



## CAJA COSTARRICENSE DE SEGURO SOCIAL

Gerencia de División Médica  
Dirección de Farmacoepidemiología

TEL: 2539-1071, 2539-1072

FAX: 2539-1087, 2539-1088

DFE-358-09-2018  
10 de setiembre de 2018

**Señor  
Jacobó Montenegro Ríos  
Cédula de identidad: 109410896**

**ASUNTO:** Respuesta a solicitud de medicamento Spinarza gestionada ante la Presidencia de la República.

Estimado Señor:

En atención a la gestión presentada por su persona en la Presidencia de la República referente a que su hijo de 20 meses de edad fue diagnosticado con atrofia muscular espinal por lo que requiere que la CCSS le aplique un medicamento de nombre Spinarza y que además se cree un proyecto para traer el tratamiento al país por la vía del uso compasivo, solicitud que fue debidamente remitida por Sandra Loría Chaves en su condición de Jefe de la Gestión Documental de Presidencia de la República por medio del oficio No. DP-OGD-1184-2018 a la Caja Costarricense de Seguro Social y, en razón que mediante misiva No. PE-2534-2018 se traslada tanto a la Gerencia Médica como a la Dirección de Farmacoepidemiología *para su análisis y atención del caso*; es por ello que me permito informarle lo siguiente:

En cuanto al medicamento de nombre comercial Spinarza®, principio activo Nusinersen es un medicamento no incluido en la Lista Oficial de Medicamentos (LOM) de muy reciente aprobación por los organismos de referencia internacional, FDA en diciembre del 2016 y por la EMA en marzo de 2017, para uso en la atrofia muscular espinal. Actualmente no cuenta con registro sanitario a nivel del Ministerio de Salud de Costa Rica.

A nivel Institucional se dispone de un procedimiento establecido para la solicitud de un medicamento no incluido en la LOM, el mismo requiere que se genere una solicitud formal suscrita por un médico especialista que sea funcionario de la CCSS; en este caso por la patología de fondo del paciente, un médico especialista en Neurología Pediátrica, para que sea el Comité Central de Farmacoterapia (CCF) quien analice la solicitud y brinde el criterio y resolución en función de la enfermedad del paciente y la evidencia clínica que soporte el uso del medicamento.

Respecto a la enfermedad atrofia muscular espinal, es un término que engloba un grupo diverso de trastornos, los cuales todos afectan las motoneuronas espinales, la más común de ellas es la variante proximal autosómica recesiva o denominada también 5q, trastorno genético producto de una mutación de un gen básico en el desarrollo neuronal. A pesar de presentarse en 1 de cada 11.000 nacimientos, esta enfermedad lamentablemente constituye la principal causa de muerte en infantes. No existe tratamiento específico para el manejo de esta enfermedad y los esfuerzos terapéuticos se han enfocados en el retraso de la progresión con base en fisioterapia, terapia respiratoria y cuidados paliativos.



## CAJA COSTARRICENSE DE SEGURO SOCIAL

Gerencia de División Médica  
Dirección de Farmacoepidemiología

TEL: 2539-1071, 2539-1072

FAX: 2539-1087, 2539-1088

No omito manifestar que al día de hoy **no se ha recibido** en el Comité Central de Farmacoterapia solicitud de medicamento no LOM con el nombre comercial de Spinarza® o bien de su principio activo Nusinersen a nombre del menor Emiliano Aldair Montenegro Sánchez.<sup>1</sup>

Finalmente, es necesario aclarar que para realizar el análisis del caso concreto, se requiere de una solicitud formal con la información clínica completa del paciente y la justificación científico/técnica que sustenta la solicitud del medicamento, para el análisis integral por parte del Comité Central de Farmacoterapia, en concordancia con la Normativa vigente en la institución.

Cordialmente.

### DIRECCIÓN DE FARMACOEPIDEMIOLOGÍA

Dr. Hugo Marín Piva, Médico  
**Director a.i.**

hmp/jafv/avc/ppv

C/.

Dr. Roberto Cervantes Barrantes, Gerente, Gerencia Médica, CCSS  
Licda. Katherine Amador Núñez, Coordinadora Administrativa, Despacho, Presidencia Ejecutiva, CCSS  
Sra (ita) Sandra Loría Chaves, Jefa, Gestión Documental, Presidencia de la República.  
Archivo

---

<sup>1</sup> Debo enfatizar que si bien el documento remitido por parte de la Presidencia de la República no se hacía mención al nombre o número de identificación del menor, dicha información fue obtenida de la página web del Tribunal Supremo de Elecciones.