



Gobierno de la Provincia de Mendoza
República Argentina

Informe

Número:

Mendoza,

Referencia: DICTAMEN 04/25

SECCIONES DE ESTE DOCUMENTO

I. RESUMEN

II. DICTAMEN

TITULO: EFICACIA Y SEGURIDAD DE VOSORITIDA EN PACIENTES CON ACONDROPLASIA

I-RESUMEN

Introducción: La acondroplasia (ACH) es una enfermedad ósea de origen genético, es la forma más común de talla baja desproporcionada hereditaria. El diagnóstico se basa en las características clínicas y radiológicas y se confirma con estudios de biología molecular. Se caracteriza por presentar extremidades cortas, macrocefalia, hipoplasia medio-facial y tórax pequeño; estrechamiento de canales óseos, como la escotadura sacrociática, el foramen magnum y el canal vertebral lumbar, con cuerpos vertebrales cortos. Los pacientes llegan a una talla adulta final promedio en los hombres de aproximadamente 130 cm y en las mujeres de 125 cm, con un puntaje Z de -6,42 y -6,72 por debajo de la talla adulta sin ACH. La ACH afecta la calidad de vida física, emocional y social de niños y adultos. Se considera una enfermedad poco frecuente (EPOF). Los tratamientos de la ACH se han enfocado en mejorar la funcionalidad y mitigar riesgos vitales. Vosoritida es un tratamiento orientado al crecimiento óseo que busca conseguir, entre otros objetivos, mejora en la calidad de vida. Objetivo: Evaluar la eficacia y seguridad de vosoritida en pacientes con diagnóstico de acondroplasia con epífisis abiertas mayores de 4 meses de edad. Estimar los efectos en el gasto en salud e implicancias organizacionales, salud pública y equidad. Metodología: Metodología: Se realizó una búsqueda bibliográfica estructurada a partir de pregunta PICO; para el análisis de la certeza de la evidencia se utilizó el programa GRADEpro. Se estimó el costo de tratamiento en el subsector estatal de Mendoza. Se valoró el impacto en la equidad y salud pública de la incorporación. Resultados: De 81 documentos hallados, se incluyeron 16. No se encontró evidencia sobre la eficacia de vosoritida en la disminución en las complicaciones relacionadas con la ACH y tampoco sobre la talla final expresada en puntaje Z, existen estudios en desarrollo aún no publicados. Vosoritida

mejoró el puntaje total de calidad de vida $5,43 \pm 17,74$ DE, siendo los mayores cambios en las dimensiones físicas y sociales, con muy baja certeza en la evidencia. No se observaron eventos adversos graves relacionados con el tratamiento, la calidad de evidencia se consideró moderada para este resultado. El puntaje Z de talla a las 52 semanas resultó en una diferencia leve a favor de vosoritida de +0,28 (IC 95 %: 0,17-0,39) con baja calidad en la evidencia. Las proporciones de los segmentos corporales superior e inferior mejoraron luego de 3 años de seguimiento aunque con muy baja calidad en la evidencia. La velocidad de crecimiento anualizada fué mayor con vosoritida con moderada calidad en la evidencia. Conclusión: Vosoritida podría presentar beneficios menores en la salud, con baja certeza en la evidencia. Los efectos sobre la equidad y salud pública son probablemente negativos; con un alto impacto presupuestario.

Fecha de publicación: 06-06-25

II-DICTAMEN N°4/2025

Vista la solicitud recibida acerca de la pertinencia de la incorporación de Vosoritida para el tratamiento de la condición acondroplasia en el sistema de salud de Mendoza,

Considerando:

El Informe de Evaluación titulado "EFICACIA Y SEGURIDAD DE VOSORITIDE EN PACIENTES CON ACONDROPLASIA" y de conformidad a lo dispuesto en el artículo 5 inciso d) de la Ley 9.547 y su Decreto Reglamentario N°1777/24

LA DIRECTORA DE LA AGENCIA PROVINCIAL DE EVALUACIONES DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS DE LA PROVINCIA DE MENDOZA - DICTAMINA-

1. Establecer que, en el sistema de salud de la provincia de Mendoza, la utilización de vosoritida para el tratamiento de acondroplasia, no se incorpora a la cobertura, adquisición y/o financiación en los establecimientos conformantes de todos los niveles de la red asistencial estatal y de la Obra Social Provincial, conforme a lo expuesto y concluido en el informe mencionado.
- 2- Establecer que los pacientes con diagnóstico de acondroplasia deben recibir el mejor cuidado disponible y toda vez que sea posible mediante acuerdo entre los pacientes y sus cuidadores implementar medidas dirigidas a mejorar la calidad de vida, la inclusión y desarrollo de sus oportunidades.
3. El presente dictamen tendrá los efectos previstos en el artículo 6 de la Ley N°9547.
4. Invítase a otros financiadores adherir al presente dictamen.
5. Comuníquese. Publíquese. Archívese.

