

La necesidad de la tutela judicial diferenciada: enfermedades poco frecuentes y medicamentos huérfanos

The need for differentiated legal protection: rare diseases and orphan drugs

Emilia Josela Romero¹

DOI: [https://doi.org/10.37767/2591-3476\(2025\)20](https://doi.org/10.37767/2591-3476(2025)20)

Comentario a

B., O. N. Y OTRO C/APROSS. AMPARO (LEY 4915)

Auto n.º 201, de fecha 12/12/2024

**Tribunal Superior de Justicia de Córdoba
(Sala Electoral y de Competencia Originaria)**

RESUMEN:

Por medio del presente trabajo se analizará el Auto n.º 201, del 12/12/2024, dictado por el Tribunal Superior de Justicia de Córdoba. El mismo resolvió la procedencia de una medida cautelar de provisión del medicamento catalogado “voxzogo-vorositide” a una afiliada menor de edad con discapacidad, que padece una enfermedad poco frecuente denominada acondroplasia.

La finalidad es, a partir del estudio pormenorizado de los argumentos vertidos en la decisión y atendiendo a las particularidades del caso en cuestión, dilucidar los alcances actuales de la cobertura de medicamentos para el tratamiento de enfermedades poco frecuentes y reflexionar sobre los principios de alcance constitucional que sirven como pautas interpretativas imperativas a la hora de resolver en los amparos de salud en la Provincia de Córdoba.

¹ Estudiante avanzada de la carrera de derecho (Universidad Nacional de Córdoba). Alumna sobresaliente promoción 2024. Miembro del Cuadro de Honor promoción 2024. Escolta del Cuerpo de Porta Estandarte de la Facultad de Derecho, UNC. Becaria en la Universidad Federal de Santa María, Rio Grande do Sul, Brasil. Se desempeña como auxiliar en la Cámara Contencioso Administrativa de Primera Nominación de la ciudad de Córdoba. Mail: romeroemilia692@gmail.com. Nro. de ORCID: <https://orcid.org/0009-0002-5257-9600>

ABSTRACT

This paper analyzes the Resolution n.º 201 issued by the Superior Court of Justice of Córdoba. The ruling addressed the admissibility of a precautionary measure ordering the provision of the drug known as Voxzogo (vosoritide) to a minor with a disability, diagnosed with a rare disease called achondroplasia.

The aim is to elucidate the current scope of drug coverage for the treatment of rare diseases through a detailed analysis of the arguments made in the decision and in light of the specific circumstances of the case. Moreover, it seeks to reflect on the constitutionally grounded principles that serve as mandatory interpretative guidelines when adjudicating health protective actions (amparos de salud) in the Province of Córdoba.

PALABRAS CLAVE: Derecho a la salud; vulnerabilidad; enfermedades poco frecuentes; acondroplasia; Régimen de Acceso de Excepción a Medicamentos No Registrados.

KEYWORDS: Right to health; vulnerability; rare diseases; achondroplasia; Exceptional Access Regime for Unregistered Medicines.

I. Introducción

En el caso objeto de análisis, una niña de cuatro años de edad padece una enfermedad genética denominada acondroplasia, que ralentiza el crecimiento óseo generando tallas bajas desproporcionadas y otras tantas consecuencias médicas. Frente a ello, sus padres, en el marco de una acción de amparo interpuesta ante la Cámara Contencioso-Administrativa de Segunda Nominación, solicitaron una medida cautelar a los fines de que la Administración Provincial del Seguro de Salud (en adelante APROSS) cubriera la provisión de un medicamento denominado vosoritide, marca comercial voxzogo, del laboratorio Biomarin International Limited, en adelante Biomarin, para tratar tal patología. La cautelar fue rechazada a instancia de la Cámara mediante el Auto n.º 354/2024 del 17/09/2024.

A partir del recurso de apelación interpuesto por la parte actora, el Tribunal Superior de Justicia valoró la causa desde un enfoque tuitivo del derecho a la salud y se pronunció respecto a la procedencia de la cautelar al considerar acreditada la verosimilitud del derecho y el peligro en la demora. Los principios fundantes del sistema de salud en atención al delicado contexto de la accionante resultaron dirimentes y favorables a la decisión de los magistrados.

En ese sentido, se ponderaron los elementos que integran el caso concreto a la luz de la pertenencia de la niña a una situación de vulnerabilidad, en virtud de su minoría de edad y su discapacidad, el padecimiento de una enfermedad poco frecuente, la inscripción del medicamento en el Registro Nacional de Especialidades Medicinales (en adelante REM) con el respectivo cumplimiento de la primera etapa en favor de su comercialización y la autorización de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (en adelante ANMAT) para importar la medicación a Argentina a partir del Régimen de Acceso Excepcional de Medicamentos (en adelante RAEM).

El presente trabajo tiene por objetivo analizar los fundamentos jurídicos utilizados por el Tribunal para resolver el amparo de salud bajo estudio. Este análisis permitirá examinar el marco normativo vigente en los niveles convencional, constitucional e infraconstitu-

cional, así como la jurisprudencia consolidada en relación con los diferentes tópicos de relevancia invocados en el caso de estudio.

II. Los hechos y la tramitación de la causa.

Agotados los trámites administrativos correspondientes, los padres de C.B.P, en su carácter de representantes de la menor, interpusieron acción de amparo y solicitaron una medida cautelar a los fines de que APROSS otorgará la cobertura integral del medicamento.

Asimismo, se acompañó el informe brindado por la médica pediatra a través del cual se explica que el vorositide es la única alternativa farmacológica existente para el tratamiento de la afiliada, se suministra por inyecciones y es urgente su provisión en tanto debe administrarse desde los dos años hasta la ocurrencia del cierre de los cartílagos. El procedimiento terapéutico anterior a la creación del remedio era la elongación ósea, un procedimiento lento, progresivo y cruento, con intervención quirúrgica.

Los accionantes obtuvieron la autorización de la ANMAT para el ingreso de la medicación, en el marco de la Disposición n.º 10401/2016, referida al RAEM. Asimismo, la droga fue aprobada por la Disposición n.º 5624/2024 de la ANMAT que posibilitó la inscripción de la especialidad médica en el REM, para ser comercializada en Argentina por "Gobbi Novag S.A."

No obstante, la cautelar fue rechazada por la Cámara con fundamento en la no configuración de los requisitos de procedencia de la medida. Ante ello, la parte actora interpuso recurso de apelación.

En la instancia recursiva APROSS manifestó que su actuar se adecuó a la ley, que la prueba de la actora no demostraba que el medicamento fuese indispensable o el único recurso viable y eficaz para el tratamiento de la acondroplasia ni que la información científica sobre la medicación fuera concluyente respecto a su efectividad. Alegó la disponibilidad de alternativas terapéuticas e insistió en que el medicamento no estaba permitido ni determinado como obligatorio por la autoridad de aplicación y que la autorización de la ANMAT para uso compasivo, a través del RAEM, suponía el reconocimiento de que este no estaba autorizado para su circulación en el país, que no era de administración libre por los profesionales de la salud y no integraba el Programa Médico Obligatorio. Remarcó el alto costo de la droga y la ausencia de un estudio de costo-efectividad.

III. Derecho a la salud. Tarea interpretativa a la luz de la perspectiva de vulnerabilidad.

La Organización Mundial de la Salud define a la salud, en el preámbulo de su Constitución (1946), como "un estado de completo bienestar físico, mental y social y no solamente la ausencia de afecciones o enfermedades". El goce del grado máximo de salud que se pueda lograr es uno de los derechos fundamentales de todo ser humano y está ligado al derecho a la vida y a la dignidad humana, reconocidos tanto en la Carta Magna como en los tratados internacionales con jerarquía constitucional.

En esta misma línea, la Corte Suprema de Justicia de la Nación (en adelante CSJN) ha reiterado en varias oportunidades que la vía del amparo es particularmente pertinente cuando se trata de la preservación de la salud y la integridad psicofísica. Así ocurre en el caso de análisis, en que una menor de edad que posee una discapacidad pretende obtener por tal vía la cobertura de un medicamento que le permita mejorar su calidad de vida.

En Las Reglas de Brasilia sobre el Acceso a la Justicia de las Personas en Condición de Vulnerabilidad (2008) se determina que:

Se consideran en condición de vulnerabilidad aquellas personas que, por razón de su edad, género, estado físico o mental, o por circunstancias sociales, económicas, étnicas y/o culturales, encuentran especiales dificultades para ejercitar con plenitud ante el sistema de justicia los derechos reconocidos por el ordenamiento jurídico. Podrán constituir causas de vulnerabilidad, entre otras, las siguientes: la edad, la discapacidad (...).²

El Tribunal Superior de Justicia al hacer lugar a la medida cautelar solicitada, apeló a la "perspectiva de vulnerabilidad". Resaltó que impregna todo sistema jurisdiccional y que posee carácter fundamental. Entendió además que mientras mayor es la vulnerabilidad, mayor debe ser el esfuerzo interpretativo para alcanzar una solución que sea lo más tuitiva de los derechos en juego.

La confluencia de supuestos de vulnerabilidad conduce a afirmar la existencia de situaciones de hipervulnerabilidad que conllevan a una mayor tutela jurídica (Sosa, 2020:125). Tal perspectiva emerge como un criterio interpretativo que exige la aplicación prioritaria del marco normativo más protectorio, cuando una persona reúne algún tipo de vulnerabilidad, lo cual la coloca en una posición de especial fragilidad proyectada tanto en el plano físico como moral.

La reforma constitucional del año 1994 no la incluyó de manera textual, sin embargo, en palabras de Pedernera Allende (2024, p. 22):

La inclusión de la noción de vulnerabilidad en la reforma de 1994 puede darse por medio de, al menos, dos órdenes de razones. Por un lado, un cierto cambio de ethos constitucional implicado en la reforma. Por otro lado, la recepción de elementos normativos textuales de los que podría inferirse la noción.

Respecto de lo primero, cabe afirmar que la última reforma supuso una evolución en el modelo constitucional imperante con el correlativo énfasis y centralidad en la persona humana, tanto en el ámbito de creación legislativa como así también en la posterior interpretación de las normas. A partir de ello, la perspectiva de la persona se erige como garantía de la objetividad y razonabilidad en la interpretación.

En ese mismo sentido la CSJN ha hecho prevalecer la centralidad cardinal de la persona con las siguientes palabras: "El derecho a la vida es el primer derecho de la persona humana que resulta reconocido y garantizado por la Constitución Nacional" (Fallos: 302:1284; 310:112). Y "el hombre es eje y centro de todo el sistema jurídico y en tanto fin en sí mismo —más allá de su naturaleza trascendente— su persona es inviolable y constituye valor fundamental con respecto al cual los restantes valores tienen siempre carácter instrumental" (Fallos: 316:479).

En cuanto al segundo aspecto, es dable resaltar que la CSJN ha interpretado que el reco-

2 Reglas de Brasilia sobre Acceso a la Justicia de las Personas en condición de Vulnerabilidad. 2008. Sección 2da. Beneficiarios de las Reglas. Concepto de las personas en situación de vulnerabilidad. Disponible en <https://www.acnur.org/fileadmin/Documentos/BDL/2009/7037.pdf>

nocimiento de la idea de vulnerabilidad está dado por el artículo 75 inc. 23³ que designa ciertos grupos a los que protege especialmente, incluso a través de medidas de acción positivas, que tal como expresa Gelli (2024, p. 597), tienen por finalidad garantizar la igualdad real de trato, desbrozando los impedimentos culturales que condicionan y limitan la igualdad en los hechos.

Los derechos humanos reconocidos a partir de la constitucionalización de los tratados internacionales (art. 75 inc. 22 de la Constitución Nacional), constituyen principios jurídicos esenciales integrados en el orden constitucional y aplicables a la sociedad en su conjunto. En cuanto aquellos referidos a la preservación de la salud y del bienestar, se destacan el Pacto internacional de Derechos económicos, sociales y culturales (art. 12), la Declaración Americana sobre Derechos y Deberes del Hombre (art. 11).

La Convención Internacional sobre los Derechos de las Personas con Discapacidad adopta expresamente el modelo social de la discapacidad⁴ y determina el reconocimiento que estas tienen de gozar del más alto nivel posible de salud sin discriminación por motivos de discapacidad⁵. En consonancia con este tratado, la Ley Nacional n.º 22.431 estableció un régimen de protección integral, bajo el modelo rehabilitador y fijó responsabilidades en materia de asistencia, prevención, salud, seguridad social, trabajo, educación, seguridad, transporte y arquitectura⁶. Por su parte, la Ley n.º 24.901 modificó el sistema de protección integral de la Ley n.º 22.431 e instituyó a nivel nacional, un sistema de prestaciones básicas.

Se refuerza la protección diferenciada a partir de la Convención sobre los Derechos del Niño, que dispone que en todas las medidas que tomen las instituciones públicas o privadas de bienestar social, los tribunales, las autoridades administrativas o los órganos legislativos, debe atenderse en forma primordial al interés superior del menor, que los Estados Partes reconocen el derecho del niño al disfrute del más alto nivel posible de salud, a servicios para el tratamiento de las enfermedades y la rehabilitación de la salud y que se esforzarán por asegurar que ningún niño sea privado de su derecho al disfrute de esos servicios sanitarios⁷.

En el campo específico de los derechos humanos vinculados a la niñez con discapacidad, la efectividad, promoción y restitución integral de derechos como así también la consideración especial del interés superior del niño, se erigen como imperativos con jerarquía superior que imponen una mayor flexibilidad a la tarea interpretativa.

3 Art. 75 inc. 23: "Corresponde al Congreso (...) 23. Legislar y promover medidas de acción positiva que garanticen la igualdad real de oportunidades y de trato, y el pleno goce y ejercicio de los derechos reconocidos por esta Constitución y por los tratados internacionales vigentes sobre derechos humanos, en particular respecto de los niños, las mujeres, los ancianos y las personas con discapacidad".

4 Véase Gargarella Roberto, Comentarios de la Constitución de la Nación Argentina, Jurisprudencia y doctrina: una mirada igualitaria. Tomo II. La Ley. 2016 (p. 318)

5 Convención sobre los Derechos de las Personas con Discapacidad. Artículo 25. Salud. Disponible en: <https://www.un.org/esa/socdev/enable/documents/tccconvs.pdf>.

6 La CSJN interpretó tal ley y declaró sus objetivos como insertos en el modelo rehabilitador: "El objetivo de la ley 22.431, se dirige fundamentalmente a tratar de conceder a quienes se encuentran discapacitados, franquicias y estímulos que les permitan, en lo posible, neutralizar la desventaja que la discapacidad les provoca, a la vez que otorgar oportunidades para que puedan desempeñar en la comunidad un rol equivalente al que ejercen las personas normales" (CSJN. 03/07/1990, "Franchi, Hector Laerte s/ jubilación". Fallos 313:579).

7 Convención sobre los Derechos del Niño. Art. 3: interés superior del niño. Art. 24: Salud y servicios médicos. Disponible en: <https://www.un.org/es/events/childrenday/pdf/derechos.pdf>.

Con la misma orientación tuitiva, la Ley n.º 9277 -de creación de APROSS- establece que la obra social se compromete a proporcionar una *“atención especial al discapacitado”*. El Máximo Tribunal, en el caso que se analiza, determinó el alcance de tal norma y entendió que APROSS no puede ser ajena a la protección especial que merecen las personas con discapacidad y que es un mandato legal y no una mera interpretación jurisdiccional extensiva.

IV. Enfermedad poco frecuente. Acondroplasia.

Como se indica en el Informe Las Enfermedades Poco Frecuentes en Argentina (2018, p. 4):

Las enfermedades poco frecuentes se caracterizan por su complejidad etiológica, diagnóstica y evolutiva, su importante morbi-mortalidad, altos niveles de discapacidad que dificultan el desarrollo de la persona y su entorno familiar, y que requieren de un cuidado integral de la salud de las personas afectadas.

La acondroplasia es una condición congénita determinada genéticamente. Se origina por una mutación en un gen llamado receptor del factor de crecimiento de fibroblastos tipo 3, FGFR-3, cuya alteración produce falta de crecimiento óseo. Está categorizada como enfermedad poco frecuente según la Resolución n.º 307/2023 del Ministerio de Salud. Esto implica que, como máximo, 1 de cada 2000 personas posee esta patología.

En el orden interno, el Congreso de la Nación sancionó en el año 2011 la Ley Nacional n.º 26.689, y asumió el compromiso de proporcionar un marco más apropiado para reforzar los esfuerzos de su política pública en salud, específicamente en lo referido a las enfermedades poco frecuentes. Fue reglamentada mediante el Decreto n.º 794/2015 que dispuso la creación del Programa Nacional de Enfermedades Poco Frecuentes en el ámbito del Ministerio de Salud, para orientar y asesorar técnicamente a los programas provinciales y de la Ciudad Autónoma de Buenos Aires que adhieran al referido programa nacional.

La ley promueve el cuidado integral de la salud de las personas con EPF y con una marcada orientación asistencial regula los objetivos que la autoridad de aplicación debe promover, tales como acciones destinadas a la detección precoz, diagnóstico, tratamiento y recuperación, en el marco del efectivo acceso al derecho de la salud para todas las personas (art. 1). Se destaca el art. 6 que establece la obligación de cobertura asistencial a las personas con EPF, incluyendo como mínimo las prestaciones que determine la autoridad de aplicación.

En el ámbito local, por medio de la Ley n.º 10.388, la Provincia de Córdoba adhirió a la norma nacional (art. 1) y reguló la obligación de APROSS de *“adecuar sus prestaciones a la Ley Nacional n 26689 cuando así correspondiere”* y de efectuar los ajustes presupuestarios que resulten necesarios para poder brindar una respuesta adecuada a las personas con EPF.

Por otro lado, la Ley n.º 9.277, estableció en su art. 14 inc. que APROSS cuenta con la atribución de proveer excepcionalmente medicamentos y readecuar la cartilla con el fin de brindar una cobertura diferenciada. En concreto, dispone que el directorio podrá reglamentar los supuestos excepcionales de reconocimiento parcial o total de tales gastos, siempre que la patología de que se trate no cuente con solución terapéutica alternativa en tales listados, vademécum o protocolo.

Como se indica en el informe *Las Enfermedades Poco Frecuentes en Argentina* (2018, p. 40):

Los medicamentos específicamente desarrollados para tratar enfermedades poco frecuentes, muy graves o que causan una amenaza para la vida son llamados "medicamentos huérfanos" según la definición de la Agencia Europea para la Evaluación de Medicamentos (EMA). Estos medicamentos, en su gran mayoría, son la única opción terapéutica disponible para un número de EPOF. Por ello, se los considera de alto valor terapéutico que muchas veces viene asociado también a altos costos de I+D.⁸ Si bien el interés de las compañías farmacéuticas de medicamentos huérfanos está creciendo, aún en la actualidad existe un número muy escaso de estas drogas destinadas a ralentizar las enfermedades y aún menos las destinadas a curarlas.

No escapa a la realidad que los tratamientos y medicamentos de este tipo de enfermedades sean costosos, pues son requeridos por una pequeña fracción de la población. Pero el acceso a los mismos no debería considerarse un privilegio ni el factor económico un impedimento adicional, es que no sirven de nada las conquistas de la técnica médica si no son accesibles a la población.

En esa misma línea lo pregona el art. 15.1 inc. b del Pacto Internacional de Derechos Económicos, Sociales y Culturales (1966) al asegurar el derecho de todos de gozar de los beneficios del progreso científico y de su aplicación. Sostener lo contrario implica una conducta discriminatoria y paradójica, al restringir el acceso a medicamentos y tecnologías, precisamente, al colectivo que más puede verse favorecido por dichos avances en el campo médico.

En este mismo sentido, el tribunal exigió a la obra social ir más allá de puras consideraciones económico-financieras a la hora de decidir respecto de la cobertura del medicamento y abordar el caso específico de la afiliada dejando a un lado los juicios genéricos. Criticó la ausencia de elementos numéricos aportados por la demandada que permitan apreciar la supuesta relevancia del costo del medicamento.

Es decir que la judicatura ponderó el alto costo económico de conceder la cautelar solicitada y las consecuencias al sistema de solidaridad y previsión que conforma APROSS y el estado provincial, porque si bien no debe restringirse el derecho a la salud por motivos meramente económicos, un gasto de la magnitud del necesario para adquirir la droga solicitada sólo puede justificarse frente a la evidencia de su necesidad real y efectiva para el tratamiento de la enfermedad, con beneficios significativos frente a terapias soporte y con medicamentos comercializados en el país. Tales circunstancias fueron acreditadas en el caso de análisis por medio de la a) prescripción de la médica tratante de la menor, b) la autorización de ANMAT respecto de la importación de los medicamentos, c) la incorporación del fármaco al REM durante al año 2024, d) el trámite previsto por el RAEM, e) la prueba de la ausencia de un fármaco alternativo.

Finalmente, el tribunal destacó la posibilidad de la accionada de celebrar acuerdos interjurisdiccionales para suministrar el medicamento, conforme lo regula el art. 7 de la Ley 26.689⁹.

⁸ I + D hace referencia a los costos de investigación y desarrollo del medicamento.

⁹ Art. 7 Ley n° 26.689: El Ministerio de Salud de la Nación debe promover acuerdos con las autoridades jurisdiccionales,

En definitiva, esta novedosa decisión judicial que legitima la procedencia del fármaco solicitado, pone de relieve la importancia que posee el derecho a la salud por sobre consideraciones de tipo patrimoniales y de rigurosidad en cuanto a los procedimientos administrativos de autorización estatal (Barone, 2021, p. 196). Es que, tal como lo sostuvo el Tribunal Superior, si bien no debe prescindirse de un análisis económico del caso y sus proyecciones jurídicas, sociales y económicas, tampoco la tutela judicial, cuando se trata del derecho a la salud, podría medirse por razones exclusivamente presupuestarias.¹⁰

V. La Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica.

1. El Registro de Especialidades Medicinales.

Las actividades de importación y comercialización de especialidades medicinales se encuentran contempladas en la Ley n.º 16.463 y en los Decretos n.º 9763/64 y 150/92 (t.o. 1993) y sus normas complementarias, que establecen que tales actividades podrán realizarse previa autorización, y bajo contralor, de la autoridad sanitaria.

Por su parte, el art. 1 del Decreto n.º 9763/64, reglamentario de la Ley n.º 16.463, establece que el ejercicio del poder de policía sanitaria referido a las actividades indicadas en el art. 1 de la mentada ley se hará efectivo por el Ministerio de Asistencia Social y Salud Pública de la Nación, actual Ministerio de Salud.

Además, el decreto n.º 1490/92 crea la ANMAT, organismo autárquico y descentralizado de la Administración Pública Nacional, con jurisdicción en todo el territorio nacional, con funciones de contralor y fiscalización sobre la sanidad y calidad de las drogas, medicamentos, y todo producto de aplicación en medicina humana, como así también la facultad para otorgar registros sanitarios.

El decreto n.º 150/92 (t.o. 1993), reglamentario de la Ley n.º 16.463, se refiere al registro, elaboración, fraccionamiento, expendio, comercialización, exportación e importación de medicamentos y especialidades medicinales. Establece que la comercialización de especialidades medicinales o farmacéuticas en el mercado local está sujeta a la autorización previa de la autoridad sanitaria nacional y que las especialidades medicinales o farmacéuticas autorizadas para su expendio en el mercado nacional serán las inscriptas en un registro especial. El art. 3 reglamenta lo relativo al procedimiento de solicitud de inscripción en el REM. Por su parte, la disposición de ANMAT n.º 7075/11 establece los requisitos y exigencias para el registro de especialidades medicinales de origen biológico.

Una vez especificado el marco normativo aplicable, cabe destacar que en el caso que se analiza, en sede administrativa, la accionada rechazó la cobertura integral del medicamento bajo el argumento de que no se encontraba en estado de ser comercializada y se amparó para ello en el art. 14 inc. b. de la Ley n.º 9.277 que establece que APROSS no otorgará cobertura asistencial ni reconocerá reintegro de gastos cuando se trate de prestaciones y medicamentos en etapa experimental, no avalados por instituciones científicas reconocidas a nivel nacional, y no incluidos en su menú prestacional.

para proveer atención integral de la salud a las personas con EPF, que no estén comprendidas en el artículo 6º de la presente ley, conforme lo establezca la reglamentación.

10 "Monteverde, Sabrina Sofía c/ Administración Provincial del Seguro de Salud (APROSS)- Amparo (Ley 4915)". Expediente 99255639.

Sin embargo, para que opere tal previsión, deben de reunirse tres condiciones simultáneas: a) que sea un medicamento en etapa experimental; b) que no esté aprobado por instituciones científicas a nivel nacional y c) que no esté incluido en la cartilla de prestaciones de la obra social. Lo cual no ocurrió en autos.

El quid de la cuestión radica en la comercialización del medicamento para tratar la acondroplasia. Se acreditó en la causa que la firma Biomarín, representado en la Argentina por Gobbi Novag S.A., pidió la inscripción en el REM del producto voxzogo/vosoritide y que tal solicitud fue autorizada por medio de la Disposición n.º 5624 de fecha 25/06/2024, una vez probado un aceptable balance riesgo- beneficio de la especialidad médica, lo cual, a criterio del Máximo Tribunal, conjuró la aseveración de la accionada respecto de que la droga no había sido aprobada por la autoridad científica correspondiente.

2. El Régimen de Acceso de Excepción a Medicamentos

Cuando se presentan circunstancias excepcionales -como la inexistencia de tratamientos específicos, la intolerancia a las terapias disponibles, la incompatibilidad farmacológica o el riesgo fundamentado de efectos adversos con los medicamentos existentes- surge la necesidad de una respuesta idónea y eficaz, y de adecuar la normativa vigente para que contemple estas situaciones concretas.

Es por ello que el Decreto n.º 150/92 (t.o. 1993), ya explicado precedentemente, que determina la prohibición en todo el territorio nacional de la comercialización de especialidades medicinales o farmacéuticas no registradas, establece excepciones a tal regla. Entre ellas se destaca el Régimen de Acceso de Excepción a Medicamentos, un procedimiento específico implementado por la ANMAT que permite importar drogas bajo un régimen de uso compasivo, destinado a situaciones excepcionales en las que no existe en el país una alternativa terapéutica adecuada para el tratamiento de pacientes particulares. Fue aprobado por la Disposición n.º 10401 / 2016 de la ANMAT.

La Disposición de ANMAT N.º 10874/ 17, por su parte, se aplica en casos de pacientes que requieran imprescindiblemente de un medicamento que no esté registrado en el país pero que sí lo esté en países incluidos en el Anexo I del Decreto n.º 150/92 o en países con los que se haya establecido convergencia regulatoria, o en un paciente con condiciones clínicas que contraindiquen la utilización de los medicamentos en sus formas farmacéuticas o concentraciones disponibles en el país y requiera de uno que si lo esté en alguno de los países mencionados. También en las solicitudes destinadas a pacientes con serio riesgo de vida o de secuelas graves en los que el tratamiento necesario se halle aún en investigación clínica avanzada en uno de los países indicados, o en el Anexo I de la ley, y del que se disponga de información suficiente y de moderada a alta calidad que sugiera que el balance beneficio- riesgo es aceptable para los pacientes.

El pedido de importación de un medicamento a través del nuevo registro deberá realizarse junto con la presentación de una declaración jurada confeccionada por el médico tratante, que posea los antecedentes profesionales suficientes para garantizar la pertinencia de la indicación y el seguimiento de los tratamientos, fundamentado con evidencia científica, más el consentimiento informado firmado por el paciente o sus representantes legales.

Puede decirse en conclusión que el núcleo duro del uso compasivo yace en la relación médico-paciente: el primero, que tiene un rol determinante, a través de su informe re-

quiriéndolo como indispensable y; el segundo, que es quien decide someterse al tratamiento y presta su consentimiento (Medina 2016:8).

En el caso que se analiza, los progenitores de la afiliada iniciaron el trámite administrativo previsto por el RAEM de manera previa a la interposición de la demanda y obtuvieron la autorización de ANMAT para la importación de dieciocho cajas de medicamento a nombre de la menor el día 10/05/2.024.

Tal autorización revistió importancia para el tribunal a la hora de analizar el caso, pues fue una prueba de la verosimilitud del derecho. Ello porque la propia ANMAT al aprobar la importación del vorositide, entendió que era la mejor alternativa para cubrir las necesidades clínicas de la menor, a partir del examen de la médica de la afiliada y el sustento científico.

Cabe destacar que son los médicos los que están en mejores condiciones de elegir el tratamiento más adecuado. Esto, por su conocimiento directo de la patología de sus pacientes. Por otro lado, el informe que confeccionó la firma Biomarin refuerza esta conclusión, ya que responde directamente a la Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Excelencia Clínica (CONETEC). En dicho documento, se destaca que el vorositide es el único tratamiento farmacológico disponible para la acondroplasia que actúa contrarrestando el efecto de la mutación del gen FGFR3 subyacente que causa la enfermedad.

El Tribunal Superior razonó en el caso bajo análisis que el catálogo de prestaciones vigentes no constituye el criterio determinante para evaluar la verosimilitud del derecho invocado por el afiliado. Esta interpretación se fundamenta en que, de adoptarse el criterio contrario, resultaría suficiente que un servicio o medicamento no se encuentre comprendido en el listado de la obra social para denegar cualquier pretensión sanitaria. Tal interpretación subordinaría los derechos fundamentales a la salud y a la vida —que gozan de amplia protección constitucional y convencional— a las limitaciones contingentes de los listados prestacionales.

VI. Conclusiones

Entiendo que los jueces deben dejarse guiar por la directiva axiológica y hermenéutica pro homine, que informa al campo de los derechos humanos y que deben ser los principios constitucionales de desarrollo progresivo y no regresividad de los derechos los que rijan la tarea interpretativa de los magistrados al resolver controversias.

Los jueces no resuelven tesis de derechos encerrados en principios abstractos, sino que deciden casos concretos, segmentos del cotidiano drama de la vida, caracterizados por infinitas diferencias.

No escapa la realidad que una resolución en el caso concreto puede modificar el destino de los recursos públicos sin una correlativa planificación gubernamental, por lo cual, el magistrado debe resolver con cautela y con la debida fundamentación lógica y legal, con sustento en las particularidades del caso en cuestión, tomando en consideración las situaciones de vulnerabilidad de quienes procuran la tutela jurisdiccional, muchas veces en situación de desespero frente a los apremiantes motivos de salud que los impulsan a procurar el auxilio de los tribunales, en la incesante búsqueda de una respuesta justa, expedita y tuitiva.

La resolución dictada por el Tribunal Superior de Justicia de Córdoba en la causa de análisis resulta interesante en cuanto a la novedad del objeto de la controversia, que es la provisión de un medicamento de reciente invención y autorización por la autoridad sanitaria. Consideración aparte merece el análisis brindado por la judicatura respecto de las pautas orientativas e interpretativas que deben regir la tarea jurisdiccional. Opino que el juez debe, a través de un rol activo y motivado por el sentido de justicia, ponderar los factores que surgen en cada caso concreto a la luz de la perspectiva de la vulnerabilidad, para poder prestar un servicio de justicia de calidad y con base en la equidad.

Estimo relevante apostar a una visión de la salud como un bien social y no como una mercancía. Existe una discusión centrada en la optimización de los recursos presupuestarios que desplaza el interés en las reales necesidades de la población. Esto conlleva el riesgo de la aparición de un nuevo paradigma que postergue al paciente y erija una atención centrada en los costos.

Tal como lo expresó el Dr. Ricardo Lorenzetti (Fallo 330-3725) “corresponde afirmar claramente que los derechos vinculados al acceso a prestaciones de salud integrales no pueden ser meramente declarativos, porque su goce efectivo es lo que permite a una persona desplegar plenamente su valor eminente como agente moral autónomo, base de la dignidad humana que esta Corte debe proteger”.

En ese sentido, estimo que todos quienes integran el Estado tienen el deber indelegable de garantizar una protección especial y diferenciada, conforme a las particularidades de cada situación concreta y considerando los diversos contextos de vulnerabilidad que pudieran presentarse. Todo ello, con el objeto de asegurar la máxima operatividad y eficacia de la tutela de los derechos humanos, evitando así que se conviertan en declaraciones carentes de efectividad o en meros *derechos de papel*.

Referencias bibliográficas

- Barone, L. D. (2021). *Amparo de salud: Un análisis desde la jurisprudencia*. Advocatus.
- Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes. (2018). *Las enfermedades poco frecuentes en Argentina* [Informe]. https://fadepof.org.ar/_recursos/noticias/archivos/202304170137554776.pdf
- Gelli, M. A. (2004). *Constitución de la Nación Argentina: Comentada y concordada*. La Ley.
- Medina, G. (2016). *Derecho de los pacientes a tratamientos no autorizados expresamente por ley*. La Ley.
- Organización Mundial de la Salud. (1946). *Constitución de la Organización Mundial de la Salud*. https://apps.who.int/gb/edg/pdf_files/Ref-docs/constitucion-sp.pdf
- Pedernera Allende, M. (2024). La vulnerabilidad como categoría de control de constitucionalidad: La reforma constitucional de 1994 como condición necesaria. *Revista de Doctrina y Jurisprudencia El Derecho*, 11, 24. <https://www.elderecho.com.ar/pop.php?option=publicacion&idpublicacion=433&idedicion=22079>
- Sosa, G. L. (2020). El poder de la vulnerabilidad: Implicancias en la interpretación y aplicación del derecho. *Revista Eletrônica Direito e Sociedade*, 8, 125. <https://revistas.unilasalle.edu.br/index.php/redes/issue/view/287>

- XIV Cumbre Judicial Iberoamericana. (2008). *Reglas de Brasilia sobre acceso a la justicia de las personas en condición de vulnerabilidad*. ACNUR.
<https://www.acnur.org/fileadmin/Documentos/BDL/2009/7037.pdf>