

C.A. de Santiago

Santiago, cinco de diciembre de dos mil veinticuatro.

Vistos y teniendo presente:

Primero: Comparecen Esteban Barra Olivares, María Victoria Miranda Polanco y María Josefa Fuenzalida Mardones, abogados, en representación del menor de edad de iniciales [REDACTED] interponiendo recurso de protección en contra del **Fondo Nacional de Salud** (en adelante FONASA) y del **Ministerio de Salud** (en adelante MINSAL), por haber denegado la cobertura y financiamiento del medicamento Vyondys 53 (Golodirsén) prescrito para el tratamiento de la Distrofia Muscular de Duchenne (en adelante DMD) que padece el protegido. Consideran arbitraria dicha actuación, ya que priva, perturba y amenaza el derecho a la vida y la igualdad ante la ley, garantías constitucionales consagradas en el artículo 19 numerales 1 y 2 de la Constitución Política de la República, por lo que solicitan se acoja el recurso y se ordene a las recurridas otorgar la cobertura y financiamiento de dicho medicamento.

Exponen que Gabriel, de 5 años y 5 meses de edad, padece de DMD, una enfermedad rara, grave, progresiva y mortal, caracterizada por una atrofia muscular rápidamente progresiva que empieza en los músculos de las pelvis y piernas, y luego afecta todo el cuerpo, reduciendo dramáticamente la esperanza de vida (a no más de tres décadas), debido a alteraciones genéticas. Refiere que la debilidad muscular es progresiva, lo que la torna en una enfermedad mortal por el alto riesgo de compromiso de zonas vitales. El único tratamiento disponible para frenar el avance de la enfermedad es la terapia de restauración proteica en base a Vyondys 53 (Golodirsén), el cual ha sido prescrito por su médico tratante, el Dr. Raúl Escobar, para su mejoría y mayor sobrevivencia.

Hacen presente que, hasta la fecha, el tratamiento de Gabriel se ha limitado a corticoides (prednisona y deflazacort), que solo brindan alivio paliativo.

Con el objetivo de obtener cobertura y financiamiento para dicho tratamiento, la madre del recurrente, señora Javiera Vera, envió solicitudes formales tanto a FONASA como al MINSAL con fecha 12 de julio de 2024. FONASA respondió denegando expresamente la cobertura mediante Oficio Ordinario N° 4.1K/N° SCE 83253, bajo el folio N°1967506, de 31 de julio de 2024.

Por su parte, el MINSAL no ha dado respuesta a la solicitud, lo que según la parte recurrente constituye una denegación tácita en virtud de las reglas del silencio administrativo negativo.

La parte recurrente sostiene que la negativa de las instituciones recurridas de financiar el único tratamiento disponible para frenar el avance de la brutal



Este documento tiene firma electrónica
y su original puede ser validado en
<http://verificadoc.pjud.cl>

Código: KUZBXRKQSM

enfermedad que padece Gabriel es una conducta que se opone a los principios jurídicos que rigen nuestro ordenamiento constitucional y legal. Invocan jurisprudencia de esta misma Corte y de la Excma. Corte Suprema en casos similares, donde se ha determinado que la denegación de cobertura de un tratamiento médico único y vital por parte de una entidad financiadora de prestaciones sanitarias, cuando la enfermedad significa un evidente riesgo vital, es un acto arbitrario.

Respecto a la vulneración del derecho a la vida consagrado en el artículo 19 N°1 de la Constitución, los recurrentes argumentan que dicha garantía no sólo tiene un contenido negativo (derecho a que nadie nos quite la vida arbitrariamente), sino también un contenido positivo, que se traduce en el derecho a recibir lo mínimo indispensable para sobrevivir. Así, el derecho a la vida puede ser vulnerado a través de actos negativos u omisiones, cuando se niega a un individuo aquello básico para sobrevivir, como sería en este caso la denegación de un tratamiento vital.

En este sentido, sostienen que existe una íntima vinculación entre el derecho a la vida y la protección de la salud, especialmente cuando el medicamento en cuestión es la única alternativa que el paciente tiene para sobrevivir, o cuando su denegación implica una grave reducción en la expectativa de vida. Invocan fallos de la Excma. Corte Suprema en casos de acceso a medicamentos de alto costo, donde se ha determinado que para que la falta de financiamiento sanitario pueda conculcar el derecho a la vida, es necesario que la enfermedad sea de una gravedad elevadísima, y que el medicamento sea una alternativa única y de eficacia comprobada. Argumentan que la Distrofia Muscular de Duchenne que padece Gabriel cumple con creces estos estándares, al tratarse de una enfermedad mortal que genera un rápido y progresivo deterioro muscular, y que el tratamiento con Vyondys 53 (Golodirsén) es la única alternativa que permite detener el avance de la enfermedad.

Como consideraciones adicionales, los recurrentes invocan la especial protección que merece Gabriel por su condición de niño, tanto en virtud de la Convención de los Derechos del Niño como de otros instrumentos internacionales ratificados por Chile, los cuales obligan al Estado a garantizar en la máxima medida posible la supervivencia y el desarrollo de los niños, así como su derecho al disfrute del más alto nivel posible de salud y a los servicios para el tratamiento de enfermedades y rehabilitación.

Por estas razones, solicitan que se acoja el presente recurso y, en su mérito, se ordene a las recurridas otorgar la cobertura y financiamiento de la terapia con Vyondys 53 (Golodirsén) prescrita para Gabriel por su doctor tratante,



se decreten las medidas conducentes a evitar que las conductas recurridas se repitan en lo sucesivo, ordenando a las recurridas cesar inmediatamente los actos u omisiones en que han incurrido, y se decrete cualquier otra medida de protección tendiente a proteger o cautelar las garantías constitucionales cuya vulneración es objeto de este recurso.

Segundo: Para acreditar sus alegaciones, la parte recurrente incorporó al proceso los siguientes instrumentos:

- Informe médico emitido por el DR. RAÚL ESCOBAR, de 25 de junio de 2024, en el cual se certifica que Gabriel sufre de Distrofia Muscular de Duchenne deleción exón 48-52, y se prescribe el tratamiento con GOLODIRSÉN.

- Receta médica emitida por el DR. RAÚL ESCOBAR, de 25 de junio de 2024, en donde prescribe y receta el medicamento al paciente con GOLODIRSÉN.

- Estudio genético molecular emitido por el laboratorio clínico de RED SALUD UC CHRISTUS, con fecha 2 de septiembre de 2021 que confirma el diagnóstico de Distrofia Muscular de Duchenne deleción exón 48-52, en Gabriel.

- Cartas enviadas.
- Respuesta de FONASA.
- Varios artículos científicos sobre el tema.

Tercero: Que evacuando el informe solicitado, la abogada Paola Isabel Calderón Jara, en representación del Fondo Nacional de Salud (FONASA), solicita el rechazo del recurso de protección interpuesto en su contra, oponiendo las siguientes defensas y excepciones: (1) que FONASA no ha incurrido en acto ilegal o arbitrario alguno, actuando en estricto apego al principio de juridicidad; (2) que no es atribución de los tribunales inmiscuirse en la determinación de políticas públicas sanitarias en virtud del principio de separación de funciones; (3) que el recurso de protección no es la vía idónea para discutir la eficacia de medicamentos de alto costo; (4) que el informe del médico tratante carece del estándar de imparcialidad exigido en la prueba pericial; (5) que el certificado médico y demás antecedentes aportados por el recurrente tienen escaso valor probatorio; y (6) que la evidencia científica disponible no permite concluir que el medicamento solicitado tenga beneficios clínicos comprobados.

Argumenta que no ha incurrido en ningún acto u omisión ilegal o arbitraria, sino que ha actuado en estricto apego al principio de juridicidad consagrado en los artículos 6 y 7 de la Constitución Política. Sostiene que su actuación se encuentra estrictamente reglada por el legislador, sin que FONASA ni su director cuenten con prerrogativas excepcionales para eludir los mecanismos legales e incorporar a la política pública sanitaria medicamentos de alto costo que no se



encuentren contemplados en la Ley 19.966 o la Ley 20.850. Agrega que acceder a lo solicitado implicaría irrogarse potestades con las que FONASA no cuenta, deviniendo tal acto en arbitrario e ilegal, además de configurar una gravísima falta a la Constitución.

Sostiene que, en virtud del principio de separación de funciones, no es atribución de los tribunales de justicia inmiscuirse en la determinación de políticas públicas sanitarias, siendo ello de incumbencia exclusiva de la Administración. Argumenta que la discusión sobre la utilidad de un medicamento para determinada enfermedad es un asunto técnico que no puede ser resuelto por jueces legos en medicina sin auxilio de prueba pericial, la que no se encuentra regulada en esta acción de emergencia. Agrega que no es competencia de la judicatura, sino de la autoridad sanitaria, la determinación técnica objetiva del mínimo sanitario decente.

Luego, alega que el recurso de protección no es la vía idónea para discutir la eficacia de medicamentos de alto costo, por estar estructurada para amparar derechos indubitados y preexistentes, y por no contar con un término probatorio ni regular la rendición de prueba pericial, indispensable en causas que involucran prueba científica.

Por otra parte, cuestiona la imparcialidad y objetividad del informe emanado del médico tratante. Sostiene que dicho informe no cumple con el estándar exigido para la prueba pericial, al carecer de la suficiente objetividad por el vínculo afectivo generado en la relación médico-paciente y por los denominados sesgos de confirmación, que llevan al profesional a buscar y sobrevaluar información que confirme su posición inicial.

Alega que el certificado médico de 25 de junio de 2024 del mismo Dr. Raúl Escobar acompañado por el recurrente tiene escaso valor probatorio. Alega que dicho informe no indica ni demuestra que el recurrente se encuentre en riesgo vital inminente, requisito exigido por la jurisprudencia para acceder al financiamiento de tratamientos de alto costo. Agrega que tampoco se refiere a la causalidad general, esto es, a la eficacia del medicamento en términos de frecuencias estadísticas altas acreditadas en estudios clínicos.

Finalmente, la recurrida sostiene que la evidencia científica actualmente disponible no permite concluir que el Vyondys 53 tenga beneficios clínicos comprobados en el tratamiento de la Distrofia Muscular de Duchenne, incluida la mejora de la función motora. Expone que, el medicamento sólo ha recibido aprobación acelerada por parte de la FDA, pero está exigiendo a la compañía que realice un ensayo clínico para evaluar el beneficio clínico y efectos secundarios del medicamento. Si el estudio en curso no verifica el beneficio



clínico, la FDA puede iniciar procedimientos para retirar la aprobación del medicamento. Por tanto, su aprobación continua puede estar supeditada a la verificación de un beneficio clínico evidente.

Agrega que, el medicamento en comento no se encuentra aprobado en ninguna otra agencia de evaluación de solicitud de autorización de comercialización de las revisadas en el citado informe.

Concluye que no resulta racional acceder al financiamiento de un fármaco cuya eficacia es controvertida y que no ofrece garantías objetivas de sobrevida a un paciente que, adicionalmente, no se encuentra con una condición de riesgo vital inminente.

Cuarto: Para acreditar sus alegaciones, la recurrida acompañó los siguientes instrumentos:

1.- Copia del informe de Síntesis de Evidencia de Uso de Vyondys 53 en personas con distrofia muscular de Duchenne, del mes de agosto del año 2024, evacuado por el Departamento de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Salud Basada en Evidencia, de la División de Planificación Sanitaria -DIPLAS, de la Subsecretaría de Salud, del Ministerio de Salud.

2.- Copia del Decreto Supremo N° 34, de 2021, del Ministerio de Salud, de 25 de octubre de 2022, que aprueba el Reglamento sobre condiciones clínicas generales y circunstancias para certificar estado de emergencia o urgencia en paciente adulto, recién nacido y pediátrico.

Quinto: Informando al tenor del recurso, Yasmina Viera Bernal, abogada, Jefa de la División Jurídica del Ministerio de Salud, solicita el rechazo del recurso de protección interpuesto en su contra, fundado en las siguientes consideraciones y defensas: (1) Que la judicialización de medicamentos innovadores como estrategia de acceso al sistema sanitario chileno puede tener implicancias significativas en la planificación sanitaria y asignación de recursos; (2) Que la autorización y cobertura de un medicamento son conceptos distintos, y que la evidencia científica disponible no aconseja el uso de Vyondys 53 por sus limitaciones en los estudios, resultados inconsistentes y eventos adversos reportados; (3) Que Vyondys 53 sólo cuenta con aprobación acelerada de la FDA en Estados Unidos, no está autorizado por la EMA ni cubierto en ninguno de los países revisados; (4) Que el informe del médico tratante no fundamenta adecuadamente la indicación del fármaco ni acredita un riesgo vital inminente; y (5) Que no existe una vulneración al derecho a la vida del recurrente que justifique la intervención de los tribunales en las políticas públicas de salud.

Argumenta que la judicialización del acceso a medicamentos innovadores de alto costo, como ocurre en este caso con Vyondys 53 para el tratamiento de



la Distrofia Muscular de Duchenne, puede distorsionar significativamente la planificación sanitaria y la distribución equitativa de los recursos en el sistema público de salud. Sostiene que la ausencia de criterios técnicos y objetivos en las decisiones judiciales podría eximir a las compañías farmacéuticas de cumplir con los requisitos de eficacia y costo-efectividad establecidos por la autoridad sanitaria, resultando en un impacto terapéutico limitado en comparación con los altos costos asociados, alterando la priorización de recursos que el legislador ha encomendado a la administración bajo esquemas de seguridad social colectiva.

Expone que la autorización de comercialización de un medicamento y su incorporación a la cobertura de los sistemas sanitarios son conceptos distintos pero interrelacionados. Mientras la autorización se basa en la evaluación de su seguridad y eficacia por parte de las agencias reguladoras, la cobertura implica consideraciones adicionales de costo-efectividad, disponibilidad de recursos y políticas de financiamiento de cada sistema. En el caso de Vyondys 53, alega que la evidencia científica disponible no aconseja su uso debido a las limitaciones de los estudios en cuanto a tamaño de muestra y duración, resultados inconsistentes en la funcionalidad motora, y la ocurrencia de eventos adversos en todos los participantes. Agrega que sólo cuenta con una aprobación acelerada por parte de la FDA en Estados Unidos, condicionada a la realización de estudios confirmatorios, pero ha sido rechazada por la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) ante la falta de datos suficientes sobre su eficacia y seguridad, no contando con cobertura en ninguno de los países revisados.

Cuestiona los fundamentos del informe del médico tratante para justificar la indicación de Vyondys 53 en el caso de [REDACTED]. Sostiene que las afirmaciones sobre la capacidad del medicamento de corregir la anomalía genética específica del paciente y mejorar significativamente su calidad de vida no están respaldadas por evidencia científica sólida. Por el contrario, indica que los datos disponibles no confirman que Vyondys 53 produzca una distrofina funcionalmente significativa en la mayoría de los pacientes, con resultados apreciables sólo a partir de los 3 años de tratamiento, sin evidencia de que detenga la progresión de síntomas o prevenga la aparición de otros. Agrega que el informe médico tampoco señala que exista un riesgo vital inminente o que el derecho a la vida de Gabriel se vea comprometido de no recibir el tratamiento.

Que, como cuarta y última defensa, la recurrida alega que en este caso no existe una vulneración al derecho fundamental a la vida que justifique la intervención de los tribunales en la determinación de las prestaciones de salud a financiar. Argumenta que la sola existencia de un informe médico no es suficiente para tener por acreditada una afectación al derecho a la vida, pues el desenlace



de la enfermedad depende de múltiples factores y no puede atribuirse únicamente a la falta de un medicamento específico. Agrega que en pacientes con enfermedades degenerativas como la DMD, los tratamientos suelen enfocarse en mejorías de calidad de vida, pero cuando no existe evidencia concluyente sobre su efectividad, no tienen por objeto principal proteger la vida. Cita jurisprudencia de la Excm. Corte Suprema en casos similares, donde se ha resuelto que la sola mejoría en calidad de vida u otros beneficios, cuando no está en riesgo la vida del paciente, no permite conceder coberturas en sede de protección, pues ello implicaría un juicio de mérito sobre las políticas públicas de salud que no es de competencia de los tribunales sino de la autoridad encargada.

Finalmente, hace presente que el costo anual del medicamento asciende a \$ 1.521.472.637.- (mil quinientos veintiún millones cuatrocientos setenta y dos mil seiscientos treinta y siete pesos), lo cual resulta muy elevado, dada su utilidad terapéutica limitada.

Para acreditar sus alegaciones, la recurrida acompañó copia del Informe de Uso de Golodirsén (Vyondys 53®) en niños con distrofia muscular de Duchenne con deleciones confirmadas corregibles al omitir el exón 53, elaborado por la Subsecretaría de Salud Pública.

Sexto: El recurso de protección de garantías constitucionales, consagrado en el artículo 20 de la Constitución Política de la República, constituye una acción cautelar o de emergencia, destinada a amparar el legítimo ejercicio de las garantías y derechos preexistentes, que en esa misma disposición se enuncian, mediante la adopción de medidas de resguardo que se deben tomar ante un acto u omisión arbitrario o ilegal que impida, amague o moleste ese ejercicio.

Luego, es requisito indispensable de la acción de protección la existencia, por un lado, de un acto u omisión ilegal -esto es, contrario a la ley- o arbitrario -producto del mero capricho o voluntad de quien incurre en él- y que provoque algunas de las situaciones que se han indicado.

Séptimo: Como primera línea argumentativa, cabe indicar que el financiamiento de un tratamiento y medicamentos de alto costo se encuentra regulado en el ordenamiento jurídico interno. En efecto, por una parte, la Ley N° 20.850, conocida también como “Ley Ricarte Soto”, crea un sistema de protección financiera para diagnósticos y tratamientos de alto costo y establece la forma de incorporar esas prestaciones a las que tendrán cobertura por el sistema público, por medio de FONASA, pero también regula los requisitos y procedimientos para determinar qué diagnósticos y tratamientos serán cubiertos



por el sistema, basados en evaluaciones científicas de la evidencia disponible y considerando criterios de costo, beneficio y disponibilidad de recursos.

Por su parte, el Decreto N° 13 de 2015, del Ministerio de Salud, establece el reglamento de determinación de las coberturas, que implica varias fases, en las cuales destaca, en primer lugar, aquel en que la autoridad sanitaria selecciona solicitudes de evaluación que son agrupadas por condiciones de salud; luego, hay una evaluación técnica de la evidencia disponible a cargo de la Subsecretaría de Salud Pública y se realiza una recomendación priorizada por parte de una Comisión Técnica especializada e integrada por representantes de la sociedad civil, académicos y técnicos en materias de salud pública, que desarrolla una priorización basada en el valor científico, económico y social de los tratamientos. Finalmente, los Ministerios de Salud y Hacienda emiten un decreto supremo fundado que determina los diagnósticos y tratamientos que serán cubiertos por el sistema.

De lo anterior, se puede desprender que para que un medicamento de alto costo sea incluido en el financiamiento público es menester someterse a la normativa vigente, antes referida.

Por el contrario, el mentado medicamento no se encuentra incluido hasta esta fecha en la sistemática de la Ley N° 20.850.

Octavo: Sin perjuicio de lo anterior, como fluye de los antecedentes proporcionados por las partes, la eficacia del fármaco para la enfermedad que aqueja al niño se encuentra controvertido, pues según la autoridad sanitaria no existe hasta el momento evidencia científica que permita ratificar lo que sostiene el médico tratante. Es decir, los hechos que avalan el recurso -entonces- permiten concluir que son dudosos en ese aspecto, lo que equivale a sostener que el recurso se basa en un derecho dubitado.

Noveno: A mayor abundamiento, y consecuencia de lo afirmado en forma precedente, tampoco se puede colegir de los antecedentes aportados por el médico tratante el riesgo vital que ocasiona la falta de ese fármaco en el niño, ya que a lo más es un paliativo para la dolencia que éste padece, pero no hay prueba científica que exista un desenlace fatal si no se administra el producto, existiendo otras alternativas que el sistema contempla.

Décimo: Por último, dado el alto costo del medicamento sugerido por el médico tratante, más de mil quinientos millones de pesos en su etapa inicial, no cabe duda de que dar lugar al recurso implicaría afectar las políticas públicas del sector salud, pues esa alta suma altera sin duda la ejecución de otros objetivos, que corresponde priorizar exclusivamente a la cartera ministerial del ramo.



Undécimo: En consecuencia, conforme a lo razonado en los motivos precedentes, no se advierte en la especie que los recurridos hayan emitido algún acto ilegal o arbitrario, toda vez que, por el contrario, esas instituciones han obrado dentro del marco de las atribuciones que el ordenamiento les confiere y con apego a criterios objetivos de política pública sanitaria, sin que el mérito de sus decisiones técnicas pueda ser revisada por esta vía constitucional de emergencia.

Duodécimo: Finalmente, al no existir acto ilegal o arbitrario, se torna inoficioso ponderar la eventual vulneración de las garantías constitucionales referidas en el recurso.

Por estas razones, y de conformidad, además, con lo dispuesto en el artículo 20 de la Constitución Política de la República y Auto Acordado de la Excma. Corte Suprema sobre la materia y artículo 1° de la Ley N° 20.850 y Decreto N° 13 de 2015, del Ministerio de Salud, se **rechaza**, sin costas, el recurso de protección deducido a favor del niño ██████████, en contra del Fondo Nacional de Salud (FONASA) y del Ministerio de Salud (MINSAL).

Se previene que el abogado integrante señor Luis Hernández Olmedo concurre al acuerdo compartiendo los fundamentos antes señalados, con excepción del considerando Décimo y la última parte del considerando Undécimo, a partir de la locución “sin que...”.

Regístrese, comuníquese y archívese en su oportunidad.

Redacción del ministro Tomás Gray y de la prevención, su autor.

N°Protección-18743-2024.

Pronunciada por la **Séptima Sala** de la ltma. Corte de Apelaciones de Santiago, presidida por el ministro señor Juan Cristóbal Mera Muñoz e integrada por el ministro señor Tomás Gray Gariazzo y por el abogado integrante señor Luis Hernández Olmedo. No firma el ministro señor Gray por hacer uso de licencia médica.



Este documento tiene firma electrónica
y su original puede ser validado en
<http://verificadoc.pjud.cl>

Código: KUZBXRKQSM

Pronunciado por la Séptima Sala de la C.A. de Santiago integrada por Ministro Juan Cristobal Mera M. y Abogado Integrante Luis Hernandez O. Santiago, cinco de diciembre de dos mil veinticuatro.

En Santiago, a cinco de diciembre de dos mil veinticuatro, notifiqué en Secretaría por el Estado Diario la resolución precedente.



Este documento tiene firma electrónica
y su original puede ser validado en
<http://verificadoc.pjud.cl>

Código: KUZBXRKQSM