República de Colombia
Rama Judicial del Poder Público
Tribunal Superior del Distrito Judicial de Pamplona
Sala Única de Decisión

-ÁREA CONSTITUCIONAL-

Magistrado Ponente:

DR. NELSON OMAR MELÉNDEZ GRANADOS

Pamplona, 17 de febrero de 2023

Acta No. 025

Proceso	IMPUGNACIÓN ACCIÓN DE TUTELA
Radicado	54 518 31 84 001 2022 00263 00
Accionante	ERIKA TATIANA MELGAREJO DELGADO en representación de D.A.C.M.
Accionado	INSTITUTO NACIONAL DE VIGILANCIA DE MEDICAMENTOS Y ALIMENTOS – INVIMA
Vinculado	SANIDAD MILITAR VALENTECH PHARMA COLOMBIA SAS DRA. SANDRA MILENA CASTELLAR LEONES MEDICA FISIATRA Y REHABILTACION ADSCRITA A LA IPS INSTITUTO ROOSEVELT DE LA CIUDAD DE BOGOTÁ

ASUNTO

Decide la Sala la impugnación presentada por el INSTITUTO NACIONAL DE VIGILANCIA DE MEDICAMENTOS Y ALIMENTOS, INVIMA y DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR contra el fallo de tutela proferido el 10 de enero de 2023 por el Juzgado Primero Promiscuo de Familia de Pamplona.

ANTECEDENTES

Hechos[1].-

Del escrito inicial y la información acopiada en el trámite se deducen los siguientes.

[1] Documento N°2 folio 1 y ss expediente digital

1.- Refiere la Petente ser madre del menor D.A.C.M., niño de 10 años de edad quien fue diagnosticado con la enfermedad genética y huérfana de "***distrofia muscular de Duchenne***" (DMD), la cual causa una lesión neuromuscular que se manifiesta en atrofia y debilidad progresiva, alterando la deambulación y órganos vitales como el corazón y los pulmones.

Señaló que el Niño se encuentra afiliado como beneficiario de "*SANIDAD MILITAR*" y que el 5 de septiembre de 2022 un grupo interdisciplinario del INSTITUTO ROOSEVELT lo valoró prescribiéndole manejo con un medicamento denominado **"ETEPLIRSEN"**[2]**.**

Según información anexa, SANDRA MILENA CASTELLAR LEONES, especialista en medicina física y rehabilitación del INSTITUTO ROOSEVELT, dirigió al INVIMA "*carta de necesidad médica para Eteplirsen*", dado que "*es el único tratamiento aprobado para la DMD que va dirigido a la mutación de D.A.C.M.*"[3]. Por su parte, el 7 de septiembre de 2022, VALENTECH PHARMA COLOMBIA presentó *"solicitud de autorización para la importación del producto ETEPLIRSEN 500mg/10ml (50 mg/ml)*" para D.A.C.M, la cual fue negada por medio de la Resolución No 2022600416 de 24 de octubre de 2022[4].

Fueron argumentos para la negativa a la importación del producto por parte del INVIMA:

> • El principio activo eteplirsen se encuentra en fase de investigación y no ha sido incluido en normas farmacológicas.
> • Se dispone de limitada información derivada de investigaciones en seres humanos con este medicamento.
> • Los datos disponibles de pacientes en tratamiento comparado con placebo proceden de un estudio con un reducido número de pacientes (n = 12), con corto tiempo de seguimiento (24 semanas), en el cual no se observaron diferencias en el test de marcha de 6 minutos (6MWD) entre el eteplirsen y el placebo durante el periodo de tratamiento de 24 semanas.
> • Al analizar otro estudio disponible (PROMOVI), se evidencian limitaciones metodológicas como la ausencia de un grupo control y el diseño de etiqueta abierta, reconocidas por los mismos

[2] *"Paciente con cuadro de debilidad muscular, retardo motor, lenguaje, marcha en punta, estudio genético confirma distrofia muscular de Duchenne con deleccion de exones 49 al 50, susceptible a terapia de salto de exón (Exón Skipping) 51. Eteplirsen es un medicamento aprobado por la FDA desde septiembre del 2016. Está indicado en pacientes que padecen DMD originada en variantes patogénicas susceptibles a la restauración del marco de lectura de distrofina. Su mecanismo de acción consiste en la escisión del exón 51. Las mutaciones candidatas a esta terapia son las delaciones de algunos exones, entre ellos exones 49-50 como es caso de D.. Eteplirsen es el único tratamiento aprobado que ha demostrado aumentar la distrofina en el músculo esquelético para los pacientes con mutación susceptible a terapia por salto de exón 51. La literatura publicada y la aprobación por la FDA muestran que Eteplirsen aumenta la producción de distrofina a nivel celular".* Ibid.
[3] Primera instancia. Archivo "003Anexos…", folio 3 y ss.
[4] Ibid. Folio 18 y ss.

investigadores. Así mismo, al analizar los desenlaces clínicos, el test de marcha de 6 minutos (6MWT) muestra que a las 96 semanas el grupo de pacientes con medicamento tuvo un deterioro en los resultados, de 374.6 metros desde la línea de base a 256.2; la capacidad para levantarse de forma independiente también evidenció resultados desfavorables de 54.1% contra 86.6% de la línea de base, al iniciar el estudio, hasta la semana 96 de tratamiento, respectivamente; al no disponer de un grupo control adecuado no se puede concluir si este deterioro es más lento, igual o más rápido que el de aquellos que no reciben el tratamiento. Adicionalmente, el 57% de los pacientes presentaron reacciones relacionadas con la infusión, de ellos el 19% presentó cefaleas y 16.5% vómitos.
• La información derivada de los estudios tiene importantes limitaciones metodológicas, lo cual aumenta la incertidumbre y no proporciona información confirmatoria de la eficacia y seguridad.
• No se presenta una demostración robusta del efecto funcional sostenido que respalde la eficacia en la indicación propuesta.
• Debido al escaso número de pacientes expuestos al eteplirsen, el perfil de seguridad no se ha caracterizado suficientemente.
Teniendo en cuenta lo anterior, con los datos disponibles actualmente, no es posible concluir que la relación beneficio- riesgo de eteplirsen sea positiva.
Finalmente, la Sala considera contraproducente que se generen falsas expectativas y esperanzas con tratamientos cuya eficacia y seguridad sea incierta, especialmente cuando se trata de condiciones de salud que afectan de manera importante la vida de pacientes y familiares. Así mismo, señala qué medicamentos que podrían ser útiles, pero para los cuales aún no está demostrada su eficacia y seguridad pueden ser utilizados en el marco de ensayos clínicos que contribuyan a resolver las incertidumbres.” (Subrayado y negrilla fuera de texto.)

(…)

La FDA realizó una aprobación acelerada del medicamento y que en la agencia Europea de medicamentos ha sido negado, por los siguientes motivos, con los cuales el Invima coincide:
-No se ha demostrado la eficacia de Eteplirsen.
-No se dispone de datos comparativos con pacientes tratados con placebo durante más de 24 semanas, y los datos disponibles de pacientes en tratamiento proceden únicamente de un número reducido de pacientes (n = 12).
-No se observaron diferencias en la prueba 6MWD entre el Eteplirsen y el placebo durante el periodo de tratamiento de 24 semanas. La información derivada de los estudios tiene importantes limitaciones metodológicas, lo cual aumenta la incertidumbre y no proporciona data confirmatoria de la eficacia.
-No se presenta una demostración robusta del efecto funcional sostenido que respalde la eficacia en la indicación propuesta. Debido al escaso número de pacientes expuestos al Eteplirsen, el perfil de seguridad no se ha caracterizado suficientemente.
-Con los datos disponibles actualmente, no es posible concluir que la relación riesgo/beneficio de Eteplirsen sea positiva.

> A la fecha no ha sido presentada al Invima la evidencia científica para demostrar eficacia, seguridad y calidad del principio activo Eteplirsen para el uso en seres humanos y obtener autorización para la comercialización en el país.

Interpuesto el recurso de reposición contra tal decisión, la solicitud fue nuevamente negada por medio de la Resolución No 2022042502 de 14 de diciembre de 2022[5], en la cual, básicamente, el INVIMA ratificó los argumentos inicialmente expuestos.

La Accionante considera que *"Respecto a los argumentos presentados por el Invima, y ya que en respuesta al auto enviado por ellos, se aportó toda la documentación necesaria para demostrar la efectividad del tratamiento y la conveniencia del mismo en el tratamiento de la patología del mismo, el INVIMA, se escudó en argumentos mentirosos e imponiendo barreras administrativas, para negarle a mi hijo, su tratamiento adecuado"*.

Expuso además que *"la salud de mi hijo se encuentra en riesgo y que su condición es de gravedad, por lo que este medicamento debía ser entregado de manera oportuna, teniendo en cuenta que se encuentra en riesgo de sufrir consecuencias graves en su cuerpo, al punto de morir, si el tratamiento con el medicamento ETEPLIRSEN no es continuo y permanente"*, que su "*hijo cuenta con prescripción médica por parte del Instituto Roosevelt, quien decidió iniciar este tratamiento con la debida justificación"* y que el INVIMA "*está imponiendo limitaciones a los médicos tratantes sobre su autonomía de formular el medicamento que ellos consideren adecuado para tratar a sus pacientes. Dichas limitaciones se dan por medio de las negaciones de importaciones de medicamentos como Vitales No Disponibles por parte del Instituto".*

Transcribió el artículo 17 de la Ley 1751 de 2015 que *"garantiza la autonomía de los profesionales de la salud para adoptar decisiones sobre el diagnóstico y tratamiento de los pacientes que tienen a su cargo"*, solicitó la aplicación del principio de progresividad del derecho, *"el cual prescribe que la eficacia y cobertura de las dimensiones prestacionales de los derechos constitucionales debe ampliarse de manera gradual y de acuerdo con la capacidad económica e institucional del Estado en cada momento histórico".*

[5]Op. cit.

Peticiones[6]-

Solicitó se tutelen sus derechos fundamentales *A "LA SALUD, LA VIDA, A LA SEGURIDAD SOCIAL, A LA IGUALDAD Y LA DIGNIDAD HUMANA"* y en consecuencia, se ordene:

> ***PRIMERO: Tutelar*** *el derecho fundamental a la* ***SALUD****, a la* ***VIDA****, a la S****EGURIDAD SOCIAL****, a la* ***IGUALDAD*** *y a la* ***DIGNIDAD HUMANA*** *de mi hijo menor de edad* ***D.A.C.M.***
>
> ***SEGUNDO: Ordenar*** *al* ***INSTITUTO NACIONAL DE MEDICAMENTOS Y ALIMENTOS (INVIMA),*** *que realice los trámites correspondientes para materializar y garantizar la entrega del medicamento, sin dilaciones y excusas de carácter administrativo y/o burocrático, de manera tal que mi hijo pueda iniciar prontamente su tratamiento****.***

ACTUACIÓN PROCESAL RELEVANTE EN PRIMERA INSTANCIA

El 30 de diciembre de 2022[7] el *A quo* admitió la acción de tutela y vinculó al trámite a VALENTECH PHARMA COLOMBIA, doctora SANDRA MILENA CASTELLAR LEONES médica adscrita a la IPS INSTITUTO ROOSEVELT de la ciudad de Bogotá, corrió traslado por el término de dos días a los accionados y vinculados y decretó pruebas.

El 10 de enero de 2023 decidió la acción constitucional[8].

RESPUESTA A LA ACCIÓN DE TUTELA

INVIMA[9].-

Indica tener como misión promover y proteger la salud pública en Colombia, por medio de la inspección, vigilancia y control sanitario de carácter técnico científico referente a la protección proferida por el artículo 245 de la ley 100 de 1993[10] conjuntamente con la normatividad que la envuelve, decreto 2078 de 2012.

---

[6] Archivo N°2 folio 06 del escrito de tutela
[7] Archivo N°5 folio 01 y ss
[8] Archivo N°15 del expediente
[9] Archivo N°7 del expediente
[10] *ART. 245. —El Instituto de Vigilancia de Medicamentos y Alimentos. Créase el Instituto Nacional de Vigilancia de Medicamentos y Alimentos Invima, como un establecimiento público del orden nacional, adscrito al Ministerio de Salud, con personería jurídica, patrimonio independiente y autonomía administrativa, cuyo objeto es la ejecución de las políticas en materia de vigilancia sanitaria y de control de calidad de medicamentos, productos biológicos, alimentos, bebidas, cosméticos, dispositivos y elementos médico-quirúrgicos, odontológicos, productos naturales homeopáticos y los generados por biotecnología, reactivos de diagnóstico, y otros que puedan tener impacto en la salud individual y colectiva.*

Aduce que se permite la importación, comercialización o producción de medicamentos que no cuenten con registro sanitario expedido por ellos, siempre y cuando cuenten con los requisitos dispuestos en el decreto 481 de 2004. Refiere que para catalogarse un medicamento como "*vital no disponible*", le corresponde a la parte interesada en su importación remitir la debida evidencia científica que avale la eficacia y seguridad del medicamento pretendido, con el objetivo de encajar en lo preceptuado por la norma. Por ello, debe contar con lo requerido y no sólo con la recomendación impartida por el médico tratante, esto en base al respeto que existe a la autonomía medica que dispone el artículo 17 de la ley 1751 de 2015, la cual se ejerce en el marco de esquemas de autorregulación, ética, racionalidad y evidencia científica.

Enuncia los requisitos básicos para obtener la autorización de importación que quedará sujeta a la modalidad en que se presente la solicitud del medicamento que se encuentre en la lista de vitales no disponibles o si el mismo no se encuentra en tal listado.

Expone que cuando el medicamento no se encuentra en la lista de vitales no disponibles el trámite se envía para el estudio al *"Grupo de Apoyo a las Salas Especializadas de la Comisión Revisora de la Dirección de Medicamentos y Productos Biológicos"*, cuyo tramite, previa revisión por el grupo de profesionales de vitales de la dirección de operaciones sanitarias, debe cumplir con los requisitos detallados, dependiendo de la modalidad y que estén acordes al estudio del grupo, cuya decisión será autoriza, requiere o niega.

Merced a ello, continúa, el INVIMA tiene la potestad según el decreto 481 de 2004 para autorizar el ingreso al país de los medicamentos indispensables e irremplazables con el fin salvaguardar la vida o aliviar el sufrimiento de un paciente, que el medicamento pretendido no cuenta con el registro sanitario dentro del país, o que las cantidades requeridas no se abastecen con las que hay en el país, clasificándose como medicamentos vitales no disponibles.

Señala que la clasificación de vital no disponible no se adquiere únicamente cuando el medicamento no cuenta con el registro sanitario, sino también cuando no se encuentra dentro del comercio, por lo cual concurren los requisitos del

---

El Gobierno Nacional reglamentará el régimen de registros y licencias, así como el régimen de vigilancia sanitaria y control de calidad de los productos de qué trata el objeto del Invima, dentro del cual establecerá las funciones a cargo de la Nación y de las entidades territoriales, de conformidad con el régimen de competencias y recursos."

decreto 481 de 2004 para que el INVIMA autorice su importación, recayendo en la institución el carácter técnico y científico de valorar los requisitos básicos que debe cumplir la parte interesada, con el objetivo de demostrar la calidad, seguridad y eficacia del medicamento para evitar poner el peligro la vida del beneficiario.

Aduce que no ha vulnerado ningún derecho fundamental de la Accionante, en base al haz probatorio introducido a la Acción Constitucional sobre la solicitud de autorización de importación del medicamento en discusión, concluyendo que las decisiones tomadas están bajo el amparo normativo que se les encomendó sin ninguna arbitrariedad o capricho de la institución.

Expone que según el decreto 481 de 2004 tiene la facultad para autorizar el ingreso al país de medicamentos indispensables e irremplazables bajo los parámetros de salvaguardar la vida o aliviar el sufrimiento de un paciente que no cuente con el registro sanitario o que las cantidades requeridas del producto no se abastecen con las que hay en el país, llamándolos medicamentos vitales no disponibles.

Señala que el INVIMA valora todas las solicitudes de medicamentos tramitados en calidad de vitales no disponibles, identificando y aprobando aquellas que cumplan la normatividad colombiana vigente y cuenten con la veracidad científica eficaz, segura y de calidad.

Manifiesta que es palmaria la ausencia de responsabilidad por parte del INVIMA por la presunta vulneración de los derechos invocados en la acción de tutela, resaltando que no recae en la institución formular el trámite de importación de medicamentos y autorizarlos cuando ellos son de tratamientos particulares y que no se incluyen en el POS.

DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR[11]. –

Expuso que el suministro de medicamentos vitales no disponibles requiere de la aprobación del INVIMA, la que una vez lograda viabiliza que SANIDAD MILITAR disponga ante el Comité Técnico Científico de Medicamentos el visto bueno para que sea entregado al paciente solicitante.

[11] Documento N°8 del expediente.

Manifiesta que el INVIMA se ha pronunciado mediante concepto técnico respecto de la viabilidad de la importación y posterior comercialización del medicamento ETEPLIRSEN, y por ello, la DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR como operador logístico encargado de la dispensación de los medicamentos de los usuarios del subsistema de salud de las Fuerzas Militares, está en la imposibilidad legal y material de llevar a cabo el suministro de medicamentos que no cuentan con la aprobación de la autoridad sanitaria y el respectivo registro sanitario.

Aduce como pretensión principal desvincularla por falta de "*legitimación legal y funcional*" de acceder a las pretensiones solicitadas por la parte Accionante y como pretensión segundaria se conmine al INVIMA para que, en virtud de sus competencias, emita un pronunciamiento de fondo en tanto a las razones de la negación del medicamento requerido por el accionante e informar al despacho según corresponda.

SOCIEDAD VALENTECH PHARMA COLOMBIA S.A.S[12].-

Indicó que coadyuva la totalidad del *petitorium (sic)* de la acción, recalcando el perjuicio irremediable en que se encontraría el tutelante con la necesidad del medicamento pretendido.

Expone de manera meticulosa que el medicamento ETEPLIRSEN (EXONDYS 51®) es el único tratamiento existente para tratar la enfermedad huérfana de DMD para la variante genética específica que presenta D.A.C.M. (Deleción en hemicigosis del exón 51 del gen DMD) y en el mundo solo existe una terapia para manejar esta variante especifica de la enfermedad huérfana DMD, señalando que esta terapia está aprobada por la Food and Drugs Administration (FDA) de los Estados Unidos, desde el 19 de septiembre de 2016, por lo que, afirma, estamos frente a un medicamento seguro y eficaz.

SANDRA MILENA CASTELLAR LEONES[13].-

Precisó la enfermedad padecida por D.A.C.M. y la necesidad del medicamento pretendido. Respecto al tema en cuestión, señaló que no existe en el mercado

[12] Archivo 11.
[13] Archivo 14.

colombiano medicamento que pueda sustituir el mecanismo de acción del ETEPLIRSEN (EXONDYS 51).

SENTENCIA IMPUGNADA[14]**.-**

Mediante fallo de fecha 10 de enero de 2023 el Juzgado Primero Promiscuo de Familia de Pamplona resolvió tutelar los derechos fundamentales a la salud, vida y seguridad social de D.A.C.M. y dispuso:

> (…)
>
> **SEGUNDO: ORDENAR** al Instituto Nacional de Vigilancia de Medicamentos y Alimentos INVIMA que, en el término improrrogable de diez (10) días siguientes a la notificación de esta decisión, **AUTORICE** la importación del medicamento *"eteplirsen (exondys51)"* exclusivamente para el paciente **D.A.C.M.** en los términos y para los efectos del tratamiento médico prescrito frente a su patología *"distrofia muscular de duchenne".*
>
> **TERCERO:** TERCERO: ORDENAR sociedad (sic) VALENTECH PHARMA COLOMBIA S.A.S. que, en caso de ser requerido, suministre al INVIMA toda la información y documentación necesaria para la importación del medicamento y una vez autorizada proceda a hacer entrega del medicamento al paciente, previos los trámites de importación**.**
>
> **CUARTO:** ORDENAR a SANIDAD MILITAR que garantice la entrega del medicamento *"eteplirsen (exondys51)"* al paciente D.A.C.M.
>
> (…)

Acotado el problema jurídico en analizar, en esencia, "*la procedencia de emisión de orden para autorizar de la importación del medicamento requerido por el menor",* relievó el contenido y alcance al derecho fundamental a la salud, el cual debe prestarse removiendo cualquier barrera burocrática o administrativa y dio realce al amparo constitucional y normativo de especial protección a los menores de edad, por ser considerados sujetos de especial protección constitucional.

Sobre la cobertura del Sistema General de Salud y su ley estatutaria, consideró que todo medicamento prescrito por el médico tratante debe ser debidamente garantizado por las empresas promotoras de salud, siempre y cuando se trate de servicios y medicamentos imprescindibles para garantizar el derecho a la salud, y que se encuentre disponible en el mercado colombiano para su entrega,

[14] Archivo N°15.

precisando que el INVIMA tiene como fin el de ser "*la autoridad encargada de vigilar y controlar el carácter técnico científico de los medicamentos que se comercializan en el país*", ya que tiene la competencia para expedir el registro sanitario y sin éste no podrá ingresar al país para su comercialización.

Expuso que cuando un medicamento no cuenta con registro sanitario que permita su comercialización porque no ha surtido el trámite legalmente previsto para el efecto, el INVIMA podrá autorizar el ingreso a través de los denominados *"medicamentos vitales no disponibles"*, según lo reglado por el decreto 481 de 2004 citando uno de sus apartados[15].

Asimismo, señaló que en sentencias T 001 de 018[16] y T-027 de 2015[17] la Corte Constitucional por vía de tutela autorizó medicamentos que no cuentan con registro sanitario.

Precisó que se encuentra establecido en el plenario que el paciente D.A.C.M. "*ha sido diagnosticado con "Distrofia Muscular De Duchenne…para lo cual ha sido tratado en Instituto de Ortopedia Infantil ROOSEVELT de la ciudad de Bogotá, ordenado por su médico tratante Dra. SANDRA MILENA CASTELLAR LEONES médica fisiatra y rehabilitación adscrita a la IPS Instituto Roosevelt de la ciudad de Bogotá, la aplicación del medicamento "eteplirsen (exondys51) por 3 meses, Vial*

---

[15] *"corresponde a medicamentos indispensables e irremplazables para salvaguardar la vida o aliviar el sufrimiento de un paciente o un grupo de pacientes y que, por condiciones de baja rentabilidad en su comercialización, no se encuentra disponible en el país o las cantidades no son suficientes, otorgando competencia para determinar tal calidad a la Sala Especializada de Medicamentos de la Comisión Revisora del INVIMA, a través de 3 criterios en concreto, a saber: (i) Que no se encuentre en fase de investigación clínica; (ii) Que no se encuentre comercializado en el país o habiéndose comercializado las cantidades no sean suficientes para atender las necesidades; y (iii) Que no cuente con sustitutos en el mercado*".

[16] *"Ahora bien, la Corte se ha referido reiteradamente a la existencia de dos vías para acceder a un medicamento que no tiene el registro INVIMA para determinada patología. Una primera, la ya mencionada en el artículo 128 de la Resolución 5269 de 2017, que para la fecha de los hechos correspondía al artículo 134 de la Resolución 5592 de 2015 del Ministerio de Salud y de la Protección Social (regla general), y otra que es el consenso que exista en la comunidad científica sobre el particular.*

[17] *De ese modo, la expedición del registro por parte del INVIMA constituye la acreditación formal del medicamento correspondiente; la informal, estaría dada por la aceptación de la comunidad científica del hecho de que determinado medicamento sirve para tratar una patología en particular. En ausencia de dicha acreditación, se estará entonces en presencia de un medicamento de los denominados no comprobados o en fase experimental, que son "aquellos que todavía no tienen la aceptación de la comunidad científica ni de las entidades encargadas de acreditarlos como alternativas terapéuticas. Ello significa que su efectividad no ha sido determinada con un nivel de certeza aceptable médicamente".*
A partir de esta distinción, la Corte Constitucional ha sentado una regla jurisprudencial en relación con la posibilidad de que, por la vía de la acción de tutela, sea exigible la entrega de medicamentos que no cuentan con registro sanitario del INVIMA, de acuerdo con la cual, será procedente el amparo tutelar cuando quiera que se trate de medicamentos que están acreditados en la comunidad científica respecto de su idoneidad para el tratamiento de determinada patología y siempre que se cumplan los requisitos previstos en la jurisprudencia constitucional para efectos de ordenar el suministro de elementos que no se encuentran contemplados en el Plan Obligatorio de Salud. Quedan excluidos entonces los medicamentos experimentales, frente a los cuales no existe suficiente evidencia científica sobre su calidad, seguridad, eficacia y comodidad". Por otro lado, la Corte en vigencia del modelo anterior a la Ley 1751 de 2015, también se ha pronunciado respecto de la negativa del CTC, al negar el suministro de un medicamento por la simple razón de no contar con registro del INVIMA conjuntamente la sentencia T-243 de 2015:
"se debe analizar si el derecho a la salud se encuentra comprometido ante tal negativa. En palabras de la Corte, "el derecho a la salud de una persona implica que se le garantice el acceso a un medicamento que requiere, así no cuente con registro del INVIMA, si fue ordenado por su médico tratante, a menos que (i) médicamente sea posible sustituirlo por otro con el mismo principio activo, sin que se vea afectada la salud, la integridad o la vida, y (ii) los otros medicamentos con registro sanitario vigente, cuyo principio activo es el mismo, se encuentran efectivamente disponibles en el mercado colombiano"

500mg/10ml # 12 viales, Vial 100 mg/2ml #36 viales, solución concentrada, aplicar 800 mg en infusión continua durante 90 minutos cada semana durante 3 meses"13 según prescripción médica del 17 de agosto de 2022" [18]*.*

Consideró que no se encuentra en entredicho y, por contera, no será tema de debate, la autorización del medicamento por parte de la entidad prestadora de salud del menor de edad, esgrimiendo lo manifestado por sanidad militar en cuanto su entrega fue ordenada a ÉTICOS UT 2020 en virtud del contrato 106-DIGSA-2020 que tiene a cargo todo lo relacionado con el servicio de farmacia, "*quien acudió a VALENTECH PHARMA COLOMBIA SAS, para su obtención y es quien finalmente presentó solicitud de autorización para importación del medicamento ETEPLIRSEN ante INVIMA en calidad de vital no disponible*".

Reiteró la normatividad atinente a suministrar el medicamento que carece de registro INVIMA, para lo cual citó los parámetros jurisprudenciales señalados por la Corte Constitucional para la autorización de medicamentos excluidos del pan de beneficios, indicando que para el caso estos se cumplen ""(i*) por tratarse de un medicamento prescrito para el tratamiento de enfermedad determinada, se comprende que su exclusión amenaza los derechos fundamentales de su destinatario*; (ii) *el medicamento fue prescrito por médico tratante adscrito a la EPS, bajo la justificación de necesidad del mismo y (iii) si bien no se ahondó en la incapacidad del usuario para asumir el medicamento por su cuenta, lo cierto es que, como ya se precisó, la EPS ya autorizó su entrega y la controversia se encuentra delimitada a la no autorización de importación".* Conjuntamente expone dos presupuestos esenciales, que son importantes para el acceso al medicamento "*(i) estar acreditado por el médico tratante adscrito a la EPS que el medicamento es el único que puede producir efectos favorables en el paciente y (ii) que no se trata de una droga en etapa experimental".*

Para adoptar dicha decisión, luego de exponer soporte jurisprudencial, por medio de prueba de oficio de auto de 06 de enero de 2023 solicitó al médico tratante Dra. SANDRA MILENA CASTELLAR LEONES indicara las razones que justificaban el uso del medicamento en discusión e informara si existía en el mercado colombiano un fármaco que contara con el mismo nivel de efectividad, citando lo remitido por la doctora tratante y subrayando el siguiente apartado final "*No existe*

[18] Documento N°15 folio 14 del expediente

en el mercado de Colombia otro medicamento que pueda sustituir el mecanismo de acción de Eteplirsen".

Determinó el *A quo* que verificada la documentación que fue allegada en el escrito de tutela que se denominó *"carta de necesidad médica para Eteplirsen (Exondys 51)"* elaborada por VALENTECH, encontró que fueron expuestos los mismos criterios de efectividad y eficacia del medicamento que hacían indispensable su suministro, no obstante, la autorización se negó, bajo la motivación que el medicamento no cumplía con ellos, concluyendo que *"se encuentra que allí se desestimó el criterio de la médico tratante sin precisar de forma detallada la existencia de reparos al tratamiento prescrito"* [19].

Valorando el *A quo* las consideraciones expuestas por el INVIMA para la negativa de autorizar la importación del medicamento, señaló que no se evidenció "*argumento que derruya si la evidencia aportada por la Dra. SANDRA MILENA CASTELLAR LEONES, sobre la eficacia para tratar la patología del niño D.A.C.M".*

Precisó que en el caso de referencia no se está solicitando la comercialización de producto en todo el territorio nacional, pues solo se solicita la importación para un caso en específico o particular por la modalidad no disponible, dispuesta para medicamentos sin registro sanitario que se encuentra normado en el decreto 481 de 2004 aduciendo que "*la galeno no solo refirió la necesidad para el caso en concreto, sino que precisó el programa de acompañamiento "se mantendrá en seguimiento rutinario con evaluación de fuerza función motora, así como también de su función cardiaca y pulmonar de acuerdo a las recomendaciones de seguimiento de pacientes con DMD"*[20]*.*

Expuso que se avizora que "*sí existe justificación absoluta de la necesidad del medicamento para el niño D.A.C.M."* ya que los criterios de la médico tratante no fueron desestimados bajo los supuestos de ineficacia y lo más importante "*no existe en el mercado un solo medicamento capaz de combatir la enfermedad que padece el menor de edad, según la mutación genética que le ha sido diagnosticada*", concluyendo la evidente necesidad del suministro del medicamento en los términos que fue ordenado por la Especialista.

[19] Documento N°15 folio 16 y 17 del expediente digital.
[20] Carta de necesidad de medicina para eteplirsen (EXONDYS 51), Dra. SANDRA MILENA CASTELLAR LEONES Fisiatra Instituto de Ortopedia Infantil ROOSEVELT

IMPUGNACIÓN

Inconforme con la decisión adoptada por la *A quo,* el INVIMA y la DIRECCIÓN DE SANIDAD DEL EJÉRCITO NACIONAL la impugnaron, pretendiendo se revoque la decisión proferida.

INVIMA[21]**. -**

Reiteró los argumentos expuestos en la contestación de la Acción de Tutela, pretendiendo evidenciar que dicha información no fue considerada por parte del *A quo*.

DIRECCIÓN DE SANIDAD DEL EJÉRCITO NACIONAL[22]**.-**

Indica que el *A quo* desconoció el proceso establecido para la entrega de Medicamentos Vitales no Disponibles.

Expuso la competencia funcional que recae en el INVIMA como máxima autoridad sanitaria, para establecer la viabilidad y pertinencia de autorizar la importación y posterior comercialización del medicamento.

Señaló que "*por el índice de resultados tan bajos y o por el alto costo de este medicamento, que genera mas incertidumbres que certezas como beneficios para el tratamiento del menor, es indudable que coloca al sistema de salud y en particular al subsistema de salud de las fuerzas militares, frente a un desequilibrio administrativo y financiero, Maxime si se tiene en cuenta que el costo aproximado de este medicamento oscila en los mil setecientos millones de pesos MCTE ($1.700.000.000)"*

Indicó que el menor de edad D.A.C.M. figura como registrado "***activo*** *dentro del subsistema de salud de las Fuerzas Militares, perteneciente al Ejército Nacional de Colombia adscrito a la dirección de sanidad del Ejercito Nacional*"[23] quien tiene a su cargo los servicios médicos en el establecimiento de Sanidad Militar del BATALLON DE ASPC N°30 "GUASIMALES", expresando que *"el menor a través de su representante legal accedió a la valoración médica en el instituto Roosevelt*

[21] Documento N°17 del expediente digital.
[22] Documento N°18 folio 3 del expediente digital
[23]Documento N°18 folio 5 del expediente digital.

de manera particular, sin que medie remisión o autorización de este servicio por parte del subsistema de salud"[24]*.*

Expuso que la DIRECCIÓN DE SANIDAD DEL EJERCITO NACIONAL solicitó al HOSPITAL MILITAR CENTRAL, junta médica para la revaloración del menor D. A. C.M., ello en aras de establecer el tratamiento terapéutico con el medicamento ETEPLIRSEN, programándose para el día 16 de enero de 2023 la cual no se llevó a cabo por el desplazamiento que requiere el Menor y su representante.

Concluyó planteando que al Menor se le ha garantizado el servicio de salud, para lo cual considera pertinente vincular a las anteriores dependencias para que emitan un informe con el criterio de los médicos tratantes pertenecientes al subsistema de salud de las fuerzas militares.

PRUEBAS EN SEGUNDA INSTANCIA

1.- Por medio de auto de 3 de febrero de 2023[25], el magistrado sustanciador indagó al INVIMA si "*existe en el país un medicamento capaz de sustituir el referido "eteplirsen (exondys51)"*, a lo que este Instituto contestó que, previa consulta al Grupo de Apoyo de las Salas Especializadas de la Comisión Revisora (GASECR), éstos refirieron que "*le corresponde al médico tratante modificar la prescripción del producto que ofrezca una respuesta a la patología que padece el accionante, a la luz de la ciencia y la técnica, en virtud del principio de autonomía médica consagrado en el artículo 17 de la Ley Estatutaria de salud 1751 de 2015"*[26]*.*

2.- A través de auto de 8 de febrero de 2023, el Magistrado sustanciador indagó al INVIMA, DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR, VALENTECH PHARMA COLOMBIA SAS, MINISTERIO DE SALUD Y PROTECCIÓN SOCIAL DE COLOMBIA y SUPERINTENDENCIA NACIONAL DE SALUD sobre el "*costo del medicamento denominado "eteplirsen (exondys51)*"[27].

La SUPERINTENDENCIA NACIONAL DE SALUD respondió indicando que "*NO se tiene dicha información, dada la libre competencia económica que lo cobija;*

[24] Documento N°18 folio 5 del expediente digital.
[25] Folio 13, cuaderno segunda instancia.
[26] Folio 17 y 18, ibid.
[27] Folio 33, ibid.

esto sin perjuicio de la relación civil que enmarca la contratación entre las Entidades Responsables de Pago y los Gestores Farmacéuticos"[28].

VALENTECH dio respuesta al requerimiento señalando que es el importador autorizado mas no el fabricante, y los costos son Eteplirsen 100 mg/2 mL: USD 1.732 y Eteplirsen 500 mg/10 mL: USD 8.660[29], ello sujeto a la TRM para la fecha de la adquisición.

Frente al mismo requerimiento, el MINISTERIO DE SALUD[30] señaló que los costos del medicamento son los de la siguiente tabla, si bien matizó que "*para el medicamento ETEPLIRSEN – SOLUCION O SUSPENSION INYECTABLE se evidencia que cuenta con un valor de referencia según la nota técnica de medicamentos de la Resolución 1139 de 2022 con ID 164 y un valor de referencia de $337.826.18 (trescientos treinta y siete mil ochocientos veintiséis pesos con dieciocho centavos) por miligramo (mg)":*

			PRECIO PROMEDIO / AÑO		
IUM_2	**IUM_3**	**IUM - Descripción Comercial**	**2020**	**2021**	**2022**
1000	101	ETEPLIRSEN 50.0000mg/1.0000 ml OTRAS SOLUCIONES INTRAVENOSA (EXONDYS 51) VIAL 10.0000 ml/CAJA X 1	$ 28.137.200,00	$ 29.523.873,51	$ 30.776.221,36
1000	101	ETEPLIRSEN 50mg/1 ml OTRAS SOLUCIONES INTRAVENOSA (EXONDYS 51) VIAL 10 ml/CAJA X 1			$ 34.016.544,22
1000	102	ETEPLIRSEN 50.0000-mg/1.0000-ml OTRAS SOLUCIONES INTRAVENOSA (EXONDYS 51) VIAL 2.0000 ml/CAJA X 1		$ 5.939.829,77	$ 6.179.918,07
1000	102	ETEPLIRSEN 50mg/1 ml OTRAS SOLUCIONES INTRAVENOSA (EXONDYS 51) VIAL 2 ml/CAJA X 1			$6.768.249,51

Respecto a los demás requerimientos, anotó que "*no es competente para otorgar las autorizaciones de importación de medicamentos vitales no disponibles"* y que si bien el INVIMA negó su importación como vital no disponible, "*el INVIMA en estricto cumplimiento de la orden impartida en la sentencia de primera instancia, proferida dentro de la acción de tutela con radicado 545183184001-2022-00263-00, por el JUZGADO PRIMERO PROMISCUO DE FAMILIA DE*

[28] Folio 68, ibid.
[29] Folio 77, ibid.
[30] Folio 136 y ss, ibid.

*PAMPLONA, emitió Autorización No. 2023000099, de fecha 8 de Febrero de 2023, para el medicamento ETEPLIRSEN 500mg/10ml (50 mg/ml) SOLUCIÓN INYECTABLE (EXONDYS 51®), el cual será utilizado para el paciente C.M.D.A. identificado(a) con el documento de identidad (TI) No. 1090177****".

Seguidamente deslindó la órbita competencial de los agentes del Sistema General de Seguridad Social en Salud SGSSS, concluyendo que *"En cuanto a la consulta sobre la existencia de medicamentos equivalentes de la tecnología en salud ETEPLIRSEN, es el médico tratante quien según su criterio profesional y la historia clínica del paciente debe tomar las decisiones con respecto al tratamiento de los pacientes que tienen a su cargo según lo establecido en el artículo 17 de la Ley 1751 de 2015 "Por la cual se regula el derecho fundamental a la Salud"* y que no tiene control tutelar respecto al INVIMA.

3.- A través de auto de 8 de febrero de 2023[31], el Magistrado sustanciador indagó al DEPARTAMENTO DE GENÉTICA DE LA UNIVERSIDAD NACIONAL DE COLOMBIA; ASOCIACIÓN COLOMBIANA DE MÉDICOS GENETISTAS; PTC THERAPEUTICS; VALENTECH PHARMA COLOMBIA SAS; MINISTERIO DE SALUD Y PROTECCIÓN SOCIAL DE COLOMBIA, FUNDACIÓN COLOMBIANA PARA DISTROFIA MUSCULAR – FCDM e INVIMA para que resolvieran los siguientes interrogantes: *"1.- ¿Existe un medicamente equivalente en su eficacia al eteplirsen (exondys51) para el tratamiento o paliación de la Distrofia Muscular de Duchenne?; 2.- ¿Es considerado un medicamento o tratamiento experimental?; 3.- ¿Se conocen objeciones de parte de la literatura científica, la evidencia o de las agencias de control de medicamentos de los respectivos países acerca de su seguridad, eficacia y calidad?; 4.- Respecto a la Distrofia Muscular de Duchenne, ¿corre riesgo la vida del paciente ante la falta o demora en la aplicación de eteplirsen (exondys51)?; 5.- La demora en la aplicación de eteplirsen (exondys51) puede causar daños irreversibles tratándose de un paciente diagnosticado con Distrofia Muscular de Duchenne?; 6.- De acuerdo a la literatura médica, la evidencia y los pronunciamientos de las agencias de control de medicamentos de los respectivos países, ¿existe una adecuada correlación entre los costos económicos del medicamento eteplirsen (exondys51) y el beneficio demostrado para los pacientes?".*

[31] Folio 47 y ss, ibid.

Dio respuesta el INVIMA[32] a los puntos 1,4 y 5 indicando que *"de acuerdo con las facultades otorgadas por ley, no le compete el análisis de patologías de pacientes o la formulación de medicamentos; así como tampoco es posible legalmente que el Instituto avale o se pronuncie en concreto sobre la pertinencia, tiempo o no de la prescripción realizada por el profesional de salud a cargo del manejo del paciente"*.

Sobre el interrogante 2, de si es considerado un tratamiento experimental, señaló que "*El principio activo eteplirsen se encuentra en fase de investigación y no ha sido incluido en normas farmacológicas*", y que *"Se dispone de limitada información derivada de investigaciones en seres humanos con este medicamento"*, concluyendo que "*aún se encuentra en fase de investigación, ya que no ha demostrado un balance beneficio/riesgo positivo por lo que ha sido negado en agencias sanitarias de referencia"*.

Respecto al "*Estatuto regulatorio del ETEPLIRSEN"* señaló que "*su uso se encuentra condicionado"*, relacionando su estatus respecto de la FDA[33] y de la EMA[34].

VALENTECH dio respuesta al requerimiento[35] señalando que eteplirsen "*es el único tratamiento existente para tratar la enfermedad huérfana de Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) para la variante genética específica que presenta el paciente (Deleción en hemicigosis que involucra desde el exón 49 al exón 50 del gen DMD)"*.

Señaló que no es un tratamiento experimental y que "*cuenta con aprobación de la Food and Drugs Administration (FDA) de los Estado Unidos, desde el 19 de septiembre de 2016"* y aclaró que "*la aprobación acelerada no es una aprobación parcial o provisional. Los medicamentos aprobados bajo aprobación acelerada cumplen las mismas normas legales referentes a seguridad y efectividad como todos los demás medicamentos aprobados por la FDA".*

[32] Folio 214 y ss, ibid.
[33] "*No se ha establecido un beneficio clínico de EXONDYS 51. La continuación de la aprobación para esta indicación puede depender de la verificación de un beneficio clínico en ensayos confirmatorios"*.
[34] "Exondys fue designado "medicamento huérfano" (medicamento destinado a enfermedades raras) el 3 de diciembre de 2008 para el tratamiento de la DMD.
Por consiguiente, el CHMP opinó que no podía establecerse el equilibrio entre los beneficios y los riesgos de Exondys en el tratamiento de la DMD y recomendó que se denegara la autorización de comercialización. La denegación del CHMP se confirmó tras un nuevo examen".
[35] Folio 88 y ss, ibid.

Sobre la seguridad, eficacia y calidad del medicamento, señaló que *"Exondys 51 ha demostrado disminuir la progresión de la enfermedad*". Indicó que la European Medicines Agency EMA *"se abstuvo de otorgar el respectivo marketing autorización*", en el año 2018, es decir, que ello se dio antes de que "*se publicaran los primeros resultados del estudio PROMOVI en Julio de 2020. El estudio PROMOVI es el ensayo de mayor alcance hasta la fecha que usa un oligómero de morfolino fosforodiamidato (PMO) para tratar la distrofia muscular de Duchenne"*, el cual confirmó "*un efecto positivo del tratamiento, un perfil de seguridad favorable y una desaceleración de la progresión de la enfermedad en comparación con la historia natural".*

Atinente a si corre riesgo la vida del paciente, VALENTECH señaló que sí, dado que *"su estado de salud va a continuar deteriorándose significativamente. La progresión de la enfermedad resulta en la pérdida de la deambulación, y la necesidad de equipos adaptativos o de asistencia para poder realizar sus actividades básicas de la vida diaria. Asimismo, al progresar la enfermedad, el músculo cardíaco se debilita, resultando en cardiomiopatía, la cual progresa a fibrosis muscular, amenazando la vida"* y que la demora de la aplicación del medicamento causa daños irreversibles.

Sobre la correlación costo beneficio del paciente señaló que "*no se han desarrollado estudios de costo efectividad ni costo utilidad sobre Exondys 51. Sin embargo, al retrasar la progresión de la enfermedad, se puede evidenciar una mayor funcionalidad del paciente, lo que les brinda una mejor calidad de vida (tanto al paciente como a sus cuidadores) y al retrasar la aparición de manifestaciones propias de la patología, los costos de la atención podrían verse reducidos"*, exponiendo que "*no suelen existir estudios de costo utilidad o costo efectividad para medicamentos para enfermedades huérfanas, porque si tenemos en cuenta que la prevalencia general para enfermedades huérfanas es de 1 en 5000 (cuestión que ya hace difícil el poder realizar estos estudios como si se trataran de enfermedades más comunes), en el caso específico de DMD la incidencia es de 1/3,500 - 5.000 varones RN y la Prevalencia <10 casos/100.000 hombres, lo que dificulta aún más la existencia y conducción de tales estudios. En suma: no existen suficientes pacientes para poder realizar esos estudios"*.

En oficio allegado el 15 de febrero del corriente[36], sobre las mismas inquietudes la FUNDACION COLOMBIANA PARA DISTROFIA MUSCULAR respondió que: 1).- "*No existe un tratamiento similar al ETEPLIRSEN (EXONDYS 51) puesto que este es un tratamiento específico para hacer un salto del exón 51, este tratamiento es para aquellos pacientes que tienen una deleción del exón 51, esta deleción se presenta aproximadamente en el 13% de los pacientes con DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE, por lo tanto, no existe un medicamento en el momento que esté aprobado por la FOOD AND DRUG ADMINISTRATION - FDA o un ente regulador internacional o nacional que esté dirigido específicamente para el manejo de pacientes con deleción del exón 51*"; 2).- *"No es considerado un medicamento o tratamiento experimental, este se encuentra aprobado por la FOOD AND DRUG ADMINISTRATION - FDA desde el 2016, y para ser aprobado por la FDA debe pasar por estudios preliminares en tres fases que permiten determinar la eficacia y seguridad del medicamento, al tener esta regulación confirmada no se trata de un medicamento experimental o en investigación, sino que por el contrario es un tratamiento aprobado para el tratamiento de pacientes y su eficacia y seguridad han sido plenamente demostradas"; 3).- "A pesar de que el ETEPLIRSEN es aprobado por la FDA siendo la agencia reguladora de medicamentos en Estados Unidos, por su parte la asociación europea de medicamentos EMA lo rechazó ya que consideraron que no era suficiente para demostrar la eficacia del medicamento, sin embargo, hay estudios que se están realizando actualmente con los cuales se espera que se demuestre con mayor fortaleza el beneficio en el grupo de pacientes que se favorecerían de este medicamento"; 4). y 5).- "La distrofia muscular de duchenne es una enfermedad crónica, progresiva y debilitante que de no ser tratada derivará siempre en la progresión de la enfermedad y dependiendo de la estabilidad del cuadro clínico en la muerte temprana del paciente, el no recibir un tratamiento adecuado siempre derivará en una alta morbimortalidad, y en una disminución en la calidad de vida"*, 6).- *"No se conocen estudios fármaco-económicos que nos permitan confirmar o excluir el costo - beneficio de la terapia, sin embargo, y teniendo en cuenta que se trata de una enfermedad rara y por consiguiente de baja prevalencia 230 a pesar del alto costo posiblemente haya un beneficio poblacional en este grupo de pacientes, no es posible afirmarlo con claridad hasta que no hayan estudios de costo – efectividad de la población colombiana específicamente debido a que el costo de la terapia como los costos derivados de hospitalizaciones por la*

[36] Folio 230 y ss, ibid..

enfermedad, complicaciones secundarias a la enfermedad etc, son específicos en cada país".

En oficio allegado el 15 de febrero del corriente[37], sobre las mismas inquietudes la ASOCIACIÓN DE MÉDICOS GENETISTAS Y MEDICINA GENÓMICA (ACMGEN) respondió que 1*).-* "*No existe un medicamento equivalente en su eficacia para el tratamiento o paliación de la DMD en pacientes con mutación del exón 51"; 2).- "Exondys 51® (eteplirsen) se considera un medicamento experimental con aprobación de la FDA, por lo cual, actualmente están en desarrollo estudios clínicos que evalúan el beneficio clínico. Como parte de la aprobación, SAREPTA THERAPEUTICS debe realizar más estudios para confirmar el efecto de la terapia sobre la función motora"; 3).- "La aprobación acelerada del medicamento por la FDA provocó controversia y un amplio debate ya que el beneficio clínico de Exondys 51® (eteplirsen) no estaba claramente establecido debido al bajo número de pacientes involucrados en los ensayos clínicos (la aprobación se basó en 12 pacientes seguidos durante 3 años). (2) De acuerdo a la FDA, la aprobación se dio debido a la conclusión de que un aumento de la distrofina en el músculo esquelético de algunos pacientes tratados con este medicamento tiene una probabilidad razonable de predecir un beneficio clínico"; 4).- "Con relación a la expectativa de vida, la mayoría de los pacientes con DMB pueden vivir hasta la edad adulta media o avanzada, incluso los pacientes que no tengan problemas cardiacos o respiratorios podrían tener una esperanza de vida similar a la población general. (1) Por ende, se pronostica que el tratamiento con Exondys 51® (eteplirsen) podría retrasar la progresión de la enfermedad, al igual que prolongar el tiempo que las personas con DMD puedan caminar, comer de forma independiente y respirar sin ayuda. (1,5)"; 5).- "Las terapias para la restauración del marco de lectura, en este caso Exon Skipping Therapy, se basan en el gen de la distrofina expresado, lo cual ocurre solamente en el músculo esquelético y cardíaco, y no en el tejido adiposo o fibrótico. Como resultado, si el tratamiento no es iniciado de manera oportuna teniendo en cuenta la progresión y evolución de la enfermedad, la pérdida de masa muscular hará que disminuya el número de células diana que permitan modificar el curso de la enfermedad*. 6).- "*El principal resultado de eficacia en los ensayos clínicos realizados con Exondys 51® (eteplirsen) fue el aumento en el nivel de fibras positivas para distrofina en la biopsia muscular. Los estudios sugieren que los pacientes tratados pueden experimentar mejoras en la función motora (162 metros menos de disminución en*

[37] Folio 238 y ss, ibid..

la prueba de 6MWT) y la función pulmonar (2%-4% más lenta la progresión de disminución en el porcentaje anual predicho de la capacidad vital forzada) por el cuarto año de tratamiento".

Por su parte, las respuestas de PTC THERAPEUTICS al requerimiento fueron[38]: 1).- "*Actualmente, no existe ningún otro medicamento que utilice este mismo mecanismo de acción y que esté diseñado para el salto del exón 51 de la distrofina, por lo tanto no hay medicamentos equivalentes en términos de su eficacia particular*"; 2)- "*Si bien actualmente eteplirsen no hace parte del Estándar de Cuidado determinado por las guías de manejo para Distrofia Muscular de Duchenne, eteplirsen fue aprobado por la FDA (Food and Drug Administration), a través de aprobación acelerada, en septiembre de 2016 para el tratamiento de pacientes con Distrofia Muscular de Duchenne con una mutación confirmada en el gen DMD que sea sensible al salto del exón 51, incluyendo pacientes pediátricos (2). Por lo tanto, para la mencionada indicación, no se considera un tratamiento experimental*"; 3).- "*La mayoría de los Efectos Adversos (EA) observados en los ensayos clínicos fueron leves a moderados, no se observaron EA que generaran la descontinuación del medicamento ni muertes asociadas al mismo. En términos de eficacia, se han reportado limitaciones de los estudios clínicos para eteplirsen referentes a la escasez de Ensayos Clínicos Controlados y Randomizados (RCTs), poblaciones pequeñas en los estudios e insuficientes datos de eficacia a largo plazo. Estas limitaciones son comunes para todas las patologías clasificadas como enfermedades raras*"; 4).- "*Hasta el momento no existe evidencia en la literatura científica acerca del impacto de eteplirsen en la sobrevida de los pacientes con Distrofia Muscular de Duchenne. Sin embargo, existe evidencia grado 2 que soporta la utilidad de eteplirsen en la reducción de la declinación a largo plazo de la Capacidad Vital Forzada (CVF), la cuál es un marcador importante de la función pulmonar (4). La falta o demora en la aplicación de eteplirsen (exondys51) podría traducirse en un deterioro más acelerado de la función pulmonar en el paciente, lo cual a largo plazo puede tener un impacto en su sobrevida*; 5).- "*La demora en la aplicación de eteplirsen (exondys51) puede traducirse en una progresión más rápida de la enfermedad, que es irreversible teniendo en cuenta la fisiopatología de la DMD*", y 6).- "*Actualmente, no se han desarrollado estudios de costo efectividad ni costo utilidad sobre Exondys 51. Sin embargo, al retrasar la progresión de la enfermedad, se puede evidenciar una*

[38] Folio 253 y ss, ibid.

mayor funcionalidad del paciente, lo que les brinda una mejor calidad de vida (tanto al paciente como a sus cuidadores) y al retrasar la aparición de manifestaciones propias de la patología, los costos de la atención podrían verse reducidos. Como lo hemos afirmado, la terapia con el medicamento en cuestión no es una cura, sino que retrasa la progresión de la enfermedad, lo que sin dudas genera ahorros al sistema de salud".

4.- Por medio de auto de 9 de febrero de 2023[39], el magistrado sustanciador ofició a la DIRECCIÓN DE SANIDAD DEL EJÉRCITO NACIONAL para que indicara si ha remitido para atención en salud al menor D.A.C.M. a la IPS INSTITUTO ROOSEVELT de la ciudad de Bogotá y si existe vínculo contractual, reglamentario u orgánico entre la DIRECCIÓN DE SANIDAD DEL EJÉRCITO NACIONAL (u otra dependencia del subsistema de salud vinculado a las FF.MM) y la IPS INSTITUTO ROOSEVELT de la ciudad de Bogotá, de manera tal que los médicos de ésta se consideren parte de la red se servicios de salud de las FFMM, señalando que:

> 1. Dentro del presente tramite se ha solicitado cotización de los laboratorios, SUMA ACTIVA SAS – VALENTECH FOR LIFE - STRENUUS MARKETING S.A, de las respectivas cotizaciones se da traslado al Honorable Tribunal[40].
>
> 2. Es menester señalar que el medicamento "Eteplirsen (exondys51)" es de alto costo, cuya adquisición colocaría al Subsistema de Salud de las Fuerzas Militares, frente a un inminente desequilibrio financiero, que no permitiría atender y dar cobertura al total de la población adscrita a este Subsistema de Salud.
>
> 3. Sea la oportunidad procesal para informar al despacho judicial, que mediante acta de junta médico laboral de fecha 27 de enero de 2023, el equipo interdisciplinario del Hospital Militar Central, con base en su experticia técnica, profesional, e independiente, determino NO recomendar el uso del medicamento ETEPLIRSEN 500 mg / 10 ml (50 mg/ml) para el caso en particular, dada la incertidumbre en la eficacia y seguridad del medicamento, máxime cuando se trata de un menor de edad.
>
> 4. Se enfatiza en el acta en comento que el menor D.A.C.M., debe recibir tratamientos aprobados actualmente en el país como son los corticoides y plan integral de rehabilitación, los cuales resultan fundamentales para el tratamiento de la enfermedad que padece.
>
> **5. Así mismo es necesario destacar, tal como consta en el acta cuya copia se anexa, que el paciente no cuenta con valoración institucional por servicios de pediatría, neuropediatría, medicina**

[39] Folio 108, ibid.
[40] STRENUUS MARKETING $1.532.160.000,oo (folio 200, ibid.); SUMA ACTIVA S.A.S. 1.571.498,oo (folio 201, ibid.) y VALENTECH $752.548.840,oo (folio 202, ibid.).

física y rehabilitación, ni genética y que fue valorado de forma particular en el Instituto Roosevelt quienes realizan la prescripción del medicamento[41].

CONSIDERACIONES

Competencia. -

Esta Corporación es competente para conocer de la impugnación de la presente acción de tutela según lo establecido por el artículo 86 de la constitución Política de Colombia, artículos 31 y 32 del Decreto 2591 de 1991 y por lo dispuesto en el decreto 1983 de 2017 modificado por el Decreto 333 de 2021.

Cumplimiento de los Requisitos Generales de Procedencia de la Acción de Tutela.-

De acuerdo con el artículo 86 de la Constitución Nacional, toda persona puede ejercer la acción de tutela mediante un procedimiento preferente y sumario, por sí misma o por quien actúe a su nombre, para la protección inmediata de sus derechos fundamentales, siempre que resulten amenazados o vulnerados por la acción o la omisión de cualquier autoridad pública o de particulares.

La acción de tutela resulta procedente cuando el accionante no disponga de otro medio de defensa judicial eficaz para la protección de sus derechos, salvo que se utilice como mecanismo transitorio para evitar la consolidación de un perjuicio irremediable.

En esta medida, antes de pronunciarse de fondo sobre el caso concreto, es deber del juez constitucional verificar el cumplimiento de los requisitos generales de procedencia de la acción de tutela, a saber: *(i)* la legitimación en la causa por activa y por pasiva, *(ii)* la inmediatez y *(iii)* la subsidiariedad[42].

Legitimación en la Causa. –

Este requisito de procedencia tiene por finalidad garantizar que quien interponga la acción tenga un *"interés directo y particular"*[43] respecto de las pretensiones

[41] Folio 198 y ss, ibid. Negrilla fuera de texto.
[42] Corte Constitucional, sentencia T 091 de 2018.
[43] Corte Constitucional, sentencia T 511 de 2017.

elevadas, de manera que el juez constitucional pueda verificar que *"lo reclamado es la protección de un derecho fundamental del propio demandante y no de otro"*[44]. A su vez, esta acción debe ser ejercida en contra del sujeto responsable de la presunta vulneración o amenaza de los derechos fundamentales, sea este una autoridad pública o un particular[45].

Por activa, tenemos que la acción de tutela fue interpuesta directamente por ERIKA TATIANA MELGAREJO DELGADO en representación de su hijo menor de edad D.A.C.M., a quien considera le están vulnerando sus derechos fundamentales vinculados a un tratamiento de salud.

Por pasiva, está el INSTITUTO NACIONAL DE VIGILANCIA DE MEDICAMENTOS Y ALIMENTOS, INVIMA, quien fue convocado directamente por el actor como responsables de la presunta vulneración de sus derechos fundamentales. Además, fueron vinculados al trámite la DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR, VALENTECH PHARMA COLOMBIA SAS, médico SANDRA MILENA CASTELLAR LEONES, médica fisiatra y rehabilitación adscrita a la IPS INSTITUTO ROOSEVELT de la ciudad de Bogotá, entidades cuyo ámbito de competencia es el objeto de la acción en estudio.

Conforme a lo analizado se encuentra acreditado este requisito.

Inmediatez. -

La jurisprudencia constitucional ha señalado que la acción de tutela debe presentarse en un término razonable computado a partir del hecho que generó la presunta vulneración de los derechos fundamentales. Este requisito tiene por finalidad preservar la naturaleza de la acción de tutela, concebida como *"un remedio de aplicación urgente que demanda una protección efectiva y actual de los derechos invocados"*[46].

[44] Corte Constitucional, sentencia T 176 de 2011.
[45] T 091 de 2018, op.cit.
[46]Corte Constitucional, sentencia SU 391 de 2016.

Con el fin de orientar la labor del juez de tutela, la jurisprudencia constitucional ha identificado cinco criterios que ayudan a determinar, en cada caso, el cumplimiento del requisito de inmediatez[47].

Para el caso, es claro que debe ponderarse la permanencia de los efectos de la presunta omisión tal y como lo ha señalado la Corte Constitucional[48], por lo tanto, se da por satisfecho el requisito.

Subsidiariedad. -

En su carácter residual *"La acción de tutela procede cuando el afectado no disponga de otro medio de defensa judicial efectivo para la protección de sus derechos fundamentales o, en caso de existir tal recurso judicial, se ejerza como mecanismo transitorio para evitar un perjuicio irremediable"*[49].

Del escrito de tutela se desprende que la pretensión va encaminada a garantizar la prestación y continuidad de la prestación del servicio de salud y la entrega de medicamentos requeridos para el diagnóstico del Accionante.

Al respecto, debe manifestarse que existe para tal controversia un mecanismo ante la Superintendencia Nacional de Salud, el que se aplica a "*actores del sistema general de salud, incluidos los regímenes especiales y exceptuados contemplados en la ley 100 de 1993"*[50].

No obstante, frente a la existencia de dicho mecanismo de protección del derecho a la salud ante la Superintendencia Nacional de Salud, que harían inviable el

[47] "(i) la situación personal del peticionario, que puede hacer desproporcionada la exigencia de presentar la acción de tutela en un término breve; (ii) el momento en el que se produce la vulneración, ya que pueden existir casos de violación permanente de derechos fundamentales; (iii) la naturaleza de la vulneración, pues la demora en la presentación de la tutela puede estar relacionada, precisamente, con la situación que, según el accionante, vulnera sus derechos fundamentales; (iv) la actuación contra la que se dirige la tutela, ya que si se trata de una providencia judicial, el análisis debe ser más estricto, y (v) los efectos de la tutela en los derechos de terceros, quienes tienen la expectativa legítima de que se proteja su seguridad jurídica". Corte Constitucional, sentencia SU 391 de 2016.

[48] "(…) *no es exigible de manera estricta el principio de inmediatez en la interposición de la tutela, cuando se demuestre que la vulneración es permanente en el tiempo y que, pese a que el hecho que la originó por primera vez sea muy antiguo respecto de la presentación de la tutela, la situación desfavorable del actor derivada del irrespeto por sus derechos continúa y es actual. De manera que en este caso se cumple con este requisito, si se tiene en cuenta que la vulneración de los derechos invocados es continuada y persiste, toda vez que la omisión de la accionada se ha prolongado en el tiempo de forma intermitente y a la fecha, en principio, la solicitante sigue sin percibir el pago de las incapacidades reclamadas, lo cual, en su decir, afecta su mínimo vital y el de su familia"*. Corte Constitucional, Sentencia T-194 de 2021.

[49] Corte Constitucional, sentencia T 091 de 2018.

[50] Art. 40, literal a, de la Ley 1122 de 2007: *"Funciones y facultades de la Superintendencia Nacional de Salud. La Superintendencia Nacional de Salud, además de las funciones y facultades ya establecidas en otras disposiciones, cumplirá dentro del Sistema de Inspección, Vigilancia y Control, las siguientes: a) Adelantar funciones de inspección, vigilancia y control al Fondo de Solidaridad y Garantía, Fosyga, y demás actores del sistema, incluidos los regímenes especiales y exceptuados contemplados en la Ley 100 de 1993; (…) "*

trámite de esta acción, nuestra Corte Constitucional manifestó en sentencia T 117 de 2019:

> 1.8.2. A raíz de algunos análisis efectuados por el Alto Tribunal[47], cuando se encuentran de por medio intereses de sujetos de especial protección constitucional (menores de edad, mujeres embarazadas, adultos mayores, personas con disminuciones físicas y psíquicas y personas en situación de desplazamiento), y especialmente por casos estudiados en ésta Sala[48], se detectaron debilidades en la estructura del procedimiento ante la SNS que desvirtúan, en algunos casos su idoneidad y en otros su eficacia en razón a:
>
> *(i) la falta de reglamentación del término en que se debe resolver la segunda instancia cuando se presenta el recurso de apelación; (ii) la ausencia de garantías para exigir el cumplimiento de lo ordenado; (iii) la carencia de sedes de la SNS en todo el país; y (iv) el incumplimiento del término legal para proferir los fallos*[49].
>
> Las debilidades mencionadas han cobrado mayor relevancia, debido a la reciente Audiencia Pública del 6 de diciembre de 2018 realizada por la Sala de Seguimiento de la sentencia T-760 de 2008 de la Corte Constitucional, en donde el Superintendente de Salud aceptó que dicha entidad de vigilancia no cuenta con la infraestructura necesaria para cumplir con los términos del trámite aludido. Puntualmente señaló: *"…hoy no tenemos la infraestructura, la Superintendencia, para responder en los términos que quieren todos los colombianos en el área jurisdiccional, tenemos un retraso que puede estar en* ***dos y tres años"***[50]. (Negrilla en original)
>
> Además de lo anterior, se evidenció que los asuntos establecidos en los artículos 41 de la Ley 1122 de 2007 y 126 de la Ley 1438 de 2011 no abarcan en su totalidad las posibles controversias que puedan suscitarse entre los usuarios y sus EPS[51].
>
> Así pues, para un sector del alto Tribunal, el procedimiento establecido por la Ley 1122 de 2007 y modificado por la ley 1438 de 2011 no es idóneo y tampoco eficaz, pues carece de idoneidad y eficacia, por lo que la acción de tutela se convierte en el único medio de defensa con el que cuentan los ciudadanos para obtener protección de sus garantías fundamentales[52].

Ahora, respecto del acto administrativo a través del cual el INVIMA negó la importación del producto, en un caso de similares contornos razonó la Corte Constitucional:

> la condición de sujeto de especial protección constitucional del menor de edad y su situación de debilidad manifiesta generada por la enfermedad huérfana que padece, permiten concluir que la eventual declaratoria de nulidad del acto proferido por la administración no garantizaría la protección efectiva de los derechos

> de Simón con la urgencia que demanda su situación actual, habida cuenta que, cada minuto de retraso en la decisión puede traer consecuencias graves e irreversibles para su salud y su calidad de vida[51].

De esa manera, por existir debilidades constitutivas en el mecanismo de resolución principal y evidenciarse la muy lesiva incidencia negativa que en la salud del paciente tendría el retraso de solución del caso, se encuentra necesaria la intervención del juez constitucional, por lo que se dará por satisfecho este requisito.

Caso Concreto. –

1.- Principió esta acción con la solicitud de ERIKA TATIANA MELGAREJO DELGADO, quien manifestó que su hijo D.A.C.M. de 10 años de edad y afiliado a la DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR, padece la enfermedad genética, huérfana, crónica, degenerativa e incurable denominada "*distrofia muscular de Duchenne"* (DMD) variación mutación del exón 51, la cual causa una lesión neuromuscular que se manifiesta en atrofia y debilidad progresiva, alterando la deambulación y órganos vitales como el corazón y los pulmones.

El INSTITUTO ROOSEVELT, quien en consulta particular valoró interdisciplinariamente al Menor el 5 de septiembre de 2022, le prescribió el medicamento denominado ETEPLIRSEN (EXONDYS51), cuya solicitud de autorización para la importación fue negada por el INVIMA, esencialmente porque, razonó esta dependencia, no existe certeza sobre su seguridad y eficacia.

Con base en el análisis del caso y las implicaciones de salud involucradas, el *A quo* profirió orden al INVIMA de autorizar la importación del medicamento, exclusivamente para el paciente y patología aquí referida.

Tal orden de tutela fue apelada por el INVIMA, quien solicitó su revocación, para lo cual retomó los argumentos expuestos en su contestación, señalando básicamente que ETEPLIRSEN "*no se encuentra en el listado de Medicamentos Vitales No Disponibles actualizado a septiembre de 2022"* y "*porque no se ha demostrado su eficacia y seguridad".*

[51] Corte Constitucional, sentencia T 133 de 2022.

A su vez, la DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR apeló la decisión retomando los argumentos del INVIMA sobre su falta de clasificación como *"medicamento vital no disponible",* porque sólo se puede dar autorización de importación de medicamentos que "*no pongan en peligro la salud y/o vida del paciente"* y porque *"no se ha demostrado su eficacia y seguridad"*. Señaló además que el medicamento tiene un costo de MIL SETECIENTOS MILLONES DE PESOS y que *"coloca al Sistema de Salud y en particular al Subsistema de Salud de las Fuerzas Militares, frente a un desequilibrio administrativo y financiero".*

Acotó también tal DIRECCIÓN que "*el menor a través de su representante legal accedió a la valoración médica en el Instituto Roosevelt de manera particular, sin que medie remisión o autorización de este servicio por parte del Subsistema de Salud".*

Tal argumento fue reiterado en su respuesta al requerimiento de segunda instancia, indicando el 10 de febrero del corriente que "*el paciente no cuenta con valoración institucional por servicios de pediatría, neuropediatría, medicina física y rehabilitación, ni genética y que fue valorado* ***de forma particular*** *en el Instituto Roosevelt quienes realizan la prescripción del medicamento"* [52].

2.- En la misma respuesta de 10 de febrero del corriente, la DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR informó que *"mediante acta de junta médico laboral de fecha 27 de enero de 2023, el equipo interdisciplinario del Hospital Militar Central, con base en su experticia técnica, profesional, e independiente, determinó NO recomendar el uso del medicamento ETEPLIRSEN 500 mg / 10 ml (50 mg/ml) para el caso en particular, dada la incertidumbre en la eficacia y seguridad del medicamento, máxime cuando se trata de un menor de edad"*.

El documento contentivo de tal junta fue anexado a la actuación[53], y en éste se evidencia que el 27 de enero de 2023 se realizó junta médica de revaloración del paciente D.A.C.M.[54], en la cual se analizó expresamente la diagnosis y medicación

[52] Folio 198 y ss, cuaderno segunda instancia. Negrilla fuera de texto.
[53] Folio 204 y ss, Ibid.
[54] *"Enero 27, 2023 ASUNTO. Solicitud junta médica revaloración paciente: D.A.C.M. con identificación TI No. 1090177*** El día martes 17 de enero 2023 se realiza junta médica multidisciplinaria con los servicios de Neuropediatria, Medicina Física y Rehabilitación y Pediatría con datos del sistema Dinámica sin valoración presencial, para el análisis del caso del paciente D.A.C.M. ,identificado con TI No. 1090177*** con diagnóstico de Distrofia Muscular de Duchenne. Participantes: Dr. Jose María Solano Suárez - Pediatría Dr. Nicolás Forero - Genética Dra. Graciela del Pilar Guerrero - Neuropediatría Dra. Carmen Teresa Esquivia Pájaro - Medicina Física y Rehabilitación. Se revisó la Historia Clínica en el sistema de Dinámica y se encuentra que este paciente fue valorado en Junta Médica del Servicio de Medicina Física y Rehabilitación del Hospital Militar en fecha Febrero 4 de 2022. (…)".*

de ETEPLIRSEN realizada por el INSTITUTO ROOSEVELT[55], la cual se descartó como viable. Sostuvo la Junta Médica del HOSPITAL MILITAR CENTRAL:

> [A]. Evidencia de Etiplersen en DMD En relación a la pertinencia de este medicamento (Eteplirsen) nos permitimos informar el siguiente análisis: La literatura hace mención que el medicamento fue aprobado en el 2016 por la FDA mediante aprobación acelerada para el manejo de distrofia muscular de Duchenne con mutación puntual condicionada a la eficacia del mismo. La revisión clínica de la FDA de etepltrsen para la eficacia y la seguridad encontró solo evidencia marginal de beneficio y ningún problema importante de seguridad, aunque la cantidad de pacientes tratados con eteplirsen que pudieron evaluarse fue pequeña. La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) evaluó este medicamento y rechazó su aprobación. La evidencia de este Medicamento es escasa. Hay datos clínicos de un estudio de fase IIb, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo y de 24 semanas de duración (estudio 201) y su estudio de extensión abierto 202, realizados en un total de 12 pacientes con distrofia muscular de Duchenne (DMD). El análisis principal de este ensayo fundamental proporciona una comparación de los datos de 24 semanas de solo cuatro pacientes tratados con eteplirsén expuestos a la dosis propuesta de 30 mg/kg/semana frente a un placebo (n= 4), además de otros cuatro pacientes expuestos a 50 mg/kg/semana, en los que no se observaron diferencias en la prueba 6MWD.Posteriormente se realizaron comparaciones más prolongadas (hasta 4 años) con 12 pacientes con DMD tratados con eteplirsén frente a dos cohortes definidas a posteriori, externas y no concurrentes (ltalian Telethon DMD Registry y Leuven Neuromuscular Reference Center Registry) en un estudio de extensión abierto. Los argumentos de la EMA en su rechazo son los siguientes: No se ha demostrado la eficacia del etepllrsén. No se dispone de datos comparativos con pacientes tratados con placebo durante más de 24 semanas, y los datos disponibles de pacientes en tratamiento proceden únicamente de un número reducido de pacientes (n - 12). No se observaron diferencias en la prueba 6MWD entre el eteplirsén y el placebo durante este periodo de tratamiento de 24 semanas. Los datos comparativos de diversos controles externos, derivados de diferentes estudios y poblaciones, adolecen de importantes limitaciones relacionadas con la naturaleza de la metodología utilizada (no concurrente, seleccionada retrospectivamente, definida a posteriori). Esto aumenta la incertidumbre sobre la fiabilidad de estas comparaciones en lugar de proporcionar datos confirmatorios de la eficacia. Se desconoce si la expresión de la escasa cantidad de distrofina truncada observada después del tratamiento con eteplirsén puede traducirse en algún beneficio clínico para los pacientes. Aunque las pruebas de producción de distrofina truncada pueden respaldar el mecanismo de acción del producto, se necesita una demostración convincente del

[55] *"Fue valorado de forma particular en el instituto Roosevelt quienes prescriben:"…_ Plan Eteplirsen por 3 meses vial 500 mg/l Oml (12 viales), Vial .100mg/2m l (36 viales) solución concentrada aplicar 800 mg en infusión continua durante 90 minutos cada semana durante 3 meses. Se explica a la madre que Eteplirsen no es una cura para la enfermedad. Es un modificador de la misma. Debe radicar documentos ante INVIMA considerando que realiza la, prescripción medicamento /modalidad vital no disponible, la entidad Valorará si aprueba la medicación para D. Se explican efectos adversos más frecuentes de este medicamento...".*

> efecto funcional sostenido para respaldar la afirmación de eficacia del medicamento en la Indicación propuesta. Debido al escaso número de pacientes expuestos al eteplirsén, el perfil de seguridad no se ha caracterizado exhaustivamente. Cabe anotar que este medicamento no ha sido aprobado en la reglamentación nacional del INVIMA. EI ICER, organismo Independiente basado en la Universidad de Harvard, concluyó algo similar: los datos sobre los fármacos de omisión de exón son extremadamente limitados y los beneficios de los ensayos aleatorios se limitan al resultado sustituto de los niveles de distrofina. Los pequeños aumentos en los niveles de distrofina observados en los ensayos clínicos tienen un significado clínico incierto. Los estudios observacionales que comparan los resultados con controles históricos han sugerido beneficios funcionales potenciales con eteplirsen, pero estos datos pueden ser confusos y dependientes del esfuerzo. Según la evidencia actual, no hay problemas de seguridad particularmente preocupantes, pero dado el pequeño número de pacientes y el seguimiento limitado, los daños podrían pasarse por alto. Consideramos que los datos de eteplirsen y golodirsen son insuficientes.

3.- Así, las pruebas acopiadas en la actuación exponen un enfrentamiento sobre la pertinencia de ETEPLIRSEN en el caso, pues mientras una junta médica del HOSPITAL MILITAR CENTRAL (que coincide en ello con el INVIMA), consideró que el medicamento es inseguro y huérfano de pruebas de su utilidad, el INSTITUTO ROOSEVELT y otras fuentes, en exacta oposición, lo tienen por el único fármaco eficaz para retrasar la progresión de la modalidad de DMD que padece D.A.C.M.

Bajo la claridad que desde la perspectiva del INVIMA ETEPLIRSEN ni siquiera es clasificable como un medicamento vital no disponible *"al no cumplir con la definición, ni cumplir con los requisitos (no se encuentran en normas farmacológicas) ni los criterios establecidos en la norma vigente (Decreto 481 de 2004)",* debe señalarse que tal conclusión no es incuestionable, pues en la sentencia T 298 de 2021, la Corte Constitucional señaló que "*En relación con los servicios y tecnologías excluidos de financiación con recursos públicos de la salud, la jurisprudencia de esta Corporación*[56] *ha establecido que dicha restricción está condicionada al cumplimiento de tres requisitos, a saber*:

> a).- Que las exclusiones correspondan a alguno de los criterios fijados en el inciso 2º del artículo 15, esto es, que se trate de aquellos servicios y tecnologías que (i) tienen finalidad cosmética o suntuaria no relacionada con la capacidad funcional o vital, **(ii) no**

[56] Particularmente, las sentencias C-313 de 2014, M.P. Gabriel Eduardo Mendoza Martelo, y SU-508 de 2020, M.P. José Fernando Reyes Cuartas.

cuentan con evidencia científica sobre su seguridad y eficacia clínica, (iii) no cuentan con evidencia científica sobre su efectividad clínica, (iv) su uso no está autorizado por autoridad competente, (v) se encuentran en fase de experimentación o (vi) deban ser prestados en el exterior.

Particularmente, en relación con el criterio (ii) no cuentan con evidencia científica sobre su seguridad y eficacia clínica, la **Sentencia C-313 de 2014**[57] estableció que esta disposición debe leerse con dos precisiones:

i).- La primera indica que***"[c]uando un médico tratante considera que cuenta con información técnica y científica para usar un medicamento, como se indicó, su opinión sólo podrá ser controvertida con base en información del mismo carácter. Sólo con base en información científica aplicada al caso concreto de la persona de que se trate, podría una entidad del Sistema de Salud obstaculizar el acceso al medicamento que le ordenó su médico tratante****. Por tanto, los medicamentos que aún no han sido autorizados por el INVIMA deben ser suministrados cuando una persona los requiera, con base en la mejor evidencia científica disponible (…)"*[58].

ii).- La segunda señala que *"(i) toda persona tiene el derecho constitucional a acceder a los servicios que requiera; (ii) el conocimiento científico, aplicado al caso concreto del paciente, son los criterios mínimos para establecer si un servicio de salud se requiere; (iii) cuando el servicio de salud que se requiera es un medicamento, este deber ser ordenado de acuerdo con su principio activo, salvo casos excepcionales y (iv) los medicamentos que aún no han sido autorizados por el INVIMA deben ser suministrados cuando se requieran, con base en la mejor evidencia científica disponible"*[59].

b).- Que las exclusiones estén definidas en una lista adoptada mediante un procedimiento técnico-científico, de carácter público, colectivo, participativo y transparente. Además, la exclusión del servicio y tecnología debe ser plenamente determinada, es decir, no se pueden construir listas genéricas o ambiguas, a fin de evitar que exista un margen de discrecionalidad demasiado amplio a las entidades responsables de la autorización y la prestación o suministro[60].

c).- La posibilidad de excepcionar la aplicación de las exclusiones caso a caso, siempre que operen las reglas jurisprudenciales establecidas al efecto[61].

Así, en un primer análisis, se podría deducir que ETEPLIRSEN es un medicamento excluible debido a que, desde la perspectiva del INVIMA, "*ii) no*

[57] M.P. Gabriel Eduardo Mendoza Martelo.
[58] Sentencia T-418 de 2011 reiterada en la Sentencia C-313 de 2014.
[59] Sentencia T-539 de 2013 reiterada en la sentencia C-313 de 2014.
[60] Actualmente, los servicios y tecnologías en salud excluidos de financiación con recursos públicos de la salud se encuentran contenidas en Resolución 244 de 2019.
[61] *Negrilla fuera de texto.

cuenta(n) con evidencia científica sobre su seguridad y eficacia clínica, (iii) no cuenta(n) con evidencia científica sobre su efectividad clínica", y *"(iv) su uso no está autorizado por autoridad competente"*.

Sin embargo, es claro que a pesar que un medicamento ha sido catalogado como ineficaz e inseguro, la *"regla de mejor evidencia"* permite argumentar en sentido contrario "*con base en información del mismo carácter"*, lo que en este trámite sucedió.

En el caso de marras, pugnan la argumentación científica del INVIMA expresamente consignada en las Resoluciones que no autorizaron la importación de ETEPLIRSEN (el cual juzgan riesgoso e indemostradamente eficaz), conclusión compartida por el HOSPITAL MILITAR que en la revaloración del paciente del 27 de enero del corriente también así lo catalogó.

Sin embargo, la ASOCIACIÓN COLOMBIANA DE MÉDICOS GENETISTAS Y MEDICINA GENÓMICA (ACMGEN), señaló la existencia de una literatura que podría llevar a conclusiones diversas a las arribadas por el INVIMA y el HOSPITAL MILITAR:

> No existe un medicamento equivalente en su eficacia para el tratamiento o paliación de la DMD en pacientes con mutación del exón 51. Actualmente, las terapias de omisión de exón aprobadas por la Food and Drug Administration (FDA) incluyen Exondys 51® (eteplirsen), Vyondys 53® (golodirsen), Viltepso® (viltolarsen), y Amondys 45® (casimersen). (1) Cabe resaltar que Exondys 51® (eteplirsen) está indicado para el tratamiento de la DMD en pacientes que tienen una mutación confirmada del gen DMD susceptible de omitir el exón 51.(4) Para una persona con mutación de los exones 49-50, Exondys 51® (eteplirsen) puede producir una forma más corta de distrofina omitiendo el exón 51 para conectar el exón 48 con el exón 52. (5)
>
> (…)
> En comparación con los resultados evidenciados con Exondys 51® (eteplirsen), también dirigido al mismo exón, en una cohorte de 12 pacientes con DMD con deleciones elegibles que recibieron el medicamento a dosis de 30 y 50 mg/kg por semana durante 48 semanas (NCT01396239 y NTC01540409), se demostró un aumento de fibras positivas para distrofina del 40 al 60% en pacientes tratados con 30 y 50 mg/kg. A pesar de la pérdida de la deambulación de dos pacientes en la cohorte de 30 mg/kg, se midió un aumento significativo en la 6MWT en ambas cohortes en comparación con el placebo. (2) Por lo cual, este medicamento recibió aprobación acelerada por la FDA en septiembre del 2016

> siendo el único tratamiento que demostró un aumento en la producción de distrofina en el músculo esquelético de los pacientes con mutación del exón 51. (4,7)
>
> **Incluso, la importadora del medicamento VALENTECH señaló la existencia de un estudio de mayor cobertura finalizado en julio de 2020 que avala la eficacia de ETEPLIRSEN[62], mismo que no se aprecia considerado tanto por el INVIMA como por la Junta Médica del HOSPITAL MILITAR CENTRAL[63]**.

El estudio que alude ACMGEN es el estudio *"PROMOVI*", del cual VALENTECH, señaló que:

> La European Medecines (sic.) Agency (EMA), en mayo de 2018, determinó que el medicamento en cuestión no había comparado el mismo con estudios de placebo más allá de las 24 semanas, y los datos de pacientes en tratamiento procedían únicamente de un número reducido de pacientes (n = 12), razón por la cual se abstuvo de otorgar el respectivo marketing autorización.
> No obstante, es necesario resaltar que el dictamen sobre la autorización de comercialización del medicamento Exondys por parte de la agencia europea de medicamentos fue dado en el año 2018, es decir, antes de que se publicaran los primeros resultados del estudio PROMOVI en Julio de 2020. El estudio PROMOVI es el ensayo de mayor alcance hasta la fecha que usa un oligómero de morfolino fosforodiamidato (PMO) para tratar la distrofia muscular de Duchenne.
>
> **Por otro lado, en el artículo Open-Label Evaluation of Eteplirsen in Patients with Duchenne Muscular Dystrophy Amenable to Exon 51 Skipping: PROMOVI Trial se presentan los resultados más recientes del estudio PROMOVI, el cual fue realizado en 78 pacientes tratados con eteplirsen durante 96 semanas, es decir, más de 6 veces el número de pacientes evaluados cuando se emitió el concepto de la EMA, y con un tiempo de tratamiento cuatro veces mayor.**
>
> En los resultados del estudio PROMOVI se evidencia entre otros resultados que en la semana 96, los pacientes tratados con eteplirsen mostraron un aumento de la omisión de exón (18,7 veces) y de la proteína distrofina (7 veces) en comparación con el valor inicial. Las comparaciones post-hoc con pacientes de estudios de fase 2 de eteplirsen (4658-201/202) y controles de historia natural externa emparejados por mutación confirmaron resultados previos, lo que sugiere una atenuación clínicamente notable de la

[62] *"No obstante, es necesario resaltar que el dictamen sobre la autorización de comercialización del medicamento Exondys por parte de la agencia europea de medicamentos fue dado en el año 2018, es decir, antes de que se publicaran los primeros resultados del estudio PROMOVI en Julio de 2020. El estudio PROMOVI es el ensayo de mayor alcance hasta la fecha que usa un oligómero de morfolino fosforodiamidato (PMO) para tratar la distrofia muscular de Duchenne.*
Por otro lado, en el artículo Open-Label Evaluation of Eteplirsen in Patients with Duchenne Muscular Dystrophy Amenable to Exon 51 Skipping: PROMOVI Trial se presentan los resultados más recientes del estudio PROMOVI, el cual fue realizado en 78 pacientes tratados con eteplirsen durante 96 semanas, es decir, más de 6 veces el número de pacientes evaluados cuando se emitió el concepto de la EMA, y con un tiempo de tratamiento cuatro veces mayor". Cuaderno segunda instancia, folio 91.
[63] Folio 235 cuaderno segunda instancia. Negrilla fuera de texto.

> disminución en la prueba de caminata de 6 minutos durante 96 semanas (PROMOVI: - 68,9 m; estudios fase 2: -67,3 m; controles externos: -133,8 m) y atenuación significativa del porcentaje previsto de disminución anual de la capacidad vital forzada (PROMOVI: -3,3 %, estudios fase 2: -2,2 %, controles externos: -6,0 % ; p < 0,001), confirmando un efecto positivo del tratamiento, un perfil de seguridad favorable y una desaceleración de la progresión de la enfermedad en comparación con la historia natural.
>
> Los hallazgos de este estudio contribuyen al creciente cuerpo de evidencia para eteplirsen y confirman el efecto del tratamiento y el perfil de seguridad observado en los estudios 201/202. Como se mencionó en la respuesta del requerimiento 3, los datos disponibles respaldan que eteplirsen retrasa la progresión de la enfermedad en pacientes con DMD[64].

Aterrizando la voluminosa información técnico científica al caso concreto, se constata que en la plurimencionada junta médica de revaloración de 27 de enero de 2023 realizada a D.A.C.M. por el HOSPITAL MILITAR CENTRAL, en el apartado de *"ANÁLISIS Y CONCEPTO"* no se mencionó, y mucho menos se consideró, analizó o descartó, la existencia y alcance del estudio PROMOVI, reivindicado por la ASOCIACIÓN COLOMBIANA DE MÉDICOS GENETISTAS Y MEDICINA GENÓMICA como pertinente en el caso.

4.- Siendo que, por un lado, el HOSPITAL MILITAR CENTRAL, entidad que integra la red de servicios de la DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR, fue la institución que descartó la seguridad y eficacia de ETEPLIRSEN, y por el otro, que el INSTITUTO ROOSEVELT fungiendo como tratante particular lo recomienda, surge el interrogante de cuál de las dos posturas clínicas debe primar en el asunto.

Respecto a la "*vinculatoriedad del concepto emitido por un médico tratante no adscrito a la EPS*", en sentencia T 508 de 2019 se consignó que:

> 20. La Corte Constitucional ha señalado que, en principio, la opinión del médico tratante adscrito a la EPS constituye el principal criterio para determinar los insumos y servicios que requiere un individuo, en tanto esta es la *"(…) persona capacitada, con criterio científico y que conoce al paciente"*, aun cuando este no se encuentre adscrito a la entidad promotora de salud. **No obstante, esta Corporación también ha señalado que ese criterio no es exclusivo, pues en ciertos eventos lo prescrito por un galeno particular puede llegar a ser vinculante para las entidades prestadoras del servicio de salud.**

[64] Folio 88 y ss, cuaderno de segunda instancia.

21. En este sentido, este Tribunal ha sostenido que *"(…) para que proceda esa excepción se requiere, como regla general,* ***que exista un principio de razón suficiente para que el paciente haya decidido no acudir a la red de servicios de la entidad a la que se encuentre afiliado".*** Adicionalmente, la jurisprudencia constitucional ha tenido la oportunidad de puntualizar cuáles son los parámetros optativos que determinan la vinculatoriedad de las órdenes proferidas por un profesional de la salud que no hace parte de la entidad a la que se encuentra afiliado el usuario. Veamos:

(i) La EPS conoce la historia clínica particular de la persona y al conocer la opinión proferida por el médico que no está adscrito a su red de servicios, no la descarta con base en información científica.

(ii) Los profesionales de la salud adscritos a la EPS valoran inadecuadamente a la persona que requiere el servicio.

(iii) El paciente ni siquiera ha sido sometido a la valoración de los especialistas que sí están adscritos a la EPS.

(iv) La EPS ha valorado y aceptado los conceptos rendidos por los médicos que no están identificados como "tratantes", incluso en entidades de salud prepagadas, regidas por contratos privados.

De ese modo, cuando se configura alguna de esas hipótesis el concepto médico externo vincula a la entidad promotora de salud y la obliga a "(…) confirmarlo, descartarlo o modificarlo con base en consideraciones suficientes, razonables y científicas, adoptadas en el contexto del caso concreto. Tal resultado también puede darse como resultado (sic) del concepto de uno o varios médicos adscritos a la EPS".

22. Bajo esa perspectiva, este Tribunal ha concluido que una EPS vulnera el derecho fundamental a la salud de una persona cuando niega el acceso a un servicio o a un procedimiento médico tan solo bajo el argumento de que fue prescrito por un profesional de la salud que no integra su red de servicios, y a pesar de que:

> ***"(i) Existe un concepto de un médico particular;* || *(ii) Es un profesional reconocido que hace parte del Sistema de Salud;* || *(iii) La entidad no ha desvirtuado dicho concepto, con base en razones científicas. Por ello debe estudiarse cada caso específico, momento en el cual el juez de tutela debe someter a evaluación profesional dicho concepto a fin de establecer su pertinencia desvirtuándolo, modificándolo o corroborándolo"***[65].

Sobre el requisito de reconocimiento de los profesionales de la salud, tenemos que la conclusión de la aplicabilidad de ETEPLIRSEN fue tomada el 16 de agosto

[65] Negrilla fuera de texto.

de 2022[66] por los galenos del INSTITUTO ROOSEVELT, connotada institución de salud nacional, en junta integrada por EDICSON RUÍZ (fisiatra), DIANA SÁNCHEZ (genética), ANA LUISA GARCÍA (neuropediatría), PILAR ANZOLA (neumóloga pediatra), MONICA CEDIEL (pediatría), DIANA SOTO (fisioterapia), concepto que fue suscrito por la fisiatra SANDRA CASTELLAR LEONES, de destacada hoja de vida[67].

En ese orden, y de acuerdo al precedente relacionado, la prescripción del INSTITUTO ROOSEVELT es relevante, y corresponde entonces a esta Colegiatura "*someter a evaluación profesional dicho concepto a fin de establecer su pertinencia desvirtuándolo, modificándolo o corroborándolo".*

5.- Ahora bien, respecto a la solicitud de permiso de importación del medicamento por parte del INVIMA, cual motivó inicialmente la interposición de la acción, fue resuelta favorablemente por el *A quo* y fue objeto de apelación, deben hacerse las siguientes consideraciones.

> "[c]uando un médico tratante considera que cuenta con información técnica y científica para usar un medicamento, como se indicó, su opinión sólo podrá ser controvertida con base en información del mismo carácter. **Sólo con base en información científica aplicada al caso concreto de la persona de que se trate, podría una entidad del Sistema de Salud obstaculizar el acceso al medicamento que le ordenó su médico tratante**. Por tanto, los medicamentos que aún no han sido autorizados por el INVIMA deben ser suministrados cuando una persona los requiera, **con base en la mejor evidencia científica disponible** (…)"
>
> (i).- toda persona tiene el derecho constitucional a acceder a los servicios que requiera; (ii).- el conocimiento científico, aplicado al caso concreto del paciente, son los criterios mínimos para establecer si un servicio de salud se requiere; (iii).- cuando el servicio de salud que se requiera es un medicamento, este deber ser ordenado de acuerdo con su principio activo, salvo casos excepcionales y (iv)- los medicamentos que aún no han sido autorizados por el INVIMA deben ser suministrados cuando se requieran, con base en la mejor evidencia científica disponible.
>
> (…)
>
> 93.- Así las cosas, y con base en lo expuesto, la Sala estima que: se encuentran excluidos de financiación con recursos públicos de la salud aquellos servicios y tecnologías que no cuentan con la aprobación del INVIMA, en atención a que sus usos no han sido

[66] Archivo "03Anexos…", folio 15.
[67] https://www.researchgate.net/profile/Sandra-Castellar-Leones

> avalados en el país. Sin embargo, si un servicio o tecnología en salud ha sido expresamente excluido de financiación, ello no es óbice para que, *atendiendo a las circunstancias particulares de cada paciente*, se pueda acceder a los servicios o tecnologías conforme a las reglas referidas en la Sentencia C-313 de 2014 y precisadas en la Sentencia SU-508 de 2020. Inclusive, como se indicó en líneas precedentes, en aquellos casos en que esté acreditado, por parte de la comunidad científica, la idoneidad de los servicios o tecnologías para el tratamiento de una determinada enfermedad, es posible ordenar el suministro de medicamentos no avalados por el INVIMA como una garantía del derecho a la salud de las personas que requieren de un tratamiento no autorizado por la autoridad competente. En todo caso, es necesario precisar que la regla general es que se consideran excluidos de financiación con recursos públicos de la Salud, los servicios y tecnologías expresamente definidos, previo procedimiento técnico-científico y participativo, y solo respecto de la condición o patología asociada al servicio o tecnología prescrito.
>
> (…)
>
> 117.- Por último, para garantizar el ejercicio pleno de los derechos de un sujeto de especial protección constitucional, como lo es un menor de edad que ha sido diagnosticado con una enfermedad huérfana, crónica, degenerativa e incurable, las autoridades deben examinar los requisitos para otorgar prestaciones en salud de forma flexible y teniendo en cuenta las particularidades de cada caso. Esto, por cuanto el derecho a la salud no se puede obstaculizar por requisitos de tipo administrativo o económico, al punto de dificultar el acceso inmediato, prioritario y preferente al tratamiento. En consecuencia, exigir requisitos adicionales no es otra cosa que un obstáculo innecesario para los pacientes que lo requieren, que transgrede el ejercicio pleno de los derechos fundamentales a la vida, a la salud y a la dignidad humana[68].

Así, el norte jurisprudencial viabiliza la orden de autorización de importación al INVIMA para el caso, la patología y el paciente concernidos en esta acción.

6.- Del piélago de soportes clínicos, jurisprudenciales, normativos y fácticos aquí expuestos, se concluye:

a).- Es viable ordenar al INVIMA la importación del medicamento ETEPLIRSEN para la *distrofia muscular de Duchenne* padecida por D.A.C.M.

b).- Es viable considerar la prescripción del médico tratante no vinculado a la red de prestadores de servicios de la DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR, en este caso, el INSTITUTO ROOSEVELT.

[68] Corte Constitucional, sentencia T 133 de 2022. Subrayado original.

c).- *A priori*, se constata que la Junta Médica de Revaloración del paciente efectuada el 27 de enero de 2023 por el HOSPITAL MILITAR no tuvo en cuenta la existencia del estudio PROMOVI, el cual, según la información recaudada en este trámite resulta de ineludible abordaje para definir la pertinencia del medicamento ETEPLIRSEN para la *distrofia muscular de Duchenne* padecida por D.A.C.M.

Con base en las anteriores conclusiones y en función de los principios del derecho fundamental a la salud consignados en los artículos 6 de la ley 1751 de 2015 (pro homine[69], accesibilidad[70], continuidad[71], oportunidad[72] y prevalencia de derechos[73]), así como con el de integralidad[74] consignado en el artículo 8 *ejusdem,* así como bajo la consideración que el paciente es sujeto de especial protección, no sólo por ser menor de edad sino por padecer distrofia muscular de Duchenne, padecimiento número 748 del listado de enfermedades huérfanas señalado en la Resolución nro 5265 de 2018 del Ministerio de Salud y Protección Social, y sin desmedro del principio de autonomía profesional consignado en el artículo 17 de la Ley 1751 de 2015, esta Corporación resolverá **ORDENAR** a la DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR que en el término de 72 horas proceda a adelantar las gestiones necesarias para garantizar que en un término no mayor a quince días el HOSPITAL MILITAR CENTRAL en junta médica debidamente constituida, acatando los protocolos aplicables y su carácter de sujeto de especial protección constitucional, reevalúe el caso del menor D.A.C.M., con el objetivo de que se analice exhaustivamente la pertinencia del medicamento ETEPLIRSEN (EXONDYS51) para la enfermedad "*distrofia muscular de Duchenne"* (DMD) variación mutación del exón 51, considerando expresamente para sus conclusiones la literatura relacionada con el estudio denominado "PROMOVI" y otros más recientes, si los hay.

---

[69] *"b) Pro homine. Las autoridades y demás actores del sistema de salud, adoptarán la interpretación de las normas vigentes que sea más favorable a la protección del derecho fundamental a la salud de las personas";*
[70] "*c) Accesibilidad. Los servicios y tecnologías de salud deben ser accesibles a todos, en condiciones de igualdad, dentro del respeto a las especificidades de los diversos grupos vulnerables y al pluralismo cultural. La accesibilidad comprende la no discriminación, la accesibilidad física, la asequibilidad económica y el acceso a la información";*
[71] *"d) Continuidad. Las personas tienen derecho a recibir los servicios de salud de manera continua. Una vez la provisión de un servicio ha sido iniciada, este no podrá ser interrumpido por razones administrativas o económicas";*
[72] "e) Oportunidad. La prestación de los servicios y tecnologías de salud deben proveerse sin dilaciones";
[73] "*f) Prevalencia de derechos. El Estado debe implementar medidas concretas y específicas para garantizar la atención integral a niñas, niños y adolescentes. En cumplimiento de sus derechos prevalentes establecidos por la Constitución Política. Dichas medidas se formularán por ciclos vitales: prenatal hasta seis (6) años, de los (7) a los catorce (14) años, y de los quince (15) a los dieciocho (18) años";*
[74] *"ARTÍCULO 8o. LA INTEGRALIDAD. Los servicios y tecnologías de salud deberán ser suministrados de manera completa para prevenir, paliar o curar la enfermedad, con independencia del origen de la enfermedad o condición de salud, del sistema de provisión, cubrimiento o financiación definido por el legislador. No podrá fragmentarse la responsabilidad en la prestación de un servicio de salud específico en desmedro de la salud del usuario.*
En los casos en los que exista duda sobre el alcance de un servicio o tecnología de salud cubierto por el Estado, se entenderá que este comprende todos los elementos esenciales para lograr su objetivo médico respecto de la necesidad específica de salud diagnosticada".

En caso que tal junta establezca su pertinencia, se **ORDENARÁ** al INSTITUTO NAICONAL DE VIGILANCIA DE MEDICAMENTOS Y ALIMENTOS, INVIMA, expedir el permiso de importación del medicamento medicamento ETEPLIRSEN (EXONDYS51) para el tratamiento de la enfermedad de "*distrofia muscular de Duchenne"* (DMD) padecida por el niño D.A.C.M.

En caso contrario, es decir, que una vez realizada la junta médica según los requerimientos aquí consignados se reitere la impertinencia del medicamento ETEPLIRSEN (EXONDYS51), imperará el criterio del HOSPITAL MILITAR CENTRAL en tanto entidad tratante de la red de servicios de la DIRECCIÓN DE GENERAL SANIDAD MILITAR, dado que se considerará que ha sido satisfecha la regla de mejor evidencia científica.

En mérito de lo expuesto, **LA SALA ÚNICA DE DECISIÓN DEL TRIBUNAL SUPERIOR DEL DISTRITO JUDICIAL DE PAMPLONA**, administrando justicia en nombre de la República y por autoridad de la ley,

R E S U E L V E

PRIMERO: REVOCAR la decisión de primera instancia proferida el 10 de enero de 2023 por el Juzgado Primero Promiscuo de Familia de Pamplona.

SEGUNDO: ORDENAR a la DIRECCIÓN GENERAL DE SANIDAD MILITAR que en el término de 72 horas proceda a adelantar las gestiones necesarias para garantizar que en un término no mayor a quince días el HOSPITAL MILITAR CENTRAL en junta médica debidamente constituida, acatando los protocolos aplicables y su carácter de sujeto de especial protección constitucional, reevalúe el caso del menor D.A.C.M., con el objetivo de que se analice exhaustivamente la pertinencia del medicamento ETEPLIRSEN (EXONDYS51) para la enfermedad "*distrofia muscular de Duchenne"*, variación mutación del exón 51, considerando expresamente para sus conclusiones la literatura relacionada con el estudio denominado "PROMOVI" y otros más recientes, si los hay.

En caso que tal junta establezca su pertinencia, se **ORDENA** al INSTITUTO NACIONAL DE VIGILANCIA DE MEDICAMENTOS Y ALIMENTOS, INVIMA, expedir el permiso de importación del medicamento ETEPLIRSEN (EXONDYS51)

para el tratamiento de la enfermedad de "*distrofia muscular de Duchenne"* (DMD) padecida por el niño D.A.C.M.

En caso contrario, es decir, que una vez realizada la junta médica según los requerimientos aquí consignados se reitere la impertinencia del medicamento ETEPLIRSEN (EXONDYS51), imperará el criterio del HOSPITAL MILITAR CENTRAL en tanto entidad tratante de la red de servicios de la DIRECCIÓN DE GENERAL SANIDAD MILITAR, dado que se considerará que ha sido satisfecha la regla de mejor evidencia científica.

TERCERO: COMUNICAR lo decidido a los interesados en la forma prevista en el artículo 30 del Decreto 2591 de 1991.

CUARTO: REMITIR la actuación procesal a la Corte Constitucional para su eventual revisión.

La presente decisión fue discutida y aprobada en sala virtual realizada el día 17 de febrero de 2023.

CÓPIESE, NOTIFÍQUESE Y CÚMPLASE.

NELSON OMAR MELÉNDEZ GRANADOS
Magistrado

JAIME RAÚL ALVARADO PACHECO
Magistrado

JAIME ANDRÉS MEJÍA GÓMEZ
Magistrado
(En permiso)

Firmado Por:

Nelson Omar Melendez Granados

Magistrado Tribunal O Consejo Seccional

Juzgado De Circuito

Promiscuo 1 De Familia

Cucuta - N. De Santander

Este documento fue generado con firma electrónica y cuenta con plena validez jurídica, conforme a lo dispuesto en la Ley 527/99 y el decreto reglamentario 2364/12

Código de verificación: **43377d096f7b8f26e95cae4d109a095fe2534be6660c784a93b672ceef2ff76f**

Documento generado en 17/02/2023 05:42:06 PM

Descargue el archivo y valide éste documento electrónico en la siguiente URL:
https://procesojudicial.ramajudicial.gov.co/FirmaElectronica