



CONGRESO DE LOS DIPUTADOS  
SECRETARÍA GENERAL  
REGISTRO GENERAL

01 DIC. 2022 12:38:59

Entrada **246407**

## Pregunta escrita

Competencia  
Subcompetencia  
Tipo Expediente

Competencias de la Cámara  
Control e información  
184-Pregunta al Gobierno con  
respuesta escrita.

Fdo.: Francesc Xavier ERITJA  
CIURÓ

Diputado



**ESQUERRA  
REPUBLICANA**

**SOBIRA-  
-NISTES**

**GP Republicano**  
Carrera de San Jerónimo, 40, 5a pl.  
28071 Madrid  
**Centraleta.** Telf. 91 390 59 95  
c/e: [administracio@gperc.congreso.es](mailto:administracio@gperc.congreso.es)  
**Prensa.** Telf. 91 390 56 87  
c/e: [prensa@gperc.congreso.es](mailto:prensa@gperc.congreso.es)

## **A LA MESA DEL CONGRESO DE LOS DIPUTADOS**

El Diputado **Xavier Eritja Ciuró** del Grupo Parlamentario REPUBLICANO, al amparo de lo dispuesto en el artículo 185 y siguientes del Reglamento de la Cámara, formula al Gobierno español las siguientes preguntas, **solicitando su respuesta por escrito.**

Congreso de los Diputados, a 01 de diciembre de 2022

**Xavier Eritja Ciuró**  
Diputado  
G.P. Republicano





**ESQUERRA  
REPUBLICANA**

**SOBIRA-  
-NISTES**

### **Exposición de motivos**

La Atrofia Muscular Espinal (AME) es una enfermedad genética y neurodegenerativa poco frecuente y muy grave. Considerada una enfermedad rara, en la actualidad no se diagnostica hasta que el afectado comienza a mostrar sintomatología visible como pérdida de tono muscular o complicaciones respiratorias. Estas manifestaciones visibles de la enfermedad implican que el deterioro neuronal ya se ha iniciado y es irreversible.

Aunque es una enfermedad poco frecuente y muy grave existen tratamientos que, pese a no revertir el deterioro ocasionado sí permiten retrasarlo o incluso paralizarlo, y que pueden ser aplicados de manera presintomática si hay diagnóstico. No obstante, actualmente la AME no está incluida dentro del cribado universal a neonatos a través de la prueba del talón.

Esta situación se ve aún más agravada por la falta de acceso a los tratamientos más innovadores. La Agencia Europea del Medicamento, como autoridad competente para tal fin, realiza evaluaciones exhaustivas con evidencias de eficacia, seguridad y tolerabilidad de un fármaco, así como recomendaciones fundamentadas sobre a qué grupos de pacientes es recomendable tratar con dicho fármaco. No obstante, y en lo que respecta concretamente a los fármacos comercializados para la Atrofia Muscular Espinal (AME), el Estado español establece una serie de restricciones importantes respecto a estas recomendaciones que tiene como consecuencia una financiación de estos fármacos dirigida a un total de grupos de pacientes mucho más reducido que el autorizado desde la Agencia Europea del Medicamento. Esta situación provoca que las personas que padecen Atrofia Muscular Espinal no tienen alternativa de tratamiento en el Estado español, a pesar de estar disponibles en otros países homólogos de Europa. El Estado les deja desprovistos de alternativas terapéuticas y en situación de desamparo.



**ESQUERRA  
REPUBLICANA**

**SOBIRA-  
-NISTES**

Este es, por un lado, el caso de Risdisplam. Actualmente, más del 50% de la población afectada de Atrofia Muscular Espinal a partir de 15 años no tiene alternativa terapéutica para tratar la AME pese a existir este tratamiento recomendado por la EMA desde febrero de 2021 que sí es accesible en los demás países europeos de nuestro entorno.

Por otro lado, en 2018 se comercializó el primer tratamiento en la historia de la Atrofia Muscular Espinal (AME) en el Estado español, el Nusinersen. El Ministerio de Sanidad diseñó un protocolo fármaco-clínico de este tratamiento que regula qué pacientes son elegibles y qué resultados deben mostrar los pacientes para mantenerse bajo tratamiento. Actualmente, este protocolo se ha quedado obsoleto por su falta de actualización, pese a las solicitudes de profesionales sanitarios y representantes de pacientes, y, en definitiva, no responde a las evidencias científicas existentes y que se han ido acuñando desde su diseño. En consecuencia, se está retirando el fármaco a pacientes que estaban respondiendo positivamente al tratamiento, con graves consecuencias en su salud como pérdidas irreversibles en su capacidad motora, deglución, aumento de problemas respiratorios, entre otros posibles síntomas.

Por todo ello se desea saber:

- 1- ¿El Gobierno tiene previsto incorporar la detección de la AME en el Programa de Cribado Neonatal del SNS? Y si es así ¿Cuándo?
- 2- ¿Por qué motivos el Estado español establece restricciones mayores a los fármacos comercializados para la AME que la propia Agencia Europea del Medicamento?



**ESQUERRA  
REPUBLICANA**

**SOBIRA-  
-NISTES**

- 3- ¿Qué medidas tiene previstas el Gobierno español para dar solución a todos aquellos grupos de pacientes afectados por estas restricciones?
- 4- ¿El Ministerio de Sanidad tiene previsto revisar el protocolo fármaco-clínico del tratamiento Nusinersen, tal y como solicitan profesionales y pacientes? Si es así ¿Cuándo?
- 5- ¿Qué medidas tiene previstas el Gobierno para garantizar a los pacientes de AME que su enfermedad no evolucione negativamente, sufriendo pérdidas y deterioros neurológicos irreversibles, mientras se actualiza este protocolo?