



4. IMPULSO Y CONTROL DE LA ACCIÓN DE GOBIERNO

461. Preguntas para respuesta oral en Comisión

POC/000494-02 *Contestación de la Junta de Castilla y León a la Pregunta con respuesta Oral ante la Comisión de Sanidad, formulada por la Procuradora Dña. Isabel Muñoz Sánchez, relativa a denegación de tratamiento a un niño con distrofia muscular de Duchenne, pese a cumplir con los requisitos, publicada en el Boletín Oficial de estas Cortes, n.º 415, de 21 de mayo de 2018, que ha sido evacuada por escrito en virtud del artículo 159.3 del Reglamento de la Cámara.*

PRESIDENCIA

De conformidad con el artículo 64 del Reglamento de las Cortes de Castilla y León, se ordena la publicación de las Contestaciones de la Junta de Castilla y León a las preguntas para respuesta oral ante comisión, POC/000412, POC/000432, POC/000451, POC/000468, POC/000477, POC/000478, POC/00480, POC/000481, POC/000482, POC/000486, POC/000491, POC/000492, POC/000494, POC/000495, POC/000501, POC/000502, POC/000503, POC/000504 y POC/000506, publicadas en el Boletín Oficial de las Cortes de Castilla y León, que han sido evacuadas por escrito en virtud del artículo 159.3 del Reglamento de la Cámara.

En la sede de las Cortes de Castilla y León, a 5 de septiembre de 2018.

LA PRESIDENTA DE LAS CORTES DE CASTILLA Y LEÓN,
Fdo.: Silvia Clemente Muncio

Contestación por escrito a la Pregunta Oral en Comisión de Sanidad P.O.C./0900494, formulada por Dña. Isabel Muñoz Sánchez, Procuradora perteneciente al Grupo Parlamentario Podemos Castilla y León, relativa a denegación tratamiento distrofia muscular de Duchenne.

La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética que causa gradualmente debilidad y pérdida de la función muscular. Dado que el número de pacientes afectados por esta patología es escaso (inferior a 5 por cada 10.000), esta enfermedad se considera "rara".

La Gerencia Regional de Salud de Castilla y León ha recibido solicitud de tratamiento con el medicamento huérfano Atalureno (Translarna®) para tres pacientes afectados de distrofia muscular de Duchenne, y ha respondido en cada caso de forma individualizada a los pacientes y/o familiares, y a la Asociación Duchenne Parent Project España, partiendo de las siguientes consideraciones:

- Según el informe de posicionamiento terapéutico publicado por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, dicho medicamento no ha demostrado ningún beneficio sobre el curso y la progresión de la enfermedad.



- En el caso de los pacientes que han participado en los ensayos clínicos, habría que valorar el resultado clínico obtenido en cada uno de los pacientes. Por ello, exclusivamente cuando se objetive una consecución de los objetivos clínicos, se podría considerar la continuación del tratamiento con el medicamento Translarna®, sujeto a la elaboración de un procedimiento en el que se definan los criterios clínicos de indicación, objetivo terapéutico, y los correspondientes criterios de inicio, continuación y de retirada, en su caso.
- Correspondería al laboratorio continuar con los ensayos clínicos necesarios para la confirmación de la evidencia de eficacia del medicamento, aportando el producto para ello.
- El medicamento Translarna® (Atalureno) cuenta con decisión de no financiación en el Sistema Nacional de Salud, por lo que no debería utilizarse con cargo a fondos públicos con carácter general.
- Se ha trasladado a cada Gerencia de hospital esta información, a fin de que procedan a valorar la indicación de tratamiento en el marco de la Comisión de Farmacia y Terapéutica de su hospital, valorando cada caso de forma individualizada.

En este sentido, cada hospital ha realizado una valoración individualizada de los pacientes, así como de la relación beneficio/riesgo y del coste/efectividad del tratamiento, considerándose el inicio del tratamiento en dos de los tres pacientes.

No obstante, una vez valorado clínicamente el tercero de los pacientes, el hospital decidió no administrar dicho tratamiento en tanto no se cuente con nuevos datos de eficacia del fármaco.

Valladolid, 31 de julio de 2018.

EL CONSEJERO,
Fdo.: Antonio M.^a Sáez Aguado.