

JUDICIALIZACIÓN DEL ACCESO A PRESTACIONES MÉDICAS: EL CASO DEL NUSINERSEN (SPINRAZA) EN LAS CORTES CHILENAS

JUDICIALIZATION OF HEALTHCARE ACCESS: THE CASE OF NUSINERSEN (SPINRAZA) IN THE CHILEAN COURTS

Jaime Martínez Roa¹, Sebastián Martínez Roa²

¹Facultad de Medicina, Universidad Católica de la Santísima Concepción.
<https://orcid.org/0009-0006-5187-1481>

²Abogado, Licenciado en la Universidad de Chile.

Correspondencia:
jaime.martinez@ucsc.cl

RESUMEN

Introducción: La atrofia muscular espinal es una enfermedad neurodegenerativa que afecta las neuronas motoras del asta anterior de la médula espinal. En 2016 se aprueba en EE. UU. la primera droga modificadora de la enfermedad denominada Nusinersen, expandida bajo el nombre de Spinraza. El acceso a este medicamento no se encuentra dentro de las prestaciones otorgadas por los sistemas público ni privado de salud de Chile y su elevado costo hace imposible su adquisición por parte de las familias de quienes padecen esta enfermedad por lo que se interponen acciones de protección ante las Cortes para lograr su obtención. Este artículo pretende determinar si la judicialización como medio para la obtención del fármaco Spinraza ha sido eficiente para dicho fin.

Materiales y Métodos: Se realizó una búsqueda online de los términos Spinraza y Nusinersen dentro de la base de datos vLex y también en el compendio de salud de las Cortes de Apelaciones y Suprema alojados en la Base De Datos Jurisprudencial del Poder Judicial.

Resultados: Se analizan 41 causas correspondientes a 44 pacientes. El tiempo transcurrido entre la fecha de indicación del fármaco y la fecha de fallo definitivo de la Corte fue en promedio de 313 días, siendo además administrado con frecuencia en estadios clínicos en que no existe un beneficio demostrado

Discusión: A pesar de que la mayoría de las acciones de protección terminan siendo acogidas, el proceso de judicializar el acceso a este fármaco es poco eficiente.

Palabras clave: atrofia muscular espinal; Nusinersen; Spinraza; acceso prestaciones médicas

ABSTRACT

Introduction: Spinal muscular atrophy is a neurodegenerative disease that affects the motor neurons of the anterior horn of the spinal cord. In 2016, the first disease-modifying drug for this condition, Nusinersen, was approved in the United States and is marketed under the name Spinraza. Access to this medication is not included in the benefits provided by either the public or private healthcare systems in Chile. Its extremely high cost makes it unaffordable for the families of those affected by the disease, leading them to file constitutional protection actions in court to obtain it.

Materials and Methods: An online search was conducted using the terms Spinraza and Nusinersen within the vLex legal database, as well as in the health case compilations from the Courts of Appeals and the Supreme Court, hosted in the Jurisprudential Database of the Chilean Judiciary.

Results: A total of 41 legal cases corresponding to 44 patients were analyzed. The average time between the date of the drug's medical indication and the court's final ruling was 313 days. In many instances, the drug was administered at clinical stages where no proven benefit exists

Discussion: The process of judicializing access to this medication is inefficient, despite the fact that most protection actions are eventually granted.

Keywords: muscular atrophy, spinal; Nusinersen; Spinraza; healthcare access

Recibido: 04-12-2024
Aceptado: 27-05-2025
Publicado: octubre 2025

DOI: 10.5354/0719-5281.2025.76845

INTRODUCCIÓN

La atrofia muscular espinal (AME), es una enfermedad neurodegenerativa que afecta las neuronas motoras del asta anterior de la médula espinal y se caracteriza por la pérdida de éstas debido al déficit de la proteína denominada “supervivencia de la neurona motora” (SMN), lo que produce una debilidad muscular progresiva, siendo la primera causa genética de mortalidad infantil¹.

La AME tiene una incidencia mundial descrita de aproximadamente 1/10.000 nacimientos². En Chile no se dispone de datos oficiales de prevalencia, pero según cifras de la Corporación “Familias Atrofia Muscular Espinal Chile” (FAME) existen actualmente más de 300 pacientes padeciendo alguna de las formas de AME, mientras que a la fecha las Cortes del país han fallado sobre cerca de una centena de recursos de protección sobre este tema³.

La AME se clasifica en cuatro categorías enumeradas desde el número 1 hasta el 4, según los siguientes criterios: edad de inicio, la adquisición de hitos motores y la progresión de la enfermedad. La AME tipo 1, la más severa, corresponde al aproximadamente 60% de los casos y si bien, quienes la padecen no presentan síntomas al nacer, antes de alcanzar los 6 meses de vida desarrollan hipotonía, debilidad, problemas en la alimentación e insuficiencia respiratoria. La letalidad en este tipo de AME es alta, pero con intervenciones médicas, como el uso de gastrostomía para alimentación y asistencia respiratoria, la supervivencia se puede extender. La edad promedio en que los infantes fallecen o comienzan a depender de soporte respiratorio permanente oscila entre los 9 a 13 meses⁴. En tanto, la AME tipo 2 se manifiesta entre los 7 a 18 meses de vida y este grupo logra la sedestación, pero nunca la bipedestación ni la marcha y el fallecimiento sucede después de los 2 años de vida. La AME tipo 3 aparece después de los 18 meses de vida y quienes la padecen sí pueden alcanzar la marcha autónoma, falleciendo en edad adulta. La AME tipo 4 es la forma más leve y menos frecuente; inicia sus síntomas en la segunda o tercera década de vida.

El 23 de diciembre del 2016 la *Food and Drug Administration* (FDA) de Estados Unidos de América, aprobó el primer medicamento de los llamados tratamientos modificadores de la enfermedad. Esta droga se denomina Nusinersen, se expende bajo el nombre de Spinraza, es comercializada por el laboratorio Biogen de Cambridge, Massachusetts y fue desarrollada por Ionis Pharmaceuticals de Carlsbad, California⁵. La FDA aprobó su uso tras un análisis interino del estudio “ENDEAR” en el que un 41% de los pacientes tratados con Spinraza lograron una mejoría en los hitos motores definidos utilizando el examen neurológico infantil de Hammersmith como: agarre voluntario, patadas, control de la cabeza, rodar, sentarse, gatear, ponerse de pie y caminar; mientras que ninguno de los pacientes del grupo control los logró⁶. El Spinraza se administra por vía intratecal y su mecanismo de acción es promover la producción de SMN por parte del organismo⁷.

Sin embargo, el acceso a la primera droga que es capaz de modificar el curso de la AME, se ha visto muy limitado dado

su elevado costo, el que en Chile asciende aproximadamente a 100.000 dólares por cada dosis. Cabe considerar que se requieren 6 dosis el primer año y 3 dosis anuales posterior a eso como tratamiento de mantenimiento de por vida⁸.

En Chile, el Régimen General de Garantías en Salud, establecido por la ley N° 19.966, regula las Garantías Explícitas en Salud (GES), que aseguran condiciones de acceso, calidad, protección financiera y oportunidad en la atención de un conjunto de enfermedades o condiciones priorizadas. El Fondo Nacional de Salud (FONASA) y las Instituciones de Salud Previsional (ISAPRES) deben garantizar estas prestaciones a sus beneficiarios. Las GES son derechos para los beneficiarios y pueden ser exigidas ante las instituciones correspondientes, como FONASA, ISAPRES, o la Superintendencia de Salud. Además, la protección financiera asegura un financiamiento del 100% para las enfermedades o condiciones cubiertas por el régimen.

El sistema de garantías de salud en Chile no cubre ciertas enfermedades graves y de baja frecuencia, lo que generó un movimiento ciudadano que reclamaba cobertura para estas patologías. Este movimiento, encabezado por el periodista Luis Ricarte Soto, culminó en la “marcha de los enfermos” en 2013, evento que tuvo un gran impacto social. En respuesta a este movimiento ciudadano en 2015 se promulgó la ley N° 20.850 (Ley Ricarte Soto), que creó un sistema de protección financiera para enfermedades de alto costo. En 2017, el tratamiento Spinraza fue evaluado para ser incluido en este sistema, pero no pasó la evaluación inicialmente, porque en ese momento aún no tenía registro sanitario del Instituto de Salud Pública de Chile (ISP) y porque su cobertura excedería el presupuesto total anual del fondo. Así, hasta la fecha, el tratamiento de la AME no ha sido incorporado en el GES ni en la ley 20.850.

De esta forma, en Chile la administración de tratamientos modificadores de esta enfermedad no está incorporada dentro de las prestaciones otorgadas ni por el sistema público ni privado de salud y al igual que en otros países de la región, no existe un mecanismo estatal para financiar el acceso al medicamento, esto a pesar de que fue aprobado para su uso en Chile por parte del ISP en enero de 2018⁹.

Lo anterior ha motivado que desde el año 2017, las familias de quienes padecen AME interpongan acciones de protección, para obtener una decisión jurisdiccional que obligue a FONASA y servicios de salud a financiar y proveer el acceso a la Spinraza, constatándose una dispersión jurisprudencial especialmente en la primera instancia.

La judicialización del acceso a las prestaciones médicas es un fenómeno social que se ha observado a nivel mundial y con especial intensidad en ciertos países de Latinoamérica. Sus orígenes se remontan a principios de la década del 90', en el contexto de la lucha por acceder a fármacos antirretrovirales para el tratamiento del VIH/SIDA. La judicialización del acceso a prestaciones médicas se extiende a “aquellas situaciones en que el Poder Judicial toma parte de las decisiones que en materia de salud normalmente competen a otros poderes o instancias del Estado, específicamente a instituciones del sector salud”¹⁰. A partir de esto, podemos concebirlo como el resultado del

desplazamiento de las decisiones que le atañen al Estado administrador hacia órganos jurisdiccionales. A su vez, el uso de acciones legales para obtener tratamientos médicos y productos farmacéuticos es un tema importante y controvertido en la literatura de los derechos económicos, sociales y culturales¹¹

La Constitución Política de la República de Chile (CPR), en su artículo 20, contempla la acción de tutela de derechos fundamentales mediante la cual, quien, producto de actos u omisiones arbitrarios o ilegales, sufra privación, perturbación o amenaza en el legítimo ejercicio de los derechos, podrá ocurrir por sí o por cualquiera a su nombre, a la Corte de Apelaciones respectiva, la que adoptará de inmediato las providencias que juzgue necesarias para restablecer el imperio del derecho y asegurar la debida protección del afectado.

Los recurrentes han invocado esencialmente el artículo 19 de la CPR, que, en su inciso primero, indica: “La Constitución asegura a todas las personas: El derecho a la vida y a la integridad física y psíquica de la persona”, mientras que en su inciso N°9 señala: “El Estado protege el libre e igualitario acceso a las acciones de promoción, protección y recuperación de la salud y de rehabilitación del individuo. Le corresponderá, asimismo, la coordinación y control de las acciones relacionadas con la salud. Es deber preferente del Estado garantizar la ejecución de las acciones de salud, sea que se presten a través de instituciones públicas o privadas, en la forma y condiciones que determine la ley, la que podrá establecer cotizaciones obligatorias. Cada persona tendrá el derecho a elegir el sistema de salud al que desee acogerse, sea éste estatal o privado”¹².

El objetivo del presente trabajo es determinar en Chile si la judicialización de la solicitud del medicamento de alto costo “Spinraza” ha permitido un acceso oportuno y clínicamente beneficioso para los pacientes, a partir de la mejor evidencia científica disponible.

MATERIAL Y MÉTODOS

Para conocer el comportamiento de las Cortes chilenas se realizó una búsqueda online de los términos Spinraza y Nusinersen dentro de la base de datos vLex y también en el compendio de salud de las Cortes de Apelaciones y Suprema alojados en la Base de Datos Jurisprudencial del Poder Judicial, analizándose las causas disponibles falladas entre los años 2017 y 2022. Se buscan dirigidamente aspectos como el tiempo entre la indicación del fármaco y la sentencia, estado clínico del paciente afectado, argumentos utilizados por recurridos y recurrentes en las diferentes Cortes y, cuando se encontraba disponible, el estado de cumplimiento de la sentencia.

RESULTADOS

Para determinar la oportunidad que ha otorgado la judicialización del acceso al Spinraza es necesario primero explicar la vía administrativa que antecede a la presentación de la acción de protección, la que en todas las causas judiciales revisadas es muy similar. Tras el diagnóstico, los familiares obtienen una receta médica que refiere que al paciente debe administrársele

Spinraza. Esta indicación médica puede provenir de especialistas que ejercen tanto en el sistema público como en el sistema privado de salud. Tras esto, los familiares realizan lo que se denomina una “solicitud ciudadana” ya sea directamente al hospital o al Servicio de Salud respectivo del cual dicho hospital depende administrativamente.

Esta solicitud, en todos los casos revisados, obtuvo una respuesta negativa, arguyendo que dicho fármaco no se encontraba dentro de su servicio de farmacia y que no existían recursos extraordinarios para su adquisición. Posterior o paralelamente los familiares realizan una solicitud directamente al FONASA.

Las respuestas del FONASA son estándares para cada solicitud y consisten en lo siguiente:

1. “A quien le corresponde la adquisición de los medicamentos de sus pacientes indicados por sus médicos es al hospital con sus recursos propios, sobre todo si es esencial para el tratamiento del paciente y que FONASA no dispone de recursos financieros adicionales para dar cobertura a fármacos que no se encuentren definidos en los programas ministeriales”¹³.
2. Mientras que ante otras solicitudes la respuesta de FONASA ha sido “su solicitud debe realizarla en el Ministerio de Salud, a través de una solicitud ciudadana o directamente en la oficina de informaciones, reclamos y sugerencias (OIRS), dado que FONASA no tiene la autoridad para comprar este tipo de medicamentos, puede mencionarle a la Asistente Social del Hospital si puede solicitar un auxilio extraordinario al MINSAL.”¹⁴.
3. Otras respuestas de parte de las entidades aludidas han sido “el fármaco Spinraza no estaba previsto en el formulario nacional de medicamentos, no formaba parte de su arsenal y que tampoco se consideraba su incorporación al sistema de Garantías Explícitas de Salud o a la Ley N°20.850”¹⁵.

Una vez que las familias obtienen la negativa ante la solicitud de financiamiento es que recurren a las Cortes de Apelaciones presentando acciones de protección en contra, ya sea del Hospital que negó el medicamento, del Servicio de Salud al cual pertenece dicho centro hospitalario y en contra de FONASA. Al igual que la vía administrativa inicial, los argumentos judiciales para entablar esta acción de tutela son esencialmente los mismos en las diferentes causas examinadas.

En relación con los fundamentos médicos que utilizan los recurrentes, el principal consiste en que este fármaco es el único aprobado para tratar la AME, entregando la posibilidad de detener la progresión natural de la enfermedad y también recuperar función motora, el que se encuentra aprobado por FDA e ISP¹⁶. Esto implica que Spinraza detiene y revierte el deterioro muscular y que su iniciación temprana puede mejorar los resultados de la función motora en lactantes y niños con atrofia muscular espinal, dando a los pacientes la posibilidad de detener la progresión natural de la enfermedad¹⁷. Se indica que posee demostrada efectividad y es recomendado por especialistas en la materia¹⁸. También se refiere que dicho tratamiento es “esencial para su vida, ya que de lo contrario

existe riesgo de muerte por infecciones respiratorias o paro cardiorrespiratorio¹⁹.

En otros casos, la acción se fundamenta también en la jurisprudencia, citando casos previos donde la Corte Suprema ordenó a la Administración financiar el tratamiento con Spinraza, indicando que al no acoger el recurso presentado se violenta la igualdad ante la ley²⁰.

Por su parte el recurrido, ya sea FONASA, el Servicio de Salud u hospital donde se trate el paciente, en su defensa argumenta que citar el artículo 19 N°1 de la Constitución, no procede ya que sólo aplica cuando el recurrido realice actos positivos contra la vida del afectado. Es citado también el artículo 67²¹ de la Carta Magna que se refiere al proceso de elaboración y aprobación del presupuesto de la nación que indica que el Congreso no podrá aprobar ningún nuevo gasto con cargo a los fondos de la nación sin que se indiquen, al mismo tiempo, las fuentes de recursos necesarios para atender dicho gasto y establece que ningún gasto público puede realizarse sin que exista una ley que lo autorice, y que el presupuesto de la nación debe ser equilibrado, lo que significa que los gastos no pueden ser mayores que los ingresos. Finalmente se menciona el principio de legalidad, cuya fuente directa se encuentra en los artículos 6° y 7° de la CPR²² que indican que “los órganos del Estado deben someter su acción a la Constitución y a las normas dictadas conforme a ella, y garantizar el orden institucional de la República” y que “Ninguna magistratura, ninguna persona ni grupo de personas pueden atribuirse, ni aun a pretexto de circunstancias extraordinarias, otra autoridad o derechos que los que expresamente se les hayan conferido en virtud de la Constitución o las leyes”, respectivamente.

Además, FONASA y los servicios de salud argumentan en general que “el medicamento que fue solicitado en la presente acción de protección, denominado Nusinersen, no se encuentra incluido dentro del Régimen General de Prestaciones de Salud para el tratamiento de la enfermedad Atrofia Muscular Espinal. Tampoco, tendría cobertura financiera en el Sistema de Garantías Explicitas de Salud regulado por la Ley N° 19.966. Finalmente, tampoco se encuentra financiamiento bajo el Sistema de Protección Financiera para Diagnósticos y Tratamientos de Alto Costo que crea la Ley N° 20.850¹⁴.

En este estudio, tras revisar las bases de datos ya mencionadas, se pesquisaron 41 causas correspondientes a 44 pacientes (hubo tres casos de hermanos que se tramitaron en forma conjunta), siendo estas falladas entre los años 2017 y 2022.

En cuanto a la perspectiva clínica, los argumentos presentados por los recurridos pueden resumirse en: a) Spinraza sólo ha demostrado efectividad en niños presintomáticos²⁰; b) que no existen estudios que avalen su eficacia en pacientes con ventilación mecánica por más de 6 horas; y c) la escasa evidencia científica disponible excluye al recurrente de la población óptima para recibir este tratamiento²³. Además, se mencionan los dos estudios controlados disponibles en el momento del fallo judicial revisado sobre la eficiencia terapéutica de Spinraza. El primero, “ENDEAR”, se realizó en niños menores de 6 meses, y señala que el medicamento es efectivo si se administra en

forma temprana, mostrando mejoras en la función motora y aumentando la probabilidad de supervivencia. El segundo estudio, “CHERISH”, concluye que la mejoría más grande en niños mayores de 6 meses se observa en aquellos más jóvenes y que comenzaron el tratamiento poco después de la aparición de los primeros síntomas²¹.

De los 41 recursos de protección presentados, 39 de ellos se resolvieron por la Corte Suprema, siendo acogidos 32 de ellos, que consideraban a 35 pacientes, mientras que dos fueron acogidos en el tribunal de primera instancia no apelándose a dicha decisión. Así, de las 41 acciones de protección analizadas 34 (82.93%) fueron acogidas obligando los tribunales al Estado a financiar la adquisición del medicamento.

Examinando las 41 causas incluidas en este estudio resulta interesante mencionar que, en 30 de ellas, la receta médica indicando este medicamento fue emitida por médicos especialistas en neurología infantil desde sus consultas particulares o desde clínicas del sistema privado de salud, y en una minoría, 11 casos, el fármaco fue indicado por profesionales que ejercen sus labores en el sistema público de salud.

El comportamiento de las Cortes en relación con acoger o rechazar estas acciones de protección se resume de la siguiente forma:

- De las 39 acciones de protección que fueron conocidos por ambas Cortes, en 20 de ellos la Corte de Apelaciones acogió y la Corte Suprema ratificó dicho fallo
- En 13 de ellas la Corte de primera instancia rechazó la acción, siendo esta resolución revocada por la Corte Suprema, con ocasión del conocimiento de su apelación.
- Por otra parte, en 3 casos la Corte de Apelaciones acogió inicialmente la acción de protección, siendo posteriormente este fallo revocado en segunda instancia
- Finalmente, en 3 casos la Corte de Apelaciones rechazó la acción de protección, siendo este fallo ratificado en la Corte Suprema.

De los casos a los que se tuvo acceso, la distribución según grado la severidad de la patología es la siguiente:

- 15 casos corresponden a AME tipo 1, con un caso de hermanos tramitado en una misma causa.
- 19 pacientes presentan AME tipo 2, también con un caso de hermano tramitados en la misma causa.
- 10 de ellos presentan AME tipo 3 (un caso de hermanos en que uno es tipo 2 y el otro tipo 3 se tramitó en una causa única).

El promedio de edad de los pacientes al momento de ser suelta la causa fue de 7,2 años con edades que fluctúan entre 11 meses a 21 años de vida.

Es relevante mencionar que los fallos de las Cortes se relacionaron con el nivel de severidad de la AME distribuyéndose de la siguiente forma:

- Todas las acciones de protección en que los pacientes su-

frían AME tipo 1 fueron acogidas, cabe mencionar que de los 15 pacientes (tratados en 14 causas) 13 ya se encontraban en ventilación mecánica invasiva al momento del fallo.

- b. De las 19 acciones de protección presentadas por pacientes portadores de AME tipo 2, dos fueron acogidas en la Corte de Apelaciones sin que dicha resolución se apelara ante la Corte Suprema, mientras que de los 17 recursos de protección que conoció la Corte Suprema 13 fueron acogidos y 4 rechazados.
- c. Por último, de las 10 acciones de protección presentadas en favor de portadores de AME tipo 3 el comportamiento de las Cortes fue el siguiente: 3 casos fueron acogidos en ambas instancias, 4 fueron rechazadas por la Corte de Apelaciones, pero acogidas en el Tribunal Supremo, 2 fueron rechazadas en Apelaciones, pero se revocó dicho fallo en la Corte Suprema y en un caso la corte de primera instancia acogió la acción de protección siendo ésta posteriormente rechazada en segunda instancia.

En síntesis, es posible concluir que el 100% de las acciones de protección presentadas en favor de pacientes portadores de AME tipo 1 fueron acogidas, mientras que el 78.9% fue acogido cuando el representado padecía de AME tipo 2 y, por último, este porcentaje disminuye al 70% cuando la enfermedad era del tipo 3.

También debe destacarse que, de los 44 pacientes, 16 de ellos ya se encontraban en ventilación mecánica invasiva al momento del fallo de la Corte Suprema teniendo un promedio de 1468 días en dicha condición (rango de 251 a 2385 días) en dicha condición. Por otra parte, 11 de los pacientes se encontraban asistidos por ventilador mecánico no invasivo de presión positiva binivelada.

Para determinar la eficiencia en que este proceso, se revisó el tiempo transcurrido entre la fecha de indicación del fármaco y la fecha de fallo definitivo de la Corte de Apelaciones o de la Corte Suprema, según corresponda. Así, en 36 casos el promedio en días para los casos que fueron conocidos por el máximo tribunal fue de 313 días (en 3 casos no figuraba fecha exacta de indicación del fármaco dentro del expediente digital de la causa), con lapsos entre 132 hasta 469 días.

En los dos casos en que no fue apelada la sentencia de la Corte de primera instancia el tiempo entre indicación de fármaco y fallo de la corte fue de 78 y 72 días, respectivamente.

Cabe mencionar que el hecho de que las Cortes resuelvan el caso e indiquen a los recurridos que deben adquirir y administrar el fármaco, no implica necesariamente inmediatez en la ejecución de la sentencia. Si bien, en la mayoría de las causas no se encontró información sobre el cumplimiento del fallo, en las que sí se detallaba este hecho, se aprecia lo siguiente: en una de las primeras causas falladas sobre este asunto, la respuesta de parte de los médicos pertenecientes al servicio de salud que debían administrar el fármaco al paciente fue: “considerando la fuerte desproporción entre riesgos ciertos y ausencia de beneficios esperables que modifiquen tanto su sobrevivencia como la calidad de vida, no es planteable para nuestro equipo

la prescripción ni la ejecución de procedimientos invasivos”, lo que se tradujo en que el recurrido terminó contratando los servicios de una institución de salud privada donde finalmente se administró el fármaco al paciente²⁴.

En otra causa, la sentencia se cumplió casi a los 90 días que siguieron al fallo de la Corte Suprema, sin que se indicasen motivos para esto²⁰. En una tercera causa, luego de dos meses tras la sentencia, se indicó que la ejecución de la misma se encontraba “en proceso” sin otorgar mayores detalles²⁵. En otro caso, tras 4 meses y 11 días, aún no se había cumplido la sentencia. Finalmente, en un quinto caso, el recurrido indicó al tribunal “no contar con presupuesto disponible por el monto requerido, [por lo que] no es posible concretar la solicitud de compra”²⁶.

DISCUSIÓN

La judicialización del acceso a las prestaciones médicas es un fenómeno social que surge de la falta de acceso a tratamientos médicos o farmacológicos tanto en el subsistema de salud público como en el privado, lo que ha llevado a la ciudadanía a utilizar instrumentos legales en caso de violación percibida de su derecho a la salud. Es el reconocimiento del derecho a la protección de la salud y la existencia de mecanismos de protección judicial de estos derechos lo que explica este fenómeno en Chile y en otros países de la región.

Queda meridianamente claro que el proceso de judicializar no ha permitido un acceso oportuno a este fármaco en los casos analizados. El tiempo entre la indicación médica del fármaco y el fallo de la Corte toma en promedio cerca de un año, lo que en este contexto puede determinar el pronóstico de los pacientes, ya que la evidencia disponible es enfática en la importancia de un inicio precoz del tratamiento, incluso en fase presintomática.

El promedio de edad de los pacientes al momento resolverse la causa fue de 7,2 años con edades que fluctúan entre 11 meses a 21 años de vida. Respecto a esto podemos mencionar el estudio “ENDEAR” (2017), clave para la aprobación de Spinraza por la FDA, incluyó sólo pacientes con AME tipo 1 menores de 6 meses. La edad promedio para la primera dosis fue de 163 días de vida y excluyó a pacientes con insuficiencia respiratoria al momento de ser reclutados. En sus conclusiones este estudio señala que el inicio precoz es fundamental para maximizar el beneficio de este medicamento²⁷.

El siguiente estudio relevante es el “CHERISH” (2018) incluyó a 126 niños con AME de aparición posterior a los 6 meses, enfocado en pacientes con AME tipo 2. Mostró mejoría en un 57% de los tratados con Nusinersen en comparación con el 26 % en el grupo de control. tuvieron una mejoría en su función motora. Los participantes, de entre 2 y 12 años, tenían la capacidad de sentarse solos, pero no de caminar independientemente. Se excluyeron pacientes con insuficiencia respiratoria, usuarios de Bipap y portadores de gastrostomía²⁸.

En 2021 se publica el estudio “EMBRACE”, que incluyó a 21 niños con AME de inicio antes de los 6 meses y otro grupo de inicio entre los 6 y 18 meses de vida, no elegibles para los

estudios anteriores. Este estudio también describe un mayor porcentaje de pacientes alcanzando hitos motores tras recibir Nusinersen. Se excluyeron pacientes con síntomas de AME presentes al nacer o en la primera semana de vida, como así mismo a pacientes con traqueostomía o en ventilación mecánica ≥ 16 horas diaria²⁹.

El cuarto estudio relevante es el "NURTURE" que se publica en 2019 antes de que se fallaran 32 de las 41 causas analizadas en este estudio. Este incluyó 25 niños con diagnóstico genético de AME, pero sin presentar aún síntomas, iniciando la administración de Nusinersen en este estadio. Al último control de seguimiento los pacientes tenían 34,8 meses de vida (rango de 25,7 a 45,4 meses), habiendo superado todos la edad de aparición de síntomas de AME tipo 1 y tipo 2. Ninguno había fallecido y ninguno se encontraba en ventilación mecánica permanente ni había requerido traqueostomía. Los 25 participantes lograron sentarse sin apoyo, 23 lograron caminar con ayuda y 22 lograron caminar de forma independiente³⁰.

Al analizar la información precedente queda en evidencia que uno de los puntos críticos para que el medicamento sea efectivo es la precocidad en el inicio del tratamiento, encontrándose mejor evidencia antes de los 6 meses de edad, y mucho mejor aún antes del inicio de los síntomas. El proceso de judicialización va directamente en contra de esto, pues la edad en promedio en que los niños acceden al medicamento por esta vía es de 7,2 años y por otro lado el proceso toma en promedio más de 300 días.

Profundizando más en este aspecto, se puede mencionar que las Cortes tienden a acoger las acciones de protección mientras más grave sea el caso y peor la condición clínica del paciente, incluyendo en este estudio 16 pacientes que ya se hallaban en ventilación mecánica de forma prolongada (promedio 1.468 días en dicha condición con un rango de 251 a 2385 días) al momento del fallo. Esta decisión se fundamenta en considerar que la vida de los pacientes se encontraba en peligro inminente por lo que acoger la acción de protección evitaba la vulneración de este derecho fundamental. Sin embargo, desde el punto de vista clínico esta decisión es cuestionable. Respecto al beneficio de administrar el Nusinersen a este grupo de pacientes existe publicada una revisión del año 2022 que analiza los estudios científicos realizados en los últimos 5 años que incorporan a pacientes que ya se encontraban en ventilación mecánica no invasiva al momento de recibir Nusinersen. La revisión incluye en total 172 pacientes y los resultados son los siguientes: 122/172 (70,9%) de los pacientes mantuvieron idénticas necesidades de soporte ventilatorio tras el tratamiento; 13/172 (7,5%) de los pacientes presentaron una reducción en sus necesidades de soporte ventilatorio y un paciente de los 172 (0,6%) pudo ser retirado del ventilador mecánico no invasivo tras un seguimiento de 24 meses. Por lo que concluye que la evidencia sugiere que entre los niños con AME, que están en soporte respiratorio mecánico, en el momento del tratamiento basado en genes, solo unos pocos podrían ser retirados o verían reducidas sus necesidades de ventilación mecánica³¹.

En las sentencias, la Corte Suprema indica que "es preciso

dejar expresamente asentado que, aun cuando la imposición de medidas como la descrita precedentemente responde a una manifestación de las atribuciones propias de este tribunal, ella no alcanza ni define, de modo alguno, la implementación y diseño de políticas públicas, pues tal labor excede las facultades de esta Corte y corresponde, en propiedad, a una función de otros órganos del Estado, cuya singularización no cabe efectuar a este tribunal. Por el contrario, la Corte se limita, en el cumplimiento del mandato que le otorga el artículo 20 de la CPR, a disponer la adopción de aquellas providencias necesarias, a su juicio, para salvaguardar los derechos garantizados por la Carta Fundamental, mas no se halla en situación de definir, ni pretende hacerlo, cómo es que ello debe ser cumplido por las autoridades competentes, pues el bosquejo y delineación de las políticas públicas, así como la definición y el empleo del presupuesto correlativo, compete en exclusiva a estas últimas"²⁵. A pesar de esta declaración de intenciones, en la práctica, las decisiones del máximo tribunal terminan implementando una política pública poco eficiente, onerosa y que llega tardíamente a otorgar este fármaco.

En más del 80% de los casos acoge las acciones de protección, mandando a FONASA adquirir el fármaco tras un proceso que se inicia con una solicitud instrumental del medicamento a los servicios de salud y que culmina, en general con un fallo de la Corte Suprema, este hecho ha llevado a declarar a los abogados de los recurridos (FONASA y Servicios de Salud) que este mandato puede impedir que el Estado de Chile negocie mejores precios con el laboratorio Biogen, ya que al saber que las Cortes obligarán a su compra el laboratorio no necesita modificar su oferta. Menciona también que el fármaco es vendido a precios muy distintos entre países: en 2019 el fármaco se vendía a 125.000 dólares a Chile, mientras que a Brasil a 64.832 y Canadá a 91.674. Así, las decisiones de las Cortes pudieran estar indirectamente influyendo en el presupuesto y uso de recursos públicos del Ministerio de Salud²⁵.

El proceso de evaluación de tecnologías sanitarias (ETESA) tiene como objetivo contribuir a la toma de decisiones clínicas y en la implementación de políticas sanitarias incluyendo la planificación de gastos y recursos. Dentro de otros aspectos, se enfoca en la evaluación económica, valoración de la evidencia y del impacto presupuestario³². El Nusinersen se ha postulado en 4 ocasiones para ser incorporado a la Ley Ricarte Soto no superando la evaluación; de hecho, desde 2022 no se han incorporado nuevas patologías dado que se alcanzó el techo de sustentabilidad económica³³. Lo anterior ha redundado en que la determinación de que un paciente reciba este fármaco continúe siendo resuelta por la vía judicial, ante la cual el Estado de Chile ha respondido casi de forma sistemática financiando los tratamientos. Si el fármaco se otorgara siguiendo estrictamente las recomendaciones emanadas tras el proceso de ETESA esto permitiría una administración basada puramente en criterios técnicos objetivos y, ante interpelaciones al Poder Judicial, estos informes debiesen de ser el principal insumo para la toma de decisiones por parte de las Cortes.

Consideramos que la judicialización del acceso al Nusiner-

sen dista de ser una solución a este problema tan complejo. Al ser un medicamento extraordinariamente costoso debiera de asignarse siguiendo criterios clínicos, administrándolo a los pacientes en que según la mejor evidencia disponible es esperable que haya beneficio. En este sentido, el Ministerio de Sanidad español elaboró un protocolo para la administración de Nusinersen, en el que para la AME tipo I son criterios de exclusión la necesidad de ventilación invasiva permanente y las situaciones clínicas muy avanzadas que, a juicio clínico, no sean reversibles y en las que no se espera un beneficio con la administración del tratamiento³⁴.

Evitar interpelar a la justicia pudiera facilitar que el Estado negocie mejores precios con el laboratorio productor facilitando su adquisición. Implicaría ahorro de tiempo y recursos de los tribunales, evitaría perder valioso tiempo en que el avance de la enfermedad sella el pronóstico de los pacientes. Lo anterior, junto con la elaboración de estrictos protocolos médicos que aseguren que la administración del fármaco se base únicamente en criterios clínicos pudiera tender a una distribución más eficiente de recursos y evitaría tratamientos tardíos e infructuosos.

REFERENCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. Castiglioni C, Levicán J, Rodillo E, Garmendia MA, Díaz A, Pizarro L et al. Atrofia muscular espinal: Caracterización clínica, electrofisiológica y molecular de 26 pacientes. *Rev Med Chile*. [Internet]. 2011 Feb [citado 2024 jun 15]; 139(2): 197-204. Disponible en: http://www.scielo.cl/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0034-98872011000200009&lng=es. <http://dx.doi.org/10.4067/S0034-98872011000200009>.
2. Lunn MR, Wang CH. Spinal muscular atrophy. *Lancet*. 2008;371(9630):2120-2133. doi: 10.1016/S0140-6736(08)60921-6.
3. Corporación Familias Atrofia Muscular Espinal (Chile) [Internet]. c2024 [consultado en di 2025]. Disponible en: <https://famechile.cl/>.
4. Chiriboga CA. Nusinersen for the treatment of spinal muscular atrophy. *Expert Rev Neurother*. 2017 Oct;17(10):955-962. doi: 10.1080/14737175.2017.1364159.
5. U.S. Food and Drug Administration. FDA approves first drug for spinal muscular atrophy [Internet]. US: FDA; 2020 [consultado en nov 2024]. Disponible en: <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-oral-treatment-spinal-muscular-atrophy>
6. Finkel RS, Mercuri E, Darras BT, Connolly AM, Kuntz NL, Kirschner J, Chiriboga CA, Saito K, Servais L, Tizzano E, Topaloglu H, Tulinius M, Montes J, Glanzman AM, Bishop K, Zhong ZJ, Gheuens S, Bennett CF, Schneider E, Farwell W, De Vivo DC; ENDEAR Study Group. Nusinersen versus Sham Control in Infantile-Onset Spinal Muscular Atrophy. *N Engl J Med*. 2017 Nov 2;377(18):1723-1732. doi: 10.1056/NEJMoa1702752. PMID: 29091570.
7. España. Ministerio de Sanidad. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios. Spinraza [Internet]. España: la Agencia; c2024. [consultado en oct 2024] Disponible en: <https://cima.aemps.es/cima/publico/detalle.html?nregistro=1171188001>
8. Solicita a S.E. el Presidente de la República, al Ministerio de Hacienda y Salud crear mecanismo de financiamiento para el tratamiento de pacientes con atrofia muscular espinal. Cámara de Diputados de Chile. Proyecto de Resolución N° 117 [Internet]. 2022 [consultado en oct 2024] Disponible en: <https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmlId=7147&prmlTipo=ACUERDO>
9. Instituto de Salud Pública de Chile. [Internet]. Folleto de información al profesional. Spinraza solución inyectable 12 mg/5 ml [Internet]. Disponible en: https://www.ispch.cl/sites/default/files/spinraza_1.pdf.
10. Vidal J, Di Fabio JL. Judicialización y acceso a tecnologías sanitarias: oportunidades y riesgos. *Rev Panam Salud Publica*. 2017;41:e137. doi: 10.26633/RPSP.2017.137.
11. Lamprea E. The judicialization of health care: A Global South perspective. *Annu Rev Law Soc Sci*. 2017;13:18.1-18.19.
12. Constitución Política de la República de Chile. 1980
13. Corte Suprema, Santiago. Elvira Jazmín Fuentealba Castro por Ignacio León Alfaro Fuentealba/Hospital Las Higueras de Talcahuano y Otro. 2018 Nov 28; Rol: 22.960-2018 (causa 7-11).
14. Corte de Apelaciones de Santiago. Ramírez/Fondo Nacional de Salud. 2020 Jan 9; Rol: 77485-2019.
15. Corte de Apelaciones de San Miguel, Santiago. Esparza/Fondo Nacional de Salud. 2021 Apr 7; Rol: 10440-2020.
16. Corte de Apelaciones de San Miguel, Santiago. Flores/Fonasa. 2019 Jan 18; Rol: 7820-2018.
17. Corte de Apelaciones de Chillán. Ortiz/Fonasa. 2019 May 8; Rol: 257-2019.
18. Corte de Apelaciones de Santiago. Ramírez/Fondo Nacional de Salud. 2020 Jan 9; Rol: 77485-2019.
19. Corte de Apelaciones de Concepción. Daniela Díaz Hernández/Servicio de Salud de Concepción y otros. 2018 Jul 18; Rol: 3822-2018.
20. Corte de Apelaciones de Concepción. Sergio Crisosto Hidalgo y Ester Medel Pérez en favor de Catalina Crisosto Medel con Fonasa y otros. 2019 Feb 25; Rol: 10421-2018.
21. Corte de Apelaciones de Santiago. Ramírez/Fondo Nacional de Salud. 2020 Jan 9; Rol: 77485-2019.
22. Corte de Apelaciones de La Serena. Flores/Fonasa. 2019 Oct 28; Rol: 945-2019.

23. Corte de Apelaciones de Rancagua. Bozo/Ministerio de Salud. 2019 Apr 25; Rol: 511-2019.
24. Corte de Apelaciones de San Miguel. Briceño/Infante. 2018 Jan 10; Rol: 5846-2017.
25. Corte de Apelaciones de Santiago. Vargas/Secretaría Regional Ministerial de Salud de la Región Metropolitana. 2020 Feb 10; Rol: 85106-2019.
26. Corte de Apelaciones de San Miguel. Moya/Fonasa. 2019 Apr 26; Rol: 500-2019.
27. Finkel RS, et al. ENDEAR Study Group. Nusinersen versus sham control in infantile-onset spinal muscular atrophy. *N Engl J Med.* 2017;377(18):1723-1732. doi: 10.1056/NEJMoa1702752.
28. Mercuri E, et al. CHERISH Study Group. Nusinersen versus sham control in later-onset spinal muscular atrophy. *N Engl J Med.* 2018;378(7):625-635. doi: 10.1056/NEJMoa1710504.
29. Acsadi G, Crawford TO, Müller-Felber W, Shieh PB, Richardson R, Natarajan N, Castro D, Ramirez-Schrempp D, Gambino G, Sun P, Farwell W. Safety and efficacy of nusinersen in spinal muscular atrophy: The EMBRACE study. *Muscle Nerve.* 2021 May;63(5):668-677. doi: 10.1002/mus.27187.
30. De Vivo DC, Bertini E, Swoboda KJ, Hwu WL, Crawford TO, Finkel RS, Kirschner J, Kuntz NL, Parsons JA, Ryan MM, Butterfield RJ, Topaloglu H, Ben-Omran T, Sansone VA, Jong YJ, Shu F, Staropoli JF, Kerr D, Sandrock AW, Stebbins C, Petrillo M, Braley G, Johnson K, Foster R, Gheuens S, Bhan I, Reyna SP, Fradette S, Farwell W; NURTURE Study Group. Nusinersen initiated in infants during the presymptomatic stage of spinal muscular atrophy: Interim efficacy and safety results from the Phase 2 NURTURE study. *Neuromuscul Disord.* 2019 Nov;29(11):842-856. doi: 10.1016/j.nmd.2019.09.007
31. Panagiotou P, Kanaka-Gantenbein C, Kaditis AG. Changes in Ventilatory Support Requirements of Spinal Muscular Atrophy (SMA) Patients Post Gene-Based Therapies. *Children (Basel).* 2022 Aug 11;9(8):1207. doi: 10.3390/children9081207.
32. Manterola Carlos, Otzen Tamara, Castro Mayra, Grande Luis. Evaluación de Tecnologías Sanitarias (ETESA) una Visión Global del Concepto y de sus Alcances. *Int. J. Morphol.* [Internet]. 2018 Sep [citado 2025 Mayo 27]; 36(3): 1134-1142. Disponible en: http://www.scielo.cl/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0717-95022018000301134&lng=es. <http://dx.doi.org/10.4067/S0717-022018000301134>.
33. Cámara de Diputados de Chile. 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). [Internet]. 2024 [consultado en dic 2024]. Disponible en: https://www.camara.cl/verDoc.aspx?prmID=78500&prmTipo=INFORME_COMISION
34. España. Ministerio de Sanidad. Protocolo clínico de uso de Nusinersen y Risdiplam para la Atrofia Muscular Espinal (AME) en el Sistema Nacional de Salud. [Internet]. 2024 [consultado en dic 2024]. Disponible en: https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/infoMedicamentos/valtermed/docs/20240219_Protocol_AME.pdf