



PROYECTO DE LEY

EL SENADO Y LA CÁMARA DE DIPUTADOS DE LA NACIÓN ARGENTINA
REUNIDOS EN CONGRESO SANCIONAN CON FUERZA DE LEY:

LEY DE ACCESO ACELERADO A TERAPIAS GÉNICAS PERSONALIZADAS PARA ENFERMEDADES POCO FRECUENTES Y ULTRA-RARAS

Sistema Nacional de Acceso Acelerado a Terapias Génicas Individualizadas (SNATIGEP)

*Adaptación del Plausible Mechanism Framework
de la FDA de los Estados Unidos al ordenamiento jurídico argentino*

TÍTULO I – PRINCIPIOS Y OBJETO

ARTÍCULO 1°.- Objeto. Créase el Sistema Nacional de Acceso Acelerado a Terapias Génicas Individualizadas para Enfermedades Poco Frecuentes y Ultra-Raras (SNATIGEP), con el fin de establecer un procedimiento regulatorio especial que permita la evaluación y autorización acelerada de terapias génicas personalizadas cuando los ensayos clínicos aleatorizados convencionales no resulten factibles debido al reducido número de pacientes afectados.

ARTÍCULO 2°.- Fundamento constitucional. La presente ley se funda en el derecho a la salud y al acceso a los avances científicos y tecnológicos consagrado en los artículos 42 y 75 incisos 22 y 23 de la Constitución Nacional; en los Tratados Internacionales de Derechos Humanos con jerarquía

constitucional, en particular el artículo 12 del Pacto Internacional de Derechos Económicos, Sociales y Culturales y el artículo 24 de la Convención sobre los Derechos del Niño; y en el principio de protección integral de los grupos en situación de vulnerabilidad.

ARTÍCULO 3°.- Objetivos. Son objetivos de la presente ley:

- a) Garantizar el acceso oportuno y equitativo a terapias génicas personalizadas para pacientes con enfermedades poco frecuentes y ultra-raras en todo el territorio de la República Argentina.
- b) Establecer una vía regulatoria acelerada basada en la plausibilidad científica del mecanismo de acción de la terapia, cuando los ensayos clínicos convencionales resulten inviables.
- c) Promover la investigación, el desarrollo y la producción nacional de terapias génicas, fortaleciendo la soberanía científico-tecnológica del país.
- d) Reducir la demora diagnóstica y terapéutica que afecta a pacientes con enfermedades poco frecuentes y ultra-raras.
- e) Proteger los derechos de los pacientes, asegurando estándares de seguridad, eficacia, bioética y transparencia.
- f) Posicionar a la República Argentina como referente regional en medicina de precisión y terapias individualizadas.

ARTÍCULO 4°.- Definiciones. A los efectos de la presente ley, se entiende por:

- a) Enfermedad poco frecuente (EPF): aquella cuya prevalencia en la población es igual o inferior a una en dos mil (1 en 2.000) personas, conforme el artículo 2° de la Ley N° 26.689.
- b) Enfermedad ultra-rara: aquella cuya prevalencia es igual o inferior a una en cincuenta mil (1 en 50.000) personas en el territorio nacional, o que afecta a un número total inferior a DOSCIENTOS (200) pacientes identificados en la República Argentina.
- c) Terapia génica personalizada: todo medicamento de terapia avanzada, conforme la Disposición ANMAT N° 179/2018 y sus modificatorias, diseñado para corregir, modificar, sustituir o compensar una alteración genética específica en un paciente o grupo reducido de pacientes. Comprende, sin carácter taxativo, las terapias de edición genómica, los oligonucleótidos antisentido, las terapias de ARN de interferencia, las terapias de reemplazo génico y toda otra modalidad que actúe directamente sobre la causa genética subyacente de la enfermedad.
- d) Mecanismo plausible de acción: demostración científica fundada de que la terapia actúa sobre la causa genética, celular o molecular de la

enfermedad, o sobre su vía patogénica proximal, con sustento en evidencia preclínica y datos de historia natural de la enfermedad.

e) Terapia N-of-1: terapia génica diseñada específicamente para un único paciente, con base en su perfil genético individual.

ARTÍCULO 5°.- Ámbito de aplicación. La presente ley se aplica en todo el territorio de la República Argentina a las terapias génicas personalizadas destinadas al tratamiento de enfermedades poco frecuentes y ultra-raras que reúnan las siguientes condiciones: la enfermedad tenga una causa genética identificada y demostrada; la terapia actúe sobre dicha causa o su vía patogénica proximal; la realización de ensayos clínicos convencionales resulte inviable por el reducido número de pacientes; y la enfermedad revista carácter gravemente debilitante o potencialmente mortal, sin alternativas terapéuticas eficaces disponibles.

TÍTULO II – AUTORIDAD REGULATORIA

ARTÍCULO 6°.- Autoridad de aplicación. La Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (ANMAT) será la autoridad de aplicación de la presente ley en materia regulatoria, de conformidad con las competencias que le atribuyen el Decreto N° 1490/92, la Ley N° 16.463 y la normativa concordante.

ARTÍCULO 7°.- Funciones regulatorias específicas. Corresponde a la ANMAT, en el marco de la presente ley:

- a)** Recibir, evaluar y resolver las solicitudes de autorización acelerada de terapias génicas personalizadas por la vía de mecanismo plausible.
- b)** Dictar las guías técnicas y reglamentaciones específicas necesarias para la implementación del procedimiento de evaluación acelerada, sobre la base de lineamientos internacionalmente reconocidos.
- c)** Ejercer la farmacovigilancia reforzada de las terapias autorizadas bajo la presente ley.
- d)** Administrar el Registro Nacional de Terapias Génicas Personalizadas y Enfermedades Ultra-Raras que se crea por el artículo 17.
- e)** Coordinar con agencias regulatorias internacionales de referencia el reconocimiento de evaluaciones y el intercambio de información.

ARTÍCULO 8°.- Coordinación interministerial. El Ministerio de Salud de la Nación coordinará las políticas de acceso, cobertura y financiamiento de las terapias autorizadas bajo la presente ley, articulando con las jurisdicciones provinciales y la Ciudad Autónoma de Buenos Aires a través del Consejo Federal

de Salud (COFESA). El Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación coordinará las políticas de fomento de la investigación y producción nacional. Ambos ministerios articularán sus acciones con la ANMAT y con la Comisión Interministerial de Terapias Avanzadas.

TÍTULO III – PROCEDIMIENTO DE AUTORIZACIÓN ACELERADA

Capítulo I – Vía de mecanismo plausible

ARTÍCULO 9°.- Procedimiento Acelerado de Evaluación Terapéutica (PAET). Establécese el Procedimiento Acelerado de Evaluación Terapéutica como vía regulatoria especial para la autorización de terapias génicas personalizadas. Este procedimiento será complementario del marco regulatorio general para Medicamentos de Terapia Avanzada establecido por la Disposición ANMAT N° 179/2018 y sus modificatorias, y se aplicará cuando el solicitante demuestre que la realización de ensayos clínicos aleatorizados convencionales no es factible debido al reducido número de pacientes afectados.

ARTÍCULO 10°.- Requisitos de la solicitud. La solicitud de autorización por la vía del PAET deberá acreditar:

- a) Identificación de la anomalía genética causante de la enfermedad.
- b) Demostración de un mecanismo plausible de acción de la terapia sobre la causa genética o su vía patogénica proximal.
- c) Datos de historia natural de la enfermedad en pacientes no tratados.
- d) Evidencia preclínica de seguridad y eficacia.
- e) Datos clínicos disponibles, incluyendo los provenientes de uso compasivo, acceso expandido o estudios realizados en jurisdicciones con marcos regulatorios comparables.
- f) Justificación de la inviabilidad de un ensayo clínico aleatorizado convencional.
- g) Plan de farmacovigilancia y seguimiento a largo plazo.
- h) Plan de gestión de riesgos.

La reglamentación determinará los requisitos técnicos específicos, los formatos de presentación y los estándares de evidencia aplicables a cada tipo de terapia, conforme los lineamientos internacionales de referencia adoptados por la ANMAT.

ARTÍCULO 11°.- Asesoría científica previa. Los solicitantes podrán requerir a la ANMAT una asesoría científica previa a la presentación formal de la solicitud. La asesoría orientará sobre los requisitos de evidencia aplicables al caso

concreto, sin generar compromiso respecto del resultado de la evaluación posterior.

Capítulo II – Evaluación y resolución

ARTÍCULO 12°.- Plazo de evaluación. La ANMAT deberá expedirse sobre la solicitud dentro de un plazo máximo de CIENTO OCHENTA (180) días corridos desde la presentación completa. Dicho plazo podrá prorrogarse por NOVENTA (90) días adicionales por resolución fundada. La solicitud de información adicional suspenderá el cómputo del plazo.

ARTÍCULO 13°.- Tipos de autorización. El PAET podrá conducir a:

- a) Autorización plena: cuando la evidencia demuestre mejora en desenlaces clínicos, curso de la enfermedad o biomarcadores predictores de beneficio clínico.
- b) Autorización condicional: cuando la evidencia sustente un mecanismo plausible pero requiera confirmación clínica posterior. La autorización condicional se otorgará por un plazo de TRES (3) años renovable, sujeta al cumplimiento de compromisos de generación de evidencia adicional y farmacovigilancia activa.

ARTÍCULO 14°.- Reconocimiento de evaluaciones internacionales. La ANMAT podrá considerar las evaluaciones y autorizaciones emitidas por agencias regulatorias de referencia internacional como parte de la evidencia de apoyo, sin que ello implique reconocimiento automático. La reglamentación establecerá las condiciones para la evaluación abreviada con base en antecedentes regulatorios internacionales.

ARTÍCULO 15°.- Revocación. La ANMAT podrá revocar la autorización cuando los datos de farmacovigilancia revelen un perfil de seguridad inaceptable, el titular incumpla los compromisos asumidos en una autorización condicional, o nueva evidencia desvirtúe el mecanismo plausible que sustentó la autorización. La revocación se dispondrá por resolución fundada, garantizando el derecho de defensa y la continuidad terapéutica de los pacientes en tratamiento.

ARTÍCULO 16°.- Uso compasivo y acceso expandido. Mientras se sustancie el PAET, la ANMAT podrá autorizar el acceso individual bajo las modalidades de uso compasivo o acceso expandido, conforme la normativa vigente, cuando se trate de pacientes con enfermedades gravemente debilitantes o potencialmente mortales cuyo deterioro clínico no admita la espera del procedimiento regular.

TÍTULO IV – COMITÉ CIENTÍFICO ASESOR

ARTÍCULO 17°.- Comité Nacional de Terapias Génicas Personalizadas (CONATGEP). Créase el Comité Nacional de Terapias Génicas Personalizadas en el ámbito de la ANMAT, como órgano técnico-científico de carácter consultivo. El CONATGEP estará integrado por:

- a)** TRES (3) representantes de la ANMAT, al menos UNO (1) de la Dirección de Evaluación y Control de Biológicos y Radiofármacos.
- b)** DOS (2) representantes del Ministerio de Salud de la Nación, designados por el Programa Nacional de Enfermedades Poco Frecuentes.
- c)** UN (1) representante del Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación.
- d)** TRES (3) expertos de reconocida trayectoria en genética médica, biología molecular y terapia génica, designados por concurso público de antecedentes entre candidatos propuestos por universidades nacionales.
- e)** DOS (2) representantes de organizaciones de pacientes con enfermedades poco frecuentes, con voz y voto.
- f)** UN (1) representante del Comité Nacional de Ética en la Investigación, con voz consultiva.

ARTÍCULO 18°.- Funciones del CONATGEP. Son funciones del CONATGEP:

- a)** Emitir dictámenes consultivos en los procedimientos de evaluación del PAET, a requerimiento de la ANMAT.
- b)** Proponer la actualización de guías técnicas y criterios de evaluación.
- c)** Asesorar sobre la incorporación de nuevas tecnologías terapéuticas al ámbito de aplicación de la presente ley.
- d)** Emitir recomendaciones sobre casos complejos o novedosos.
- e)** Elaborar un informe anual de gestión que será remitido al Honorable Congreso de la Nación.

TÍTULO V – FINANCIAMIENTO Y COBERTURA

ARTÍCULO 19°.- Cobertura. Las terapias génicas personalizadas autorizadas conforme la presente ley serán cubiertas por los agentes del seguro de salud comprendidos en las Leyes N° 23.660 y 23.661, la Obra Social del Poder Judicial de la Nación, la Dirección de Ayuda Social para el Personal del Congreso de la Nación, las entidades de medicina prepaga sujetas a la Ley N° 26.682 y todos los agentes que brinden servicios médicos asistenciales a sus afiliados,

independientemente de la figura jurídica que posean. El sistema público de salud actuará como red de cierre para aquellos pacientes que no cuenten con cobertura de obra social ni de medicina prepaga, conforme lo previsto en el artículo 7° de la Ley N° 26.689. La cobertura se efectivizará con el apoyo financiero del Fondo creado en el artículo 20.

ARTÍCULO 20°.- Fondo Nacional de Terapias Génicas Personalizadas (FONTGEP). Créase el Fondo Nacional de Terapias Génicas Personalizadas, que se integrará con:

- a) Las partidas presupuestarias que anualmente le asigne el Congreso de la Nación.
- b) Un porcentaje de los recursos del Sistema de Cobertura de Alto Precio que la reglamentación determine.
- c) Los fondos provenientes de convenios de cooperación internacional y organismos multilaterales.
- d) Las donaciones y legados con destino específico.
- e) Los recursos provenientes de mecanismos de recupero de costos ante resultados terapéuticos negativos, conforme los acuerdos de riesgo compartido previstos en el artículo 21.
- f) Un porcentaje de las regalías que generen las patentes resultantes de investigaciones financiadas con fondos públicos en el marco de la presente ley.

ARTÍCULO 21°.- Mecanismos de pago innovadores. La autoridad de aplicación promoverá la implementación de esquemas de financiamiento sostenible para terapias de alto costo, incluyendo:

- a) Acuerdos de pago por resultados clínicos verificables.
- b) Esquemas de riesgo compartido entre el financiador y el titular de la autorización.
- c) Esquemas de pago diferido vinculados a la efectividad demostrada.
- d) Compras centralizadas o consolidadas a nivel federal.
- e) Negociación conjunta con países de la región en el marco de organismos de integración.

La reglamentación establecerá los mecanismos de auditoría, evaluación de resultados y rendición de cuentas del FONTGEP.

ARTÍCULO 22°.- Exenciones tributarias. Las terapias génicas personalizadas autorizadas bajo la presente ley, sus insumos críticos de producción y los equipamientos específicos para su manufactura y administración quedarán exentos del Impuesto al Valor Agregado y de derechos de importación, en las

condiciones que establezca la reglamentación. Esta exención se extenderá a los insumos para investigación y desarrollo de terapias génicas realizados por instituciones públicas o instituciones privadas sin fines de lucro.

TÍTULO VI – REGISTRO NACIONAL Y FARMACOVIGILANCIA

ARTÍCULO 23°.- Registro Nacional de Terapias Génicas Personalizadas y Enfermedades Ultra-Raras (RENATGEP). Créase el Registro Nacional de Terapias Génicas Personalizadas y Enfermedades Ultra-Raras en el ámbito de la ANMAT, articulado con el Programa Nacional de Enfermedades Poco Frecuentes del Ministerio de Salud. El RENATGEP tendrá por objeto:

- a) Registrar las terapias génicas personalizadas autorizadas, en trámite y sus resultados clínicos.
- b) Documentar la historia natural de las enfermedades ultra-raras presentes en el territorio nacional.
- c) Registrar los pacientes en tratamiento y su evolución clínica a largo plazo.
- d) Generar datos de mundo real que complementen la evaluación clínica.
- e) Articular con registros internacionales de enfermedades raras y bases de datos genómicas.

ARTÍCULO 24°.- Farmacovigilancia reforzada. Las terapias autorizadas bajo la presente ley estarán sujetas a un régimen de farmacovigilancia reforzada que incluirá seguimiento obligatorio de todos los pacientes tratados, reporte de eventos adversos con plazos reducidos y evaluación periódica de la relación beneficio-riesgo por la ANMAT. La reglamentación establecerá los plazos mínimos de seguimiento, que no podrán ser inferiores a DIEZ (10) años para terapias de edición genómica ni a CINCO (5) años para terapias basadas en ARN.

TÍTULO VII – INVESTIGACIÓN Y PRODUCCIÓN NACIONAL

ARTÍCULO 25°.- Fomento de la investigación. El Estado Nacional promoverá la investigación básica, traslacional y clínica en terapias génicas personalizadas mediante:

- a) Líneas de financiamiento específicas a través de la Agencia Nacional de Promoción de la Investigación, el Desarrollo Tecnológico y la Innovación.
- b) La creación de Centros de Referencia en Terapias Génicas Personalizadas en instituciones académicas y hospitalarias públicas.

- c) Programas de formación de recursos humanos especializados.
- d) La cooperación científica internacional y la participación en consorcios de investigación en enfermedades raras.

ARTÍCULO 26°.- Producción nacional y transferencia tecnológica. El Estado Nacional promoverá el desarrollo de capacidades nacionales de producción de terapias génicas, incluyendo el fortalecimiento de laboratorios públicos, incentivos para empresas biotecnológicas nacionales, y programas de transferencia tecnológica. Cuando razones de salud pública lo justifiquen, se podrá recurrir a las licencias obligatorias conforme la legislación de propiedad intelectual vigente.

ARTÍCULO 27°.- Red de Centros de Referencia. La autoridad de aplicación establecerá una Red Nacional de Centros de Referencia habilitados para la prescripción, administración y seguimiento de terapias génicas personalizadas. La reglamentación determinará los requisitos de habilitación, equipamiento y personal especializado que deberán cumplir.

TÍTULO VIII – DERECHOS DE LOS PACIENTES Y BIOÉTICA

ARTÍCULO 28°.- Consentimiento informado reforzado. Todo paciente que reciba una terapia génica personalizada deberá prestar consentimiento informado específico y reforzado, que incluya como mínimo: explicación de la naturaleza y carácter innovador de la terapia; descripción de riesgos conocidos y potenciales; alternativas disponibles; tipo de autorización obtenida y sus implicancias; y compromisos de seguimiento a largo plazo. En el caso de menores de edad, el consentimiento será prestado por sus representantes legales, con la participación del menor conforme su grado de madurez.

ARTÍCULO 29°.- Protección de datos genéticos. Los datos genéticos obtenidos en el marco de la presente ley tendrán la condición de datos sensibles conforme la Ley N° 25.326 y su normativa complementaria. Queda prohibido su uso para fines distintos de los terapéuticos, de investigación consentida o de farmacovigilancia. Se prohíbe expresamente su utilización con fines discriminatorios por parte de empleadores, aseguradoras o cualquier entidad pública o privada.

ARTÍCULO 30°.- Derecho a la continuidad terapéutica. Los pacientes que hayan iniciado tratamiento tendrán derecho a la continuidad de su seguimiento médico y a la atención de efectos adversos, incluso en caso de revocación de la autorización o discontinuación de la producción de la terapia.

ARTÍCULO 31°.- Equidad y no discriminación. El acceso a las terapias

autorizadas bajo la presente ley no podrá ser condicionado por el lugar de residencia del paciente, su condición socioeconómica ni por la posesión del Certificado Único de Discapacidad. La Red de Centros de Referencia deberá garantizar la cobertura territorial necesaria para efectivizar este derecho.

TÍTULO IX – ARTICULACIÓN NORMATIVA Y TRANSPARENCIA

ARTÍCULO 32°.- Complementariedad con la Ley N° 26.689. La presente ley complementa y no reemplaza las disposiciones de la Ley N° 26.689 de Cuidado Integral de la Salud de las Personas con Enfermedades Poco Frecuentes. Las terapias autorizadas bajo el régimen de la presente ley serán incorporadas a las prestaciones cuya cobertura resulta obligatoria en el marco de dicha ley.

ARTÍCULO 33°.- Relación con la Disposición ANMAT N° 179/2018. El PAET constituye un procedimiento especial complementario del marco regulatorio general para Medicamentos de Terapia Avanzada establecido por la Disposición ANMAT N° 179/2018 y sus modificatorias, y no lo sustituye ni lo modifica. Las terapias génicas personalizadas quedan sujetas a los requisitos de calidad, seguridad y eficacia establecidos en dicha norma, con las adecuaciones procedimentales previstas en la presente ley. En todo lo no previsto por la presente ley, serán de aplicación supletoria las disposiciones de la normativa vigente en materia de terapias avanzadas, los lineamientos de la Comisión Interministerial de Terapias Avanzadas y las guías técnicas internacionales de referencia adoptadas por la ANMAT.

ARTÍCULO 34°.- Transparencia. Los dictámenes del CONATGEP, las guías técnicas, los criterios de evaluación y las estadísticas del RENATGEP serán de acceso público, con las limitaciones derivadas de la protección de datos personales y del secreto industrial. La ANMAT realizará al menos UNA (1) consulta pública anual sobre la actualización de sus guías y protocolos.

ARTÍCULO 35°.- Informes al Congreso. La ANMAT remitirá un informe semestral a las Comisiones de Acción Social y Salud Pública y de Ciencia, Tecnología e Innovación Productiva de ambas Cámaras, informando sobre solicitudes tramitadas, autorizaciones otorgadas, pacientes en tratamiento, ejecución del FONTGEP y estado de la cooperación internacional.

ARTÍCULO 36°.- Cooperación internacional. La autoridad de aplicación promoverá acuerdos con agencias regulatorias internacionales, organismos multilaterales y redes de investigación en enfermedades raras, orientados al reconocimiento mutuo de evaluaciones, el intercambio de información y la participación en protocolos de investigación internacionales.

TÍTULO X – DISPOSICIONES FINALES

ARTÍCULO 37°.- Infracciones y sanciones. El incumplimiento de las obligaciones establecidas en la presente ley será pasible de las sanciones previstas en la Ley N° 16.463 y la normativa concordante, sin perjuicio de las responsabilidades civiles y penales que correspondan.

ARTÍCULO 38°.- Presupuesto. Los gastos que demande el cumplimiento de la presente ley serán atendidos con las partidas que anualmente asigne el Congreso de la Nación en el Presupuesto General de la Administración Pública, complementadas con los recursos del FONTGEP.

ARTÍCULO 39°.- Reglamentación. El Poder Ejecutivo Nacional reglamentará la presente ley dentro de los CIENTO OCHENTA (180) días de su promulgación.

ARTÍCULO 40°.- Cláusula transitoria. Hasta tanto se constituya el CONATGEP y se aprueben las guías técnicas, las solicitudes de autorización de terapias génicas personalizadas podrán tramitarse ante la ANMAT conforme el procedimiento general de la Disposición N° 179/2018, pudiendo el solicitante invocar los principios y criterios establecidos en la presente ley.

ARTÍCULO 41°.- Cláusula federal. Invítase a las Provincias y a la Ciudad Autónoma de Buenos Aires a adherir a la presente ley y a articular sus sistemas de salud con los mecanismos de acceso, cobertura y seguimiento previstos en la misma. El Ministerio de Salud de la Nación promoverá, en el seno del Consejo Federal de Salud (COFESA), la suscripción de convenios marco con las jurisdicciones provinciales para garantizar la operatividad de la Red de Centros de Referencia, el funcionamiento del RENATGEP y la equidad territorial en el acceso a las terapias autorizadas bajo la presente ley.

ARTÍCULO 42°.- Comuníquese al Poder Ejecutivo Nacional.

LIC. MARCELA MARINA PAGANO
DIPUTADA DE LA NACIÓN

FUNDAMENTOS

Señor Presidente:

El presente proyecto de ley propone la creación del Sistema Nacional de Acceso Acelerado a Terapias Génicas Individualizadas para Enfermedades Poco Frecuentes y Ultra-Raras (SNATIGEP), una iniciativa legislativa que, de aprobarse, convertiría a la República Argentina en el primer país de América Latina en contar con un marco legal específico para la autorización acelerada de terapias génicas personalizadas.

I. LA REVOLUCIÓN DE LA MEDICINA GENÉTICA Y EL IMPERATIVO REGULATORIO

La ciencia médica atraviesa una transformación sin precedentes. Las tecnologías de edición genómica como CRISPR, los oligonucleótidos antisentido y las terapias de reemplazo génico han demostrado la capacidad de corregir, a nivel molecular, las causas subyacentes de enfermedades que hasta hace pocos años se consideraban incurables. El caso del bebé KJ, tratado con éxito en el Hospital de Niños de Filadelfia mediante edición genómica CRISPR para un trastorno hepático genético devastador, ilustra el potencial transformador de estas terapias.

Sin embargo, el marco regulatorio vigente en la mayoría de los países fue diseñado para evaluar medicamentos destinados a grandes poblaciones, mediante ensayos clínicos aleatorizados con cientos o miles de pacientes. Para las más de 6.800 enfermedades genéticas raras, muchas de las cuales afectan a menos de 200 personas en un país, esta arquitectura regulatoria constituye una barrera infranqueable: no es posible reunir suficientes pacientes para un ensayo convencional, lo que impide la aprobación de tratamientos que la ciencia ya tiene capacidad de desarrollar.

II. EL PLAUSIBLE MECHANISM FRAMEWORK DE LA FDA

Reconociendo esta brecha regulatoria, la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) de los Estados Unidos publicó el 23 de febrero de 2026 un borrador de guía que establece el Plausible Mechanism Framework, un marco regulatorio novedoso que permite la autorización de terapias génicas individualizadas cuando exista una demostración científica fundada de que la terapia actúa sobre la causa genética de la enfermedad, aun cuando no se disponga de ensayos clínicos convencionales.

Los criterios centrales del marco de la FDA incluyen: la identificación de la anomalía genética causante; la demostración de que la terapia actúa sobre la causa raíz o la vía patogénica proximal; datos robustos de historia natural en pacientes no tratados; y la confirmación de la acción de la terapia sobre su objetivo molecular. Además, habilita el uso de protocolos maestros que permiten evaluar múltiples variantes de un producto dentro de un mismo gen en un único estudio clínico.

III. LA SITUACIÓN ARGENTINA: MARCO NORMATIVO Y BRECHAS

La República Argentina cuenta con un ecosistema normativo relevante pero insuficiente para las terapias génicas personalizadas. La Ley N° 26.689 de Enfermedades Poco Frecuentes (2011) estableció el derecho a la cobertura integral y la creación del Programa Nacional. La Disposición ANMAT N° 179/2018 reguló los Medicamentos de Terapia Avanzada, alineándose con estándares internacionales. La Comisión Interministerial de Terapias Avanzadas articuló las competencias entre ANMAT e INCUCAI.

Sin embargo, persisten brechas críticas. Como señalan múltiples fuentes especializadas, la distancia entre la ley y la realidad cotidiana sigue siendo una de las principales deudas estructurales del sistema de salud. Solo entre el 5% y el 10% de las enfermedades raras cuentan hoy con tratamientos aprobados. La Disposición 179/2018, siendo de rango infralegal, no contempla una vía acelerada específica para terapias individualizadas cuando los ensayos convencionales son inviables. No existe un registro nacional de enfermedades ultra-raras ni mecanismos de financiamiento sostenibles para tratamientos de ultra-alto costo.

En el plano pediátrico, la Asociación Española de Pediatría ha destacado recientemente —en el marco del Día Mundial de las Enfermedades Raras 2026— que la reducción de la demora diagnóstica y el acceso equitativo a la genómica clínica son medidas cruciales para mejorar el pronóstico de los pacientes. Estas mismas preocupaciones resultan plenamente aplicables al contexto argentino, donde la denominada "odisea diagnóstica" sigue afectando a miles de familias.

IV. FUNDAMENTO CONSTITUCIONAL

El presente proyecto se funda en el derecho a la salud consagrado en el artículo 42 de la Constitución Nacional y en el mandato del artículo 75 inciso 23 de legislar y promover medidas de acción positiva que garanticen la igualdad real de oportunidades y de trato, en particular respecto de grupos en situación de vulnerabilidad. Los Tratados Internacionales con jerarquía constitucional

refuerzan este mandato: el artículo 12 del Pacto Internacional de Derechos Económicos, Sociales y Culturales reconoce el derecho al disfrute del más alto nivel posible de salud y la obligación de los Estados de crear condiciones que aseguren la asistencia médica; el artículo 24 de la Convención sobre los Derechos del Niño consagra el derecho del niño al disfrute del más alto nivel posible de salud y al acceso a servicios para el tratamiento de enfermedades.

V. DISEÑO INSTITUCIONAL: PRINCIPIO DE ESPECIALIDAD Y NO SUPERPOSICIÓN

El proyecto ha sido diseñado bajo el principio de especialidad funcional y no superposición institucional. La ANMAT regula. El Ministerio de Salud financia y coordina el acceso. El CONATGEP asesora, sin carácter vinculante. Esta arquitectura limpia evita la fragmentación decisoria que caracteriza a marcos institucionales excesivamente complejos, y garantiza que la pregunta "¿quién decide finalmente?" tenga siempre una respuesta clara: la ANMAT, con el asesoramiento del Comité científico.

La dimensión federal del proyecto se resuelve a través del Consejo Federal de Salud (COFESA) como instancia natural de articulación con las provincias, evitando la creación de nuevas estructuras burocráticas. Los convenios marco promovidos en el seno del COFESA garantizarán la operatividad de la Red de Centros de Referencia y la equidad territorial en el acceso, respetando las autonomías provinciales en materia de salud pública.

Los detalles técnico-científicos (requisitos específicos de evidencia preclínica, estándares de target engagement, criterios de validación molecular, especificaciones de protocolos maestros) se delegan a la reglamentación y a las guías técnicas que dictará la ANMAT. Esto garantiza que la ley permanezca vigente y funcional ante la rápida evolución de las tecnologías génicas, sin requerir reformas legislativas para cada avance científico.

VI. INGENIERÍA FINANCIERA: EL DESAFÍO DEL COSTO

Las terapias génicas tienen costos que oscilan entre USD 1 millón y USD 4 millones por tratamiento. Este proyecto aborda la cuestión de frente, creando el FONTGEP con fuentes múltiples y diversificadas, incorporando mecanismos de pago por resultados y riesgo compartido, estableciendo exenciones tributarias que reducen el costo final, habilitando compras centralizadas federales, y promoviendo la producción nacional como estrategia de soberanía y reducción de costos a mediano plazo. La pregunta "¿quién paga?" tiene respuesta: un fondo específico, con ingeniería financiera moderna.



VII. IMPACTO ESPERADO Y DIMENSIÓN ESTRATÉGICA

La aprobación de este proyecto posicionaría a la República Argentina como el primer país de América Latina con un marco legal específico para terapias génicas personalizadas con vía de autorización acelerada. Argentina no puede quedarse atrás en la revolución de la medicina genética. Los pacientes con enfermedades poco frecuentes y ultra-raras merecen que el sistema regulatorio evolucione al ritmo de la ciencia.

Por las razones expuestas, solicito a mis pares la aprobación del presente proyecto de ley.

LIC. MARCELA MARINA PAGANO
DIPUTADA DE LA NACIÓN