

PUNTO DE ACUERDO POR EL QUE SE EXHORTA A LA SECRETARÍA DE SALUD Y AL CONSEJO DE SALUBRIDAD GENERAL A REALIZAR LAS GESTIONES CONDUCENTES QUE ACELEREN LA INCORPORACIÓN DE LA VOSORITIDA, MEDICAMENTO ESPECIALIZADO PARA EL TRATAMIENTO DE NIÑAS Y NIÑOS CON ACONDROPLASIA, AL COMPENDIO NACIONAL DE INSUMOS PARA LA SALUD

Quienes suscriben, **Clemente Castañeda Hoefflich, Alejandra Barrales Magdaleno, Amalia García Medina, Luis Donald Colosio Riojas, Daniel Barrera Pavón y Néstor Camarillo Medina**, senadores y senadoras en la LXVI Legislatura del Congreso de la Unión por el Grupo Parlamentario de Movimiento Ciudadano, con fundamento en el artículo 8, fracción II, del Reglamento del Senado de la República y en los artículos 58 y 60 del Reglamento para el Gobierno Interior del Congreso General de los Estados Unidos Mexicanos, sometemos a la consideración de esta Honorable Asamblea, **Proposición con Punto de Acuerdo por el que se exhorta la Secretaría de Salud y al Consejo de Salubridad General a realizar las gestiones conducentes que aceleren la incorporación de la Vosoritida, medicamento especializado para el tratamiento de niñas y niños con acondroplasia, al Compendio Nacional de Insumos para la Salud** al tenor de las siguientes:

CONSIDERACIONES

El artículo 4º de la Constitución Política de los Estados Unidos Mexicanos reconoce el derecho humano a la protección de la salud. Este derecho implica la obligación del Estado de generar las condiciones necesarias para garantizar el acceso efectivo a servicios de salud, diagnósticos oportunos y tratamientos adecuados para todas las personas, especialmente para aquellas que viven con enfermedades raras o poco frecuentes.

Las enfermedades raras constituyen un desafío importante para los sistemas de salud en todo el mundo. De acuerdo con la Organización Mundial de la Salud, existen entre 6,000 y 7,000 enfermedades raras identificadas, muchas de ellas de origen genético, que en conjunto afectan a millones de personas a nivel global.¹

Entre estas condiciones se encuentra la acondroplasia, considerada la forma más común de displasia esquelética asociada con talla baja desproporcionada. La acondroplasia es un trastorno genético causado por una mutación en el gen FGFR3 (Fibroblast Growth Factor Receptor 3), el cual regula el crecimiento del hueso a través del cartílago. Esta mutación provoca una activación anormal del receptor que inhibe el crecimiento de los huesos largos durante el desarrollo.²

Las personas con acondroplasia presentan características clínicas específicas, entre ellas talla baja desproporcionada, acortamiento de las extremidades, macrocefalia relativa y alteraciones esqueléticas distintivas. Aunque el desarrollo cognitivo suele ser normal, esta condición puede asociarse con diversas complicaciones médicas, como estenosis del canal espinal, apnea del sueño, infecciones recurrentes del oído medio, problemas ortopédicos y compresión cervicomedular, por lo que requiere seguimiento médico especializado y multidisciplinario.³

La acondroplasia es considerada una enfermedad rara debido a su baja prevalencia. Estudios epidemiológicos estiman que ocurre aproximadamente en uno de cada 20,000 a 30,000 nacimientos vivos a nivel mundial.⁴ Si bien en México aún no existe un registro nacional consolidado de pacientes con esta condición, especialistas estiman que cada año nacen niñas y niños con acondroplasia que requieren atención médica especializada. Como en otras partes del mundo, los trastornos de talla son reconocidos como discapacidad, tal como se establece en el artículo 4 de la Ley General para la Inclusión de las Personas con Discapacidad.

Durante décadas, el tratamiento de la acondroplasia se ha centrado principalmente en el manejo de las complicaciones médicas asociadas. No obstante, los avances en genética y biología molecular han permitido el desarrollo de terapias dirigidas al mecanismo fisiopatológico de la enfermedad.

En este contexto, destaca la vosoritida, un medicamento desarrollado específicamente para el tratamiento de niñas y niños con acondroplasia que aún tienen abiertas las placas de crecimiento. Este fármaco es un análogo del péptido natriurético tipo C (CNP) que actúa modulando la vía de señalización afectada por la mutación del gen FGFR3, contribuyendo a contrarrestar la inhibición del crecimiento óseo característica de esta enfermedad.⁵

La evidencia científica disponible ha demostrado beneficios clínicos relevantes en pacientes pediátricos con acondroplasia tratados con vosoritida. Un ensayo clínico fase 3 publicado en *The New England Journal of Medicine* demostró que los niños tratados con este medicamento presentaron un incremento promedio de 1.57 centímetros por año en la velocidad de crecimiento anual en comparación con placebo, resultado estadísticamente significativo.⁶ Asimismo, estudios de seguimiento publicados en *The Lancet Child & Adolescent Health* han documentado que los beneficios del tratamiento pueden mantenerse durante varios años, con un perfil de seguridad consistente y generalmente bien tolerado.⁷ Derivado de la evidencia científica disponible, diversas agencias regulatorias internacionales han autorizado el uso de este medicamento para el tratamiento de

pacientes pediátricos con acondroplasia, incluyendo la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA) y la Agencia Europea de Medicamentos (EMA).⁸

En el caso de México, resulta particularmente relevante destacar que desde 2024 la Comisión Federal para la Protección contra Riesgos Sanitarios (COFEPRIS) otorgó el registro sanitario a la vosoritida, lo que significa que la autoridad regulatoria nacional ya evaluó la evidencia científica disponible y determinó que el medicamento cumple con los estándares de calidad, seguridad y eficacia requeridos para su uso en el país.

En consecuencia, la seguridad y efectividad del medicamento ya han sido acreditadas por la autoridad sanitaria competente. Sin embargo, para que este tratamiento pueda ser considerado dentro de los esquemas de atención del sistema público de salud, resulta necesario que sea evaluado para su incorporación al Compendio Nacional de Insumos para la Salud, instrumento que orienta la adquisición de medicamentos y tecnologías sanitarias por parte de las instituciones públicas. La actualización de dicho compendio corresponde al Consejo de Salubridad General, órgano constitucional encargado de evaluar tecnologías sanitarias con base en criterios de evidencia científica, seguridad, eficacia y valor terapéutico.

Tratándose de enfermedades raras, la evaluación oportuna de tratamientos innovadores resulta particularmente relevante, pues las alternativas terapéuticas disponibles suelen ser limitadas y el acceso temprano puede tener un impacto significativo en la salud y calidad de vida de los pacientes. En este contexto, resulta preocupante que, pese a que la vosoritida ya cuenta con registro sanitario en México, no se haya concretado su incorporación al Compendio Nacional de Insumos para la Salud, lo que limita las posibilidades de acceso para niñas y niños con acondroplasia dentro de las instituciones públicas de salud.

La ausencia de avances en este proceso puede traducirse en retrasos injustificados en el acceso a tratamientos innovadores para pacientes pediátricos con enfermedades raras. En el caso de la acondroplasia, el acceso oportuno a terapias dirigidas puede tener efectos importantes en el desarrollo físico, la funcionalidad y la calidad de vida de los pacientes. Además, debe considerarse el principio del interés superior de la niñez, reconocido en el artículo 4º constitucional, así como los derechos humanos de las personas con discapacidad reconocidos en la constitución y en diversos instrumentos internacionales en materia de derechos humanos, el cual obliga a las autoridades a adoptar decisiones que garanticen la protección y el desarrollo integral de niñas, niños y adolescentes más aún cuando viven con una discapacidad.

En ese sentido, la falta de avances en la incorporación de tratamientos innovadores que ya cuentan con aprobación sanitaria puede constituir una omisión administrativa que afecta el acceso efectivo a la atención médica de niñas y niños con enfermedades raras, en perjuicio de su derecho a la salud.

Por todo esto, resulta necesario exhortar a las autoridades sanitarias correspondientes para que, en el ámbito de sus atribuciones, realicen las acciones necesarias que permitan acelerar la evaluación y eventual incorporación de la vosoritida al Compendio Nacional de Insumos para la Salud, a fin de garantizar el derecho a la salud de niñas y niños con acondroplasia en México.

Por lo anteriormente expuesto, se somete a consideración de esta Asamblea el siguiente:

PUNTO DE ACUERDO

ÚNICO. La Comisión Permanente del H. Congreso de la Unión exhorta respetuosamente a la Secretaría de Salud y al Consejo de Salubridad General para que, en el ámbito de sus respectivas atribuciones, realicen las gestiones conducentes para acelerar la evaluación e incorporación de la vosoritida al Compendio Nacional de Insumos para la Salud, como alternativa terapéutica para el tratamiento de niñas y niños con acondroplasia en México.

ATENTAMENTE

Grupo Parlamentario de Movimiento Ciudadano

Sen. Alejandra Barrales Magdaleno

Sen. Amalia García Medina

Sen. Luis Donald Colosio Riojas

Sen. Daniel Barreda Pavón

Sen. Nestor Camarillo Medina

Sen. Clemente Castañeda Hoeflich

REFERENCIAS

1. Organización Mundial de la Salud. Priority Medicines for Europe and the World – Rare Diseases.
2. MedlinePlus. U.S. National Library of Medicine. “Achondroplasia.”
3. Pauli RM. Achondroplasia. GeneReviews®, National Center for Biotechnology Information (NCBI).
4. Horton WA, Hall JG, Hecht JT. “Achondroplasia.” The Lancet, 2007.
5. Lorget F. et al. “Evaluation of the therapeutic potential of a CNP analog in a mouse model of achondroplasia.” American Journal of Human Genetics.
6. Savarirayan R. et al. “Once-Daily, Subcutaneous Vosoritide Therapy in Children with Achondroplasia.” New England Journal of Medicine, 2020.
7. Savarirayan R. et al. “Vosoritide therapy in children with achondroplasia: long-term outcomes.” The Lancet Child & Adolescent Health, 2021.
8. U.S. Food and Drug Administration (FDA). Voxzogo (vosoritide) approval for achondroplasia.