

2024

***MANUAL METODOLÓGICO PARA LA
CONFORMACIÓN DE JUNTAS MÉDICAS
EN EL MANEJO DE ENFERMEDADES
HUÉRFANAS
EPS Sanitas***

Equipo metodológico y grupo desarrollador

Andrea Castillo Niuman

*MD Especialista en Epidemiología Clínica
MSc Bioética
Directora Gestión del Conocimiento
Vicepresidencia de Riesgo
EPS Sanitas*

Alexander Barrera Barinas

*MD Especialista en Epidemiología Clínica
Dirección Gestión del Conocimiento
Vicepresidencia de Riesgo
EPS Sanitas*

Gerencia de Gestión del Riesgo Individual – EPS Sanitas

Liliana Patricia Blanco Rodríguez

*Subgerente de Alto Costo
Gerencia de Gestión del Riesgo Individual
Vicepresidencia de Riesgo
EPS Sanitas*

Dora Cilia Romero Acosta

*MD Especialista en Epidemiología Clínica
y Salud Pública
Líder de Enfermedades Huérfanas
Vicepresidencia de Riesgo
EPS Sanitas*

Comisión Global de Evaluación de Evidencia en salud Keralty

Nancy Yomayusa González

*Vicepresidencia
Instituto Global de Excelencia Clínica
Presidencia Global de Salud e Innovación
Keralty*

Lina Sofía Morón Duarte

*MD Especialista en Epidemiología
Instituto Global de Excelencia Clínica
Keralty*

Kelly Rocío Chacón Acevedo

*Directora Proyectos en Salud
Instituto Global de Excelencia Clínica
Keralty*

Expertos temáticos

Dr. Luis Carlos Quintero Malo

Asesor en Bioética EPS Sanitas

Declaración de conflictos de intereses

Todos los miembros que participaron en la elaboración del presente Manual metodológico realizaron la declaración de conflictos de intereses al inicio del proceso.

Cite este documento como:

Manual metodológico para la conformación de juntas médicas en el manejo de enfermedades huérfanas, Marzo 2024, EPS Sanitas.

Responsabilidad del tomador de decisiones

En el Grupo Empresarial Keralty y EPS Sanitas, las directrices, evaluaciones de tecnologías sanitarias, las síntesis de evidencia para políticas en salud, lineamientos y manuales metodológicos, son una herramienta y una guía para las decisiones estratégicas corporativas, la planeación de los recursos, decisiones de inversión o desinversión en tecnologías sanitarias u otras derivadas de análisis de impacto basados en valor.

Este documento pretende establecer una metodología rigurosa sistemática y transparente que permita al grupo de profesionales y expertos temáticos de las juntas médicas para el manejo de pacientes con enfermedades huérfanas dar recomendaciones y tomar decisiones informadas basadas en la evidencia y la experiencia clínica para el bienestar de las personas sus familias y cuidadores generando valor en salud.

Tabla de contenido

| | |
|--|----|
| 1. Introducción | 4 |
| 2. Definición | 4 |
| 3. Objetivo | 4 |
| 4. Marco normativo | 5 |
| 5. Conflicto de interés..... | 5 |
| 6. Conformación de la junta..... | 5 |
| 6.1. Funciones principales: | 6 |
| 7. Metodología de la junta | 7 |
| 7.1. El problema – Antecedentes (diagnóstico, nuevo medicamento, tratamiento)..... | 7 |
| 7.2. Planteamiento del problema..... | 7 |
| 7.3. Estudios científicos- Evidencia | 7 |
| 7.4. Beneficios (paciente)..... | 8 |
| 7.5. Daños potenciales (paciente)..... | 8 |
| 7.6. Costos o costo-efectividad con relación a (paciente, aseguramiento) | 8 |
| 7.7. Papel del paciente en el balance riesgo-beneficio..... | 8 |
| 8. Incertidumbre sobre los beneficios o daños potenciales o existe poca evidencia científica | 9 |
| 9. Normatividad que le aplica a cada caso | 10 |
| 10. Aspectos bioéticos en la toma de decisiones clínicas en enfermedades huérfanas | 11 |
| 11. Condiciones particulares de los medicamentos para enfermedades huérfanas que aumentan la incertidumbre para su uso:..... | 11 |
| 12. Elementos a considerar en la toma de decisiones frente al manejo de enfermedades huérfanas: | 12 |
| 13. Derechos de las personas con enfermedades huérfanas (8):..... | 12 |
| 14. Condiciones y criterios básicos o que justifiquen la convocatoria de un comité de bioética (9): | 13 |
| 15. ¿Qué es un comité de bioética?..... | 13 |
| 16. Conclusiones y curso de acción..... | 13 |
| 17. Operatividad de la junta medica..... | 15 |
| 18. Referencias: | 24 |
| CONTROL DE ACTUALIZACIONES: | 26 |

1. Introducción

Las enfermedades huérfanas son un problema prioritario y creciente en salud pública. Se estima que existen más de 7.000 enfermedades raras diferentes, las que en forma combinada afectan a 6-8% de la población, se puede considerar que afectan a más 400 millones de personas a nivel global (1)(2).

Alrededor del 80% de las enfermedades raras son de origen genético y con menos frecuencia son el resultado de enfermedades infecciosas, inmunológicas, degenerativas o proliferativas; y además un número muy minoritario de ellas, no más de 400, disponen de tratamiento. Esto determina que la gran mayoría sean enfermedades crónicas e incurables. Y a su vez una misma condición puede presentarse con manifestaciones clínicas muy diferentes entre una persona afectada y otra. Las enfermedades raras pueden afectar a los pacientes tanto en su capacidad física como en sus habilidades mentales, conducta y capacidad sensorial, pudiendo además coexistir diferentes discapacidades en un mismo individuo (1)(2).

La mayoría de enfermedades raras se diagnostican tardíamente y a veces de manera inespecífica, esto se asocia a mayores costos y perjudica aún más la calidad de vida de los pacientes y sus familias, quienes habitualmente deben consultar varias opiniones de especialistas antes de llegar a un diagnóstico preciso. Si bien no todas las patologías poco frecuentes son congénitas (manifestaciones desde el nacimiento), la mayoría de ellas (75-80%) son de origen genético y pueden ser heredadas, lo que sin duda aumenta su impacto e implica la necesidad de entregar asesoramiento genético al afectado y a su familia (1).

Estas patologías afectan varios sistemas y su manejo implica la participación de distintos especialistas. Sin embargo, esta atención integral y multidisciplinaria no siempre se realiza de manera coordinada. mediante reuniones o juntas médicas de especialistas que intervienen en el diagnóstico o tratamiento de dicha patología, este documento pretende estandarizar el desarrollo o la conformación de juntas médicas específicas para las enfermedades huérfanas, donde se permita de manera clara y organizada dar una solución a los diferentes escenarios clínicos que se presentan en estas patologías, teniendo un análisis individual de cada caso desde el punto de vista legal, ético, clínico y del paciente y su familia.

2. Definición

Una junta médica es una reunión de especialistas (expertos) de diferentes áreas médicas. Donde se interviene sobre el diagnóstico y el plan de tratamiento para un paciente. Se comenta sobre los resultados de las pruebas de un paciente y su diagnóstico definitivo. Esta junta elabora un plan de tratamiento, todos juntos revisan el caso (pruebas de imagen, análisis de sangre, resultados de biopsias, pruebas moleculares, etc.). Es posible que hablen sobre otras pruebas que deben realizarse o también sobre posibles tratamientos. Cada especialista comparte sus puntos de vista para que puedan encontrar el mejor plan para el beneficio del paciente (1).

El objetivo de la junta médica es definir un plan de manejo (diagnóstico, tratamiento o seguimiento) a través de la discusión multidisciplinaria, considerando la evidencia científica alrededor de la condición de interés, tecnologías de salud, alternativas de tratamiento, aspectos éticos, regulatorios, perspectiva de pacientes y profesionales de la salud.

3. Objetivo

Establecer la metodología de conformación de las juntas médicas para las enfermedades huérfanas, donde se discuta con base en la evidencia, y se garantice una evaluación integral de los casos priorizados basados en principios de efectividad, seguridad, bioética, costo efectividad el mejor manejo para el paciente y sus cuidadores de acuerdo a la individualización y análisis de cada caso y bajo los conceptos de riesgo versus beneficio, expectativas y experiencias de expertos y líderes temáticos.

4. Marco normativo

La Ley 1392 de 2010, modificada por la Ley 1438 de 2011, reconoce a las enfermedades huérfanas como un problema de especial interés en salud y adopta disposiciones tendientes a garantizar la protección social por parte del Estado colombiano a los pacientes, cuidadores y familias, dándole un enfoque integral a su abordaje.

Al tener tal carácter, el parágrafo 3° del artículo 15 de la Ley 1751 de 2015, estatutaria del derecho fundamental a la salud, aclaró que los criterios de exclusión para la financiación de servicios y tecnologías en salud no podrán afectar "el acceso a tratamientos a las personas que sufren enfermedades raras o huérfanas". Adicionalmente el Decreto 780 de 2016, Único Reglamentario del Sector Salud y Protección Social, en su artículo 2.8.4.4 estableció las fases para la recopilación y consolidación de información sobre los pacientes que sean diagnosticados con enfermedades huérfanas, de acuerdo con las fichas y procedimientos que para tal fin se definan.

Y en el marco de lo dispuesto en el artículo 16 del Decreto 4107 de 2011, desde el último trimestre del 2021 y hasta el primer trimestre de 2022, la Dirección de Epidemiología y Demografía del Ministerio realizó la revisión del listado de enfermedades huérfanas contenido en el anexo de la resolución, y generó los ajustes correspondientes a los códigos de la CIE-10, conforme a la última actualización disponible según la resolución 023 del 2023, por medio de la cual se actualizó el listado de enfermedades huérfanas – raras (3).

Por lo tanto, en la versión 4.0 del listado de enfermedades huérfanas y raras (denominada así por el Ministerio de Salud y Protección Social) se cuentan 2.247 patologías, añadiendo 49 enfermedades huérfanas a la lista que se manejaba hasta entonces (3).

Este listado tiene como fin:

- Usar el Registro Nacional de Personas con Enfermedades Huérfanas o de los registros de información que en su contenido relacionan enfermedades huérfanas.
- Generar y administrar los registros médicos con diagnósticos de morbilidad o mortalidad.
- Notificar los nuevos casos de enfermedades huérfanas al Sistema de Vigilancia en Salud Pública (SIVIGILA), o el sistema de información vigente.

El listado del total de las enfermedades incluidas de acuerdo a la última resolución, junto con las especialidades que se deben tener en cuenta para el diagnóstico se puede ver en el siguiente enlace:

- [Anexo protocolo enfermedades huerfanas raras 2023.xlsx](#)

5. Conflicto de interés

Los expertos que participen en la junta médica deben declarar que no existe ningún conflicto de interés que impida o invalide el desarrollo proceso (de índole financiero, intelectual, de filiación o familiar) esto se debe dejar explícito en un formato para tal fin.

En caso de que exista un conflicto de interés este debe declararse y analizarse por parte de la junta o el grupo metodológico de epidemiología si existe un potencial efecto sobre la decisión y tomar conductas al respecto, como retirar de la votación, del juicio, etc.

6. Conformación de la junta

La junta médica deberá programarse con anticipación y tener en cuenta la participación de especialidades médicas según sea el caso y los sistemas comprometidos:

Genética, medicina interna, hematología, neurología (pediátrica – adultos), pediatría, obstetricia, ortopedia, dermatología, gastroenterología, oftalmología, endocrinología, reumatología, patología,

inmunología, infectología, otorrinolaringología, cirugía vascular, cirugía pediátrica, nefrología, hepatología pediátrica, fisiatría, cardiología, oncología, neurocirugía, odontología, ginecología, especialista en farmacología y/o experto en medicamentos. Según sea necesario se deberá incluir la participación de experto en bioética clínica y / o derecho.

Adicionalmente se debe incluir al gestor o líder de la cohorte de enfermedades huérfanas, un profesional en psicología clínica y un grupo de epidemiólogos o epidemiólogo que tengan experiencia en revisiones de literatura.

6.1. *Funciones principales:*

Médico especialista tratante:

El médico especialista tratante deberá presentar el caso clínico del paciente con los datos de la enfermedad actual, los antecedentes pertinentes y la evolución, el diagnóstico si lo hay en el momento, el planteamiento de las posibilidades diagnósticas, el tratamiento recibido, las diferentes posibilidades terapéuticas (descripción del medicamento o tecnología nueva y su mecanismo de acción) así como la evolución y el impacto en la salud del paciente.

Médico especialista convocado:

El médico especialista convocado debe ser seleccionado con base en su conocimiento y experiencia, en la patología huérfana específica de tal manera que se garantice que su opinión será objetiva, imparcial y fundamentada en el conocimiento científico.

Experto en bioética clínica:

El bioeticista se encargará de supervisar los conflictos éticos que puedan surgir a partir de los diferentes escenarios clínicos de los pacientes con enfermedades huérfanas, y servir de guía para la reflexión crítica y la toma de las mejores decisiones. Este profesional en bioética debe mantener independencia funcional con los distintos estamentos institucionales, debe asegurarse un accionar independiente, autónomo e inmune a presiones de cualquier orden.

Abogado:

Solamente para los casos que sea absolutamente necesario, deberá brindar asesoría legal sobre las diferentes quejas o reclamaciones que pueden presentar los pacientes o familiares con enfermedades huérfanas, entre otras cosas, frente a la conducta en la atención médica, siendo aplicable la normatividad vigente, otros deberes que le sean impuestos a la compañía, y brindar soporte legal ante las decisiones que se tomen en la junta médica.

Líder de cohorte de enfermedades huérfanas:

La función principal del líder de cohorte o gestor de las enfermedades huérfanas es la de exponer la situación desde la prestación de servicios, la ruta en la que se movilizan los pacientes y las propuestas de cambio e implementación de las decisiones tomadas en la junta dentro de la cohorte de patologías huérfanas.

Psicología clínica

El profesional en psicología clínica debe realizar un diagnóstico clínico acerca de posibles trastornos mentales o afectación en la salud mental que pueda tener el paciente con enfermedad huérfana y brindar orientación, asesoramiento tanto al paciente como a la familia.

Expertos metodológicos

Este grupo debe estar conformado por epidemiólogos que tengan experiencia en revisiones de

literatura y síntesis de evidencia que realicen la búsqueda rápida de literatura que garantice el rigor metodológico y la adecuada síntesis para presentar la mejor evidencia encontrada que sea el insumo para las decisiones clínicas.

Químico farmacéutico

Realiza validaciones regulatorias del medicamento o grupo farmacéutico del medicamento que se esta evaluando en la junta, también realiza las validaciones del uso adecuado del medicamento, que sea consistente con la ficha técnica del medicamento.

Realizar informe de costos médicos del tratamiento (costo mes y costo total del tratamiento)

Puede colaborar en la definición de los objetivos y metas terapéuticas, las indicaciones de finalización del tratamiento. Junto con los expertos clínicos y metodológicos.

7. Metodología de la junta

La metodología aplicada para el desarrollo de la junta médica es adaptada de la metodología para la toma de decisiones o políticas en salud pública, del IETS (1), que a su vez está basado en la Red de Evidencia para la Salud (EVIPnet), esta es una red establecida por la Organización Mundial de la Salud para promover el uso sistemático de la evidencia científica en la formulación de políticas de salud con el fin de fortalecer los sistemas de salud y llevar los programas, servicios e intervenciones adecuados a quienes los necesitan, en esta metodología, se hace una descripción del problema planteado con toda la información posible (diagnóstico, tratamientos, etc.) Se hace una revisión de la evidencia existente, teniendo en cuenta todos los estudios disponibles y se exponen los posibles escenarios de solución. los pasos a seguir son los siguientes:

7.1. El problema – Antecedentes (diagnóstico, nuevo medicamento, tratamiento)

En este paso se debe reunir toda la información clínica del paciente sobre su diagnóstico, las pruebas realizadas, tratamientos recibidos etc. Se debe presentar cada caso clínico de manera organizada de acuerdo al curso natural de cada patología y en qué etapa se encuentra la misma, (diagnóstico o tratamiento), aportando toda la información hasta el momento de realización de la junta médica.

7.2. Planteamiento del problema

En este apartado se debe poner de manifiesto la situación clínica del paciente frente a su patología, bien sea frente a su diagnóstico o su tratamiento, acá se debe plantear los diversos escenarios de posible análisis del caso del paciente si corresponde a un problema clínico, legal, ético o una combinación de estos, con el fin de posteriormente dar una solución al paciente teniendo en cuenta los diversos escenarios.

7.3. Estudios científicos- Evidencia

La solidez de la evidencia sobre la eficacia y la seguridad de una intervención, derivada de su evaluación clínica, siempre está abierta a discusión. La robustez de la evidencia recolectada en la literatura mediante un método sistemático es más fuerte si procede de varios ensayos aleatorios comparativos de alta calidad metodológica que arrojan resultados consistentes, cuando los resultados de un metaanálisis de todos los ensayos de alta calidad, tanto publicados como no publicados, son inequívocos, o cuando se basa en una revisión sistemática de la literatura de buena calidad metodológica y con bajo riesgo de sesgo; por otro lado, la evidencia puede ser de menor fortaleza si los resultados proceden de ensayos no comparativos o estudios de casos y controles.

El cuerpo de evidencia se consolida de acuerdo a la metodología de una revisión rápida de literatura según el *Manual de Revisiones Sistemáticas Rápidas del Instituto Global de Excelencia*

Clínica- Keralty, 2023.

Esta evidencia se mostrará a la junta médica mediante tablas de resumen de evidencia, donde se dé cuenta de los estudios revisados y las conclusiones generadas, de acuerdo a la calidad de los estudios incluidos en la revisión.

7.4. Beneficios (paciente)

Cuando se considera un tratamiento, se espera que proporcione algún beneficio significativo para el paciente. Los criterios de valoración que evalúan beneficios significativos son criterios de valoración clínicos, perceptibles por el paciente afectado. Los ejemplos incluyen un riesgo reducido de muerte prematura o discapacidad, una duración más corta de la enfermedad o una disminución en la intensidad de los síntomas. El conocimiento de la historia natural de la enfermedad juega un papel importante a la hora de determinar qué criterios de valoración clínicos son relevantes. Para una enfermedad huérfana que en algunas ocasiones puede tener un desenlace fatal, los criterios de valoración más relevantes suelen ser la supervivencia y la calidad de vida. Sin embargo, los beneficios demostrados en ensayos clínicos que utilizan criterios de valoración clínicos sólidos no siempre son significativos para un paciente en particular. Esto depende si los principales objetivos del paciente son familiares, profesionales, económicos o sociales, más que médicos.

7.5. Daños potenciales (paciente)

La evaluación de los daños implica identificar los inconvenientes y acumular un conjunto de pruebas para determinar los posibles efectos adversos. La evaluación de los efectos adversos también tiene en cuenta situaciones particulares (edad, embarazo, enfermedades y tratamientos concomitantes, etc.) y la probabilidad y consecuencias del error. La seguridad del paciente debe estar basada en la ausencia de daños prevenibles y la reducción hasta un mínimo aceptable del riesgo de causarles daños innecesarios.

7.6. Costos o costo-efectividad con relación a (paciente, aseguramiento)

El equilibrio de una intervención a nivel poblacional o individual es una evaluación compuesta. Tiene en cuenta la fuerza de la evidencia de su eficacia, sus potenciales daños, el tipo de beneficio(s) y efecto(s) adverso(s) que produce, su magnitud, pero también características de acceso locales o nacionales y específicas. Para el caso de las enfermedades huérfanas hay que tener en cuenta los temas éticos, legales, la percepción del paciente y su familia; lo que a menudo implica comparar efectos que son muy diferentes cualitativamente y en términos de su probabilidad de ocurrir, basados en niveles de evidencia que también son muy diferentes (4).

Tanto la “probabilidad” de los riesgos como la “magnitud” de los posibles daños deben ser consideradas. Esto significa la probabilidad o posibilidad de que ocurra un daño y la magnitud del mismo, incluidas sus consecuencias. Por lo tanto, al realizar esta evaluación, debemos preguntar: ¿Qué tan probable es que ocurra este daño particular (probabilidad)? Después de responder a ese interrogante, debemos preguntarnos: ¿Qué tan grande (magnitud) podría ser este daño, si ocurriera? ¿Qué efecto puede tener? Y luego, tendríamos que comparar los riesgos “predecibles” con los beneficios “previsibles”.

7.7. Papel del paciente en el balance riesgo-beneficio

Se debe involucrar al paciente en la decisión, en el equilibrio daño-beneficio, puede haber un riesgo de que los profesionales en salud puedan proyectar sus propias preferencias y valores en sus pacientes para tomar decisiones en su nombre. Esta es en particular la razón por la que es importante proporcionar a los pacientes información clara y precisa e involucrarlos al determinar el equilibrio entre el daño-beneficio de una intervención, con el objetivo de tomar una decisión compartida. Para lograr esto, varios aspectos se deben abordar en la intervención médica, al discutir sus beneficios potenciales y daños con un paciente (4):

- Explicar la naturaleza del problema de salud y sus consecuencias de acuerdo a la historia natural de la enfermedad.
- Analizar, junto con los pacientes, los objetivos que les importan, fomentando que se expresen abiertamente y para discutir cualquier objetivo no médico que ellos quizás tengan.
- Presentar las distintas opciones de manera no sesgada, incluida la opción de no intervención.
- Describir las posibles consecuencias de estas intervenciones, sus ventajas e inconvenientes, explicando su naturaleza, intensidad, posible curso temporal (inicio, duración y reversibilidad) y la probabilidad de que ocurran, incluyendo cualquier incertidumbre.
- Indicar cómo se pueden maximizar los beneficios y prevenir o minimizar los daños.
- Explorar con el paciente cuán importantes son para él todas estas consecuencias.

8. Incertidumbre sobre los beneficios o daños potenciales o existe poca evidencia científica

Los paneles de expertos deben considerar todos los criterios relevantes que influyen en una decisión de manera estructurada, explícita y transparente. Existen escenarios donde la evidencia es poca, que probablemente esta situación se puede dar con más frecuencia en enfermedades huérfanas, por lo que se considera que en estas situaciones podemos usar la metodología de un marco GRADE-EtD para recomendaciones clínicas, esta incluye la formulación de la pregunta, la evaluación de los distintos criterios y las conclusiones. Las recomendaciones clínicas requieren que los criterios se consideren de forma diferente, dependiendo de si se adopta una perspectiva **individual o poblacional**. Por ejemplo, desde la perspectiva individual, los gastos personales, los valores y preferencias de los pacientes en su aspecto social, familiar y de su entorno, son un aspecto importante a considerar, mientras que desde la perspectiva poblacional son más importantes el uso de recursos y la costo-efectividad en el sistema de salud (5)(10)

El marco GRADE-EtD, evalúa varios criterios, se debe referenciar la fuente de la evidencia resumida en el marco y, asimismo, deben notificarse las limitaciones sobre la manera en que se ha resumido la evidencia, en particular cuando la fuente no es una revisión sistemática.

Si el equipo no encuentra evidencia para un criterio, se debe notificar la falta de evidencia e incluir en el apartado **«Consideraciones adicionales»** cualquier información relevante que se haya tenido en cuenta para realizar un juicio. Las consideraciones adicionales pueden incluir(10):

- Otra evidencia, como las estimaciones de datos recogidos sistemáticamente.
- Consecuencias plausibles para las que no se había encontrado evidencia (como razones lógicas para anticipar una reducción potencial de las inequidades) o razones plausibles para anticipar que la intervención (opción) puede no ser aceptable para los grupos de interés o puede ser difícil de implementar.
- Cualquier suposición que se hiciera y, si fuera relevante, la base de la misma. La explicación del fundamento de un juicio si no deriva directamente de la evidencia de los estudios (como la lógica subyacente en un juicio sobre el balance entre los efectos deseados y no deseados).
- La documentación de los resultados de votaciones o debates relevantes del panel

los criterios que evalúa el marco GRADE-EtD se pueden ver en la siguiente tabla :

| | |
|-------------------------|-------------------------------------|
| Perspectiva poblacional | Perspectiva del paciente individual |
|-------------------------|-------------------------------------|

| | |
|--|--|
| ¿El problema, constituye una prioridad? | ¿El problema, constituye una prioridad? |
| ¿Cuál es la magnitud de los efectos deseados que se prevén? | |
| ¿Cuál es la magnitud de los efectos no deseados que se prevén? | |
| ¿Cuál es la certeza (calidad o confianza) global de la evidencia de los efectos? | |
| ¿Hay incerteza importante sobre la variabilidad en el valor que las personas dan a los resultados principales? | |
| El balance entre los efectos deseados y no deseados, ¿favorece a la intervención o la comparación? | |
| ¿Cuál es la magnitud de los recursos requeridos (costes)? | El coste-efectividad de la intervención (el gasto personal relativo al efecto deseado neto), ¿favorece a la intervención o a la comparación? |
| ¿Cuál es la certeza de la evidencia de los recursos requeridos (costes)? | |
| El coste-efectividad de la intervención, ¿favorece a la intervención o a la comparación? | |
| ¿Cuál sería el impacto sobre la equidad en salud? | |
| ¿Es la intervención aceptable para los grupos de interés clave? | ¿Es la intervención aceptable para los pacientes, sus cuidadores y el personal sanitario? |
| ¿Es factible implementar la intervención? | ¿Es la intervención factible para los pacientes, sus cuidadores y el personal sanitario? |
| Tomado de: Marcos GRADE de la evidencia a la decisión (EtD): un enfoque sistemático y transparente para tomar decisiones sanitarias bien informadas.(10) | |

Este ejercicio debe realizarse de manera rigurosa y consensuada con los expertos clínicos y metodológicos, se debe establecer un espacio para la realización de este ejercicio, se pueden apoyar mediante un formato de Google forms para las respuestas de cada integrante. Como el siguiente:

<https://docs.google.com/forms/d/e/1FAIpQLSd0hckQcc-vmgNDh-CUhYqg8svaqGUd2R-ZePvsT1sPE94N4g/viewform>

9. Normatividad que le aplica a cada caso

De acuerdo al contexto normativo en Colombia y según el listado actualizado de las enfermedades huérfanas disponible según la resolución 023 del 2023, cada caso se debe registrar por los principios rectores de protección efectiva de las personas que padecen enfermedades huérfanas:

Universalidad: Se deberá garantizar la atención en salud de todas las personas que padecen enfermedades huérfanas en condiciones de calidad, accesibilidad y oportunidad.

Solidaridad: los actores en salud deberán educar sobre las enfermedades huérfanas y proteger los derechos de todas las personas que padecen dichas enfermedades.

Corresponsabilidad: La familia, la sociedad y el Estado son corresponsables en la garantía de los derechos de los pacientes que padecen enfermedades huérfanas y propiciarán ambientes favorables para ellos, con el fin de generar las condiciones adecuadas, tanto en el ámbito público como privado, que permitan su incorporación, adaptación, interacción ante la sociedad.

Igualdad: Se promoverá las condiciones para que la igualdad, sea real y efectiva y adoptará medidas en favor de todas las personas que padezcan enfermedades huérfanas, para que estas gocen de los mismos derechos, libertades y oportunidades sin ninguna discriminación en el acceso a los servicios.

Adicionalmente se debe tener en cuenta la regulación y aprobación en Colombia del INVIMA, los lineamientos o evaluaciones del IETS, si las hay frente al nuevo medicamento o la tecnología que se está revisando para su uso en el paciente con enfermedad huérfana.

Link de búsqueda de medicamentos del INVIMA :

<https://www.invima.gov.co/>

Evaluaciones de tecnologías del IETS:

<https://www.iets.org.co/>

10. Aspectos bioéticos en la toma de decisiones clínicas en enfermedades huérfanas

Las enfermedades raras (ER), afectan a muy pocas personas y se caracterizan por ser crónicas, de presentación atípica, progresivas y discapacitantes o mortales. Por su baja prevalencia y dispersión geográfica no son temas de prioridad para la investigación médica lo que hace encarecer el costo de los medicamentos y hace más visibles las dificultades inherentes para establecer paradigmas o recomendaciones terapéuticas generales, así como para la precisión y oportunidad diagnóstica. Los pacientes y sus familias viven situaciones de muchísima angustia, desconocen lo que les sucede, no tienen con quien compartir sus problemas viviendo situaciones de aislamiento y soledad y en ocasiones con ausencia de apoyo psicológico, social, económico y cultural (6).

La atención médica de esta población vulnerable implica una responsabilidad y obligación bioética de especial atención toda vez que a pesar de las dificultades que se presentan para la toma de decisiones es necesario brindar opciones de tratamiento y seguimiento de acuerdo al cumplimiento de sus derechos siempre a partir del análisis de cada caso, la opinión del paciente y su familia y la particularidad de sus circunstancias mediante las herramientas que brindan los principios bioéticos de no maleficencia, beneficencia, justicia y autonomía, decisiones libres de conflictos de interés y en beneficio de los pacientes y sus familias (6)(7).

11. Condiciones particulares de los medicamentos para enfermedades huérfanas que aumentan la incertidumbre para su uso:

- La información preclínica no siempre es completa y si lo es muchas veces se trata de medicamentos autorizados para otras indicaciones.
- Escasez de muestras representativas de pacientes en los estudios clínicos existentes.

- Escasa disponibilidad y autorización del medicamento en el país o existencia de un único proveedor.
- Costo muy elevado.
- Mala relación de costo efectividad del medicamento propuesto o ausencia de información al respecto.
- No siempre es posible garantizar la eficacia ni la seguridad del medicamento con la información disponible.
- Falta de mayores análisis epidemiológicos sobre seguridad y efectividad del medicamento (6)(7).

12. Elementos a considerar en la toma de decisiones frente al manejo de enfermedades huérfanas:

- Aspectos clínicos sobre la historia clínica y estado actual del paciente, medicamentos prescritos e interacciones, hospitalizaciones previas, requerimiento de UCI, grado de discapacidad y dependencia.
- Datos epidemiológicos de la enfermedad, eficacia y seguridad del medicamento en discusión.
- Genética y biología molecular de la enfermedad.
- Información disponible para el paciente incluyendo efectividad del medicamento para la enfermedad y posibles eventos adversos.
- Utilidad y confianza en el uso de medicamentos específicos.
- Nivel de autonomía del paciente, toma de decisiones basadas en la información y aplicación correcta del consentimiento informado.
- Derechos de los pacientes con enfermedades huérfanas.
- Presencia o no de decisiones anticipadas.
- Aspectos sociales, económicos, culturales del paciente y su familia o cuidadores que ameriten concepto de trabajo social y que impacten sobre la adherencia y acceso al tratamiento (6)(7).

13. Derechos de las personas con enfermedades huérfanas (8):

- Al cuidado paliativo.
- A recibir información clara, detallada y comprensible.
- A una atención integral.
- A obtener un diagnóstico y tratamiento con oportunidad, continuidad, calidad y suficiencia en atención a su enfermedad.
- A Una segunda opinión médica.
- A suscribir el documento de voluntades anticipadas.
- A participar de forma activa en el proceso de atención y la toma de decisiones en el cuidado paliativo.
- A recibir atención en instituciones de salud que estén habilitadas con todas las condiciones y la infraestructura adecuada para la atención integral de la enfermedad.
- A que las autoridades nacionales y territoriales ejerzan vigilancia y control para garantizar la atención integral.
- A que en caso de ser necesario medidas de contención física o farmacológica se haga con respeto a la dignidad de la persona.
- A la realización oportuna de paraclínicos, autorización y entrega completa e inmediata de medicamentos.
- A vivir con dignidad hasta el momento de su muerte.
- A que no se deleguen los trámites administrativos a los pacientes, ni se les impongan barreras de acceso
- A recibir un trato digno y respetuoso sin discriminación alguna.
- A elegir la EPS y la IPS y al profesional de salud dentro de la red disponible.
- A que como cotizante le paguen las licencias e incapacidades médicas, incluido el derecho a obtener una pensión por invalidez.
- A que se mantenga estricta confidencialidad sobre su información clínica.

- A que se le informe dónde y cómo puede presentar quejas y reclamos sobre la atención en salud prestada o sobre su negación.

14. Condiciones y criterios básicos o que justifiquen la convocatoria de un comité de bioética (9):

- La complejidad de los problemas ante la cual los profesionales deben tomar decisiones éticamente aceptables, pero con dilemas y problemas de orden bioético que no están bien perfilados, sean complejos o difíciles de entender.
- La diversidad de opciones con una variedad fuera del alcance de la perspectiva de un solo profesional experto.
- La protección de la integridad y confiabilidad de las instituciones y centros médicos como indicio de la corresponsabilidad en la toma de decisiones.
- El carácter de los juicios en el que se basan las decisiones clínicas: Es frecuente que, al margen de su experiencia en la esfera de la atención médica, los profesionales de la salud carezcan de la competencia apropiada para adoptar decisiones bioéticas atinadas que den cabida a todos los aspectos de un problema o un caso clínico. El carácter multidisciplinario de los comités de bioética incrementa las oportunidades de que la orientación sea acertada, aunque no siempre se puedan recomendar soluciones ideales ni resolver todos los dilemas de orden bioético.
- La importancia creciente de la autonomía del paciente y los conflictos que se generan entre los valores básicos de los pacientes y los profesionales y que exigen con frecuencia que intervenga un mediador asumido por un comité de bioética que respete al mismo tiempo la dignidad y la autonomía de cada paciente.
- La importancia de los factores económicos sobre la limitación de los recursos asignados y la distribución justa y equitativa de los gastos y de los costos que son cada vez mayores.
- Las convicciones religiosas de algunos grupos en relación con las prácticas científicas y médicas, que suscitan desacuerdos teológicos en el seno de algunas instituciones, entre los valores y aspectos morales entre pacientes y profesionales.
- La adopción de decisiones en el ámbito científico ha dejado de ser un asunto unilateral; los investigadores y el personal médico han de responder a diversos públicos. Cuando surgen conflictos bioéticos, puede que para resolverlos no baste con apelar al dictamen científico o médico; deben adoptarse decisiones de orden normativo que escapen a los conocimientos de un solo investigador o médico.

15. ¿Qué es un comité de bioética?

De acuerdo a lo anterior es importante entender que los comités de bioética son fundamentalmente escenarios en los que se establece un equilibrio entre la ciencia, la *lex artis*, los derechos humanos y el interés del público, son las mejores plataformas de exploración con mecanismos democráticos, libres de discursos de disenso inagotable y que den cabida a diversos puntos de vista y distintas disciplinas con vistas a armonizar los conocimientos científicos y profesionales con las preocupaciones suscitadas por el respeto a los derechos humanos y el bien común y de esta manera aportar efectivamente en la toma de decisiones sobre un caso particular. Todo comité de bioética se encarga de abordar sistemáticamente y de forma constante la dimensión ética de a) las ciencias de la salud, b) las ciencias biológicas y c) las políticas de salud innovadoras (8).

Por lo tanto y de acuerdo a las premisas anteriormente descritas solamente se convocará al comité de bioética aquellos casos que por su connotación y complejidad bioética deban ser consultados y no puedan ser resueltos en la junta médica ordinaria.

16. Conclusiones y curso de acción

Las conclusiones generadas en la junta médica deben tener un curso claro de donde provienen, mediante un análisis juicioso de cada caso y una discusión técnico-científica por parte de los especialistas que intervienen en la junta médica, donde se debe llegar a un acuerdo conjunto de

todas las partes incluyendo el punto de vista del paciente o familiar y dejar evidencia de este proceso, para este fin se puede utilizar la siguiente tabla de resumen del proceso.

Tabla 1. Resumen del proceso evaluado durante la Junta Médica de Enfermedades Huérfanas, EPS Sanitas

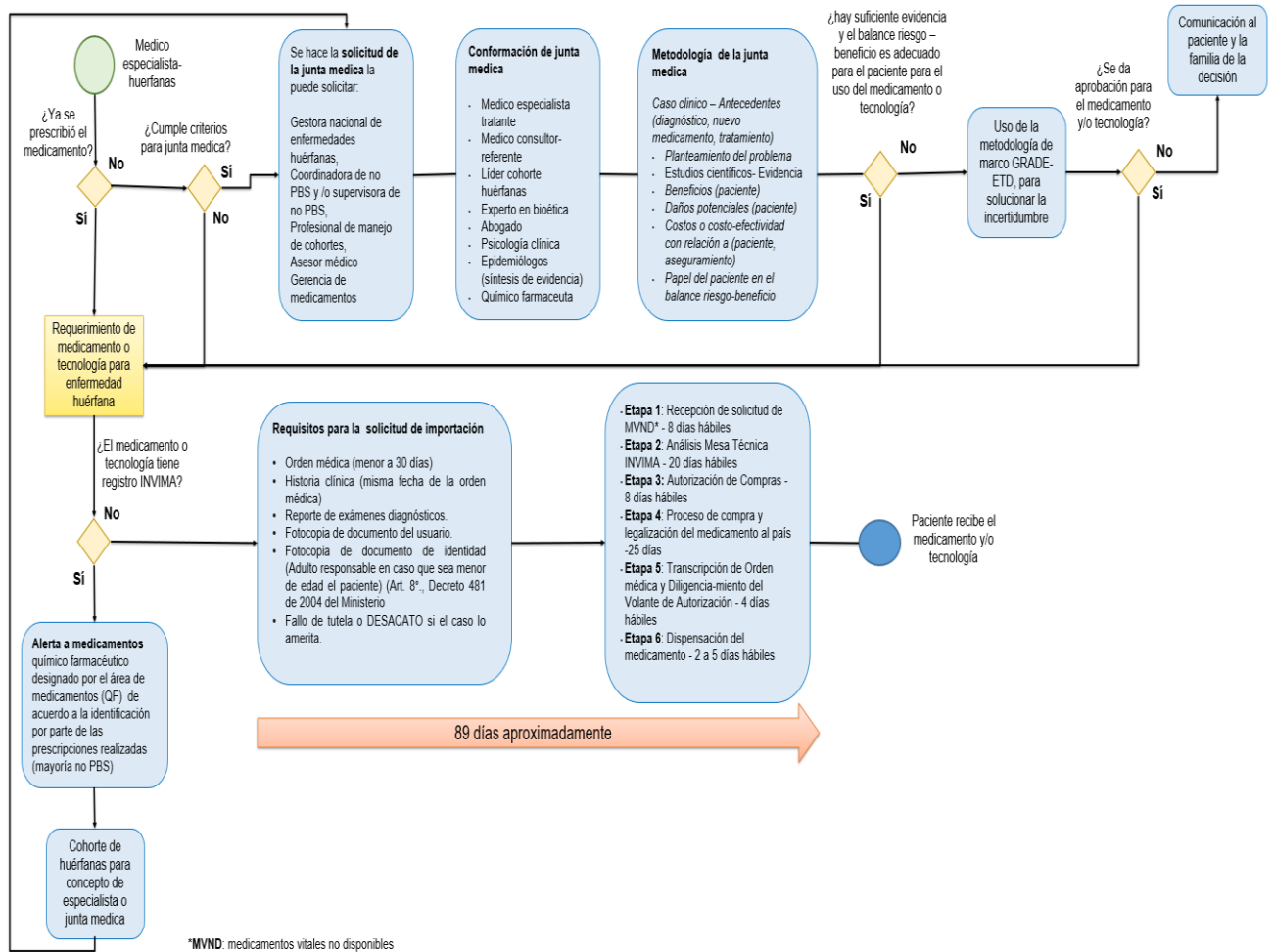
| Aspecto evaluado | Resumen de los principales hallazgos | Conclusiones |
|---|--------------------------------------|--------------|
| Contexto de la problemática que lleva a solicitarse una junta médica | | |
| Evidencia encontrada | | |
| Puntos de vista y experiencias de las personas interesadas | | |
| Beneficios | | |
| Daños potenciales | | |
| Balance riesgo- beneficio | | |
| Incertidumbre sobre los beneficios o daños potenciales o existe poca evidencia(se debe aplicar marco GRADE-EtD) | | |
| Aspectos legales | | |
| Aspectos éticos | | |
| Decisiones tomadas | | |
| Criterios de inclusión de los pacientes | | |
| Definir objetivos terapéuticos | | |
| Metas de tratamiento y criterios de finalización del mismo | | |

Fuente: Elaboración propia, línea de Estandarización de la Práctica Clínica, Dirección de Gestión del Conocimiento, EPS Sanitas

17. Operatividad de la junta medica

Las decisiones tomadas en la junta debe tener un proceso de implementación individual en el paciente pero a la vez debe ajustar la ruta de los pacientes en la cohorte de enfermedades huérfanas para futuros pacientes con condiciones similares. El proceso de realización de juntas medicas debe tener una ruta sistematizada y unos criterios definidos, junto con las personas o cargos que pueden solicitar la realización de las juntas medicas este proceso se describe a continuación:

Figura 1. Ruta para la realización de la junta medica



Fuente: Elaboración propia, línea de Estandarización de la Práctica Clínica, Dirección de Gestión del Conocimiento, EPS Sanitas

Proceso:

Indicaciones para junta – criterios

Pacientes que inician con una nueva tecnología o pacientes que inician una terapia con un medicamento vital no disponible, o medicamento importado con o sin registro INVIMA.

¿Quién la solicita?

Dentro de la EPS la puede solicitar :

Cohorte de huérfanas, Gestora nacional de enfermedades huérfanas, Coordinadora de no PBS y /o supervisora de no PBS, Profesional de manejo de cohortes, asesor médico - Gerencia de medicamentos

¿Quién la gestiona?

Gestora nacional de enfermedades huérfanas, Coordinadora de no PBS y /o supervisora de no PBS, Profesional de manejo de cohortes, Asesor médico - Gerencia de medicamentos, Supervisora de tutelas

Tiempos/frecuencia de sesiones

Dependerá de los profesionales referentes para las juntas contratados,

Inicio de tratamiento: trimestral

Continuidad del tratamiento: de manera trimestral y continua hasta completar el primer año de terapia (esto varía de acuerdo a la duración de la terapia y la evolución del paciente con el tratamiento)

Proceso a seguir del paciente

Paciente con criterios para junta – solicitud de junta médica – información de la decisión tomada en la junta de aprobación o no del medicamento al paciente- si hay aprobación se le indica a que IPS debe acudir para el tratamiento y seguimiento.

RUTA ADMINISTRATIVA

- Si el medicamento tiene autorización INVIMA

No se aprueba por que no cumple la indicación INVIMA, por ejemplo indicaciones off-label, (se niega por el marco normativo)

Se genera una alerta por parte de medicamentos, químico farmacéutico designado por el área de medicamentos (QF) de acuerdo a la identificación por parte de las prescripciones realizadas (mayoría no PBS), se remite a la cohorte de la patología en cuestión, para concepto médico del especialista, con el objetivo de tener un aval de parametrización con el fin de generar una autorización respectiva de la solicitud.

Se aprueba lo que tiene INVIMA o UNIRS, se hace una revisión de la literatura por parte de medicamentos.

- Si el medicamento no tiene autorización INVIMA (Medicamentos Vitales no Disponibles)

Para dar inicio al proceso de importación se deben radicar los documentos a los correos electrónicos definido por la EPS
Alberto Mario Rizzo Fuentes
amrizzo@epssanitas.com y/o Carolina Cortes Rondon, carocortes@epssanitas.com

Los soportes pueden ser radicados por el usuario, por funcionarios de las oficinas, por el área de Jurídica o Tutelas.

Los soportes necesarios para solicitar el permiso ante el INVIMA son:

Orden médica (menor a 30 días)

Historia clínica (misma fecha de la orden médica)

Reporte de exámenes diagnósticos.

Fotocopia de documento del usuario.

Fotocopia de documento de identidad (Adulto responsable en caso que sea menor de edad el paciente) (Art. 8°. , Decreto 481 de 2004 del Ministerio

Fallo de tutela o DESACATO si el caso lo amerita.

Es preciso recordar que el proceso de solicitud de autorización de importación para medicamentos ante el INVIMA, consta de las siguientes etapas y tiempos aproximadamente de 89 días hábiles:

Etapa 1: Esta etapa puede durar hasta 30 días
Recepción y Validación de Documentos – 8 días hábiles

Radicación al operador logístico
Validación del operador logístico – Duración de 10 hábiles
Validación de Importadora – Duración de 12 días hábiles
Radicación de Documentos INVIMA

Etapa 2: Esta etapa puede durar hasta 20 días hábiles
Análisis Mesa Técnica INVIMA
Concepto INVIMA – EPS autoriza Compra del Medicamento

Etapa 3: esta etapa puede durar 8 días hábiles
Autorización de

Etapa 4: Esta etapa puede durar hasta 25 días hábiles
Proceso de compra (operador logístico – Importadora)
Direccionamiento de IPS para aplicación supervisada si lo amerita
Legalización de ingreso del medicamento al país
Notificación a EPS (Llegada del Producto)

Etapa 5: Esta etapa puede durar hasta 4 días hábiles
Transcripción de Orden médica y Diligenciamiento del Volante de Autorización –

Etapa 6: Esta etapa puede durar hasta 2 días hábiles
Dispensación del Servicio –

Cuando se radican soportes para inicio de trámite, el área de medicamentos vitales realiza contacto telefónico y por correo electrónico con el usuario informando los tiempos y etapas que debe surtir en el proceso para la entrega del medicamento.

ETAPA 1.

Recepción de solicitud de MVND - 8 días hábiles
El en caso que el trámite cuente con registro INVIMA de importación, se deben remitir el paquete completo de documentos que fueron radicados al INVIMA para dicha solicitud; se realiza la validación de soportes y se remiten al Gestor de la cohorte para su conocimiento y seguimiento, pero ya no pasa a radicación ante el INVIMA, pasa a cotización y compra por parte del operador farmacéutico.

Si el trámite fue gestionado por el usuario de forma particular bajo prescripción de médico adscrito a EPS o MP se debe remitir soportes al gestor de la cohorte para definición de inicio en el proceso. Si el trámite fue gestionado por el usuario de forma particular bajo prescripción de médico no adscrito a EPS o MP se debe remitir soportes al gestor de la cohorte para definición de inicio en el proceso e ingreso a la red de prestadores.

Si el trámite fue gestionado por el usuario de la EPS, pero tiene fórmula de médico adscrito a MP diferentes a las de grupo KERALTY se debe remitir soportes al gestor de la cohorte para definición de inicio en el proceso e ingreso a la red de prestadores.

Validación Administrativa: (3 días hábiles)

Se valida que el usuario se encuentre afiliado a EPS Sanitas, que el contrato se encuentre activo, que los documentos cuenten con las características establecida en el proceso; por otro lado, para los casos de pacientes con enfermedades huérfanas se valida si se encuentran registrado en dicha base manejada por la Gestora de la Cohortes la Dra. Dora Cilia, si el usuario no se encuentra registrado en la base de Enfermedades huérfanas, se notifica a la Dra. Dora Cilia todos los soportes remitidos por el usuario para la validación e inicio de reporte al SIVIGILA.

En el caso que el usuario presente alguna novedad en el contrato se debe confirmar con el área de afiliaciones el estado del contrato y notificar al usuario telefónicamente para validar el estado actual del reporte.

Para validar si el medicamento es un Vital no Disponible es preciso validar en la página del INVIMA <https://www.invima.gov.co> se dirige a la opción “medicamentos y productos biológicos” luego a la opción “Medicamentos Vitales no Disponibles” se da clic en la opción “Establecimientos y Listados” posterior se da clic en el Listado de Medicamentos Vitales no Disponibles más reciente.

Luego se debe validar si el medicamento requerido cuenta con registro INVIMA vigente esta información se verifica en <https://www.invima.gov.co> menú consulta de productos, si no se encuentra un registro vigente se procede iniciar el trámite, de lo contrario se devuelve el caso a quien lo reporto para que realice el proceso de autorización por el canal de autorizaciones habitual.

Se valida con el químico farmacéutico que apoya el proceso, si el medicamento requiere aplicación supervisada, de ser así, se debe validar con el área de aplicación supervisada de la EPS, que IPS presta este servicio, de lo contrario se debe realizar alcance con el Gestor de la Cohorte y director de aseguramiento de la ciudad agrupadora para que suministren la información de la IPS designada.

NOTA: Para los casos en los cuales se solicite un medicamento vital no disponible, pero se tenga conocimiento que la IPS que lo prescribe también los suministra, se debe informar al área que reporta el caso que realice alcance con la IPS prescriptora o director de aseguramiento de la regional en la que reside el usuario, para que se defina direccionamiento de la IPS que dispensa el medicamento. Estos casos deben ser autorizados por el área NPBS y Tutelas, ya que el medicamento se encuentra disponible en el país y no requiere del trámite de importación.

Validación Técnica: (5 días hábiles)

Una vez enviados los documentos debe cursar por un análisis y validación técnica por parte del Gestor de la Cohorte quien informa el aval para inicio de trámite.

En este análisis se evalúa la pertinencia del tratamiento de acuerdo a la patología, si en el proceso de esta validación el médico considera que no es suficiente la documentación entregada, el Gestor de la Cohorte solicita directamente los soportes a la IPS o médico prescriptor para la definición del tratamiento y poder así validar si el tratamiento es el adecuado para la condición de salud del paciente, una vez validado por el Gestor de la cohorte procede a informar al profesional de seguimiento de cohortes de MVND y al auxiliar operativo para dar inicio al proceso. Se remiten los soportes al operador farmacéutico de acuerdo si es un medicamento cubierto con recurso de la UPC se remite a Cruz Verde; no cubierto con recursos de la UPC se remite a INPHAPRO, Valentech, Audifarma o Salutis dependiendo el medicamento.

| AUDIFARMA | VALENTECH | CRUZ VERDE | INPHAPRO |
|---|--|---|--|
| INOTERSEN (IMPORTADO)) 284MG/1.5ML (189.3333 MG/ML) SOL INY JER PRELL (TEGSEDI) | ELEXACAFTOR+TEZACAFTOR+IV ACAFTOR (100+50+75)MG+IVACAFTOR (IMPORTADO) 150MG TAB (TRIKAFTA) | TODOS LOS MEDICAMENTOS FINANCIADOS POR LA UPC | TODOS LOS MEDICAMENTOS VITALES NO DISPONIBLES QUE INGRESAN A GESTION QUE NO SE ENCUENTREN FINANCIADOS POR LA UPC |

| | |
|--|--|
| ATALURENO (VITAL NO DISPONIBLE) 125MG GRAN SUSP ORAL | ELEXACAFTOR+TEZACAFTOR+IV ACAFTOR (50+25+37.5)MG+IVACAFTOR (IMPORTADO) 75MG TAB (TRIKAFTA) |
| ATALURENO (VITAL NO DISPONIBLE) 250MG GRAN SUSP ORAL | CASIMERSEN (IMPORTADO) 100MG/2ML (50MG/ML) SOL INY |
| ATALURENO (VITAL NO DISPONIBLE) 1000MG GRAN SUSP ORAL | GOLODIRSEN 100mg / 2ml (50 mg/ml) SOLUCIÓN INYECTABLE (VYONDYS®) |
| SEBELIPASA ALFA 20 MG/10 ML SOLUCIÓN INYECTABLE | ETEPLIRSEN (IMPORTADO) 100mg / 2ml (50 mg/ml) |
| VOSORITIDA (0.8MG/ML) POLVO PARA RECONSTITU IR A SOL. INY. 0.56 MG/0.7 ML | ETEPLIRSEN (IMPORTADO) 500mg / 10ml (50 mg/ml) |

Sea un trámite nuevo o antiguo se realiza la misma validación para todos los casos.

NOTA: La cohorte de Enfermedades Huérfanas debe garantizar que el usuario reportado cumpla con todos los criterios establecidos por norma y se encuentre reportado al SIVIGILA para realizar el respectivo cobro al ADRES en los casos que así lo amerite.

Radicación y verificación operador farmacéutico - 10 días hábiles

Una vez se cuenta con el aval por correo electrónico del Gestor de la Cohorte para dar inicio al trámite de importación del medicamento, se procede a remitir los soportes por correo electrónico al operador farmacéutico (INPHAPRO, VALENTECH, SALUTIS, AUDIFARMA) quien valida soportes nuevamente y si requiere alguna aclaración o corrección de soportes los solicita por correo electrónico, esta información es remitida al gestor de la Cohorte regresando nuevamente a la etapa 1 Validación técnica; de lo contrario se procede a radicar los soportes al INVIMA.

Para los tramites con Cruz Verde, los soportes se deben ingresar al aplicativo de “área T” quien valida soportes nuevamente y si requiere alguna aclaración o corrección de soportes los solicita por correo electrónico, esta información es remitida al gestor de la Cohorte regresando nuevamente a la etapa 1 Validación técnica.

Validación del operador farmacéutico - 12 días hábiles

Una vez CRUZ VERDE realiza una evaluación de pertinencia del tratamiento, gestiona una cotización con mínimo 3 importadores y remite esta información al área de medicamentos vitales no disponibles a través del aplicativo “área t” para seleccionar el proveedor que radicará los soportes ante el INVIMA.

NOTA: cuando se realiza cotizaciones de principios activos o medicamentos, se le solicita al operador farmacéutico que sea la MISMA molécula, NO se debe cambiar la concentración o la calidad del medicamento.

ETAPA 2.

Análisis Mesa Técnica INVIMA - 20 días hábiles

El INVIMA que es quien analiza los soportes radicados para su aprobación, negación o alcance según sea el caso.

AUTORIZACION INVIMA: Cuando el operador farmacéutico es notificado con la resolución de autorización emitida por el INVIMA, envía estos soportes por correo electrónico al área de medicamentos vitales no disponibles, para iniciar la siguiente etapa del proceso. En el caso de Cruz Verde, realizan la radicación del soporte en el aplicativo de “área T” el cual genera una notificación automática al correo electrónico amrizzo@epssanitas.com para validación de soportes e inicio de la siguiente etapa del proceso.

NEGACION: Cuando el operador farmacéutico es notificado con la negación de autorización, envía estos soportes por correo electrónico al área de medicamentos vitales no disponibles, quien notifica al Gestor de Cohortes, al Usuario y al funcionario que reporta el caso que el trámite de solicitud al INVIMA fue negado por dicha entidad, motivo por el cual no se procede con la gestión de importación. Además, se remite la resolución enviada por el INVIMA donde explica los motivos de la negación.

AUTO REQUERIMIENTO: Cuando el operador farmacéutico es notificado con el AUTO REQUERIMIENTO del INVIMA, envía estos soportes por correo electrónico al área de medicamentos vitales no disponibles, quien notifica al Gestor de Cohortes, al Usuario y al funcionario que reporta el caso, que el trámite requiere la respuesta a las preguntas formulada por el INVIMA (ampliación de historia clínica, envió de historia actualizada, formula completa con posología, estudio científicos que confirmen la efectividad del tratamiento o de acuerdo a la solicitud del caso específico); la EPS cuenta con un tiempo máximo de 1 mes para emitir dicha respuesta, en el caso que no se logre la consecución de soportes en este tiempo, el operador farmacéutico puede solicitar una prórroga al INVIMA, quien concede un mes adicional para dar respuesta a lo solicitado. Cuando no se logre expedir respuesta al AUTO requerimiento, el INVIMA tomará este silencio administrativo como un DESISTIMIENTO y el caso se dará por culminado por parte del INVIMA, la EPS debe asumir el costo de la radicación de los soportes que tiene un valor aproximado de \$1.500.000 mil pesos según información publicada en la página del INVIMA.

Si se debe continuar con el trámite ante el INVIMA se deberá radicar soportes y pagar la radicación nuevamente para iniciar el proceso.

En el caso de Cruz Verde, realizan la notificación del AUTO requerimiento del INVIMA en el aplicativo de “área T” y se realizan las mismas gestiones que con los otros operadores farmacéuticos. El INVIMA tiene 30 días hábiles para emitir aprobación o negación del trámite.

ETAPA 3.

Autorización de Compras - 8 días hábiles

Una vez se cuenta con la resolución de autorización INVIMA el operador farmacéutico notifica por correo electrónico o en el aplicativo destinado para dicho trámite, se procede a emitir el aval de compra por el área de medicamentos vitales no disponibles, según aprobación de cotización previa con el área de compras Keralty.

El proveedor VALENTECH solicitan pago por anticipo de los casos que se tienen asignados para los medicamentos (TRIKAFTA, CASIMERSE, GOLODIRSE Y ETEPLIRSEN) una vez al mes,

mediante correo electrónico en un archivo Excel adjunto que contiene la relación de los usuarios, medicamento y costo del mes de cada uno de los tramites en gestión, esta información es validada por el área de medicamentos vitales no disponibles, remitida al Gerente de Compras Keralty para enviar la solicitud al área financiera de la EPS y que se lleve a cabo el desembolso del dinero al proveedor (tiempo estimado de 15 días hábiles)

ETAPA 4.

Proceso de compra y legalización del medicamento al país -25 días hábiles

El operador farmacéutico genera la solicitud al laboratorio o proveedor para iniciar la importación y nacionalización del medicamento, La aduana y la VUCE (Ventanilla Única de Comercio Exterior) regulan y verifican el ingreso del medicamento al país. Este proceso tiene un tiempo de aproximadamente 25 días hábiles.

Notificación a EPS (Llegada del Producto)

El operador farmacéutico notifica al área de vitales no disponibles por correo electrónico la disponibilidad del medicamento una vez se logre la nacionalización del producto. Para Cruz Verde la notificación es por el aplicativo de “área T” y los demás operadores realizan el reporte por correo electrónico.

ETAPA 5.

Transcripción de Orden médica y Diligencia-miento del Volante de Autorización - 4 días hábiles

Luego de la notificación de disponibilidad del medicamento para la dispensación, se procede con la transcripción del MIPRES por rol transcriptor o recobrante según sea el caso, (si el módulo del Ministerio de Salud presenta alguna novedad se diligencia el formato de contingencia para realizar la transcripción del medicamento).

Para los casos en los cuales el usuario tiene confirmación de enfermedad huérfana, pero no se encuentra con registro en el módulo del MIPRES, se reporta por correo electrónico a la Gestora de la Cohorte de huérfanas, la Dra. Dora para gestionar la solicitud con el Ministerio de Salud.

Para los casos en los cuales se realiza el MIPRES por rol transcriptor, y no es posible generar dicho registro por que el médico tratante no se encuentra asociado a la EPS Sanitas en el módulo del Ministerio de Salud, se debe remitir correo al Dr. Yulder Ochoa, Gerente de la Red de Prestadores y al correo conveniosytarifaseps@colsanitas.com para solicitar aval de asociación en el módulo MIPRES.

Para los casos en los cuales el usuario cambia de tipo de documento de identidad (RC, TI o CC) se debe realizar acercamiento con el área de afiliaciones para verificar el estado de la afiliación y el tipo de documento con el cual se encuentra el usuario actualmente. Para que esta actualización de visualice en MIPRES debe cursar un tiempo aproximado de 15 días hábiles.

Para los casos de aplicación supervisada se debe garantizar que desde el área de tutelas o servicios NPBS generen las autorizaciones para la aplicación del medicamento, de esta forma programar el envío por parte del operador farmacéutico encargado.

Una vez se cuenta con el respectivo MIPRES se remiten soportes al área de tutelas para la renovación de la formula médica.

Para los casos de MIPRES rol transcriptor se remite el PDF impreso del MIPRES para que el usuario reciba el medicamento.

Con el MIPRES ya generado se procede a generar las autorizaciones en nuestro sistema BH

(BEYOND HEALTH), se notifica al correo electrónico y telefónicamente al usuario.

Se procede a generar los direccionamientos de las autorizaciones en IMPERIUM, se remite al operador farmacéutico los ID y el contacto telefónico del usuario para que se programe la entrega en el domicilio.

En el caso que se presente alguna novedad en los direccionamientos con los casos de tutelas se debe remitir por correo electrónico la solicitud a eyner.arias@epssanitas.com para solucionar la situación; para los casos de rol transcriptor se debe remitir correo a xanovoa@epssanitas.com y smaestre@epssanitas.com para solucionar la novedad.

NOTA: En los casos de alto riesgo jurídico o reputacional solo se realizará la transcripción del MIPRES sin marca de enfermedad huérfana hasta que se cuenta con el aval de algún directivo o Gerente de la EPS, teniendo en cuenta que es posible que ese medicamento presente dificultades para el proceso de recobro de ser él caso.

ETAPA 6.

Dispensación del medicamento - 2 a 5 días hábiles

El operador farmacéutico realiza la programación de entrega para el medicamento bien sea en el domicilio o en la IPS de aplicación en los casos que se requiera, lo anterior bajo el seguimiento del área de medicamentos vitales no disponibles. El operador farmacéutico debe enviar por correo electrónico los soportes de entrega una vez se lleve a cabo la dispensación del medicamento.

Seguimiento

Usuario: Se realiza llamada al usuario cuando se encuentra en la mitad del tratamiento para solicitar nuevos soportes y dar inicio al trámite de importación para evitar interrupciones en el tratamiento.

Operador farmacéutico: se realizan reuniones cada 20 días con cada proveedor con el fin de validar las novedades en los casos asignados y solucionar las dificultades en el proceso.

Reasignación: Para los casos en los cuales se compra el medicamento y por alguna situación (fallecimiento, cambio de tratamiento, usuario no acepta medicamento) se debe escalar el caso con las diferentes Cohortes y programas de la EPS para validar si se cuenta con otro paciente con la misma prescripción y proceder solicitar al INVIMA junto con el operador farmacéutico, la reasignación del medicamento a otro usuario.

Medicamentos en stock: son medicamentos comprados que no fueron dispensados y se encuentran en custodia del operador farmacéutico; quienes deben emitir un informe con los nombres de los medicamentos en custodia, la cantidad de unidades, la fecha de vencimiento y el costo del tratamiento; posterior a este envió se debe validar esta información al interior de la EPS junto con la Gerente de Convenios Juliana Correal para confirmar cantidades de cada caso y novedades presentadas en la dispensación, luego esta información será remitida al Dr. Jerson Flórez – Vicepresidente de Salud EPS para que emita su aval de facturación al proveedor y proceder con el almacenamiento de los productos en bodega o reasignación del medicamento a usuarios de otra EPS si es el caso.

Ruta de la junta medica

18. Referencias:

1. Pulido AC, Pinzón DC, Rodríguez NI, Sandoval C, Pinzón CE, Díaz MH, Mejía A, Santacruz JC, Calderón J. Opciones en Colombia para la regulación del uso de los sistemas electrónicos con o sin dispensación de nicotina y similares: un resumen de evidencias para política (Policy Brief). Cardiecol, Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud - IETS y Fundación Colombiana del Corazón; 2018.
2. Ministerio de Salud y Protección Social. Resolución 023 del 2023 [Internet]. Bogotá; 4 de enero de 2023 [citado el 17 de enero de 2024]. Disponible en:

https://www.minsalud.gov.co/Normatividad_Nuevo/Resoluci%C3%B3n%20No.%20023%20de%202023.pdf

3. Cortés F. Medicina de precisión de Enfermedades Raras. Rev Med Clin Condes. 2022; 33(2);148-153. <https://doi.org/10.1016/j.rmclc.2022.03.005>
4. Derrick EA. Explorando el balance riesgos/beneficios en la investigación biomédica: algunas consideraciones. Rev bioét. 2017; 25(2); 320-327. <http://dx.doi.org/10.1590/1983-80422017252192>
5. Walter AL, Baty F, Rassouli F, Bilz S, Brutsche MH. Diagnostic precision and identification of rare diseases is dependent on distance of residence relative to tertiary medical facilities. Orphanet J Rare Dis. 2021;16(1):131. doi: 10.1186/s13023-021-01769-6
6. Luna F. Enfermedades raras: planteando algunas de sus desafíos (Tomado de la clase de bioética Hoy de la Maestría en Bioética online de la FLACSO Argentina). Cambios Rev Med. 2017; 16(1); 8-9
7. Ferrer P. Reflexiones éticas sobre las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos. Bioética & Debat. 2011; 17(63); 15-21
8. Defensoría del Pueblo, Asociación Colombiana de Pacientes con Enfermedades de Depósito Lisosomal (ACOPEL). 13 Derechos de los pacientes con enfermedades huérfanas en materia de salud: todo lo que usted debe saber sobre las enfermedades huérfanas, discapacidad y cuidados paliativos en materia de salud [Internet]. Bogotá; 2016 [citado el 17 de enero de 2024]. Disponible en: <https://repositorio.defensoria.gov.co/handle/20.500.13061/230>
9. United Nations Educational, Scientific and Cultural Organization (UNESCO). Guía número 1: Creación de comités de bioética [Internet]. Francia; 2005, actualización 2008 [citado el 17 de enero de 2024]. Disponible en: https://unesdoc.unesco.org/ark:/48223/pf0000139309_spa.
10. Pablo Alonso-Coello, Marcos GRADE de la evidencia a la decisión (EtD): un enfoque sistemático y transparente para tomar decisiones sanitarias bien informadas. Gaceta Sanitaria, vol.32 no.2 Barcelona mar./abr. 2018. <https://dx.doi.org/10.1016/j.gaceta.2017.03.008>.

CONTROL DE ACTUALIZACIONES:

| VERSIÓN | FECHA | OBSERVACIÓN |
|----------------|--------------|--------------------|
| 01 | 05/01/2024 | Versión inicial |
| 01 | 20/03/2024 | Ajustes |

Revisión y Aprobación:

Martha Lucia Arias

*Vicepresidente de Riesgo en Salud
EPS Sanitas*

Nancy Yomayusa González

*Vicepresidencia
Instituto Global de Excelencia Clínica
Presidencia Global de Salud e Innovación
Keralty*

Fin del documento.