



# EL ACCESO A MEDICINA NO APROBADA: ¿UNA BUENA OPCIÓN PARA MÍ? (ESTADOS UNIDOS)



# EL ACCESO A MEDICINA NO APROBADA: ¿UNA BUENA OPCIÓN PARA MÍ? (ESTADOS UNIDOS)



## INTRODUCCIÓN

¿Qué pasaría si el medicamento que podría mejorar, o incluso salvar su vida, estuviese disponible para otros —pero no para usted? Esa es la realidad que enfrentan muchos pacientes que sufren de enfermedades raras y difíciles de diagnosticar, y que no tienen acceso a las medicinas que necesitan. Puede que hayan agotado todas las terapias comerciales disponibles, o que no puedan participar en un ensayo clínico; o puede que no haya el impulso para mercadear la droga deseada en Estados Unidos. En otros casos, puede que exista una escasez temporal en el suministro de un medicamento necesario, o que éste haya sido discontinuado.

El acceso a una medicina fuera de un ensayo clínico o que no esté disponible comercialmente puede representar una nueva opción de tratamiento, y en muchos casos, un tratamiento que puede salvar vidas.

El proceso de obtener acceso a tratamientos que no están disponibles en la actualidad puede resultar confuso para los pacientes y sus familias. Este kit le proveerá información acerca de los programas de acceso, le explicará cómo trabajan, y le aconsejará a pacientes y familiares dónde obtener más información.

## ¿Qué significan los términos “acceso expandido” y “uso compasivo?”

En Estados Unidos, uso **expandido** es el término que usa la Administración de Medicamentos y Alimentos (FDA por sus siglas en inglés) para describir las avenidas legales mediante las que se puede obtener acceso a medicamentos fuera de ensayos clínicos o entornos comerciales. El acceso expandido, también conocido como **uso compasivo**, les provee a los pacientes acceso a:

- Medicamentos que aún están en etapa de desarrollo clínico
- Medicamentos que no han sido aprobados por la FDA o que no están disponibles comercialmente
- Medicamentos que podrían ofrecer beneficios a un pequeño segmento de la población, aun cuando no vayan a ser aprobados comercialmente
- Medicamentos aprobados en otros países, pero no en Estados Unidos

“El término uso compasivo se usa con frecuencia para reemplazar el acceso expandido,” dice Shannon Reedy, directora de Chase the Cure. “El uso es apropiado porque los pacientes buscan drogas fuera de los ensayos clínicos formales, y dependen de la compasión de los médicos, la FDA, y los fabricantes de drogas para que les concedan el acceso a una opción que les puede salvar la vida.”

# SECCIÓN 1: PARA PACIENTES EN ESTADOS UNIDOS



En el 1987, la FDA estableció regulaciones que les permiten a los pacientes tener acceso a medicinas que se encuentran en etapa de desarrollo. Una vez que un medicamento ha tenido resultados positivos en los ensayos médicos y se ha comprobado que es seguro, se podría considerar ofrecer acceso al mismo.

Sin embargo, es importante enfatizar que a fin de cuentas son los fabricantes quienes deciden o no ofrecer una droga que no ha sido aprobada; y que no están en la obligación de acceder a la solicitud de un paciente o de un proveedor de salud.

## Reglamentos actuales de la FDA

Las regulaciones de la FDA para los Programas de Acceso Expandido se enmendaron en el 2009 para asegurar “acceso amplio y equitativo a medicamentos en etapa experimental.”

Estos reglamentos incluyen:

- Requisitos para la compañía que fabrica el medicamento
- Criterios específicos para determinar la elegibilidad de los pacientes
- Salvaguardias para proteger a los pacientes, dado que estas medicinas no han sido aprobadas para uso comercial en los Estados Unidos

- Una declaración que indica que el programa de acceso no puede interferir con un ensayo clínico en curso. Esto significa que si un paciente es elegible para participar en un ensayo clínico, éste deberá elegir esa opción, porque un ensayo clínico toma precedencia sobre un programa de acceso

Los reglamentos también definen las diferentes avenidas que están a disposición de los pacientes, como por ejemplo:

- **Pacientes individuales:** La opción de paciente individual es el proceso mediante el cual un doctor puede solicitar que los fabricantes de drogas pongan sus medicamentos a la disposición de un paciente en particular, aun cuando dicho medicamento no esté disponible en los Estados Unidos o esté aún bajo estudio clínico. Si la compañía está de acuerdo, ésta le provee al doctor la información requerida por la FDA. El doctor puede solicitar aprobación de la FDA para atender al paciente y solicitar aprobación periódicamente de la FDA para suministrar la droga nuevamente. La FDA tiene 30 días para responder a una solicitud que ha sido completada correctamente. Existen provisiones para solicitudes urgentes hechas por teléfono al FDA, y la aprobación puede ser otorgada el mismo día o en 24 horas. El patrocinador de la droga debe aprobar cualquier solicitud antes de que esta sea presentada al FDA, incluso las de carácter urgente.
- **Grupos de pacientes:** La FDA establece criterios específicos bajo los cuales una compañía farmacéutica puede designar a un grupo de pacientes para que reciban el medicamento, como por ejemplo, cuando la enfermedad es tan rara que la compañía

## SECCIÓN 1: PARA PACIENTES EN ESTADOS UNIDOS

no logra reclutar pacientes para ensayos clínicos. Bajo el escenario grupal, la compañía farmacéutica establece criterios por escrito (conocidos como protocolo de tratamiento) que designan claramente la población exacta que tendrá acceso a la medicina. En este caso, un doctor puede “inscribir” a los pacientes adecuados en el programa y recibir acceso al medicamento antes de que la droga esté disponible comercialmente, o por períodos extendidos (incluso años) si es que la compañía no tiene planes de comercializar la droga.

Para obtener más información acerca de los reglamentos de acceso expandido de la FDA, visite el portal para pacientes del sitio web de la FDA en: <http://www.patientnetwork.fda.gov/find-other-treatment-options/expanded-access-0>.

### Más opciones para obtener acceso

Además de los programas de acceso expandido de la FDA, los pacientes que reúnen ciertos requisitos tienen la opción de importar la droga que necesitan directamente del extranjero. Esto se conoce como **importación personal de medicinas** y requiere que el paciente, su cuidador, o su médico localice el fabricante o vendedor de la droga en el extranjero y que esté acceda a vender la droga. La FDA no ha establecido reglamentos para la importación personal de estas medicinas, pero sí provee orientación en cuanto al protocolo a seguir para la importación de drogas que no cuentan con su aprobación. (El importe de drogas que no han sido aprobadas por el FDA es ilegal. Sin embargo, en ciertas circunstancias, la FDA permite —a su discreción— que un medicamento no aprobado sea importado para ayudar en el tratamiento un paciente.)

Cheryl Sacks, paciente de la enfermedad rara conocida como Fabry, recurrió a la FDA cuando su salud comenzó a decaer rápidamente. Aunque Cheryl ya tomaba el medicamento Fabrazyme® producido por Genzyme, su doctor opinaba que su salud no mostraba mejoría. Por eso recurrieron a la competencia —la droga Replagal® de Shire Pharmaceutical, aprobada en Europa pero no en Estados Unidos.

“La FDA fue una herramienta fundamental para que yo pudiera obtener la droga Replagal®,” dice Sacks. “Ellos me guiaron a través del proceso, hasta que pude obtener la medicina.”

Aunque no se requiere tener aprobación directa de la FDA, es importante trabajar de cerca con sus representantes para obtener instrucciones específicas acerca de cómo importar el medicamento a los Estados Unidos. Esto es crucial para asegurar que no haya demoras cuando la medicina llegue a aduana.

Para ponerse en contacto con un representante de la FDA y asegurarse de que no hayan demoras al momento de recibir su medicina, visite el sitio de la Oficina de Salud y Asuntos del Votante de la FDA, **Office of Health and Constituent Affairs** (<http://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/OC/OfficeofExternalAffairs/ucm343095.htm?source=govdelivery>).

Según dice Cheryl Sacks, otro impedimento para importar medicamentos no aprobados a individuos es el alto volumen de material administrativo que se requiere completar antes de exportar una droga a un paciente individual.

“Fue necesario reunir varios documentos, una receta de mi doctor e incluso tramitar un poder legal para que un representante pudiera tomar decisiones a mi nombre, recibir el envío en aduana y traerlo a mi casa,” dice ella.

## SECCIÓN 2:



# ¿CUÁLES SON LOS RIESGOS?

Existen varias razones que pueden afectar la aprobación de una droga por la FDA, o su disponibilidad comercial en los Estados Unidos, como por ejemplo:

- El riesgo potencial de la droga
- La falta de un beneficio clínico significativo
- Alto costo de mercadear la droga

Al fin y al cabo, la decisión de tomar medicamentos no autorizados debe ser hecha en consulta con su médico. Tenga presente que siempre hay una posibilidad de que la medicina no funcione o de que tenga serios efectos secundarios.

### Consentimiento informado

Antes de participar en un programa de acceso expandido, los individuos (o sus guardianes legales) deben revisar y estar de acuerdo con ciertas cláusulas delineadas en un documento de **consentimiento informado**. El doctor, o la compañía farmacéutica, proveerán este documento que contiene información específica acerca del programa y los riesgos asociados con el uso del medicamento no aprobado. El paciente, o su guardián legal, tienen que firmar el documento para poder tener acceso a la medicina.

Para obtener más información acerca del consentimiento informado, lea “Elementos del Consentimiento Informado”, Elements of Informed Consent”, en el sitio web del Instituto Nacional para la Investigación del Genoma Humano, **National Human Genome Research Institute** (<http://www.genome.gov/27526659>). Ahí encontrará una explicación detallada del procedimiento a seguir.

## SECCIÓN 3: ¿CUÁLES SON LOS COSTOS?

Por lo general, las medicinas que se obtienen en los Estados Unidos a través del programa de acceso expandido (para un paciente individual o un grupo de pacientes) son ofrecidas sin costo alguno por las compañías farmacéuticas. Sin embargo, las farmacéuticas tienen la opción de exigir un pago para recobrar el costo de producir la droga y los gastos de enviarla a la oficina del doctor. Estos costos suelen ser cubiertos por el paciente, o en raras ocasiones, por una compañía de seguros. Cabe señalar que la mayoría de los proveedores de seguros de salud no cubren el costo de drogas en etapa de investigación o de medicinas que no han sido aprobadas en los Estados Unidos.

En el caso de que un paciente decida importar la medicina para su uso personal, el suplidor de la droga en el extranjero le ofrecerá al proveedor de salud o al paciente un precio de venta. Los pacientes suelen cubrir el costo de la medicina, pero tienen la opción de pedir ayuda a su proveedor de seguro. A continuación, le ofrecemos algunos ejemplos de las circunstancias —poco comunes— en las que una compañía de seguros en Estados Unidos ha accedido a cubrir el costo de la droga.



## SECCIÓN 4: POSIBLE IMPACTO EMOCIONAL

“Pasamos por unos momentos muy difíciles,” dice Sarah Knight, madre de un niño con enfermedad mitocondrial. “Te emocionas mucho cuando el doctor te habla de un posible tratamiento, pero te deprimas cuando te das cuenta de que antes de que tu hijo pueda obtener la medicina, tienes que llenar muchísimos documentos, y pasar por una gran cantidad de exámenes, reuniones con doctores, y hasta puede que tengas que visitar otros hospitales.”

Es importante entender que el proceso de tratar de obtener medicinas no aprobadas toma tiempo, y que considere cómo esto puede afectar a su familia. El proceso puede afectar la calidad de vida de sus seres queridos; y hay otros factores que debe considerar. Pregúntese:

- ¿Estoy dispuesto(a) a dedicar el tiempo necesario para obtener esta medicina?  
¿Estoy consciente de que podría pasar ese tiempo con mi ser querido?
- ¿Podrá el resto de la familia manejar las ausencias al trabajo y/o la falta de atención que pueden resultar de este proceso?
- ¿Estoy dispuesto a aceptar que cuando por fin obtenga la medicina, los síntomas de mi ser querido podrían haber empeorado?
- ¿Estoy dispuesto a aceptar que esta medicina podría empeorar, en vez de mejorar, los síntomas de mi ser querido?



## SECCIÓN 5: CÓMO INICIAR EL PROCESO



Si piensa explorar el acceso a un tratamiento no aprobado, o a una droga que no está actualmente disponible en los Estados Unidos, lo primero que debe hacer es discutir el tema con su médico. Si éste cree que usted podría beneficiarse de una medicina no autorizada, pregúntele si él o ella se siente cómodo de contactar a la compañía farmacéutica o al vendedor en nombre suyo.

Este es solo el primer paso que un médico debe tomar al solicitar una medicina no aprobada para un paciente. Para más información acerca del proceso, invite a su doctor a visitar el sitio Solicitud del Médico, **Physician Request**, de la FDA, en: (<http://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/How-DrugsareDevelopedandApproved/ApprovalApplications/InvestigationalNewDrugINDApplication/ucm107434.htm>).

Tenga en cuenta que la FDA tiene derecho a rechazar las solicitudes de acceso a drogas en etapa de investigación. Puede ser que las farmacéuticas o compañías de biotecnología que han producido la medicina no puedan, o no quieran, ofrecerla. La ley no requiere que las compañías provean este tipo de acceso, ni que desarrollen drogas para este propósito; éstas lo hacen a su completa discreción. Hay muchas razones para que una compañía rechace una solicitud de uso compasivo, como por ejemplo:

- **Falta de eficacia:** Existe poca o ninguna evidencia de que la droga es eficaz en el tratamiento de la enfermedad
- **Riesgos potenciales:** La droga puede tener problemas de toxicidad o causar graves efectos secundarios que el público general desconoce
- **Capacidad de producción:** Las drogas pueden ser costosas y difíciles de producir. Además, el suministro de la materia prima puede ser limitado, lo que reduce la posibilidad de producir suficiente cantidad de la droga como para justificar el acceso expandido. Por último, la razón principal para suministrar la droga es en apoyo al ensayo clínico, y por lo tanto, puede que las drogas no estén disponibles para pacientes que no son parte del estudio.

“Es importante entender que la compañía tiene que estar dispuesta a acceder al uso compasivo,” dice Pat Furlong, presidenta y fundadora del proyecto Parent Project Muscular Dystrophy (Proyecto Padres Distrofia Muscular). “Algunas compañías consideran que el uso compasivo conlleva mucho riesgo, porque si ocurre un evento negativo, éste podría ser incluido en la etiqueta del producto. Otras compañías, (en particular las empresas incipientes o las biotécnicas de pequeña escala) puede que solo tengan la capacidad de producción para suplir un ensayo clínico, o que no cuenten con los recursos para cubrir los costos de apoyar a pacientes en un programa de acceso expandido.”

Cuando el suministro de la medicina es reducido, algunas farmacéuticas pueden establecer un programa de selección aleatorio, mediante el cual los pacientes calificados son elegidos al azar para obtener las drogas, con la intención de hacer el proceso justo y equitativo. Otras compañías podrían evaluar las solicitudes de manera individual para determinar la elegibilidad.

## SECCIÓN 5: CÓMO INICIAR EL PROCESO

### Obtenga más información

Además de hablar con su médico, infórmese acerca del programa de acceso expandido en **Clinicaltrials.gov** (<http://www.clinicaltrials.gov>). Ahí podrá obtener un listado de todos los estudios clínicos existentes, así como de los programas de Acceso Expandido/Usos Compasivos en Estados Unidos.

Los grupos de apoyo a pacientes pueden darle más información acerca de las opciones de acceso expandido y ofrecerle orientación a través de sus foros y juntas de discusión. Según Sarah Knight, “Creo que para tener acceso a ensayos clínicos, drogas no aprobadas, etc. es importante relacionarse con el mayor número de grupos de apoyo posible, y aprender los unos de los otros. Porque a veces todo puede depender de esos contactos.”

Para ayudarle, la oficina de Investigación de Enfermedades Raras (Rare Diseases Research) del Centro Nacional para el Avance de las Ciencias de Transferencia, (National Center for Advancing Translational Sciences) ha preparado un listado de **organizaciones de apoyo** que sirven a pacientes de enfermedades raras ([http://rarediseases.info.nih.gov/files/Patient\\_Support\\_Groups\\_ORDR%20List.pdf](http://rarediseases.info.nih.gov/files/Patient_Support_Groups_ORDR%20List.pdf)).

# GUÍA DE RECURSOS



## Eduque a los médicos acerca del acceso expandido:

### Physician Reference: A Guide to Navigating Expanded Access

(Referencia para los médicos: Una guía para navegar el acceso expandido)

([http://www.idispharma.com/sites/default/files/uploads/Idis\\_Talk%20to%20your%20doc%20FS\\_022912.pdf](http://www.idispharma.com/sites/default/files/uploads/Idis_Talk%20to%20your%20doc%20FS_022912.pdf)): Esta guía ofrece un resumen de los pasos a seguir para obtener medicinas que no han sido aprobadas para uso personal por la FDA. Usted puede imprimir la guía y compartirla con el médico para motivarle a participar en el proceso.

**FDA's Physician Request Site (Sitio Web para Requisiciones Médicas de la FDA)** (<http://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/HowDrugsareDevelopedandApproved/ApprovalApplications/InvestigationalNewDrugINDApplication/ucm107434.htm>): Este sitio ofrece toda la información que el médico necesita para solicitar medicinas no aprobadas para pacientes individuales.

## Obtenga más información acerca del acceso expandido:

**FDA Office of Health and Constituent Affairs (Oficina de Salud y Asuntos del Votante de la FDA)** (<http://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/OC/OfficeofExternalAffairs/ucm343095.htm?source=govdelivery>): Si tiene preguntas o desea obtener más información acerca de los programas de acceso expandido, esta oficina de la FDA puede ayudarle.

**FDA's Patient Network (Red de Pacientes de la FDA)** (<http://www.patientnetwork.fda.gov/find-other-treatment-options/expanded-access-0>): A través de esta red de pacientes, usted puede aprender más acerca de la FDA y cómo funciona, dar su opinión acerca de productos médicos nuevos o existentes, compartir sus preocupaciones con los miembros de la FDA y obtener información adicional acerca del acceso expandido.

## Encuentre organizaciones de apoyo al paciente:

**The NCATS Office of Rare Diseases Research (Oficina para la Investigación de Enfermedades Raras del Centro Nacional para el Avance de las Ciencias de Transferencia)** ([http://rarediseases.info.nih.gov/files/Patient\\_Support\\_Groups\\_ORDR%20List.pdf](http://rarediseases.info.nih.gov/files/Patient_Support_Groups_ORDR%20List.pdf)): Este enlace le da acceso a un listado de organizaciones que apoyan a la comunidad que sufre enfermedades raras. Si un ser querido ha sido diagnosticado con una enfermedad rara y que limita la vida, unirse a un grupo de apoyo o a una organización en defensa del paciente puede ser sumamente útil.

# GUÍA DE RECURSOS



## Solicite acceso a medicamentos no aprobados:

**Abigail Alliance for Better Access to Development Drugs (Alianza Abigail para Mejorar el Acceso a Drogas en Etapa de Desarrollo)** (<http://www.abigail-alliance.org/>): Esta organización en defensa del paciente trabaja para acelerar el proceso de aprobación de drogas que están bajo investigación pero que tienen el potencial de salvar vidas. La alianza también promueve maneras creativas de aumentar los programas de acceso expandido y de uso compasivo.


**Clinicaltrials.gov** (<http://www.clinicaltrials.gov>): Este sitio web provee un listado completo de todos los ensayos clínicos y programas de acceso expandido o de uso compasivo disponibles actualmente en Estados Unidos. Ingrese las siglas “EAP” en el campo de búsqueda, o elija Expanded Access Programs en el menú desplegable.

**Idis Inc.** (<http://www.idispharma.com/who-we-help/patients>, <http://www.idispharma.com/who-we-help/advocacy-groups>): Idis trabaja de cerca con las farmacéuticas y las comunidades de pacientes para apoyar el acceso a pacientes necesitados. Su sitio web incluye enlaces de apoyo para ayudar a los pacientes y a los grupos en defensa del paciente a explorar el acceso a medicamentos.

**NORD’s Expanded Access/Random Selection Program (Organización Nacional para los Desórdenes Raros/Programa de Selección Aleatoria)** (<https://www.rarediseases.org/industry/patient-programs>): NORD trabaja de cerca con las compañías farmacéuticas y de biotecnología para proveerle a los pacientes información acerca de los ensayos clínicos, y también administra programas aleatorios de selección computarizada cuando hay un suministro limitado de una droga en etapa de investigación.

## Entienda el Consentimiento Informado

“Elements of Informed Consent Breakdown” del **National Human Genome Research Institute (“Elementos Básicos del Consentimiento Informado” del Instituto para la Investigación del Genoma Humano)** (<http://www.genome.gov/27526659>): Obtenga información detallada acerca del consentimiento informado.



# AYUDE A OTROS: COMPARTA SUS CONSEJOS Y TRUCOS



Si desea compartir sus experiencias, o tiene algún comentario o sugerencia, puede hacerlo electrónicamente en <http://globalgenes.org/toolkits>.





**Colaboradores:**

**Frank Burroughs**

*Fundador, Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs*  
<http://www.abigail-alliance.org>

**Karen Frascello**

*Global Business Development, Idis Limited*  
<http://www.idispharma.com>

**Pat Furlong**

*Presidente y Fundadora, Parent Project Muscular Dystrophy*  
[http://www.parentprojectmd.org/site/PageServer?pagename=nws\\_index](http://www.parentprojectmd.org/site/PageServer?pagename=nws_index)

**Sarah Knight**

*madre de un niño con enfermedad mitocondrial*

**Shannon Reedy**

*Directora, Chase the Cure*  
<http://www.chasethecure.net>

**Cheryl Sacks**

*paciente de Enfermedad de Fabry*



Global Genes  
Idis Limited

<http://globalgenes.org/toolkits>