

Propuesta del listado de medicamentos para enfermedades huérfanas en Colombia

Ana María Herrera Eslava

Dirección de Regulación de Beneficios, Costos y Tarifas del Aseguramiento en Salud, Ministerio de Salud y Protección Social, Bogotá D. C., Colombia.

Correo electrónico: aherrerae@minsalud.gov.co

Recibido: 6 de julio de 2023

Revisado: 9 de octubre de 2023

Aceptado: 16 de octubre de 2023

RESUMEN

Introducción: Colombia se sitúa en una posición desfavorable y poco alentadora respecto a políticas públicas relacionadas con Medicamentos para Enfermedades Huérfanas (MEH), por tanto, la definición de un listado de MEH es un primer paso para generar un avance mejorando el contenido de los requisitos que una política pública de enfermedades huérfanas (EH) debe considerar. **Objetivo:** definir el listado de MEH en Colombia a partir de la revisión del listado de enfermedades huérfanas establecido por la Resolución 023 de 2023. **Metodología:** se realizó una revisión de la Resolución 023 de 2023, que permitió la relación de las indicaciones allí descritas con las indicaciones de las bases de datos de medicamentos del INVIMA. **Resultados:** se encontró tratamiento farmacológico para 338 (15,1%) sobre un total de 2236 EH. Respecto a los tratamientos farmacológicos, se evidencia que la mayoría están disponibles para las enfermedades endocrinas, nutricionales y metabólicas con un 37,6% sobre la oferta farmacéutica y respecto a la clasificación ATC la que se sitúa en primer lugar son los agentes antineoplásicos e inmunomoduladores. **Conclusiones:** se obtuvo el primer listado de medicamentos para enfermedades huérfanas para Colombia con su respectiva metodología de actualización, el cual será sometido a consulta pública para lograr una construcción colectiva.

Palabras clave: Medicamentos para enfermedades huérfanas, políticas públicas, enfermedades huérfanas, acceso, regulación.

SUMMARY

Proposal of list of drugs for orphan diseases for Colombia

Colombia is in an unfavorable and discouraging position regarding public policies related to drugs for orphan diseases, therefore, the definition of a list of medications for orphan diseases as a first step is necessary to generate progress by improving the content of the requirements related with public policy on orphan diseases. **Aim:** to define the list of drugs for orphan diseases in Colombia based on the review of the list of orphan diseases established by Resolution 023 of 2023. **Methodology:** A review of Resolution 023 of 2023 was conducted which allowed the relation of the indications described there with the indications of the INVIMA drug databases. **Results:** pharmacological treatment was found for 338 (15,1%) out of a total of 2236 Orphan Diseases. Regarding pharmacological treatment, it is evident that the majority of medications are available for endocrine, metabolic and nutritional diseases, with 37.6% of the pharmaceutical market and regarding the Anatomical Therapeutic Chemical Classification (ATC) the drugs that ranks first are antineoplastic and immunomodulatory agents. **Conclusions:** the first list of drugs for orphan diseases for Colombia was obtained with its respective updated methodology which will be submitted for public consultation to achieve collective construction.

Keywords: Drugs for orphan diseases, public policy, orphan diseases, access, regulation.

RESUMO

Proposta de lista de medicamentos para doenças órfãs na Colômbia

Introdução: A Colômbia encontra-se numa posição desfavorável e pouco inspiradora no que diz respeito às políticas públicas relacionadas com Medicamentos para Doenças Órfãs (MEH), portanto, a definição de uma lista de MEH é um primeiro passo para gerar progresso através da melhoria do conteúdo dos requisitos. Uma política pública sobre doenças órfãs (DH) deve ser considerada. **Objetivo:** definir a lista de MEH na Colômbia com base na revisão da lista de doenças órfãs estabelecida pela Resolução 023 de 2023. **Metodologia:** foi realizada uma revisão da Resolução 023 de 2023, que permitiu a relação das indicações ali descritas com as indicações das bases de dados de medicamentos INVIMA. **Resultados:** foi encontrado trata-

mento farmacológico para 338 (15,1%) de um total de 2.236 HE. Em relação aos tratamentos farmacológicos, fica evidente que a maioria está disponível para doenças endócrinas, nutricionais e metabólicas com 37,6% da oferta farmacêutica e com relação à classificação ATC, os que estão em primeiro lugar são os antineoplásicos e imunomoduladores. Conclusões: foi obtida a primeira lista de medicamentos para doenças órfãs para a Colômbia com sua respectiva metodologia de atualização, que será submetida a consulta pública para alcançar uma construção coletiva.

Palavras-chave: Medicamentos para doenças órfãs, políticas públicas, doenças órfãs, acesso, regulação.

INTRODUCCION

Las enfermedades huérfanas (EH) son patologías extremadamente raras que tienen una baja prevalencia. Su definición varía de un país a otro ya que, por ejemplo, en la Unión Europea se define como las enfermedades que afectan a menos de 5 personas por cada 10.000, en Estados Unidos menos de 5 personas por cada 200.000, en Japón menos de 5 personas por cada 50.000, en Taiwán menos de una por cada 10.000 y por último para Colombia se define como 1 por cada 5.000 personas [1].

Por su parte, un medicamento para una enfermedad huérfana (MEH) puede definirse como un producto medicinal destinado al manejo de una EH la cual no tiene métodos de diagnóstico, prevención y tratamiento claramente definidos [2]. Al igual que para las EH, existen diferentes definiciones para MEH, sin embargo, en Colombia no hay una definición concertada.

En cuanto a acceso y cobertura, a nivel mundial es posible dividir en dos estas variables en los diferentes países: a) aquellos que no tienen políticas públicas claramente establecidas o las tienen, pero son incipientes y b) aquellos que las tienen claramente definidas brindando un panorama claro para los pacientes con este tipo de patologías. Es importante reconocer que desde la expedición de la Ley 1392 de 2010 *“Por medio de la cual se reconocen las Enfermedades Huérfanas como de especial interés y se adoptan normas tendientes a garantizar la protección social por parte del Estado colombiano a la población que padece de Enfermedades Huérfanas y sus cuidadores”*, en Colombia se han generado avances sustanciales en cuanto a políticas de EH; sin embargo, en comparación con otros países es evidente que Colombia aún cuenta con oportunidades de mejora en la materia, y que las experiencias exitosas en otras latitudes, podrían guiar el desarrollo de dichas políticas públicas relacionadas con el tema.

Dentro de las políticas públicas para MEH, en la publicación realizada por Chan *et al.* [3] se analizan las dimensiones para medicamentos huérfanos en 194 países, en donde se ubica a Colombia en una posición desfavorable en la evaluación de dichas dimensiones al tener pocos avances en los temas de designación de medicamentos huérfanos, autorización de comercialización, e incentivos y pocos avances en la dimensión de requerimientos de seguridad y eficacia, regulación de precios de entrada e incentivos que fomenten la I&D.

A pesar de lo anterior, Colombia ha avanzado en los últimos 10 años en la definición de políticas públicas encaminadas a proteger los derechos de las personas que padecen EH. El primer avance específico fue la expedición de la Ley 1392 de 2010 *“Por medio de la cual se reconocen las Enfermedades Huérfanas como de especial interés y se adoptan normas tendientes a garantizar la protección social por parte del Estado colombiano a la población que padece de Enfermedades Huérfanas y sus cuidadores”* cuyo objeto es reconocer que las personas con EH merecen especial interés en salud, reconociendo la baja prevalencia en la población colombiana pero que por su elevado costo requieren un mecanismo de aseguramiento diferente al de las enfermedades generales y procesos de atención especializados [4].

Posteriormente se expide la Resolución 1438 de 2011 [5] *“Por medio de la cual se reforma el Sistema General de Seguridad Social en Salud y se dictan otras disposiciones”* la cual en su artículo 2 define las EH así:

Artículo 2°. Denominación de las enfermedades huérfanas. *Las enfermedades huérfanas son aquellas crónicamente debilitantes, graves, que amenazan la vida y con una prevalencia menor de 1 por cada 5.000 personas, comprenden, las enfermedades raras, las ultrahuérfanas y olvidadas. Las enfermedades olvidadas son propias de los países en desarrollo y afectan ordinariamente a la población más pobre y no cuentan con tratamientos*

Luego de la Resolución 1438 de 2011, se expide el Decreto 1954 de 2012 *“Por el cual se dictan disposiciones para implementar el sistema de información de pacientes con enfermedades huérfanas”* [6]. Seguido de este decreto se han expedido una serie de actos administrativos adicionales relacionados con los criterios técnicos de reporte que permiten tener un censo de los pacientes con EH, sin embargo, exceden el alcance de la presente revisión.

Teniendo en cuenta lo anterior, se entiende en el marco normativo del Sistema General de Salud que las personas con EH tienen especial protección por parte del Estado y no debe presentarse ningún tipo de restricción administrativa o económica.

A partir de lo anterior, se han expedido una serie de Resoluciones que definen el listado de EH, entre ellas la Resolución 5265 de 2018 *“Por la cual se actualiza el listado de enfermedades huérfanas y se dictan otras disposiciones”* [7] siendo la última la Resolución 023 de 2023 *“Por medio de la cual se actualiza el listado de enfermedades huérfanas – raras”* [8] en la cual se disponen en su Anexo Técnico 2236 EH con su respectivo nombre y CIE-10.

Es importante considerar que en Colombia no existe como tal un listado de MEH [9], sin embargo, existe el Listado de Medicamentos Vitales no disponibles -MVND- que se encuentran definidos por el Decreto 481 de 2004 como *“un medicamento indispensable e irremplazable para salvaguardar la vida o aliviar el sufrimiento de un paciente o un grupo de pacientes y que, por condiciones de baja rentabilidad en su comercialización, no se encuentra disponible en el país o las cantidades no son suficientes.”* [10] Toda la normatividad relacionada con los MVND está bajo la responsabilidad del Instituto Nacional de Vigilancia de Medicamentos y Alimentos – INVIMA, encontrando que la definición de MVND es la que más se aproxima a las reconocidas a nivel internacional *“aquellos que se utilizan para el tratamiento y diagnóstico de enfermedades de baja prevalencia o enfermedades huérfanas”* [11].

El listado de MVND podría considerarse entonces como una base de partida para la construcción del listado de MEH teniendo en cuenta su definición, sin embargo, no es posible afirmar que sea el listado oficial de MEH en Colombia. Así las cosas, se realizó una revisión del estado de los MH en Colombia mediante un estudio observacional descriptivo de tipo indicación - prescripción de corte transversal con recolección retrospectiva de información con el objetivo principal de proponer el primer listado de MEH para el territorio colombiano.

METODOLOGÍA

Esta investigación fue de carácter observacional descriptivo de tipo indicación - prescripción de corte transversal con recolección retrospectiva de datos para el año 2022. Se revisó el listado de EH establecido en la Resolución 023 de 2023 y su Anexo Técnico, para realizar la búsqueda por medio de la indicación allí descrita, en las bases de datos de medicamentos de INVIMA y el listado de medicamentos con Usos No Indicados en el Registro Sanitario - UNIRS (ultimo disponible), con el objetivo de identificar los Códigos Únicos de Medicamentos – CUMS con indicaciones aprobadas que incluyan la enfermedad huérfana en revisión considerando además variables como clasificación anatómico terapéutica química (ATC) por grupo relevante definidos como el conjunto de medicamentos pertenecientes a la misma clasificación ATC a nivel 5

(principio activo) e igual forma farmacéutica si tienen otras indicaciones diferentes a EH o son exclusivas, fuente de financiación (con recursos de la UPC) y si se encuentran sujetos a control directo de precios por parte de la Comisión Reguladora de Precios de Medicamentos y Dispositivos Médicos.

Es importante considerar que el listado de MVND no tiene descripción de indicación por lo que, para la revisión del mismo, se realizó una revisión de tipo indicación-prescripción en la cual se examinaron todas las actas del INVIMA que permitieron la inclusión de estos medicamentos al listado respecto a la indicación aprobada de uso y la norma farmacológica colombiana, para hacer la respectiva comparación con el listado de EH descrito en la Resolución 023 de 2023. Por otro lado, para el caso del listado de los medicamentos importados bajo la modalidad de MVND, se descargó la respectiva base de datos de la página de datos abiertos y se revisó si la indicación allí contenida corresponde a alguna incluida en el listado previamente descrito.

Finalmente, se realizó un análisis comparativo con el Informe de evento 362 “Enfermedades huérfanas – raras. Colombia, 2022 (hasta periodo epidemiológico XII)” con el objetivo de caracterizar el tratamiento farmacológico de las EH disponible en el territorio colombiano.

RESULTADOS Y DISCUSIÓN

La definición que a nivel internacional se ha aceptado para Medicamento Huérfano (MH) corresponde a *“aquellos que se utilizan para el tratamiento y diagnóstico de enfermedades de baja prevalencia o enfermedades huérfanas”* [11], por lo cual es posible adoptar para la presente investigación la definición de MEH o MH y **proponer para el territorio colombiano** como *“aquellos medicamentos que se utilizan para el tratamiento y diagnóstico de enfermedades huérfanas definidas por la Resolución 023 de 2023 o aquella que la modifique o sustituya”*.

La fuente oficial de información de Enfermedades Huérfanas en el país es el “Registro Nacional de Pacientes con Enfermedades Huérfanas” que agrupa todas las fuentes de información en el tema, incluido el Sistema de Vigilancia en Salud Pública -SIVI-GILA- y es administrado por el Ministerio de Salud y Protección Social [12].

El Instituto Nacional de Salud tiene dentro de los eventos de vigilancia de interés en salud pública el evento 342 “Enfermedades Huérfanas – Raras” el cual considera el listado de enfermedades huérfanas según la Resolución 5265 de 2018 actualizada por la Resolución 023 de 2023 “Por medio de la cual se actualiza el listado de enfermedades huérfanas - raras” en su Anexo Técnico, se encuentran 2236 enfermedades reconoci-

das como enfermedades huérfanas para el territorio colombiano. En el último informe del evento Colombia, 2022 (hasta periodo epidemiológico XII) reportan 13227 casos notificados al SIVIGILA desde el 2016 hasta el periodo epidemiológico XII de 2022 en donde las enfermedades del sistema nervioso son las EH más frecuentes en el territorio colombiano seguidas de malformaciones congénitas, deformidades y anomalías cromosómicas y enfermedades del sistema osteomuscular y del tejido conectivo centrandose en estas tres primeras categorías el 50,1% de la población colombiana con EH. En la revisión de los medicamentos con indicaciones para EH en Colombia, se encontró tratamiento farmacológico para 338 (15,1%) sobre un total de 2236 definidas por la Resolución 023 de 2023.

La mayoría de tratamientos farmacológicos están disponibles para las enfermedades endocrinas, nutricionales y metabólicas las cuales no son las más prevalentes en el territorio colombiano, por el contrario, se localizan en el sexto lugar en su orden según el informe del evento 342. Al revisar al interior de esta categoría, el medicamento que más tiene mayor disponibilidad de oferta comercial es la ATORVASTATINA-TABLETA O CAPSULA para Hiperlipoproteinemia no especificada, Hiperlipoproteinemia tipo 3 e Hipercolesterolemia familiar homocigota seguido de ESOMEPRAZOL-TABLETA O CAPSULA para Síndrome de Zollinger-Ellison. Con los anteriores resultados, se concluye que son las indicaciones de los medicamentos que se consideran como *‘huérfanas’*, ya que un principio activo con indicaciones de alta prevalencia como por ejemplo Atorvastatina y esomeprazol para dislipoproteinemias y reflujo gastroesofágico respectivamente pueden ser considerados como medicamentos para enfermedades huérfanas ya que según la autoridad competente también tienen indicación para EH [13].

Así mismo, se encuentran con mayor disponibilidad de tratamientos farmacológicos las enfermedades del sistema nervioso las cuales se ubican en primer lugar de prevalencia. Dentro de esta categoría se halla, en primer lugar, la TOXINA BOTULINICA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCION O SUSPENSION INYECTABLE para el tratamiento de todas las paraplejias espásticas seguido de MEMANTINA-TABLETA O CAPSULA para el tratamiento de enfermedad de Alzheimer autosómica dominante de aparición temprana.

Continuando con el análisis del último informe del evento 342 (hasta periodo epidemiológico XII), resultan las siguientes 21 enfermedades como las más prevalentes [14], para las cuales se analizó si se encontraba tratamiento farmacológico disponible o no así:

Tabla 1. Proporción de notificación de enfermedades huérfanas raras, Colombia, 2022 (hasta periodo epidemiológico XII)

| No. | Enfermedad Huérfana - Rara | Casos | % | Tratamiento Farmacológico* |
|-----|---|-------|-----|----------------------------|
| 1 | Reumatismo psoriásico | 891 | 6,7 | NO |
| 2 | Esclerosis sistémica cutánea limitada | 760 | 5,7 | NO |
| 3 | Síndrome de Guillain-Barre | 494 | 3,7 | SI |
| 4 | Esclerosis Múltiple | 489 | 3,7 | SI |
| 5 | Displasia broncopulmonar | 449 | 3,3 | SI |
| 6 | Drepanocitosis | 341 | 2,5 | NO |
| 7 | Esclerosis sistémica cutánea difusa | 288 | 2,1 | SI |
| 8 | Esclerosis lateral amiotrófica | 279 | 2,1 | SI |
| 9 | Enfermedad de Von Willebrand | 255 | 1,9 | SI |
| 10 | Fibrosis pulmonar idiopática | 248 | 1,8 | SI |
| 11 | Hipertensión arterial pulmonar idiopática | 239 | 1,8 | SI |
| 12 | Enfermedad de Devic | 219 | 1,6 | NO |
| 13 | Artritis juvenil idiopática de inicio sistémico | 217 | 1,6 | SI |
| 14 | Miastenia grave | 210 | 1,5 | SI |
| 15 | Dermatomiositis | 188 | 1,4 | NO |
| 16 | Enfermedad de Crohn | 188 | 1,4 | SI |
| 17 | Microtia | 174 | 1,3 | NO |
| 18 | Polimiositis | 172 | 1,3 | SI |
| 19 | Hepatitis crónica autoinmune | 169 | 1,2 | SI |
| 20 | Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica | 161 | 1,2 | SI |
| 21 | Déficit congénito del factor VIII | 159 | 1,2 | SI |

Fuente: Tomado de Instituto Nacional de Salud. Informe de evento 342. Enfermedades huérfanas – raras. Colombia, 2022 (hasta periodo epidemiológico XII) y *adaptación propia.

Para estas 21 enfermedades se encuentra tratamiento farmacológico para 15 de ellas lo que muestra que al analizar de forma individual y detallada cada una de las enfermedades, hay tratamiento farmacológico para el 71% de las EH más prevalentes en Colombia. En cuanto al reumatismo psoriásico, en la resolución 023 de 2023 ya no se encuentra definida como una EH para Colombia.

Cumpliendo con el objetivo de definir el listado de medicamentos para enfermedades huérfanas en Colombia a partir de la revisión del listado de EH establecido por la Resolución 023 de 2023, se encontraron 331 grupos relevantes (GR), así como los mercados relevantes regulados por la Comisión Nacional de Precios de Medicamentos y Dispositivos Médicos – CNPMDM [15 - 16]. Para el análisis de los medicamentos identificados, la clasificación ATC muestra que los agentes antineoplásicos e inmunomoduladores se encuentran en primer lugar de frecuencia, siendo el de mayor importancia el IMATINIB-TABLETA O CAPSULA para el tratamiento de la Mastocitosis, Mielodisplasia con hipogammaglobulinemia y síndrome del injerto contra huésped seguido de METOTREXATO-SOLUCION O SUSPENSION INYECTABLE para artritis juvenil idiopática de inicio sistémico, enfermedad de Crohn, esclerosis sistémica cutánea difusa, enfermedad de Behçet, micosis Fungoide y osteosarcoma. En este punto, es conveniente especificar que la designación de MEH en regiones como Europa y Norte América se realiza mediante la solicitud directa a las respectivas agencias reguladoras EMA (European Medicines Agency) y la FDA (U.S. Food & Drug Administration) respectivamente por parte de los Titulares de los Registros Sanitarios a los Grupos técnicos de enfermedades raras con el objetivo de obtener incentivos como protección de patentes, beneficios tributarios, obtención de registro sanitario de manera rápida (conocido como fast-track) [3, 17], entre otros, procedimiento que no está establecido en Colombia de esta manera por lo cual la definición de un primer listado de MEH es un avance en el marco de una política pública de EH. Por otro lado, al comparar a Colombia con países de ingresos similares en la región como por ejemplo Argentina, Brasil y Ecuador la situación es parecida respecto a políticas públicas para MEH, por lo que se espera que los resultados de esta investigación sean considerados a nivel regional, siguiendo a Chile como el único país que muestra políticas relacionadas claramente definidas en la región [3, 17].

Respecto a la financiación de los MEH en el Sistema General de Seguridad Social en Salud - SGSSS, puede estar dada en primer lugar con recursos de la UPC [18] la cual es una prima que mancomuna los riesgos derivados de las necesidades en salud de las personas utilizando instrumentos para inferir y reconocer un presupuesto de manera ex ante, en segundo lugar se presenta el reconocimiento del Presupuesto Máximo que busca gestionar el riesgo en salud de manera integral financiando aquellos servicios y tecnologías en salud que no son financiadas con cargo a la UPC y en tercer lugar se cuenta con otro componente a través del cual se financia el acceso a servicios y tecnologías que aún no hacen parte del aseguramiento, los cuales son financiados con recursos dispuestos por la Administradora de Recursos del Sistema General de Seguridad Social en Salud (ADRES). Teniendo en cuenta lo anterior, independientemente del mecanismo de financiación, el Estado colombiano garantiza a la población del territorio nacional el acceso a la totalidad de servicios y tecnologías de salud autorizados en el país.

Respecto al acceso a MEH, se muestran escenarios diferentes al realizar comparaciones entre los países en donde para la mayoría, el acceso es limitado por el alto costo de los mismos y por no contar con alternativas terapéuticas, lo que permite que se cree una demanda inelástica que propicia los altos precios en un mercado con competencia limitada o monopólica para la mayoría de ellos [17]. En general, los países con PIB altos son los que presentan un mejor acceso a los MEH considerando que como se mencionó anteriormente, ya tienen implementadas políticas públicas al respecto, además que la industria farmacéutica prefiere canalizar esfuerzos en el mercado de estos países considerando mejores escenarios de negociación en comparación con países con PIB bajos, haciendo que puedan negociar precios más altos debido a la disponibilidad a pagar, que luego servirá como referenciación de precios internacionales cuando presenten los MEH en otros países [19]. En otros casos, los MEH no están financiados por los sistemas de salud, generando problemas de acceso para los pacientes [17, 20] o, en el caso de estar financiados, el paciente debe asumir un porcentaje del valor del mismo (Canadá, Suiza, EEUU); sin embargo, y afortunadamente para otros gobiernos, el acceso a los MEH es visto como un derecho adquirido, que debe ser garantizado por los sistemas de seguridad social en salud [2], como es el caso de Colombia, que independientemente de la fuente de financiación o de su precio, los MEH están garantizados para las personas que los requieran.

Así las cosas, al realizar la respectiva clasificación de los GR se tiene que la mayoría (58%) de los MEH son financiados con recursos de la UPC lo que supone una mayor eficiencia en la gestión integral de los medicamentos para este tipo de enfermedades por parte de las EPS/EOC.

En lo relacionado con la regulación directa de precios en Colombia, la Circular 13 de 2022 *“Por la cual se establece el listado de los medicamentos sujetos al régimen de control directo de precios, se fija el precio máximo de venta y el precio por unidad de regulación de Medicamentos Vitales No Disponibles y se dictan otras disposiciones”* [16] permite establecer cuáles de los 331 GR identificados tienen un precio regulado (PRI) para lo cual la mayoría con el 55% no cuentan con un control de precios directo, lo que puede generar un cobro deliberado por parte de los titulares de los Registros Sanitarios. Sin embargo, en este punto es importante destacar que a pesar que la mayoría de estos medicamentos no cuentan con PRI, en el marco de la Resolución 1139 de 2022 se fijan los valores de referencia (VR) para el cálculo del Presupuesto Máximo considerándolos como un insumo fundamental para que los agentes de la cadena de formación de valor puedan acordar las condiciones de los esquemas de gestión y prestación de los servicios de salud. Al revisar dentro de los GR no financiados con recursos de la UPC (139), 105 (75,5%) tienen PRI o VR lo que indica que la mayoría de ellos están siendo monitoreados por parte del SGSSS.

Los medicamentos son bienes de consumo, sin embargo, desde el punto de vista económico poseen algunas particularidades que los hacen específicos. En general, la información relacionada con la toma de decisiones económicas alrededor de los medicamentos es asimétrica relacionada con la alta dispersión e inelasticidad de precios y el poco conocimiento de quienes los eligen, es decir quien los prescribe no los financian y quienes los consumen y financian no los prescriben [21].

Los MEH habitualmente son tecnologías en salud con reciente llegada al país, con patentes de uso vigentes y altos costos relacionados con su adquisición. Es por esto que para garantizar la sostenibilidad financiera del aseguramiento en Colombia y ante la llegada de nuevas e innovadoras tecnologías sanitarias al país, es imprescindible la generación de políticas públicas que optimicen el uso de los recursos públicos para su eficiente adquisición. Esta tendencia se inició en países europeos y miembros de la OECD ante la presencia de nuevas tecnologías en salud que hicieron necesario el uso de mecanismos innovadores para su adquisición, debido a su impacto financiero y a la incertidumbre sobre sus resultados. Por lo anterior, se debe adoptar y desarrollar un componente regulatorio normativo que permita su implementación y operación en el contexto del Sistema General de Seguridad Social en Salud –SGSSS–.

Un ejemplo de estos mecanismos innovadores son los acuerdos que se realizan entre el productor o comercializador de una tecnología en salud y el pagador o la autoridad regulatoria. Este tipo de arreglos son conocidos como Acuerdos de Acceso Administrado (AAA) y son herramientas que permiten a los afiliados al SGSSS acceder de manera más oportuna a tecnologías recientemente incorporadas en el mercado, y a los pagadores (públicos o privados) introducir mecanismos que permitan mitigar el riesgo financiero y propender por la sostenibilidad del sistema de salud. A causa de lo anterior, se revisó si los GR tienen dentro de sus indicaciones exclusivamente EH o si tienen otras indicación aparte de EH, para los cuales se encontró que 75 GR (29%) mostraron incluir dentro de sus indicaciones aprobadas solo EH, por lo que cobran especial atención considerando que todo el uso relacionado con los mismos refleja de forma exclusiva el contexto de tratamiento farmacológico sin sesgos por otras indicaciones. Teniendo en cuenta las variables previamente analizadas, respecto a la financiación, 60 GR (80,0%) no están financiados con recursos de la UPC y 54 GR (72,0) tienen regulación directa de precios. De lo anterior es posible concluir que se presenta una gran oportunidad de realizar AAA para estos 75 GR o centrar esfuerzos para diseñar mecanismos de financiación expeditos que no representen barreras de acceso a este tipo de tecnologías.

Las publicaciones relacionadas con EH en Colombia son escasas. En una publicación realizada por Pareja (2017) [22] se describe la situación de las EH para ese año y se

concluye que a pesar de la Ley 1392 de 2010 y demás actos administrativos posteriores vigentes, aún falta la definición de modelos y rutas integrales de atención en salud para los pacientes con EH, considerando falencias tanto en el talento humano especializado que atiende este tipo de población, deficiencias en las IPS especializadas, escaso diagnóstico, seguimiento y dificultades en el acceso de los tratamientos farmacológicos y no farmacológicos para tal fin. Por otro lado, en una publicación realizada por Olivares, Vargas y López (2022) se realiza un análisis comparativo de la normatividad colombiana de medicamentos vitales no disponibles con la regulación de otros países concluyendo que para el caso de países latinoamericanos la regulación se ha centrado en los procedimientos que faciliten la importación de este tipo de medicamentos. Se observan para estos mismos países falencias en el sistema como falta de seguimiento a los resultados de los tratamientos, conocimiento por parte del paciente y responsabilidad por parte del médico prescriptor [11].

Finalmente, teniendo en cuenta lo anterior, es posible concluir que el resultado de este trabajo permite avanzar hacia la construcción de una política pública para EH considerando que: 1) se propuso una definición de MEH y 2) fue posible definir el listado de medicamentos para enfermedades huérfanas en Colombia y su metodología de actualización. Para esta última, se propone que se mantenga en constante estudio por parte del Ministerio de Salud y Protección Social mediante el proceso de revisión de las bases de datos de medicamentos relacionadas en la metodología y que sea sometido a consulta pública que permita la construcción colectiva y de este modo asemejarse a la metodología de construcción de agencias reguladoras como EMA y FDA.

AGRADECIMIENTOS

A los Químicos Farmacéuticos de Dirección de Regulación de Beneficios, Costos y Tarifas del Aseguramiento en Salud y al Ministerio de Salud y Protección Social por haberme permitido realizar esta investigación.

CONFLICTO DE INTERÉS

Los autores declaran no presentar ningún conflicto de interés

REFERENCIAS

1. M. Gombocz, S. Vogler, Public spending on orphan medicines: a review of the literature, *Journal of Pharmaceutical Policy and Practice*, **13**, 66 (2020).
2. A. Côté, B. Keating, What is wrong with orphan drug policies? *International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR)*, **15**, 1185-1191 (2012).
3. A.Y.L. Chan, V.K.Y. Chan, S. Olsson, M. Fan, M. Jit, M. Gong, *et al.*, Access and unmet needs of orphan drugs in 194 countries and 6 areas: A global policy review with content analysis, *Value in Health*, **23**(12), 1580-1591 (2020).
4. Ministerio de Salud y Protección Social, Ley 1392 de 2010 “por medio de la cual se reconocen las enfermedades huérfanas como de especial interés y se adoptan normas tendientes a garantizar la protección social por parte del estado colombiano a la población que padece de enfermedades huérfanas y sus cuidadores”, Bogotá D. C., Colombia. URL <https://www.minsalud.gov.co/sites/rid/Lists/BibliotecaDigital/RIDE/DE/DIJ/ley-1392-de-2010.pdf>, consultado en noviembre de 2022.
5. República de Colombia, Ministerio de Salud y Protección Social, Ley 1438 de 2011 “por la cual se reforma el sistema de Seguridad Social en Salud y se dictan otras disposiciones”, Bogotá D. C., Colombia. URL: https://www.minsalud.gov.co/Normatividad_Nuevo/LEY%201438%20DE%202011.pdf, consultado en enero de 2023.
6. República de Colombia, Ministerio de Salud y Protección Social, Decreto 1954 de 2012 “por el cual se dictan disposiciones para implementar el sistema de información de pacientes con enfermedades huérfanas”, Bogotá D. C., Colombia. URL: <https://www.minsalud.gov.co/sites/rid/Lists/BibliotecaDigital/RIDE/DE/DIJ/Decreto-1954-de-2012.PDF>, consultado en noviembre de 2022.
7. República de Colombia, Ministerio de Salud y Protección Social. Resolución 5265 de 2018 “por la cual se actualiza el listado de enfermedades huérfanas y se dictan otras disposiciones”, Bogotá D. C., Colombia. URL: <https://www.minsalud.gov.co/sites/rid/Lists/BibliotecaDigital/RIDE/DE/DIJ/resolucion-5265-de-2018.pdf>, consultado en noviembre de 2022.

8. República de Colombia, Ministerio de Salud y Protección Social. Resolución 023 de 2023 “por medio de la cual se actualiza el listado de enfermedades huérfanas – raras”, Bogotá D. C., Colombia. URL: https://www.minsalud.gov.co/Normatividad_Nuevo/Resoluci%C3%B3n%20No.%20023%20de%202023.pdf, consultado en febrero de 2023.
9. L. Olivares, C. Vargas, J. López, Análisis comparativo de la regulación de los medicamentos huérfanos y los medicamentos vitales no disponibles en Colombia, en: M. Uribe-Arbeláez (editor), *Investigaciones de la Maestría en Biociencias y Derecho*, Universidad Nacional de Colombia, Bogotá, 2021, pp. 19-52.
10. República de Colombia, Ministerio de Salud y Protección Social, Decreto 481 de 2004 “por el cual se dictan normas tendientes a incentivar la oferta de medicamentos vitales no disponibles en el país”, Bogotá D. C., Colombia. URL: https://www.invima.gov.co/documents/20143/453029/decreto_481_2004.pdf/003ec005-0b1f-c8fb-addb-aac2c5fba617?t=1541014936274, consultado en noviembre de 2022.
11. L.A. Olivares-Escobar, *Medicamentos Vitales no Disponibles: Análisis de la Regulación Nacional e Internacional y Caracterización de las Solicitudes de Importación, acorde al Decreto 481 de 2004, radicadas en el Instituto Nacional de Vigilancia de Medicamentos y Alimentos-INVIMA, en los años 2016 y 2017*, Tesis de Maestría, Facultad de Derecho, Ciencias Políticas y Sociales, Universidad Nacional de Colombia, Bogotá D.C., Colombia, 2019.
12. República de Colombia, Instituto Nacional de Salud, *Protocolo de Vigilancia en Salud Pública: Enfermedades Huérfanas – Raras, Código 342*, Bogotá D. C., Colombia. URL: http://www.saludcapital.gov.co/CTDLab/Publicaciones/2021/Protocolo_VSP-Enfermedades_huerfanas.pdf, consultado en noviembre de 2022.
13. J. Garjón-Parra, Medicamentos huérfanos: regulación y controversias, *Boletín de Información Farmacoterapéutica de Navarra*, 23(1), 1-13 (2015). URL: https://www.navarra.es/NR/rdonlyres/031845D7-9D51-43BD-9F49-DDCF8F92DD7D/325783/Bit_v23n1.pdf, consultado en febrero de 2023.
14. República de Colombia, Instituto Nacional de Salud, *Informe de evento 342: Enfermedades Huérfanas-Raras Colombia, 2022* (hasta periodo epidemiológico XII), Bogotá D. C., Colombia. URL: <https://www.ins.gov.co/buscador-eventos/Paginas/Info-Evento.aspx>, consultado en febrero 2023.

15. República de Colombia, Ministerio de Salud y Protección Social, Resolución 1139 de 2022 “Por la cual se establecen disposiciones en relación con el presupuesto máximo para la gestión y financiación de los servicios y tecnologías en salud no financiados con recursos de la Unidad de Pago por Capitación -UPC y no excluidos de la financiación con recursos del Sistema General de Seguridad Social en Salud –SGSSS”, Bogotá D. C., Colombia. URL: https://www.minsalud.gov.co/Normatividad_Nuevo/Resoluci%C3%B3n%20No.1139%20de%202022.pdf, consultado en noviembre de 2022.
16. República de Colombia, Ministerio de Salud y Protección Social, Comisión Nacional de Precios de Medicamentos y Dispositivos Médicos, Circular 13 de 2022 “Por la cual se establece el listado de los medicamentos sujetos al régimen de control directo de precios, se fija el precio máximo de venta y el precio por unidad de regulación de medicamentos vitales no disponibles y se dictan otras disposiciones”, Bogotá D. C., Colombia. URL: <https://www.minsalud.gov.co/sites/rid/Lists/BibliotecaDigital/RIDE/DE/DIJ/cnpmdm-circular-13-de-2022.pdf>, consultado en noviembre de 2022.
17. R. Rodriguez-Monguio, T. Spargo, E. Seoane-Vazquez, Ethical imperatives of timely access to orphan drugs: is possible to reconcile economic incentives and patients’ health needs? *Orphanet Journal of Rare Diseases*, **12**(1), 1 (2017).
18. República de Colombia, Dirección de Regulación de Beneficios, *Costos y Tarifas del Aseguramiento en Salud, Informe de la actualización de los servicios y tecnologías de salud financiados con recursos de la (UPC) año 2022*, Bogotá D. C., Colombia. URL: <https://www.minsalud.gov.co/salud/POS/Paginas/resultados-pos.aspx>, consultado en marzo de 2023.
19. I. Degtiar, A review of international coverage and pricing strategies for personalized medicine and orphan drugs, *Health Policy*, **121**, 1240-1248 (2017)
20. T. Gammie, C.Y. Lu, Z.U. Babar, Access to orphan drugs: A comprehensive review of legislations, regulations and policies in 35 countries, *PLoS One*, **10**(10), e0140002 (2015).
21. F. Tobar, Economía de los medicamentos genéricos en América Latina, *Revista Panamericana de Salud Pública*, **23**, 59-67 (2008).
22. M.L. Pareja-Arcila, Situación actual de las enfermedades huérfanas en Colombia 2017, *Revista CES Derecho*, **8**(2), 231-241 (2017).

ANEXO

Tabla A1. Propuesta de listado de medicamentos para EH en Colombia y su clasificación si tiene otras indicaciones diferentes a EH

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|----|---|--|
| 1 | ACETIL SALICILICO ACIDO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 2 | ACETIL SALICILICO ACIDO-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 3 | ÁCIDO ALENDRONICO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 4 | ÁCIDO CARGLUMICO-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 5 | ÁCIDO COLICO-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 6 | ÁCIDO FÓLICO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 7 | ÁCIDO IBANDRONICO-SOLUCION O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 8 | ÁCIDO IBANDRONICO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 9 | ÁCIDO QUENODESOXICÓLICO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 10 | ÁCIDO RISEDRONICO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 11 | ÁCIDO TRANEXAMICO-SOLUCION O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 12 | ÁCIDO TRANEXAMICO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 13 | ÁCIDO URSODEOXICOLICO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 14 | ÁCIDO ZOLEDRONICO-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 15 | ACITRETINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 16 | ADALIMUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 17 | AGALSIDASA ALFA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 18 | AGALSIDASA BETA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 19 | ALEMTUZUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|----|---|--|
| 20 | ALFA 1 ANTITRIPSINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 21 | ALGLUCOSIDASA ALFA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 22 | ALOPURINOL-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 23 | AMBRISANTAN-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 24 | ANAGRELIDA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 25 | ANAGRELIDA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 26 | ANAKINRA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 27 | ANFOTERICINA B-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 28 | ANFOTERICINA B-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 29 | ARGININA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 30 | ARGININA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 31 | ARMODAFINILO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 32 | ASFOTASA ALFA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 33 | ATALUREN-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 34 | ATORVASTATINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 35 | ATORVASTATINA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 36 | AZACITIDINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 37 | AZATIOPRINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 38 | BACLOFENO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 39 | BACLOFENO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|----|---|--|
| 40 | BETAINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | NO |
| 41 | BETAMETASONA DIPROPIONATO+BETAMETASONA FOSFATO- SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 42 | BETAMETASONA FOSFATO+BETAMETASONA ACETATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 43 | BETAMETASONA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 44 | BETANECOL-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 45 | BEXAROTENO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 46 | BICARBONATO DE SODIO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 47 | BOSENTAN-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 48 | BOSENTAN-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 49 | BRIVARACETAM-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 50 | BRIVARACETAM-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 51 | BRIVARACETAM-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 52 | BROMOCRIPTINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 53 | BUDESONIDA-EMULSION RECTAL | SÍ |
| 54 | BUDESONIDA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 55 | BUROSUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 56 | CABOZANTINIB-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 57 | CALCITRIOL-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 58 | CANAKINUMAB-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 59 | CANNABIDIOL-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | NO |
| 60 | CANNABIDIOL-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 61 | CAPECITABINA-TABLETA O CÁPSULA O TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|----|--|--|
| 62 | CAPLACIZUMAB-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 63 | CARBONATO DE CALCIO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 64 | CARBONATO DE CALCIO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 65 | CASIMERSEN-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 66 | CERLIPONASA ALFA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE / SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 67 | CERTOLIZUMAB PEGOL-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 68 | CIANOCOBALAMINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 69 | CICLOFOSFAMIDA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 70 | CICLOFOSFAMIDA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 71 | CIPROFIBRATO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 72 | CISPLATINO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 73 | CISTEAMINA-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 74 | CLADRIBINA-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 75 | CLOBAZAM-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 76 | CLONAZEPAM-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 77 | CLONAZEPAM-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 78 | CLORAMBUCILO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 79 | CLORMETINA-CREMAS O GELES O UNGUENTOS O POMADAS O PASTAS O JALEAS | SÍ |
| 80 | COLCHICINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 81 | CONESTAT ALFA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 82 | CONESTAT ALFA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 83 | CREATINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 84 | CREATINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|---|--|
| 85 | DAPSONA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 86 | DEFERASIROX-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 87 | DEFEROXAMINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 88 | DEFLAZACORT-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 89 | DESMOPRESINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 90 | DESMOPRESINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN PARA INHALACION | SÍ |
| 91 | DESMOPRESINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN SUBLINGUAL | SÍ |
| 92 | DESMOPRESINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 93 | DEXAMETASONA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 94 | DEXAMETASONA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 95 | DEXTROSA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 96 | DEXTROSA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 97 | DIAZOXIDO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 98 | DIMETILFUMARATO-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 99 | DONEPEZILO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 100 | DORNASA ALFA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN PARA INHALACION | NO |
| 101 | DOXORUBICINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE/ SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 102 | DOXORUBICINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 103 | ECALANTIDA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 104 | ECULIZUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 105 | EDARAVONA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|---|--|
| 106 | EDROFONIO CLORURO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 107 | ELEXACAFOR/TEZACAFOR/IVACAFOR-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 108 | ELIGLUSTAT-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 109 | ELOSULFASA ALFA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 110 | EMICIZUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 111 | EPOPROSTENOL-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 112 | ESOMEPRAZOL-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 113 | ESOMEPRAZOL-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 114 | ESOMEPRAZOL-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 115 | ETANERCEPT-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 116 | ETEPLIRSEN-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 117 | EVEROLIMUS-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 118 | EVEROLIMUS-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 119 | EVOLOCUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 120 | EZETIMIBA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 121 | FACTOR DE COAGULACION HUMANO XI-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 122 | FACTOR II DE COAGULACION+FACTOR VII DE COAGULACION+FACTOR IX DE COAGULACION+FACTOR X DE COAGULACION+PROTEINA C+PROTEINA S+HEPARINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|---|--|
| 123 | FACTOR IX DE COAGULACIÓN PROTEINA DE FUSION FC [RFXFC]-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 124 | FACTOR IX DE LA COAGULACION-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 125 | FACTOR VII DE LA COAGULACION ACTIVADO-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 126 | FACTOR VII DE LA COAGULACION-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 127 | FACTOR VIII DE LA COAGULACION PEGILADO-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 128 | FACTOR VIII DE LA COAGULACION+FACTOR DE VON WILLEBRAND-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 129 | FACTOR VIII DE LA COAGULACION+FACTOR DE VON WILLEBRAND-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 130 | FACTOR VIII DE LA COAGULACION+FACTOR DE VON WILLEBRAND-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 131 | FACTOR VIII DE LA COAGULACION-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 132 | FACTOR VIII INHIBIDOR ACTIVADO POR BYPASS-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 133 | FACTOR VON WILLEBRAND-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 134 | FACTOR XIII-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 135 | FAMOTIDINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|---|--|
| 136 | FAMPRIDINA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | NO |
| 137 | FEBUXOSTAT-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 138 | FELBAMATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 139 | FELBAMATO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 140 | FENILACETATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 141 | FENILBUTIRATO DE GLICEROL-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 142 | FENILBUTIRATO DE SODIO-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | NO |
| 143 | FENOFIBRATO DE COLINA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 144 | FENOFIBRATO DE COLINA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 145 | FENOFIBRATO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 146 | FIBRINOGENO COAGULABLE-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 147 | FIBRINOGENO HUMANO-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 148 | FILGRASTIM-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 149 | FINGOLIMOD-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 150 | FLECAINIDA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 151 | FLUDARABINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 152 | FLUDROCORTISONA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 153 | FOLITROPINA ALFA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 154 | FOLITROPINA BETA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 155 | FOSFATO DE SODIO Y POTASIO EQUIVALENTES A FOSFORO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|--|--|
| 156 | GALANTAMINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 157 | GALANTAMINA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 158 | GALSULFASA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 159 | GEMCITABINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 160 | GIVOSIRAN-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 161 | GLATIRAMERO ACETATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 162 | GLUCAGON-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 163 | GOLIMUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 164 | GOLODIRSEN-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 165 | GONADORELINA ACETATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 166 | GONADOTROPINA CORIONICA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 167 | GONADOTROPINA MENOPAUSICA HUMANA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 168 | HEMINA HUMANA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE/ SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 169 | HIDROCORTISONA (ACEPONATO)-CREMAS O GELES O UNGUENTOS O POMADAS O PASTAS O JALEAS | SÍ |
| 170 | HIDROCORTISONA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 171 | HIERRO BISGLICINA QUELATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|---|--|
| 172 | HIERRO GLICINATO QUELATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 173 | HIERRO POLIMALTOSADO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 174 | HORMONA LIBERADORA DE CORTICOTROPINA (CRH) -POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 175 | IBRUTINIB-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 176 | ICATIBANTO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 177 | IDEBENONA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 178 | IDURSULFASA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 179 | IFOSFAMIDA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 180 | IMATINIB-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 181 | IMIGLUCERASA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 182 | INFLIXIMAB-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 183 | INHIBIDOR C1 ESTERASA -POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 184 | INHIBIDOR C1 ESTERASA -POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 185 | INMUNOGLOBULINA HUMANA G-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 186 | INMUNOGLOBULINA HUMANA G-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE/POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE/ | SÍ |
| 187 | INMUNOGLOBULINA HUMANA NORMAL-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|--|--|
| 188 | INMUNOGLOBULINA HUMANA NORMAL-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 189 | INMUNOGLOBULINA HUMANA NORMAL-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 190 | INMUNOGLOBULINA HUMANA NORMAL-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 191 | INOTERSEN-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 192 | INTERFERON ALFA 2 BETA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 193 | INTERFERON BETA-1A PEGILADO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 194 | INTERFERON BETA-1A-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 195 | INTERFERON BETA-1A-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 196 | INTERFERON BETA-1B-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 197 | INTERFERON GAMMA-1B-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 198 | IVACAFTOR + LUMACAFTOR-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 199 | IVACAFTOR + TEZACAFTOR-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 200 | IVACAFTOR-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 201 | LAMOTRIGINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 202 | LANADELUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 203 | LANREOTIDA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 204 | LANSOPRAZOL-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 205 | LANSOPRAZOL-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|---|--|
| 206 | LARONIDASA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 207 | LEFLUNOMIDA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 208 | LENALIDOMIDA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 209 | LEVOCARNITINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | NO |
| 210 | LEVOCARNITINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 211 | LEVODOPA+CARBIDOPA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 212 | LOMITAPIDA-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 213 | MACITENTAN-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 214 | MECASERMINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 215 | MEMANTINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 216 | MEMANTINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 217 | MERCAPTAMINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN OFTÁLMICA | NO |
| 218 | MESALAZINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 219 | METILFENIDATO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 220 | METIRAPONA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 221 | METOTREXATO-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 222 | METOTREXATO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 223 | METRELEPTIN-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 224 | MICOFENOLATO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 225 | MIFAMURTIDA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 226 | MIGALASTAT-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 227 | MIGLUSTAT-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 228 | MODAFINILO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 229 | MULTIENZIMAS (AMILASA, LIPASA, PROTEASA)-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|--|--|
| 230 | NADOLOL-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 231 | NATALIZUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 232 | NEOSTIGMINA METILSULFATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 233 | NIFEDIPINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 234 | NINTEDANIB-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 235 | NITISINONA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 236 | NITISINONA-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 237 | NUSINERSEN-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 238 | OCRELIZUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 239 | OCTREOTIDE-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE O SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 240 | OFATUMUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 241 | OMEPRAZOL-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 242 | OMEPRAZOL-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 243 | OMEPRAZOL-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 244 | ORNITINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 245 | OSILODROSTAT-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 246 | PALIVIZUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 247 | PANTOPRAZOL-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 248 | PASIREOTIDA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE/ SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 249 | PEGVISOMANT-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|---|--|
| 250 | PENICILAMINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 251 | PIRFENIDONA-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 252 | PIRIDOSTIGMINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 253 | PIRIDOXINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 254 | PLASMA HUMANO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 255 | POCAPAVIR-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 256 | PREDNISOLONA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 257 | PROPRANOLOL-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 258 | QUINIDINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 259 | RABEPRAZOL-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 260 | RANITIDINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 261 | RANITIDINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 262 | REGORAFENIB-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 263 | RETINOL (VIT A)-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 264 | RIBOFLAVINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 265 | RIBOFLAVINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 266 | RILUZOL-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 267 | RIOCIGUAT-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 268 | RITUXIMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 269 | RIVASTIGMINA-PARCHE | SÍ |
| 270 | RIVASTIGMINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 271 | ROMIDEPSIN-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 272 | ROSUVASTATINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 273 | ROSUVASTATINA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 274 | RUFINAMIDA-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 275 | SAPROPTERINA-TABLETA O CÁPSULA | NO |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|--|--|
| 276 | SEBELIPASA ALFA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 277 | SELEXIPAG-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 278 | SILDENAFILO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 279 | SILDENAFILO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 280 | SILDENAFILO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 281 | SIMVASTATINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 282 | SIPONIMOD-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 283 | SIROLIMUS-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 284 | SODIO BENZOATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 285 | SODIO BENZOATO-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 286 | SOMATROPINA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 287 | SOMATROPINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 288 | SUCCIMERO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 289 | SULFASALAZINA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 290 | SULFATO DE MAGNESIO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 291 | SULFATO DE MAGNESIO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 292 | SUNITINIB-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 293 | TACROLIMUS-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 294 | TACROLIMUS-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 295 | TACROLIMUS-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 296 | TADALAFILO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 297 | TAFAMIDIS-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 298 | TALIDOMIDA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|---|--|
| 299 | TALIGLUCERASA ALFA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 300 | TEDUGLUTIDA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 301 | TEMOZOLOMIDA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 302 | TEMOZOLOMIDA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 303 | TERIFLUNOMIDA-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 304 | TESTOSTERONA-CREMAS O GELES O UNGUENTOS O POMADAS O PASTAS O JALEAS | SÍ |
| 305 | TESTOSTERONA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 306 | TESTOSTERONA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 307 | TESTOSTERONA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 308 | TETRABENAZINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 309 | TETRACOSACTIDA ACETATO O HEXAACETATO-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 310 | TIAMINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 311 | TIAMINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 312 | TINIDAZOL-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 313 | TINIDAZOL-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 314 | TIOTEPA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 315 | TIZANIDINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 316 | TIZANIDINA-TABLETA O CÁPSULA DE LIBERACIÓN MODIFICADA | SÍ |
| 317 | TOCILIZUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 318 | TOLVAPTAN-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 319 | TOPIRAMATO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 320 | TOXINA BOTULINICA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |

| GR | Descripción | Tiene otras indicaciones diferentes a EH |
|-----|---|--|
| 321 | TOXINA BOTULINICA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 322 | TREOSULFANO-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 323 | TRIENTINA CLORHIDRATO-TABLETA O CÁPSULA | NO |
| 324 | TRIHEXIFENIDILO-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |
| 325 | UBIDECARENONA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN ORAL | SÍ |
| 326 | USTEKINUMAB-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 327 | VASOPRESINA-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 328 | VEDOLIZUMAB-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 329 | VELAGLUCERASA ALFA-POLVO PARA RECONSTITUIR A SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | NO |
| 330 | VOLANESORSEN-SOLUCIÓN O SUSPENSIÓN INYECTABLE | SÍ |
| 331 | WARFARINA-TABLETA O CÁPSULA | SÍ |

Fuente: Elaboración propia

COMO CITAR ESTE ARTÍCULO

A.M. Herrera-Eslava, Propuesta del listado de medicamentos para enfermedades huérfanas en Colombia, *Rev. Colomb. Cienc. Quim. Farm.*, **52**(3), 1334-1365 (2023).
<https://doi.org/10.15446/rcciquifa.v52n3.109960>