

PRECIOS EXCESIVOS DEJA EN EL DESAMPARO A PACIENTES CON FIBROSIS QUÍSTICA¹

Discapacidad y muerte

La fibrosis quística es un trastorno de origen genético considerado como una enfermedad rara. Es causado por un gen defectuoso “CFTR” que produce una proteína que interviene en el metabolismo de sal y agua dentro de la célula. El efecto de esta condición es la acumulación de moco espeso en los pulmones, en el aparato digestivo y otros órganos, lo que resulta en una mayor susceptibilidad a la infección, daño progresivo de las vías respiratorias, reducción de la capacidad pulmonar, dificultad para respirar y muerte prematura.

En el Reino Unido la edad media de las personas con fibrosis quística fue de 38 años en el 2021². La esperanza de vida de pacientes estadounidenses nacidos entre 2017 y 2021 fue de 53 años³. Pero sin diagnóstico y tratamiento, la mayoría de los bebés que nacen con fibrosis quística no sobreviven el primer año; en Sudáfrica, la esperanza de vida es de 20.5 años⁴, en Polonia 24.5⁵, mientras que en India y El Salvador mueren en promedio dentro de los tres primeros años de vida⁶.

Esta enfermedad afecta principalmente a los caucásicos de ascendencia europea y en menor número en otras regiones como el Medio Oriente, Asia y América Latina⁷. La tasa de incidencia en Europa es de 0.737 por cada 10,000 nacimientos, pero esto varía de acuerdo con la región y población. Por ejemplo, 1:6,000 en Portugal y en Irlanda 1:1353. En otras regiones es menos frecuente 1:13,924 en África, en Asia 1:35,000 y en América del Sur y Central 1:12,163⁴

En el Perú se desconoce la incidencia, pero por las características étnicas de la población podría estar en alrededor de 1 en 9.000 nacidos vivos. Si tomamos en cuenta que en el 2021 hubo 462,550 nacimientos⁸, tendríamos aproximadamente 51 niños con esta enfermedad rara. Un número importante de ellos (alrededor de 90%) no se les diagnostica la condición y por lo tanto fallecen prematuramente por falta del tratamiento adecuado⁹.

¹Parte del documento ha sido adaptado de la campaña global liderada por Just Treatment contra el monopolio de Vertex Pharmaceutical:

<https://justtreatment.org/>

²UK Cystic Fibrosis Registry, 2021 Annual Data Report, setember2022

[The cost of cystic fibrosis - June 2022](#)

³Patient Registry, Annual Data Report 2021

[Patient-Registry-Annual-Data-Report.pdf](#)

⁴Cystic fibrosis on the African continent: Genetic in Medicine/ volumen 18/number 7/july 2016,

[Cystic fibrosis on the African continent \(gimjournal.org\)](#)

⁵Managing Cystic Fibrosis in Polish HealthCare, published 20 october 2020

<https://www.mdpi.com/1660-4601/17/20/7630>

⁶Cystic Fibrosis Life Expectancy

[Cystic Fibrosis Life Expectancy \(cysticfibrosisnewstoday.com\)](#)

⁷Worldwide rates of diagnosis and effective treatment for cystic fibrosis, Journal of Cystic Fibrosis 21(2022) 456-462

[Worldwide rates of diagnosis and effective treatment for cystic fibrosis \(cysticfibrosisjournal.com\)](#)

⁸Perú: Nacidos vivos de madre adolescentes 2019 -2021. INEI.

<https://cdn.www.gob.pe/uploads/document/file/3745590/Per%C3%BA%3A%20Nacidos%20Vivos%20de%20Madres%20Adolescentes%2C%202019-2021.pdf?v=1665504923>

⁹Asociación de Padres y amigos de pacientes con “fibrosis quística”, 03/03/2023

Tratamiento

No hay cura para esta condición. Los tratamientos alivian los síntomas y en algunos casos previenen las exacerbaciones pulmonares (infecciones). Se usan terapias mucolíticas para hacer que el moco sea menos espeso, terapias digestivas con enzimas y antiácidos para aliviar los problemas experimentados en el sistema digestivo, entre otros. Los problemas sintomáticos aumentan con la edad y resultan en diabetes relacionada a la fibrosis quística, enfermedad ósea, y enfermedades hepáticas.

Moduladores CFTR

En los últimos once años se ha introducido una nueva clase de fármacos denominados moduladores CFTR (regulador de conductancia transmembrana), terapia dirigida a corregir los defectos del gen restaurando sus funciones reduciendo o eliminando las exacerbaciones pulmonares. Si los niños diagnosticados reciben esta terapia evitarían el daño que la enfermedad causa a sus organismos y prolongarían sus vidas con mejor calidad.

Los moduladores CFTR son producidos por la farmacéutica Vertex Pharmaceutical de EEUU; estos son: lumacaftor, ivacaftor, tezacaftor y elexacaftor y se administran en cuatro combinaciones bajo las siguientes marcas: ivacaftor (Kalydeco®), lumacaftor/ivacaftor (Orkambi®), tezacaftor/ivacaftor (Symdeko®/Symkevi®) y elexacaftor/ivacaftor/tezacaftor (Trikafta®/Kaftrio®).

La combinación triple comercializada bajo la marca Trikafta o Kaftrio es adecuada para el 90% de la población con fibrosis quística mejorando significativamente los resultados en cuanto a la función pulmonar y calidad de vida¹⁰

La combinación doble lumacaftor / ivacaftor (Orkambi) podría otorgar 23 años de vida adicionales para aquellos que comienzan el tratamiento a la edad de seis años. A partir de los 12 años tiene el potencial de otorgar 18 años adicionales.

Estos medicamentos ofrecen a casi todos los pacientes la posibilidad de un impacto transformador en la calidad y la duración de su vida. Pero esto sólo es posible si los pacientes pueden acceder a los medicamentos, junto con el diagnóstico y la atención en los servicios de salud.

Acceso a los modulares CFTR

La política seguida por Vertex Farmaceutical es mantener precios globales altos, incluso renunciando a las negociaciones para incrementar las ventas. Aquí los costos de tratamiento:

Moduladores	Costo tratamiento año
Ivacaftor (Kalydeco)	\$300,000
Lumacaftor/ivacaftor (Orkambi)	\$272.623
Tezacaftor/ivacaftor (Symdeko/Symkevi)	\$292.200
Elexacaftor/ivacaftor/tezacaftor (Trikafta/Kaftrio)	\$326.239

<https://www.fiqi.org.pe/p/%C3%A1gina-principal>

¹⁰VX-445-Tezacaftor-Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis and One or Two Phe508del Alleles: The New England Journal of Medicine: Med 2018; 379:1612-1620, october 2018

[VX-445-Tezacaftor-Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis and One or Two Phe508del Alleles | NEJM](#)

¹¹Modeling long-term health outcomes of patients with cystic fibrosis homozygous for F508del-CFTR treated with lumacaftor/ivacaftor, National Library of Medicine february 2019

[Modeling long-term health outcomes of patients with cystic fibrosis homozygous for F508del-CFTR treated with lumacaftor/ivacaftor - PMC \(nih.gov\)](#)

Estos altos precios colisionan con los limitados presupuesto de los sistemas de salud. Sólo los países de ingresos altos han llegado a acuerdos de reembolso con Vertex, es decir los pacientes pueden adquirir sus medicamentos en un establecimiento de salud y luego el seguro privado les rembolsa sobre el precio acordado. Los pacientes de países de ingresos medianos o bajo no tienen acceso a estos tratamientos que pueden salvar vidas.

La exclusividad de Vertex Pharmaceutical en esta área terapéutica se debe a que tiene el monopolio que otorga las patentes y otras formas de protección de la propiedad intelectual, y que los mantendrá en esa condición hasta el 2030, según el CEO de Vertex, Jeff Leiden¹²

La versión genérica de los moduladores CFTR

Vertex Pharmaceutical fracasó en su intento por obtener patentes en Argentina al no cumplir con los criterios de patentabilidad, cuya exigencias son estrictas en ese país. Esto ha hecho posible que la versión genérica pueda ser fabricada por laboratorios como Gador, Tuteur, Raffo y Monte verde SA.

La combinación genérica de ivacaftor/lumacaftor, a opinión de expertos, y por las evidencias disponibles, otorgan un alto grado de confianza de seguridad y eficacia¹³.

Los genéricos están disponible desde el 2019 y han beneficiado a decenas de pacientes que han podido acceder a través de estrategias como el Club de Compradores¹⁴ o en algunos casos pagando de su bolsillo y ahorrándose miles de dólares. Sin embargo, para la mayoría de los pacientes, la versión genérica aún sigue teniendo precios prohibitivos, especialmente cuando se trata de costos anuales de tratamiento. Una investigación publicada en el 2022 da cuenta que la combinación triple elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor (Trikafta) con un margen de ganancia del 10% podría costar \$5,700 anuales¹⁵ comparados con los \$326,269 pagados en los EEUU.

Moduladores del gen CFTR	Costo de tratamiento anual en EE. UU.	Costo de tratamiento anual con el genérico de menor precio	Costo de tratamiento anual esperado
Lumacaftor/ivacaftor 200/125	\$ 284.800	\$15,000	\$ 9.659
Tezacaftor/ivacaftor	\$ 305.000	\$15,000	\$ 3.900
Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor	\$ 326.239 ¹⁶	\$60,000 ¹⁷	\$ 5.700

¹²7 Things Vertex Pharmaceuticals' CEO Just Said That Will Probably Make You Want to Buy the Stock, Marc 2018

[7 Things Vertex Pharmaceuticals' CEO Just Said That Will Probably Make You Want to Buy the Stock | The Motley Fool](#)

¹³[Independent Consultant's Assessment of Gador Sample Testing at a London NHS Laboratory – CF Buyers Club](#)

¹⁴Un club de compradores o club de compras es un club organizado para poner en común el poder adquisitivo colectivo de los miembros, lo que les permite realizar compras a precios más bajos de los que están generalmente disponibles, o comprar bienes que podrían ser difíciles de obtener de forma independiente, a través de esta organización se ha accedió comprando en un país distinto medicamentos para el VIH, Hepatitis C o enfermedades raras.

¹⁵Current prices versus minimum costs of production for CFTR

Modulators Journal of Cytic Fibrosis 21(2022) 866-872

[Current prices versus minimum costs of production for CFTR modulators \(cysticfibrosisjournal.com\)](#)

¹⁶Este precio se ha actualizado del número citado en el documento para reflejar el informe en un aumento del precio de Vertex del 4.9% sobre el precio anterior de \$ 311,000 en 2022

¹⁷Este precio se ha actualizado de la información sobre precios de Gador

El negocio de Vertex Pharmaceutical

En diez años (2012-2021), Vertex Pharmaceutical generó ingresos por \$ 29.5 mil millones, casi en su totalidad por sus medicamentos para la fibrosis quística. En 2022 esperaba generar ventas de \$ 8.9 mil millones, sin embargo a setiembre de ese año ya había acumulado \$ 9.8 mil millones.

Los ingentes ingresos de la farmacéutica se deben a productos desarrollados con significativa inversión de fuentes públicas y privadas. La Fundación de Fibrosis Quística de los Estados Unidos invirtió \$150 millones para continuar con la investigación, cuando esta se iba abandonar asumiendo el riesgo que esto representaba. La sostenida contribución permitió comprender el mecanismo de acción del medicamento¹⁸

Si bien Vertex Pharmaceutical invirtió en el desarrollo, eso solo fue después de que se demostrara que la molécula funcionaba. Es decir, no asumió el riesgo de investigación de la molécula; por lo tanto no tiene derecho a recibir compensación por este riesgo como propietario de la patente. En cualquier caso, la inversión realizada por Vertex ya ha sido cubierta con los ingresos generados hasta la fecha y que superan con creces el costo promedio de llevar un nuevo medicamento al mercado¹⁹

Situación de los moduladores CFTR en Perú

En el Perú, los moduladores de FCTR no tiene patente otorgada. Sin embargo, se han identificado 05 solicitudes de patente que se encuentran en trámite y han sido solicitadas por Vertex Pharmaceuticals.

Expediente	Título	Fecha de presentación
000219-2023/DIN	Moduladores del regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística	6/08/2021
001642-2021/DIN	Agentes moduladores del regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística	2/04/2020
001222-2020/DIN	Macrociclos como moduladores del regulador de conductancia transmembrana de la fibrosis quística, composiciones farmacéuticas de estos, su uso en el tratamiento de la fibrosis quística y procesos para elaborarlos	14/02/2019
001200-2019/DIN	Modulador del re gulador de conductancia de transmembrana de fibrosis quística, composiciones farmacéuticas, métodos de tratamiento y proceso para producir el modulador	8/12/2017
000737-2019/DIN	Modulador de regulador de conductancia de transmembrana de fibrosis quística, composiciones farmacéuticas, métodos de tratamiento y proceso para producir el modulador	29/09/2017

¹⁸Cystic Fibrosis: Charity and Industry Partner for Profit, mayo de 2013
<https://www.medpagetoday.com/Pulmonology/CysticFibrosis/39217>

¹⁹Current prices versus minimum costs of production for CFTR Modulators Journal of Cytic Fibrosis 21(2022) 866-872

[Current prices versus minimum costs of production for CFTR modulators \(cysticfibrosisjournal.com\)](https://www.cysticfibrosisjournal.com)

Asimismo, se ha autorizado la comercialización de tres medicamentos moduladores CFTR genéricos, estos son:

Registro sanitario	Producto genérico	Composición	Titular del Registro Sanitario
EE08717	IVALUM 200 mg+125 mg	Que es	Tecnofarma SA
EE08716	IVALUM 100 mg+125 mg	Lumacaftor 100/Ivacap-tor125	Tecnofarma SA
EE09017	LUCAFTOR	Lumacaftor 200/Ivacap-tor125	Gadorpharma SAC

No se ha tenido acceso al precio del tratamiento en Perú. Sin embargo, considerando los precios ofertados en Argentina, se estima que en Perú el precio del tratamiento anual estaría entre \$26,696.10 - \$36,675.20, muy por encima de los \$9,659 que se ha estimado fabricarlo y ofrecerlo con un margen del 10% en su versión genérica.

Uso gubernamental de la patente

De acuerdo a la tasa de incidencia, 51 niños nacen con esta condición de los cuales aproximadamente 5 estarían siendo diagnosticados. La falta de pruebas diagnósticas no permiten identificar a tiempo los casos de fibrosis quística e iniciar el tratamiento oportuno. De acuerdo a la asociación FIQUI Perú (Asociación de Padres y Amigos de pacientes con fibrosis quística) integrante del colectivo Los Pacientes Importan, en Perú tenemos 33 niños diagnosticados con esta condición que reciben tratamiento en Minsa y EsSalud.

El alto precio de estos tratamientos no son cubiertos por el Sistema Integrado de Salud a pesar de que esta condición se encuentra incluido dentro del listado de enfermedades raras o huérfanas cuya atención al tratamiento ha sido declarado de interés nacional y preferente según la Ley 29698.

Si bien en Perú se ha registrado las versiones genéricas de los moduladores de CFTR, las solicitudes de patente en curso, de otorgarse, impedirían la circulación de los genéricos, agravando más el problema de acceso por los altos precios que impone la farmacéutica.

El Estado es garante de los derechos fundamentales como el derecho a la salud y la vida, y está en la obligación de utilizar todos los mecanismos disponibles para facilitar el acceso a los medicamentos que se requieren, a la vez que debe hacer uso eficiente de los recursos públicos.

Para prevenir un escenario catastrófico para los pacientes con fibrosis quística, es necesario que el Estado, tomando en cuenta la Ley 29698 “Ley que declara de Interés Nacional y preferente atención el tratamiento de personas que padecen enfermedades raras o huérfanas” y, la facultad que le otorga el Acuerdo de los Aspectos de los Derechos de Propiedad Intelectual relacionado al Comercio (ADPIC) de hacer uso de las flexibilidades para acceder a tratamientos, es que se debe ordenar el Uso Gubernamental de la patente, mecanismo por el cual el Estado es el beneficiario directo, pudiendo autorizar la fabricación o importación de los moduladores CFTR para su uso, sin necesidad de comunicar al titular y sin necesidad de identificar las patentes de los medicamentos a utilizar.

La decisión soberana de utilizar la flexibilidad de Uso Gubernamental de la patente eliminará el efecto negativo del monopolio sobre el acceso y reducirá las inequidades en la atención de los pacientes.

Campaña global por el acceso a tratamientos de fibrosis quística

El problema del acceso a los moduladores CFTR es global. Por ello, se viene realizando una campaña liderada por Vertex Save Us, pacientes y sus familias de todo el mundo, y coordinada por Just Treatment²⁰ para sensibilizar y presionar a los políticos de los países para que utilicen las herramientas legales disponibles y hagan accesible los moduladores de CFTR, garantizando el tratamiento a los pacientes.

La campaña exige a:

Vertex Pharmaceuticals:

- Comprometerse inmediatamente a retirar todas las solicitudes de patentes sobre los reguladores CFTR en países de ingresos bajos y medios.
- Lograr acuerdos de reembolso²¹ en los países de ingresos altos en un plazo de seis meses, facilitando el acceso a genéricos cuando no se logre un acuerdo.
- Salvaguardar la salud y los medios de subsistencia de pacientes con fibrosis quística bajando los precios en todos los mercados y revirtiendo inmediatamente dicha reducción en el copago del sistema de salud de los Estados Unidos, comprometiéndose a cubrir todos los gastos de bolsillo de los pacientes estadounidenses.

Gobiernos nacionales

- Apoyar las solicitudes o promulgar licencias obligatorias o uso gubernamental y otras acciones que eliminen el monopolio de Vertex Pharmaceutical y garantizar el acceso a las versiones genérica de los moduladores CFTR en caso Vertex se niegue a ofrecer precios asequibles
- Iniciar o ampliar programas integrales de diagnóstico, tratamiento y atención para todos los pacientes con fibrosis quística.

²⁰Campaña de desafío global al monopolio de Vertex <https://justtreatment.org/>

²¹En el seguro privado de EEUU, el paciente paga por su medicina y luego envía el recibo a la compañía de seguros para que le reembolso el dinero pagado



Acción Internacional para la salud – Perú

Av. Río de Janeiro 373, Jesús María 15072
Lima. Perú
www.aisperu.org.pe

Director Ejecutivo

Roberto López Linares

Email: robertolopez@aisperu.org.pe

Investigador

Javier LLamoza Jacinto

Email: javierllamoza@aisperu.org.pe

Esta publicación ha sido posible gracias al apoyo financiero de Public Citizens. 1600 20th Street NW. Washington, D.C: (202) 588-1000

Lima, Perú

Marzo 2023

ACCION INTERNACIONAL PARA LA SALUD (AIS PERU) es una asociación civil sin fines de lucro que trabaja por el acceso universal a medicamentos, vacunas y otras tecnologías sanitarias en el proceso de construcción de un sistema de salud efectivo para todas las personas.