encuentren registrados ante esta ANMAT pero que no se encuentren disponibles en el país de manera transitoria o permanente, o no resulten accesibles a los pacientes por otras razones justificadas.

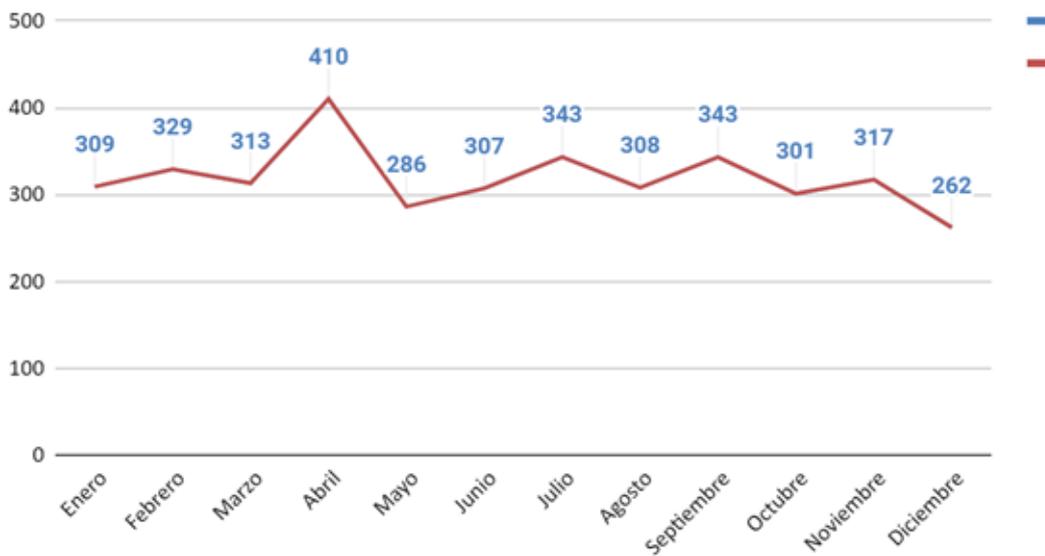
Las situaciones indicadas en el párrafo anterior deberán estar debidamente justificadas, quedando a criterio de esta ANMAT su pertinencia.

El presente Régimen de Accesibilidad de Excepción a Medicamentos no se aplica a la importación de medicamentos que contengan derivados del cannabis para uso medicinal, la cual se regulará mediante una normativa específica.

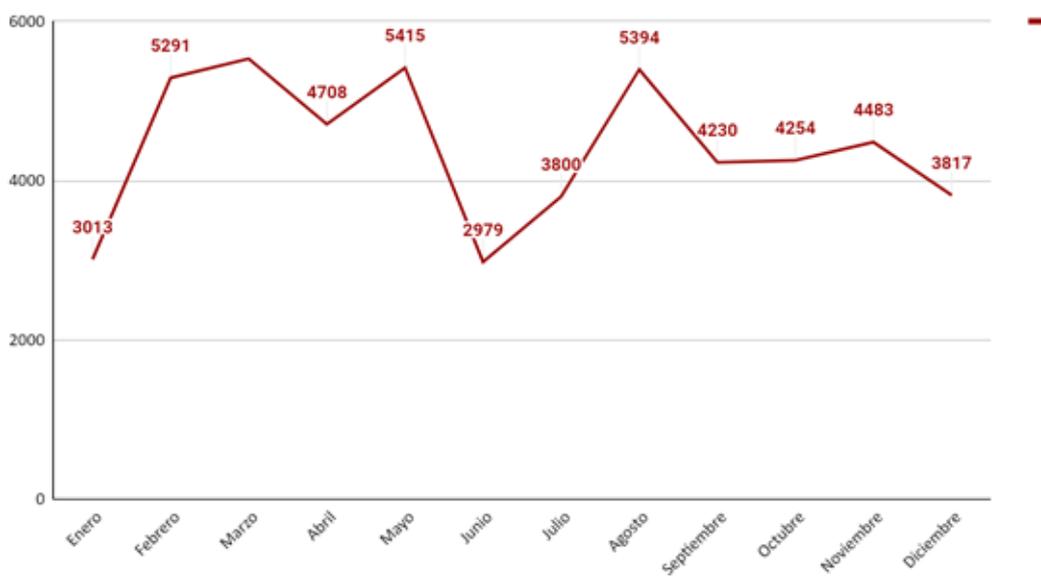
La DMEYAP elabora informes semestrales en base a la información brindada desde ANMAT con respecto a la información de medicamentos importados en los términos del Régimen de Accesibilidad de Excepción (ex RAEM). Ello permite a la Dirección contar con información relevante para la toma de decisiones y prever los gastos futuros en cuanto a demandas de nuevos medicamentos.

El siguiente gráfico describe la evolución en la cantidad de pacientes solicitantes de medicamentos por vía de excepción en el período indicado. El promedio del año 2021 fue de **319 pacientes** solicitantes al mes. A continuación la evolución en el mismo período de la cantidad de envases de medicamentos solicitados por la misma vía.

Evolución anual Enero-Diciembre 2021 del Total de Pacientes solicitantes por vía de Excepción.



Evolución anual Enero- Diciembre 2021 del total de Envases de medicamentos solicitados por vía de excepción.



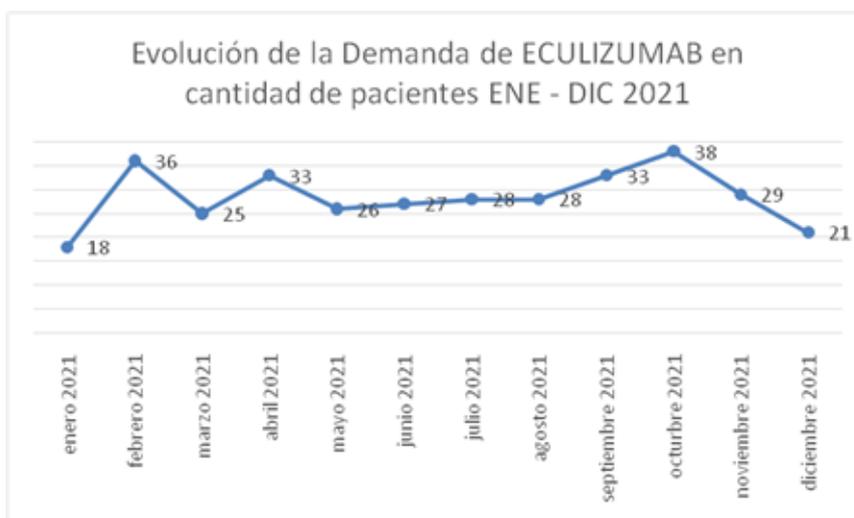
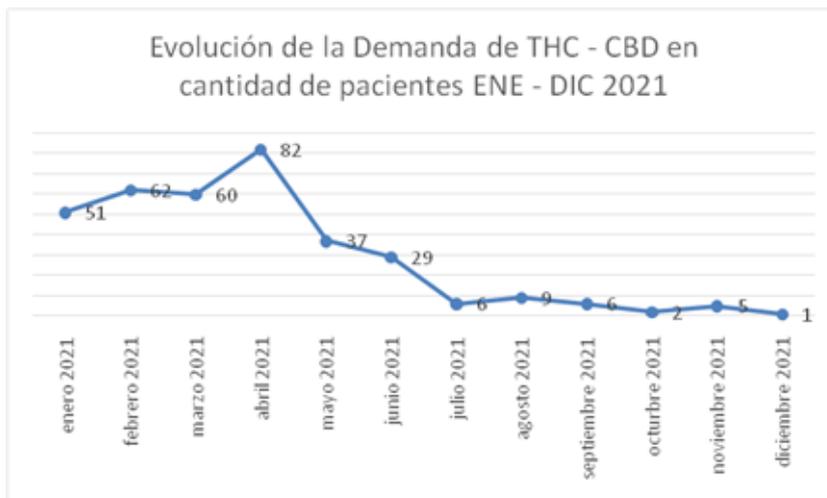
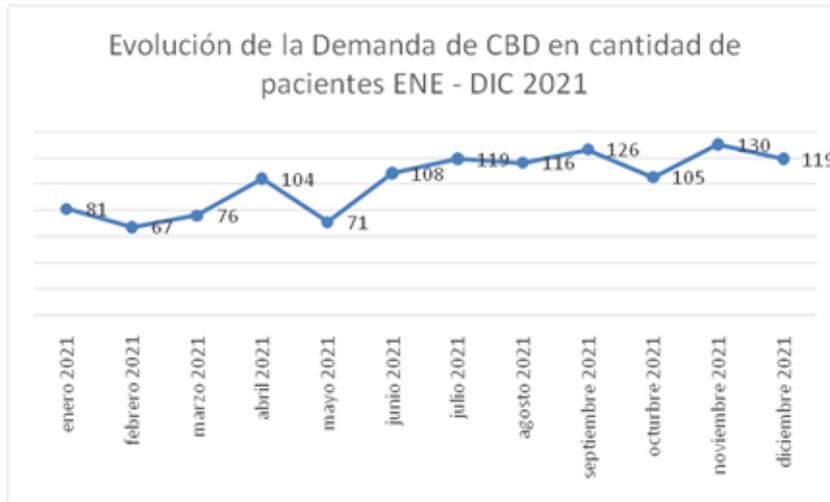
Los medicamentos más solicitados, en cuanto a cantidad de envases solicitados son:

POR CANTIDAD DE ENVASES	
ECULIZUMAB	10673
GALSULFASA	6854
CBD	5821
ELOSULFASE ALFA	5480
THC CBD	3634
PEGVALIASE	1515
ATALUREN	1423
BUROSUMAB	1393
FENILBUTIRATO GLICEROL	1008
ESTIRIPENTOL	934

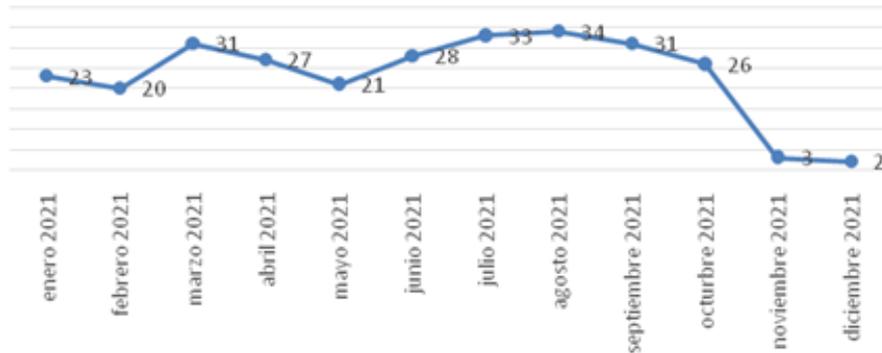
Los medicamentos más solicitados, en cuanto a cantidad de pacientes que lo solicitan son:

POR CANTIDAD DE PACIENTES	
CBD	1222
THC CBD	350
ECULIZUMAB	342
ELEXACAFOTOR TEZACAFOTOR EVACAFOTOR	279
BUROSUMAB	210
ATALUREN	117
INOTERSEN	95
ESTIRIPENTOL	93
TOLVAPTAN	65
GALSULFASA	50

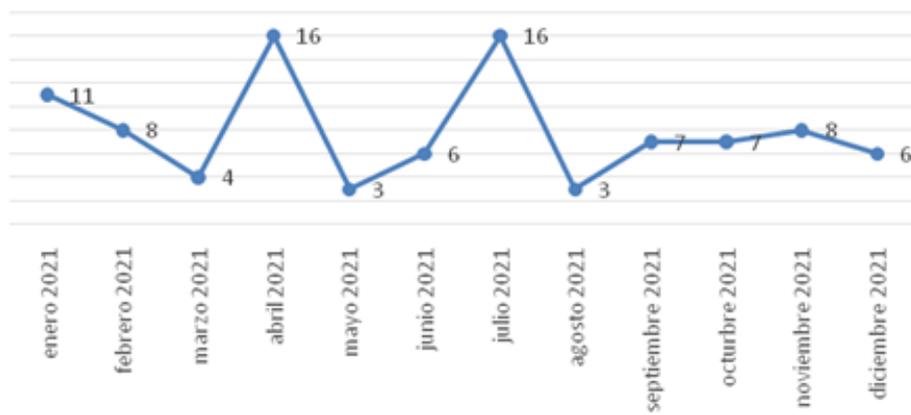
Los siguientes gráficos ilustran la curva de evolución de los diez medicamentos más solicitados para su importación, en cuanto a la cantidad de pacientes, según la información recibida de ANMAT para el año 2021.



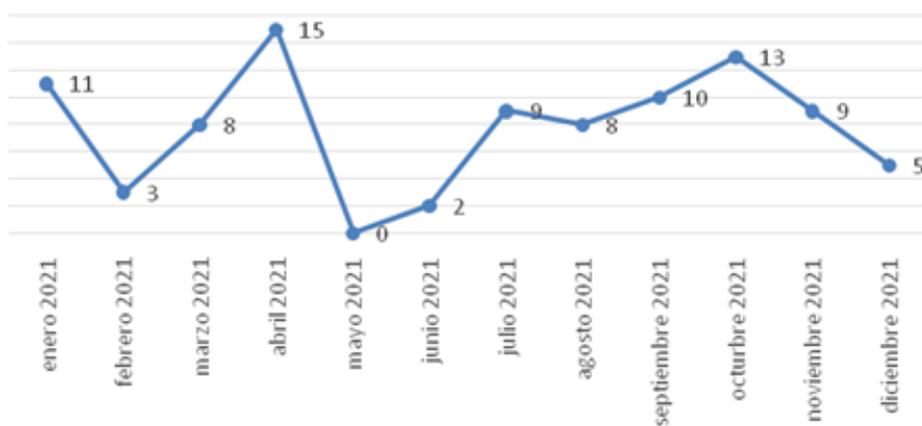
Evolución de la Demanda de ELEXACAFTOR
TEZACAFTOR EVACAFTOR en cantidad de
pacientes ENE - DIC 2021

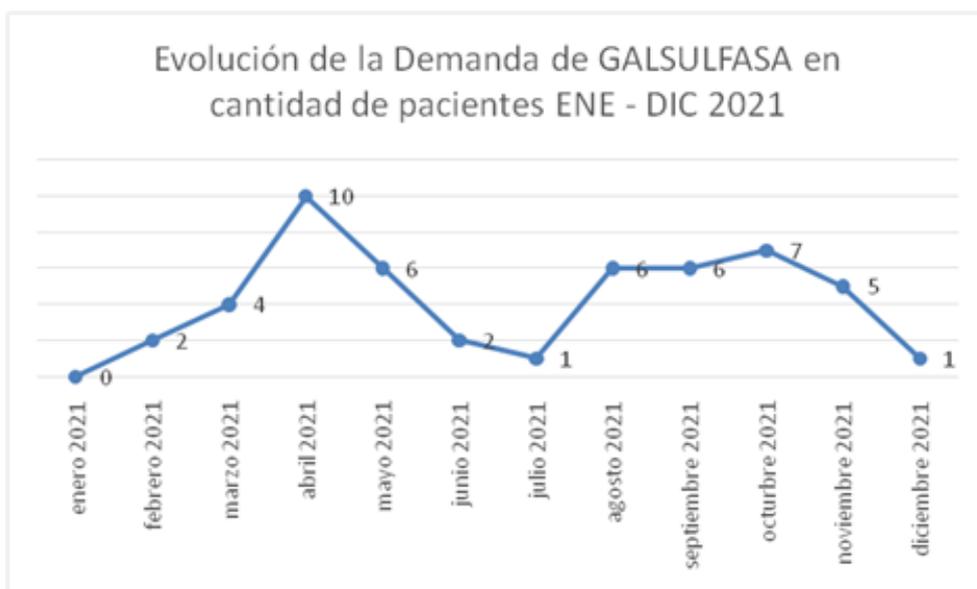
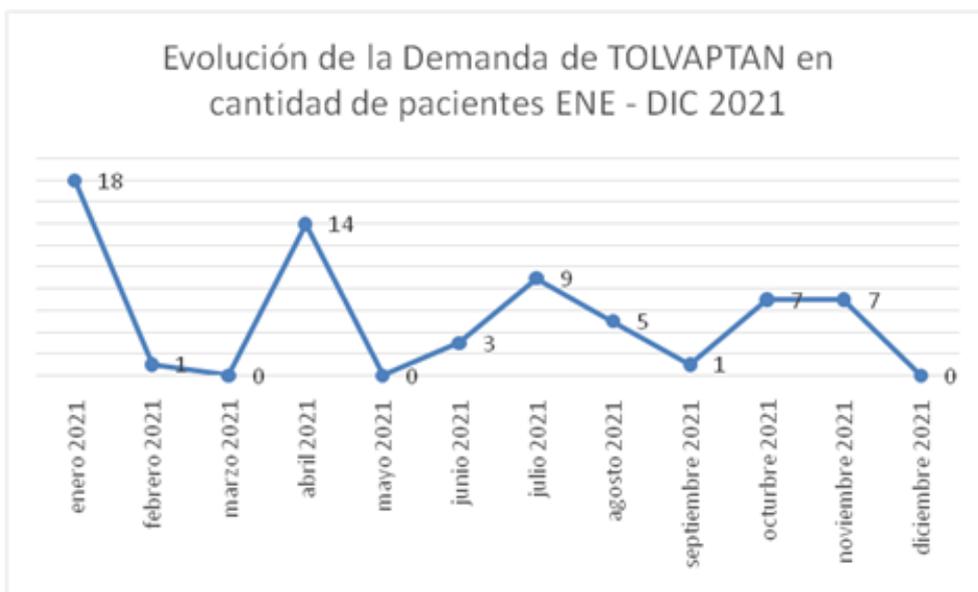


Evolución de la Demanda de INOTERSEN en
cantidad de pacientes ENE - DIC 2021



Evolución de la Demanda de ESTIRIPENTOL en
cantidad de pacientes ENE - DIC 2021

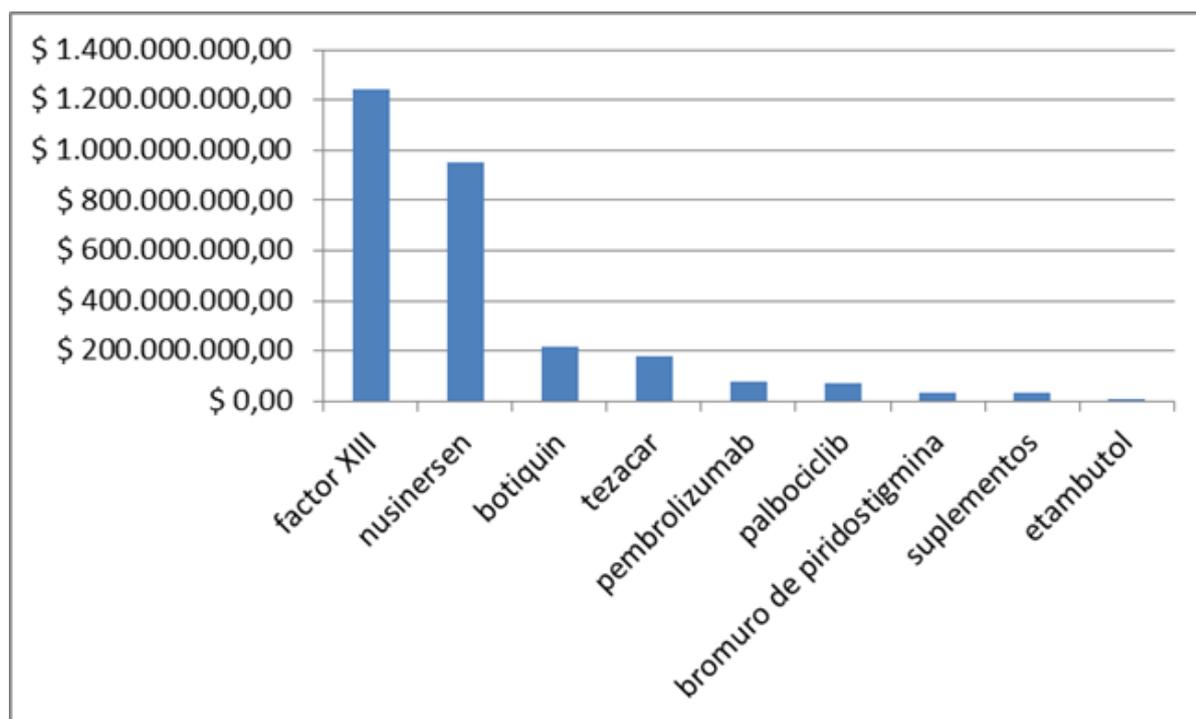




COMPRAS IMPULSADAS POR LA DMEYAP

Se han impulsado desde la DCMEYAP nueve (9) procesos de compra que representan un presupuesto total aproximado de Pesos dos mil ochocientos seis millones ciento quince mil cuatrocientos ochenta y seis (\$2.806.115.486).

En el siguiente cuadro se pueden visualizar las diferentes compras ordenadas de mayor a menor de acuerdo a su presupuesto.



ADQUISICIÓN DE BROMURO DE PIRIDOSTIGMINA

- Tipo Procedimiento: Compra Directa por exclusividad
- Número de proceso COMPR.AR: 80-0030-CDI21
- Objeto: 2.311.910 unidades de bromuro de Piridostigmina Comprimidos por 400 mg
- Estado actual: Adjudicada y en proceso de ampliación
- Presupuesto: \$ 34.909.690,00

ADQUISICIÓN DE FACTOR VIII

- Tipo Procedimiento: Licitación Pública. Compra Conjunta
- Número de proceso COMPR.AR: 80-0034-LPU21
- Objeto: factor VIII Plasmático y Recombinante
- Estado actual: Adjudicada y en proceso de ejecución de órdenes de compra
- Presupuesto: \$ 1.239.965.344

ADQUISICIÓN NUSINERSEN

- Tipo Procedimiento: compra directa por exclusividad
- Número de proceso COMPR.AR.: 80-0084-CDI21
- Objeto: 196 frascos ampollas del medicamento Nusinersen con Servicio de Logística Incluido
- Estado actual: Adjudicada
- Presupuesto: USD 9.130.660 correspondiente a \$951.140.852 (dólar BCRA 18/01)

ADQUISICIÓN DE SUPLEMENTOS VITAMÍNICOS

- **Tipo Procedimiento:** Licitación Pública
- **Número de proceso COMPR.AR:** 80-0042-LPU21
- **Objeto:**
 - 1) 525.600,00 unidades de Vitaminas, suplemento vitamínico A, D, E, K, Zinc en (comprimidos por 60)
 - 2) 131.400,00 unidades de Vitaminas, suplemento vitamínico A, D, E, K, Zinc polvo. (Sobre de 4g).
- **Estado actual:** Adjudicada
- **Presupuesto:** \$31.490.010,00

ETAMBUTOL

- **Tipo Procedimiento:** Compra Directa por exclusividad
- **Número de proceso COMPR.AR:** 80-0045-CDI21
- **Objeto:** 13.650,00 comprimidos de etambutol por 400 mg
- **Estado actual:** Adjudicada y en proceso de ampliación
- **Presupuesto:** \$ 805.350

IVACAFTOR 150 + TEZACAFTOR 100

- **Tipo Procedimiento:** Compra Directa por exclusividad
- **Número de proceso COMPR.AR:** 80-0052-CDI21
- **Etapas en la que se encuentra:** Adjudicada
- **Objeto:** 50.400,00 unidades de inmunomoduladores; droga genérica: ivacaftor 150 + tezacaftor 100 mg, en comprimidos, presentación: envase x 60 unidades
- **Estado actual:** Adjudicado
- **Presupuesto:** \$ 178.374.168,00

BOTIQUÍN DE MEDICAMENTOS PARA FIBROSIS QUÍSTICA

- **Tipo Procedimiento:** Licitación pública
- **Número de proceso COMPR.AR:** 80-0072-LPU21
- **Objeto:** Medicamentos varios para brindar tratamiento a los pacientes con Fibrosis Quística
- **Estado actual:** Autorizada la convocatoria a la licitación pública
- **Presupuesto:** \$215.302.213,24