

EL RÉGIMEN JURÍDICO DEL USO COMPASIVO Y DEL USO ALTERNATIVO DE MEDICAMENTOS

MARÍA DEL CARMEN NÚÑEZ LOZANO
Profesora Titular de Derecho Administrativo
Universidad de Huelva

I. INTRODUCCIÓN.—II. EL MARCO NORMATIVO DEL USO COMPASIVO DE MEDICAMENTOS HASTA 2009: 1. *El ámbito del uso compasivo*. 2. *Notas características del régimen de uso compasivo*. 3. *La situación de anomia provocada por la derogación en 2007 de los artículos 28 y 29 del RD 223/2004*.—III. PRINCIPALES NOVEDADES QUE INCORPORA EL REAL DECRETO 1015/2009 EN LA REGULACIÓN DEL USO COMPASIVO Y DEL USO ALTERNATIVO DE MEDICAMENTOS.—IV. ELEMENTOS COMUNES DEL RÉGIMEN JURÍDICO DEL USO COMPASIVO Y DEL USO ALTERNATIVO.—V. EL USO COMPASIVO DE MEDICAMENTOS: 1. *Elementos comunes*. 2. *La autorización de acceso individualizado*. 3. *Las autorizaciones temporales de utilización*.—VI. EL USO ALTERNATIVO DE MEDICAMENTOS.—VII. VALORACIÓN CRÍTICA.

RESUMEN

El Real Decreto 1015/2009, que regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales, incorpora una nueva regulación sobre el uso compasivo y el uso alternativo de medicamentos, dos tipos especiales de prescripción y administración de medicamentos: en el primer caso, los medicamentos en investigación se administran a pacientes aislados al margen de un ensayo clínico; en el segundo, los medicamentos se prescriben en condiciones distintas de las autorizadas. El Real Decreto incorpora novedades sustanciales en el régimen de estas figuras, especialmente en lo que concierne a la intervención administrativa, para ofrecer respuesta a los problemas que tanto la regulación anteriormente vigente como la práctica han venido poniendo de manifiesto. Este artículo analiza la nueva normativa y ofrece una valoración crítica del Real Decreto.

Palabras clave: uso compasivo de medicamentos; uso alternativo de medicamentos; sanidad.

ABSTRACT

The Royal Decree 1015/2009 about Availability of Medicinal Products in Specific Situations, introduces a new regulation relating both to the compassionate use and to the «off label» use of medicinal products, two of the special types of drugs' prescription and application: in the first case, drugs undergoing clinical research are given to individual patients outside a clinical trial; in the second one, pharmaceutical specialties are employed for diseases or conditions of use distinct from those authorized. The Royal Decree incorporates substantial innovations in the regime of these figures, especially regarding the administrative intervention, with the intention of giving response to the problems that the previous regulation and practice were raising. This article studies the new regulation and offers a critical evaluation of the Royal Decree.

Key words: compassionate use of medicines; off label use of medicines; health.

I. INTRODUCCIÓN

El artículo 2.1 del RD 1015/2009, de 19 de junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales, define el uso compasivo de medicamentos en investigación como la «utilización de un medicamento antes de su autorización en España en pacientes que padecen una enfermedad crónica o gravemente debilitante o que se considera pone en peligro su vida y que no pueden ser tratados satisfactoriamente con un medicamento autorizado»; añade, como elemento de la definición, que «el medicamento de que se trate deberá estar sujeto a una solicitud de autorización de comercialización, o bien deberá estar siendo sometido a ensayos clínicos». El mismo artículo 2, en su apartado segundo, caracteriza el uso de medicamentos en condiciones diferentes de las autorizadas como «el uso de medicamentos en condiciones distintas de las incluidas en la ficha técnica autorizada».

Ambas figuras, bien que con un régimen jurídico diferente al actual, han conformado hasta la entrada en vigor del RD citado¹ el tipo del uso compasivo de medicamentos. La nueva ordenación, inaugurada en 2009, diferencia uno y otro supuesto, de manera que aun cuando presentan algunos elementos comunes, cada uno de ellos cuenta con una regulación propia. El RD, por otra parte, introduce novedades de gran calado en ambas modalidades de uso de medicamentos².

La finalidad de este estudio es la de dar cuenta y valorar las modificaciones llevadas a cabo por el RD de referencia. Para ello expondré en primer término el régimen jurídico anterior de las figuras que nos ocupan; seguidamente destacaré las principales novedades que incorpora el RD y los aspectos comunes de ambas modalidades de uso; a continuación analizaré el régimen jurídico del uso compasivo y del uso alternativo de medicamento para, finalmente, ofrecer una valoración global a modo de conclusiones.

II. EL MARCO NORMATIVO DEL USO COMPASIVO DE MEDICAMENTOS HASTA 2009

1. *El ámbito del uso compasivo*

La Ley 25/1990, de 20 de diciembre, del Medicamento, derogada por la vigente Ley 29/2006, de 26 de julio, de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos Sanitarios, contempló el uso compasivo de medica-

¹ Para ser más exactos, hasta el RD 1345/2007, de 11 de octubre, por el que se regula el procedimiento de autorización, registro y condiciones de dispensación de los medicamentos de uso humano fabricados industrialmente. La disposición derogatoria de este RD derogó los artículos 28 y 29 del RD 223/2004, que regulaban el uso compasivo de medicamentos, dando lugar a una situación transitoria de anomía.

² El RD 1015/2009 regula también el uso de medicamentos no autorizados en España. En este estudio soslayaré su análisis por elementales razones de espacio.

mentos, sin darle esta denominación, en el artículo 38.5. En la redacción original establecía que:

«Excepcionalmente, el Ministerio de Sanidad y Consumo podrá conceder autorización, con las condiciones que en ella se expresen, para la prescripción y la aplicación de productos en fase de investigación clínica³ a pacientes no incluidos en un ensayo clínico, cuando el médico, bajo su exclusiva responsabilidad y con el consentimiento expreso del paciente, considere indispensable tratarles con ellos y justifique ante la autoridad sanitaria los motivos por los que decide el tratamiento».

Tan escueto precepto fue desarrollado por los artículos 23 y 34 del RD 561/1993, de 16 de abril, por el que se establecieron los requisitos para la realización de ensayos clínicos con medicamentos y que estuvo vigente hasta la entrada en vigor del RD 223/2004, de 6 de febrero, por el que se regulan los ensayos clínicos con medicamentos. El artículo 23 del RD de 1993 dispuso que:

«1. Se entiende como uso compasivo la utilización, en pacientes aislados y al margen de un ensayo clínico, de productos en fase de investigación clínica, o también la utilización de especialidades farmacéuticas para indicaciones o condiciones de uso distintas de las autorizadas, cuando el médico, bajo su exclusiva responsabilidad, considera indispensable su utilización. 2. Para utilizar un medicamento bajo las condiciones de uso compasivo se requerirá el consentimiento informado por escrito del paciente o de su representante legal, un informe clínico en el que el médico justifique la necesidad de dicho tratamiento, la conformidad del Director del centro donde se vaya a aplicar el tratamiento y la autorización de la Dirección General de Farmacia y Productos Sanitarios para cada caso concreto. 3. El médico responsable comunicará a la Dirección General de Farmacia y Productos Sanitarios los resultados del tratamiento, así como los acontecimientos adversos que puedan ser debidos al mismo, sin perjuicio de la comunicación de reacciones adversas a las Comunidades Autónomas».

El artículo 34, por su parte, precisó que

«toda continuación de la administración de los productos en ensayo clínico una vez finalizado éste, mientras no esté auto-

³ El producto en fase de investigación clínica era «aquel que se destina únicamente a ser utilizado por expertos calificados por su formación científica y experiencia para la investigación en personas o en animales sobre su seguridad y eficacia» (art. 8.11). Según el artículo 6.2, estos productos tenían el tratamiento legal de medicamentos si era autorizado su empleo en ensayos clínicos o para investigación en animales.

rizado el medicamento para esas condiciones de uso, se registrará por las normas establecidas para el uso compasivo en el artículo 23 de este Real Decreto».

Más adelante, la Ley 53/2002, de 30 de diciembre, sustituyó en el artículo 38.5 la expresión «productos en fase de investigación clínica» por la de «medicamentos en investigación», entendiéndose por tal la

«forma farmacéutica de una sustancia activa o placebo, que se investiga o se utiliza como referencia en un ensayo clínico, incluidos los productos con autorización de comercialización cuando se utilicen o combinen (en la formulación o en el envase) de forma diferente a la autorizada, o cuando se utilicen para tratar una indicación no autorizada, o para obtener más información sobre un uso autorizado» (art. 8.11 en la nueva redacción).

El RD de 2004 acogió sustancialmente el régimen establecido por el RD de 1993. En lo que ahora interesa, el artículo 28 sustituyó la referencia a «productos en fase de investigación clínica» por la de «medicamentos en investigación», en coherencia con la modificación que ya había experimentado en el año 2002 el artículo 38.5 de la Ley; sustituyó también la autorización de la Dirección General de Farmacia y Productos Sanitarios por la autorización de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (en lo sucesivo, Agencia), para entonces ya creada; y dispuso que fuera a la Agencia a la que se comunicaran las reacciones adversas, en consonancia con sus funciones⁴. Su artículo 29 incorporó el contenido del artículo 34 del RD de 1993.

Fue, por tanto, el RD de 1993 el que incluyó como modalidad de uso compasivo la utilización alternativa de medicamentos autorizados, probablemente porque el artículo 65.1 de la Ley del Medicamento había equiparado, a efectos de ensayos clínicos, los productos en fase de investigación clínica (objeto de uso compasivo *ex art.* 38.5 de la Ley) con los medicamentos ya autorizados para nuevas indicaciones terapéuticas⁵. Más adelante, esta extralimitación reglamentaria se corrigió con la modificación de la Ley llevada a cabo en 2002, una vez que el artículo 38.5 pasó a referirse a los medicamentos en investigación y éstos se definieron con inclusión, como ya hemos visto, de «los productos con autorización de comercialización cuando se utilicen o combinen (en la formulación o en el envase) de forma diferente a la autorizada, o cuando se utilicen para tratar una indicación no autorizada, o para obtener más información sobre un uso autorizado».

⁴ Ley 66/1997, de 30 de diciembre, de Medidas Fiscales, Administrativas y del Orden Social, y RD 520/1999, de 26 de marzo, por el que se aprueba el Estatuto de la Agencia Española del Medicamento.

⁵ «Los ensayos clínicos con “productos en fase de investigación clínica”, o con medicamentos ya autorizados para nuevas indicaciones terapéuticas, cuando vayan a ser realizados en España, estarán sometidos a un régimen de autorización previa por el Ministerio de Sanidad y Consumo...» (art. 65.1).

Lo que no se corrigió hasta el RD 223/2004 fue la discordancia, en lo concerniente al presupuesto de hecho, entre el artículo 38.5 de la Ley y su desarrollo reglamentario. El artículo 23 del RD 561/1993, en efecto, introdujo en el ámbito del uso compasivo la utilización alternativa de medicamentos autorizados, pero distinguiendo esta modalidad concreta de aquella otra consistente en la utilización de productos en fase de investigación clínica. Con arreglo al RD, pues, no sólo cabía autorizar el uso alternativo de un medicamento autorizado, sino que ello era posible al margen de cualquier investigación. Más adelante, como acabo de referir, la reforma de la Ley en 2002 configuró como presupuesto de hecho del artículo 38.5 de la Ley del Medicamento el de utilización de un medicamento en investigación, entendiendo por tal la «forma farmacéutica de una sustancia activa o placebo, que se investiga o se utiliza como referencia en un ensayo clínico», incluidos, en los términos que antes reproduce, los productos con autorización de comercialización. Por tanto, la autorización del artículo 38.5 suponía una investigación en curso, si bien, a tenor de los términos literales del precepto, no necesariamente formalizada como ensayo clínico⁶. Tras la reforma de 2002, pues, la extralimitación del RD de 1993 quedó corregida (la consideración de la utilización alternativa como uso compasivo); sin embargo, la nueva versión del artículo 38.5 no alcanzó a «sanar» por completo al precepto reglamentario, en la medida en que la Ley pasó a exigir que el medicamento estuviera en investigación y el RD de 1993 no contemplaba esta exigencia respecto del uso alternativo. Este efecto lo produjo más adelante el RD 223/2004, que vino a sustituir al RD 561/1993 y que, en lo que aquí interesa, se refirió a «la utilización en pacientes aislados y al margen de un ensayo clínico de medicamentos en investigación, incluidas especialidades farmacéuticas para indicaciones o condiciones de uso distintas de las autorizadas» (art. 28).

Por consiguiente, bajo el régimen de la Ley 25/1990 y de los artículos 28 y 29 del RD 223/2004, el uso compasivo comprendió tanto la utilización de medicamentos aún no autorizados como la utilización alternativa de los autorizados, siempre que en ambos casos se encontrara el medicamento en investigación, aunque no necesariamente en el marco de un ensayo clínico.

2. *Notas características del régimen de uso compasivo*

El uso compasivo consistía, como primera aproximación a la materia, en el empleo de un medicamento de un modo especial, distinto del uso general, bien porque aún no se encontrara autorizado, bien porque estándolo se prescribiera para procesos distintos de aquellos para los que se auto-

⁶ De hecho, la Agencia autorizó usos compasivos del principio activo *Filgrastin* a resultas de las investigaciones llevadas a cabo por el Dr. Brú al margen de ensayos clínicos. Hay que reconocer, no obstante, que es muy posible que la Ley quisiera referirse, precisamente, a la investigación en fase de ensayo clínico.

rizó⁷. En apretada síntesis, los rasgos distintivos del régimen de uso compasivo de medicamentos, en la versión de la Ley del Medicamento posterior a 2002 y con arreglo al RD 223/2004, eran los que a continuación se exponen.

En primer término, el uso compasivo se producía al margen de un ensayo clínico, se sujetaba a autorización administrativa individual y perseguía de modo directo «conseguir un beneficio terapéutico para el paciente» (art. 1.1 del RD 223/2004), esto es, la satisfacción del interés del paciente. Para la obtención de la autorización se requería del consentimiento informado del paciente, un informe clínico en el que el médico justificara la necesidad del tratamiento, la conformidad del director del centro de aplicación del tratamiento y la autorización de la Agencia. De este modo, se ofrecía soporte legal a una actividad que de otro modo sería ilícita, con las consiguientes consecuencias en orden a la imputación de responsabilidades para el facultativo. La autorización, pues, levantaba para un caso concreto la prohibición general de uso de medicamentos no autorizados o venía a respaldar la utilización de los medicamentos para indicaciones o condiciones de uso distintas de las autorizadas.

Con arreglo a este régimen, el paciente jugaba, paradójicamente, un papel muy secundario: la obtención de la autorización dependía del criterio del médico, pues sólo si éste consideraba indispensable la utilización del medicamento —y el director del centro otorgaba su conformidad— se cursaba la solicitud de uso compasivo⁸. Por otra parte, no se indicaba expresamente con arreglo a qué criterios se otorgaba o denegaba la autorización ni se detallaba, tampoco, el régimen de impugnación, que era un aspecto de especial interés habida cuenta que el paciente no era quien la solicitaba y que se trataba normalmente de procesos clínicos que requerían soluciones prontas.

Como se aprecia, la regulación de la figura no era por completo satisfactoria. Su interpretación y aplicación, en consecuencia, generaron inseguridad y no pocos conflictos en el contexto, no lo olvidemos, de situaciones especialmente delicadas. En mi opinión, tuvo una incidencia singularmente negativa la misma parquedad de la normativa, que propició una práctica errónea consistente en completar las escasas prescripciones de las normas con la regulación más prolija y detallada de los ensayos clínicos⁹, sin atender a las

⁷ Los médicos ejercen su libertad profesional de prescripción bajo su responsabilidad, de manera que usualmente los medicamentos se prescriben según las indicaciones de su ficha técnica, pues de otro modo la actuación facultativa no queda amparada por la *lex artis* y, ante un efecto adverso, se dificulta o no cabe la exoneración de su responsabilidad.

⁸ Como ya tuve ocasión de manifestar [M. C. NÚÑEZ LOZANO (2006), «Régimen jurídico del uso compasivo de medicamentos», *Revista Española de Derecho Administrativo*, 130, pág. 337], la discrecionalidad técnica del médico, de máximo nivel y con mecanismos de reacción a favor del paciente muy débiles, no podía traducirse aquí en la imposición de un criterio puramente técnico y sin motivar. La negativa del médico tenía que evidenciar que se habían tomado suficientemente en consideración las expectativas de vida del paciente; o que se había valorado adecuadamente en qué medida le resultaba indispensable al paciente mantener unas determinadas condiciones de vida y, por consiguiente, le resultaba asumible el riesgo que pueda entrañar el uso compasivo.

⁹ Un ejemplo de ello puede encontrarse en M.^º A. MONEDERO MATEO, «Uso compasivo», *Formación Continuada para Farmacéuticos de Hospital*, 2.5, consultado en Internet, junio de 2010, <http://www.ub.es/legmh/capitols/monedero.pdf>.

diferencias sustantivas que existían entre el uso compasivo y los ensayos clínicos¹⁰; en definitiva, como si la autorización del uso compasivo fuera una actividad «menor» respecto de la autorización de ensayo clínico.

3. *La situación de anomia provocada por la derogación en 2007 de los artículos 28 y 29 del RD 223/2004*

El régimen que he descrito traía causa del artículo 38.5 de la Ley del Medicamento. Ésta fue derogada por la Ley 29/2006, de 26 de julio, de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos Sanitarios, cuyo artículo 24.3, bajo la rúbrica de «Garantías de disponibilidad de medicamentos en situaciones específicas y autorizaciones especiales», contempla la prescripción y aplicación de medicamentos no autorizados, así como la prescripción de medicamentos autorizados para su utilización en condiciones distintas de las autorizadas. La Ley, en sí misma considerada, no introdujo ninguna alteración respecto del régimen anterior; sencillamente porque apenas tenía densidad regulatoria; no obstante, presagiaba cambios futuros, ya que de entrada reservó la denominación específica de uso compasivo para la modalidad de utilización de medicamentos sin autorización, remitía al reglamento su regulación y anunciaba el establecimiento, por parte del Ministerio de Sanidad y Consumo, de las condiciones para la prescripción de medicamentos en la modalidad de uso alternativo.

El primer y trascendental cambio vino de la mano del RD 1345/2007, de 11 de octubre, por el que se regula el procedimiento de autorización, registro y condiciones de dispensación de los medicamentos de uso humano fabricados industrialmente, que sencillamente derogó los artículos 28 y 29 del RD 223/2004. Con ello se provocó una situación de anomia ciertamente peculiar que, a su vez, dio lugar a determinadas iniciativas autonómicas, bajo sospecha de inconstitucionalidad por falta de competencia¹¹ pero, al menos,

¹⁰ *Vid.* el cúmulo de requisitos exigidos al ensayo clínico en el RD 223/2004. El uso compasivo tenía en común con el ensayo clínico su objeto: el uso de medicamentos en circunstancias especiales. Esta proximidad sólo explicaba, empero, el que una misma patología pudiera atenderse a través de un ensayo clínico o mediante el uso compasivo, en función de las circunstancias: se podía acudir al uso compasivo si, por ejemplo, en un momento dado el perfil del paciente no encajaba con el del grupo de sujetos del ensayo médico, o si el medicamento se iba a utilizar de forma distinta a como estaba programado en el ensayo, o si habida cuenta la situación del paciente no había tiempo para organizar un ensayo clínico y ya se contaba con una investigación previa...

¹¹ FRANCISCO BOMBILLAR SÁENZ (2010a), *Intervención administrativa y régimen jurídico del medicamento en la Unión Europea*, <http://hera.ugr.es/tesisugr/18645781.pdf>, págs. 391 ss. Tesis Doctoral consultada en junio de 2010. FRANCISCO BOMBILLAR SÁENZ (2010b), «El acceso al medicamento en situaciones especiales: uso compasivo, uso en condiciones distintas a las autorizadas y medicamento extranjero», en *El acceso al medicamento. Retos jurídicos actuales, intervención pública y su vinculación al derecho a la salud*, Granada, Comares, págs. 147 ss.

El autor se refiere a la Resolución 0089/08 de la Secretaría General del Servicio Andaluz de Salud, de 21 de febrero. Interesa puntualizar que la misma trajo causa del expediente de queja ante el Defensor del Pueblo de Andalucía 06/2613, a resultas de la cual el Defensor recomendó el establecimiento de mecanismos que permitieran canalizar el ejercicio de las

ilustrativas de una clara conciencia de la necesidad de atender los intereses a que servía la normativa derogada.

No obstante la ausencia de normas que contemplaran la intervención de la Agencia, lo cierto es que el organismo continuó con su actividad autorizatoria, de manera que en 2008 se solicitaron 31.950 autorizaciones, de las que se otorgaron 30.566¹².

III. PRINCIPALES NOVEDADES QUE INCORPORA EL REAL DECRETO 1015/2009 EN LA REGULACIÓN DEL USO COMPASIVO Y DEL USO ALTERNATIVO DE MEDICAMENTOS

Sin duda, la principal novedad del régimen que instaura el RD 1015/2009, en lo que a este estudio concierne, radica en la diferenciación como figuras distintas del uso compasivo y de lo que vengo denominando el uso alternativo.

Ha de notarse que el artículo 24 de la Ley 29/2006 dedica, dentro de un mismo apartado, un párrafo diferente a cada una de ellas. De la primera, señala que la prescripción y la aplicación de medicamentos no autorizados a pacientes no incluidos en un ensayo clínico con el fin de atender como uso compasivo necesidades especiales de tratamientos de situaciones clínicas de pacientes concretos se regularán reglamentariamente, con pleno respeto a lo establecido en la legislación vigente en materia de autonomía del paciente y de los derechos y obligaciones en materia de información y documentación clínica. Y respecto de la segunda añade, en párrafo aparte, como he precisado, que el Ministro de Sanidad y Consumo establecerá las condiciones para la prescripción de medicamentos autorizados cuando se utilicen en condiciones distintas a las autorizadas, que en todo caso tendrá carácter excepcional.

A partir de este precepto, que ciertamente no predetermina un régimen jurídico distinto, el RD 1015/2009 regula de manera separada las figuras. La razón de ello es doble.

Por una parte, se ha querido acomodar el régimen del uso compasivo de medicamentos a la regulación europea, que no cobija el supuesto de usos alternativos, de manera que sólo contempla como tal el uso de medicamentos no autorizados¹³. Por otra parte, se ha sido consciente de que la utilización

funciones de los servicios de farmacia hospitalaria y de las comisiones de selección de medicamentos de los centros sanitarios, con el respeto al principio de igualdad territorial en el acceso a la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud.

¹² En 2007, vigente aún el artículo 28 del RD 223/2004, se solicitaron 33.556 autorizaciones y se otorgaron 29.184. En 2009 se solicitaron 24.065 y se concedieron 22.814. Como elemento de comparación, téngase en cuenta que en 2006 fueron 28.530 las pedidas y 25.942 las otorgadas. Estos datos se han obtenido de la página web de la Agencia, <http://www.aemps.es/>; *vid.* otros datos muy ilustrativos en Dolores MONTERO *et al.* (2009), «Nuevo real decreto de acceso a medicamentos en situaciones especiales», *Medicina Clínica*, 133 (11).

Interesa destacar que en la Resolución del Defensor del Pueblo de Andalucía de 23 de marzo de 2010 se considera el artículo 28 del RD 223/2004 como derecho vigente, planteándose «hasta qué punto el uso para indicaciones no autorizadas no entraría más bien dentro de este segundo apartado» (se refiere al RD 1015/2009).

¹³ Artículo 83 del Reglamento (CE) 726/2004 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 31 de marzo de 2004, por el que se establecen procedimientos comunitarios para la autori-

alternativa de medicamentos no es un supuesto tan excepcional, de modo que se ha querido normalizar la práctica mediante el expediente de reservar la intervención de la Administración para determinados supuestos singulares, intervención que además se manifiesta en términos muy diferentes de la autorización administrativa que antes se exigía. De ello da cuenta la Exposición de Motivos del RD en los siguientes términos:

«Este precepto tiene su origen en el hecho de que existen algunas circunstancias en las que los datos clínicos que avalan un determinado uso terapéutico para un medicamento ya autorizado, no se encuentran recogidos en la ficha técnica del medicamento. Ello puede ser especialmente relevante en áreas terapéuticas en las que la actividad investigadora es muy intensa y el ritmo de evolución del conocimiento científico puede preceder a los trámites necesarios para incorporar dichos cambios en la ficha técnica del medicamento. También existen condiciones de uso establecidas en la práctica clínica, pero no contempladas en la autorización del medicamento, a menudo por ausencia de interés comercial para la realización de los estudios necesarios para obtener la autorización de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.

Estos usos excepcionales de medicamentos en condiciones diferentes de las autorizadas caen dentro de la esfera de la práctica clínica, y por tanto, en el ámbito de responsabilidad del médico prescriptor, no requiriéndose una autorización caso por caso. No obstante, existen ciertas situaciones en las que es recomendable que la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios emita una recomendación basada en la evidencia disponible en materia de eficacia y seguridad».

Esta diferenciación, con independencia ahora de determinadas consecuencias que merecen una valoración negativa, comporta una mejora técnica en la regulación, en el sentido de que el régimen jurídico de una y otra figura se dota de mayor precisión.

Así, por ejemplo, el RD 223/2004 contemplaba como único criterio sustantivo para solicitar el uso compasivo el carácter indispensable de la utilización, lo que abría diversas posibilidades de integración del concepto jurídico indeterminado: supuestos de riesgo mortal; necesidad del medicamento para mantener unas determinadas condiciones de disfrute vital; e inexisten-

zación y el control de los medicamentos de uso humano y veterinario y por el que se crea la Agencia Europea de Medicamentos. El Reglamento regula el uso compasivo de los medicamentos que figuran en su Anexo y el de los medicamentos que sean autorizados por la Comunidad. Su Considerando núm. 33 expresa que: «En el ámbito de los medicamentos de uso humano, conviene asimismo adoptar un enfoque común, siempre que sea posible, en materia de criterios y condiciones para el uso compasivo de nuevos medicamentos, en el marco de las legislaciones de los Estados miembros».

cia de tratamiento para el caso concreto, con independencia de las consecuencias que pudieran derivarse de la ausencia de terapia. Ahora, en cambio, el RD 1015/2009 puede precisar que el uso compasivo, en su acepción actual, es para «pacientes que padecen una enfermedad crónica o gravemente debilitante o que se considera pone en peligro su vida y que no pueden ser tratados satisfactoriamente con un medicamento autorizado» (art. 2.1)¹⁴. Y desde la aceptación de que el uso alternativo es una práctica admisible, como refleja la Exposición de Motivos, puede reservar la intervención de la Agencia para determinados supuestos en que ésta se considera adecuada, bien por la existencia de riesgo, bien por tratarse de medicamentos cuya prescripción médica se califica como restringida, bien por el impacto asistencial relevante que se pudiera ocasionar (art. 13.2); ello con independencia de la valoración que merece el que no se arbitren otras fórmulas de intervención que permitan salvaguardar la responsabilidad de los médicos en otros casos admitidos en la práctica habitual del uso alternativo.

También a título de ejemplo puede traerse a colación que el diferente régimen jurídico comporta el que ya no se exija para el uso alternativo que el medicamento esté en investigación, de modo coherente con el reconocimiento expresado en la Exposición de Motivos acerca de medicamentos cuya investigación ya no interesa.

La segunda gran novedad del RD es la de prescribir, para el uso compasivo, que el medicamento se encuentre sujeto a una solicitud de comercialización o a un ensayo clínico. De este modo, se exige que el medicamento haya cubierto las etapas previas de investigación en laboratorio y de investigación en animales, de manera que se pretende garantizar un determinado nivel de seguridad en su uso. Esta opción, que vela por el interés del paciente y es coherente con el artículo 83.2 del Reglamento (CE) 726/2004, comporta dos consecuencias: en primer lugar, que deja fuera del ámbito del uso compasivo la investigación «no formalizada», apostándose por la investigación organizada, que normalmente se financia con fondos privados¹⁵; en segundo lugar, que se elimina de raíz la posibilidad de acceso a medicamentos en fases tempranas de investigación¹⁶.

La tercera novedad atañe a la introducción de las autorizaciones temporales y de las recomendaciones para determinados supuestos de uso compasivo y de uso alternativo, respectivamente. Frente a la exigencia del régimen anterior de contar con una autorización individual en todo caso, el RD articula la intervención administrativa dando entrada a dos nuevas técnicas que actúan como un vehículo de generalización de los criterios de la Agencia.

En cuarto lugar, la nueva regulación confiere un protagonismo relevan-

¹⁴ Se sigue así la línea marcada por el Reglamento (CE) 726/2004.

¹⁵ Opción ésta que presumimos cuenta con el parecer favorable de la potente industria farmacéutica.

¹⁶ En aras, como ya he indicado, de la seguridad del enfermo. No obstante, cabría plantearse si no hubiera sido oportuno que el RD dejara algún margen para que, en determinadas circunstancias concretas, se pudiera prescribir un uso compasivo del medicamento en fase anterior a la del ensayo clínico.

te al promotor del ensayo clínico y al solicitante de la autorización de comercialización; y también trae a escena al titular de la autorización de comercialización¹⁷. En el régimen anteriormente vigente tan sólo se adivinaba la posible colaboración del promotor del ensayo clínico, acaso ya solicitante de la autorización de comercialización, en el artículo 29 del RD 223/2004. Ahora, el promotor del ensayo clínico o el solicitante de la autorización de comercialización deberán manifestar, con carácter previo, su disposición a suministrar el medicamento en investigación para uso compasivo, así como cualquier otra información relevante al respecto [arts. 7.1 y 12.c) y d)]; en particular en el régimen de autorización temporal de uso, deben colaborar con la Agencia para establecer las condiciones de utilización sobre la base de los resultados procedentes de la investigación clínica en marcha y aun deben garantizar el suministro del medicamento [arts. 9.3 y 12.a) y d)]; también deben notificar a la Agencia de forma inmediata cualquier dato relativo a la seguridad del medicamento que pudiera tener impacto a efectos de las autorizaciones de uso compasivo [art. 12.b)]. Por su parte, el titular de la autorización de comercialización está obligado a notificar las sospechas de reacciones adversas de las que tenga conocimiento de acuerdo con el Real Decreto 1344/2007, de 11 de octubre; a no realizar promoción del uso del medicamento en condiciones diferentes a las autorizadas, ni distribuir ningún tipo de material que, de forma indirecta, pudiera estimular su uso; y a proporcionar a la Agencia cualquier información relativa al medicamento que pudiera tener un impacto a efectos de las recomendaciones de uso (art. 16).

Como se aprecia, el RD evidencia la necesaria cooperación de estos sujetos y muestra claramente la dependencia en estos ámbitos de la Administración respecto de la ciencia y del conocimiento experto, que hoy reside fundamentalmente en la empresa privada y de la que depende por tanto, en buena medida, la satisfacción de los fines públicos¹⁸. Por ello, merece un juicio favorable la imposición expresa de los deberes que se han enunciado, sin perjuicio de que debamos destacar, para efectuar la crítica más severa, la insuficiencia de esta regulación, que no establece mecanismos específicos —queremos pensar que por falta de rango normativo— para imponer decididamente el deber de suministro del medicamento en el caso del uso compasivo, cuando no haya razones técnicas que lo desaconsejen.

Otras novedades importantes, aunque quizás no tan significativas desde la perspectiva de la configuración sustancial de las figuras, son las que conciernen a las garantías de transparencia y a la presentación telemática de solicitudes.

El artículo 3 del RD 1015/2009 emplaza a la Agencia para que asegure el acceso a sus decisiones y recomendaciones a los centros sanitarios, a las au-

¹⁷ Obviamente, el promotor del ensayo y el titular de la solicitud de comercialización tienen una intervención destacada cuando de uso compasivo se trata; la figura del titular de la autorización de comercialización es relevante en el ámbito del uso alternativo.

¹⁸ *Vid.*, con carácter general, J. ESTEVE PARDO (2009), *El desconcierto del Leviatán. Política y derecho ante las incertidumbres de la ciencia*, Madrid, Marcial Pons.

toridades competentes de las Comunidades Autónomas¹⁹, al titular de la autorización de comercialización del medicamento o su representante, al solicitante de la autorización de comercialización o al promotor del medicamento en investigación²⁰. En el proyecto de RD sólo se mencionaba a los centros sanitarios y a las autoridades competentes de las Comunidades Autónomas; a raíz de la sugerencia formulada por Farmaindustria y a propuesta del Consejo de Estado, se amplió el elenco de sujetos, tras observar el Consejo en su dictamen 661/2009 que las decisiones y recomendaciones de la Agencia «pueden aportar información relevante sobre el uso real de los medicamentos y no existe razón alguna para impedir el acceso a esta información a quien en último término es responsable de la disponibilidad y de la comercialización de tales fármacos y está obligado a “mantener actualizado el expediente aportado para obtener aquélla [autorización de comercialización], incorporando al mismo cuantos datos, informes o modificaciones tecnológicas impongan los avances de la ciencia” (artículo 17 de la Ley 29/2006)». En mi opinión, sin embargo, con ser loable este mandato expreso que se establece para la Agencia —en particular por lo que respecta a las Comunidades Autónomas, que no intervienen en los procedimientos de que tratamos pero que son, en definitiva, las que soportan el gasto público farmacéutico²¹—, lo cierto es que resulta gravemente incompleto en un aspecto tan sustancial como es la transparencia hacia la ciudadanía, y en particular hacia los pacientes, que no se mencionan.

Por lo que concierne a la presentación telemática de solicitudes, el artículo 6 del RD 1015/2009, conforme a lo previsto en el artículo 27.6 de la Ley 11/2007, de 22 de junio, de acceso electrónico de los ciudadanos a los servicios públicos, impone esta modalidad, que sólo cede en casos excepcionales y debidamente justificados. El precepto también recuerda que las solicitudes deberán preservar el cumplimiento de lo dispuesto en la Ley Orgánica 15/1999, de 13 de diciembre, y en la Ley 41/2002, de 14 de noviembre. La Disposición Adicional Única, por su parte, emplaza a la Agencia para que elabore unas instrucciones donde se recojan los modelos de solicitud de acceso a los medicamentos.

¹⁹ En el artículo 10.h) se indica que la Agencia debe establecer un sistema de información que posibilite el acceso de las autoridades competentes de las CC.AA. a las autorizaciones individuales de uso compasivo. Más ampliamente, el artículo 14.b), en sede de uso alternativo, emplaza a la Agencia para que establezca un sistema de intercambio de información con las autoridades competentes de las CC.AA.

²⁰ Puntualiza, con una obviedad manifiesta, que se habrá de preservar, en todo caso, el cumplimiento de lo dispuesto en la Ley Orgánica 15/1999, de 13 de diciembre, de protección de datos de carácter personal, y en la Ley 41/2002, de 14 de noviembre, básica reguladora de la autonomía del paciente y de derechos y obligaciones en materia de información y documentación clínica.

²¹ Sin perjuicio de que las decisiones y recomendaciones de la Agencia no deban basarse en el gasto farmacéutico, lo cierto es que entrañan un coste en el ámbito de la sanidad pública. No debemos olvidar tampoco que corresponde a ellas con carácter general la provisión de los servicios públicos de salud.

IV. ELEMENTOS COMUNES DEL RÉGIMEN JURÍDICO DEL USO COMPASIVO Y DEL USO ALTERNATIVO

El uso compasivo y el uso alternativo presentan una primera característica común, que es la de realizarse en condiciones excepcionales [arts. 1.1.a) y b) y 13.1 del RD 1015/2009], ya que en el primer caso el medicamento no se encuentra aún autorizado y en el segundo se utiliza en condiciones distintas a las autorizadas. En ambos casos, el ordenamiento establece una excepción a las garantías generales que se presume en una autorización de comercialización conforme a una ficha técnica, en particular las de calidad, seguridad y eficacia (arts. 9 ss. de la Ley 29/2006), y ello porque se considera que tales exigencias pueden ceder, si el paciente consiente en ello, en aras de fines tan prevalentes como son el intento de salvar la vida o la búsqueda de una determinada calidad de vida.

La normativa vigente, como sucedía bajo el régimen anterior, eleva a categoría universal la administración de medicamentos en uso compasivo a través de un centro sanitario²². Así, compete a la dirección del centro dar el visto bueno a la solicitud de autorización individualizada y, en el caso de la autorización temporal, dar el visto bueno a la aplicación de la autorización temporal en cada paciente en concreto [art. 10.f)] y recabar la conformidad del promotor del ensayo clínico o del titular de la solicitud de autorización de comercialización (art. 11.2). En el supuesto del uso alternativo, no se presume la atención sanitaria a través de un centro, aunque se establece que, en su caso, la utilización habrá de respetar el protocolo terapéutico asistencial del centro sanitario (art. 13.1)²³.

Con respecto al régimen anteriormente vigente, sostuve en su momento que lo que éste establecía realmente era la obligación de acceder al medicamento a través de los servicios de farmacia del centro sanitario, por una parte, y, en relación con ello, una suerte de control sobre la oportunidad del uso compasivo²⁴. Esta última conclusión puede mantenerse en lo que concierne a la autorización individual del uso compasivo, matizadamente en el caso del uso alternativo y no respecto del uso compasivo en su modalidad de acceso bajo autorización temporal. Como veremos más adelante, el RD ha desplazado a los centros sanitarios, y particularmente a su dirección, parte del control que antaño ejercía la Agencia, de manera que no puede afirmarse que el papel que

²² La Exposición de Motivos del RD 1015/2009 llega a afirmar que «[p]or las características de estas situaciones, el uso compasivo se circunscribe al ámbito hospitalario».

²³ Esto es, si efectivamente se dispensa en régimen de atención a través de centro sanitario y éste se refiere en su protocolo al uso alternativo.

²⁴ María del Carmen NÚÑEZ LOZANO (2006: 340 y 341). Afirmé entonces que la normativa guardaba silencio sobre los elementos de juicio que había de barajar el director del centro en orden a prestar su conformidad al uso compasivo, de modo que cabía suponer que éstos eran distintos de los tenidos en cuenta por el facultativo a la hora de formular la solicitud de uso compasivo. Por ello, concluía que acaso no fuera arriesgado sostener que lo que se esperaba del director era un control sobre la racionalidad del uso del medicamento, esto es, una decisión que valorase el coste que podía entrañar la prescripción del mismo en función de la eficacia que cabía esperar del tratamiento.

juegan en estos tratamiento sea el de filtro económico: en el caso de las autorizaciones temporales de uso compasivo, la Agencia establece las condiciones generales y es la dirección del centro la que verifica que el paciente cumple los requisitos establecidos en ellas; en el supuesto del uso alternativo, si la asistencia se presta a través de un centro sanitario, éste establece el protocolo terapéutico asistencial, en su caso de conformidad con las recomendaciones emanadas de la Agencia, de manera que a través del mismo se fijan las posibilidades «técnicas» del uso alternativo, sin perjuicio de que pueda considerarse, por hipótesis, que, en ausencia de recomendaciones de la Agencia, el protocolo haya tenido en cuenta el factor económico²⁵.

La reflexión anterior nos permite plantear otro aspecto común al uso compasivo y al uso alternativo, que es la conveniencia de explicitar que el acceso al medicamento es una cuestión independiente de su financiación, de manera que la decisión sobre lo primero no venga condicionada por el coste económico que, en su caso, supondría para el sector público²⁶. Se trata de decisiones diferentes que se adoptan en el seno de procedimientos distintos: en el caso de medicamentos bajo uso compasivo, esto es así porque el medicamento no cuenta con autorización de comercialización, de manera que en el momento de la autorización de uso compasivo claramente no está incluido entre los medicamentos financiados; en el caso del uso alternativo, porque aun cuando estuviera incluido ha de entenderse que lo estaría a los efectos de uso conforme a su ficha técnica. De ahí la conveniencia de explicitar estos aspectos en la normativa propia de uso compasivo y de uso alternativo, con la finalidad de aportar certeza y seguridad jurídica a todos los que intervienen en los procedimientos, desde los pacientes hasta la propia Agencia. De este modo, el juicio de la Agencia y de los profesionales sanitarios vendría claramente formado en función sólo de criterios científico-terapéuticos, evitándose las valoraciones de tipo económico, entre otras razones porque las autorizaciones temporales y las recomendaciones surten efectos en el ámbito de la sanidad privada.

Otra característica común de estas figuras es la ausencia de intervención de las CC.AA. en los correspondientes procedimientos²⁷, en mi opinión criticable, como he tenido ocasión de apuntar *supra*.

²⁵ En los casos de autorizaciones temporales de uso compasivo y de recomendaciones de la Agencia para usos alternativos, es la propia Agencia la que ha tenido en su mano la valoración del impacto económico de los tratamientos. En la medida en que finalmente ha adoptado una resolución de autorización temporal o ha aprobado unas recomendaciones, tal valoración económica ha quedado fuera del ámbito de decisión del centro.

²⁶ Con carácter general, se ha venido considerando que la autorización de la Agencia implicaba la provisión pública del medicamento en los casos en que las solicitudes se cursaban en el marco de la asistencia sanitaria pública, prestada directamente o mediante concierto. Y de ahí precisamente que se haya valorado el posible filtro económico que podía suponer la intervención de los centros sanitarios y de la propia Agencia. Lo cierto es, sin embargo, que son cuestiones distintas, como alguna sentencia ha apreciado correctamente (STSJ de Cataluña, Sala de lo Social, Sección 1.ª, núm. 2700/2008, de 1 de abril) y más recientemente se viene poniendo de manifiesto [Cristina AVENDAÑO SOLÁ (2009), «Uso compasivo de medicamentos: un cambio necesario en España», *Medicina Clínica*, 133 (11), pág. 426].

²⁷ La Agencia sí debe notificar a las CC.AA. los problemas de seguridad que aparezcan con el uso del medicamento, así como las autorizaciones temporales que conceda [art. 10.e)].

Por último, conviene dedicar cierta atención al régimen de responsabilidad de los facultativos. Al efecto, explicaré en primer término el sentido del artículo 4 del RD 1015/2009 para después analizar el régimen de responsabilidad y ofrecer algunas pautas sobre cómo ha de interpretarse, a la postre, el referido artículo 4.

El RD 1015/2009 introduce un precepto de difícil interpretación en apariencia, a tenor del cual «[l]a cobertura de la responsabilidad por los daños derivados de los supuestos previstos en este real decreto se regirá por lo dispuesto en el artículo 46 de la Ley 44/2003, de 21 de noviembre, de ordenación de las profesiones sanitarias» (art. 4).

El citado artículo 46, que se incardina en el Título IV de la Ley, cuya rúbrica es «Del ejercicio privado de las profesiones sanitarias», dispone lo siguiente:

«Los profesionales sanitarios que ejerzan en el ámbito de la asistencia sanitaria privada, así como las personas jurídicas o entidades de titularidad privada que presten cualquier clase de servicios sanitarios, vienen obligados a suscribir el oportuno seguro de responsabilidad, un aval u otra garantía financiera que cubra las indemnizaciones que se puedan derivar de un eventual daño a las personas causado con ocasión de la prestación de tal asistencia o servicios.

Las comunidades autónomas, en el ámbito de sus respectivas competencias, determinarán las condiciones esenciales del aseguramiento, con la participación de los profesionales y del resto de los agentes del sector.

En el supuesto de profesiones colegiadas, los colegios profesionales podrán adoptar las medidas necesarias para facilitar a sus colegiados el cumplimiento de esta obligación».

De entrada, ha de llamarse la atención sobre la ubicación del precepto al que se remite el artículo 4 del RD 1015/2009 en trance de regular —desafortunadamente, a nuestro juicio— la cobertura de responsabilidad. Se trata, como ya he especificado, del Título que la Ley 44/2003 dedica al ejercicio privado de las profesiones sanitarias, lo que en principio ha de reputarse incorrecto, ya que la prescripción de medicamentos en la modalidad de uso compasivo y en la modalidad de uso alternativo no sólo no es exclusiva del ejercicio privado, sino que, además, es más común en el ámbito de la sanidad pública. Este último dato, por cierto, nos permite descartar una posible interpretación consistente en considerar que las modalidades que estudiamos sólo pueden tener lugar en el ámbito privado de la medicina: el artículo 4 no puede tener semejante alcance, de manera que si se hubiera querido que así fuera, el RD 1015/2009 lo habría tenido que decir expresamente, amén de que, como acabamos de señalar, la realidad es muy otra.

La explicación más plausible del precepto la proporciona su redacción inicial en el Proyecto de RD y la observación que mereció del Consejo de Estado.

En su versión inicial, el artículo 4 expresaba, según se desprende del dictamen 661/2009 del Consejo, que «las pólizas de responsabilidad civil de los profesionales sanitarios o en su caso de las instituciones sanitarias que cubren los eventuales daños derivados de la asistencia sanitaria deberán cubrir los derivados de los supuestos contemplados en el presente real decreto». Dejando ahora a un lado la cuestión del régimen de responsabilidad, sobre la que en seguida volveremos, interesa destacar la conclusión que de su lectura extrajo de inmediato el Consejo de Estado: «El efecto que produce este artículo es el de obligar a incluir una determinada cobertura en los contratos de seguro de responsabilidad civil existentes (y futuros), sean de instituciones y profesionales públicos o privados». A partir de esta interpretación, el Consejo razonó sobre la necesidad de contar con cobertura legal suficiente para imponer un seguro obligatorio, especificando que tal cobertura existía para el ejercicio privado de la sanidad (el art. 46 de la Ley 44/2003), de manera que no había ningún obstáculo para que el RD exigiera que el seguro, en este ámbito, cubriese necesariamente los riesgos contemplados en el Proyecto de RD; respecto del ejercicio público de la actividad sanitaria señaló, en cambio, que habrían de ser las Comunidades Autónomas las que determinarían la cobertura del seguro de responsabilidad civil que en su caso existiera, teniendo en cuenta, por otra parte, que su finalidad ya estaba cubierta mediante la institución de la responsabilidad patrimonial de la Administración.

Por todo ello, el Consejo formuló como observación esencial la necesidad de que el artículo 4 del Proyecto se limitase al ámbito de la sanidad privada. Y de ahí, por tanto, que el RD haya optado sin más y de forma incorrecta, a mi juicio, por remitirse al artículo 46 de la Ley 44/2009, sin especificar que la propia remisión en sí misma se refiere sólo al ejercicio privado de la profesión.

Queda así explicada la *ratio* del precepto, lo que no es óbice para que siga planteada otra cuestión que el RD no resuelve de modo expreso y que aun se encarga de oscurecer.

En efecto, tanto las dos redacciones del artículo 4 como la propia objeción del Consejo de Estado presuponen la responsabilidad de los profesionales, puesto que se trata de asegurarla. Ahora bien, ¿cuál es el alcance de esta responsabilidad? El Consejo de Estado ni analizó esta cuestión ni prejuzgó un alcance concreto, ya que la expresión que empleó fue la de «obligar a incluir una *determinada cobertura* en los contratos de seguro de responsabilidad civil»²⁸. Por otra parte, tanto el proyecto como el RD definitivamente aprobado se refieren a daños derivados de los supuestos contemplados en la disposición, sin matización alguna.

¿Quiere decir el RD que los daños que deriven de estos usos son en todo caso de la responsabilidad de los facultativos y por eso, en garantía del paciente, se establece la obligación de asegurarla? Si así fuera, se propiciaría una distorsión muy significativa en la aplicación práctica del régimen de las figuras, puesto que se introduciría entre los elementos que han de ponderar los profesionales para decidir la prescripción del uso compasivo o del uso alter-

²⁸ La cursiva es mía.

nativo uno tan significativo como es el del propio riesgo que se está dispuesto a asumir, y que altera por completo la objetividad del juicio técnico profesional, que de suyo debería venir formado como resultado de la adecuada ponderación entre lo que el estado actual de la ciencia dicta, el potencial beneficio que podría entrañar el uso compasivo o el uso alternativo y el riesgo que el paciente —no el profesional— está dispuesto a asumir. De admitirse, pues, que el facultativo responde en todo caso por los daños que se pudieran causar, fueren los que fueren, se estarían frustrando las finalidades que se persiguen con el régimen especial de las figuras, pues parece evidente que ninguno o muy pocos facultativos asumirían el riesgo cierto que entraña la prescripción de los medicamentos en estas modalidades.

La lógica conduce, en consecuencia, a atemperar el régimen de la responsabilidad de los facultativos, en los términos que seguidamente veremos.

A tal efecto, puede ser de utilidad recordar que el régimen anteriormente vigente no exigía la suscripción de ningún seguro, a diferencia de lo que sucedía respecto de los ensayos clínicos²⁹. A partir de este dato, unido a la circunstancia de tratarse de usos excepcionales, apartados conscientemente de la *lex artis* y amparados por una autorización administrativa, argumenté en su momento que la responsabilidad que asumían el médico y las demás instancias intervinientes era la misma que en los supuestos ordinarios de prescripción de medicamentos, aunque incluso con la garantía que podía entrañar el contar con el expreso consentimiento informado del paciente, lo que no significaba que el facultativo quedase exonerado *ex lege* de cualquier responsabilidad: si, por ejemplo, el uso del medicamento causaba un efecto secundario nocivo, el médico no respondía de ello, aunque sí de los eventuales

²⁹ La regla general es la suscripción de un seguro o el concierto de otra garantía financiera que cubra los daños y perjuicios que como consecuencia del ensayo puedan resultar para la persona en que hubiera de realizarse. Se exceptúa de esta obligación el supuesto en que «el ensayo se refiera únicamente a medicamentos autorizados en España, su utilización en el ensayo se ajuste a las condiciones de uso autorizadas y el Comité Ético de Investigación Clínica considere que las intervenciones a las que serán sometidos los sujetos por su participación en el ensayo suponen un riesgo equivalente o inferior al que correspondería a su atención en la práctica clínica habitual» (art. 8.1 del RD 223/2004). Ha de notarse que aun cuando se exige del concierto obligatorio de la garantía se establece la responsabilidad solidaria, sin necesidad de que medie culpa, del promotor del ensayo clínico, del investigador principal y del hospital o centro donde se realice el ensayo, por el daño que en su salud sufra el sujeto sometido al ensayo clínico, así como por los perjuicios económicos que se deriven, incumbiéndoles la carga de la prueba de que no son consecuencia del ensayo clínico o de las medidas terapéuticas o diagnósticas que se adopten durante su realización. Se matiza además que ni la autorización administrativa ni el dictamen favorable del Comité Ético de Investigación Clínica eximirán de responsabilidad al promotor del ensayo clínico, al investigador principal y sus colaboradores o al hospital o centro donde se realice el ensayo clínico en estas circunstancias. Este régimen, por otra parte, se aplica también en los casos en que siendo obligatorio no se concierta el seguro u otra garantía financiera, y también cuando, por cualquier circunstancia, el seguro o la garantía financiera concertados no cubren enteramente los daños (*vid.* el art. 8.3 del RD 223/2004). Por último, debe tenerse en cuenta que la solicitud del dictamen del Comité Ético de Investigación Clínica por parte del promotor debe acompañarse, en estos casos previstos en el artículo 8.3, de un documento firmado de asunción de responsabilidad en caso de daños producidos como consecuencia del ensayo [art. 16.2.h) del RD 223/2004].

perjuicios que se derivasen de la falta de atención o de la atención deficiente o negligente del efecto secundario³⁰.

Esta conclusión puede mantenerse hoy por lo que respecta al uso compasivo y sólo en parte en cuanto al uso alternativo. En el caso del uso compasivo, tanto si accede en virtud de una autorización individual como si se prescribe al amparo de una autorización temporal, considero que la regulación de la figura «legaliza» tal uso en abstracto y que la intervención administrativa previa habilita la prescripción del medicamento concreto, de manera que con ello se delimita el «riesgo lícito» en este uso —que recordemos tiene lugar al margen, por definición, de la *lex artis*— y el ámbito de responsabilidad del médico. En el supuesto del uso alternativo, ya nos consta que la Exposición de Motivos del RD 1015/2009 reconoce la realidad de la práctica y que se reserva la intervención administrativa —ahora en forma de recomendaciones— para determinados supuestos que después se analizarán; por ello, al menos para los casos en que se prescriba el uso alternativo conforme a las recomendaciones de la Administración, puede postularse la misma conclusión: el facultativo asume idéntica responsabilidad que en los supuestos generales de prescripción de medicamentos. Respecto de los demás casos —uso alternativo no amparado por las recomendaciones de la Administración—, parece obligado admitir que el médico responde de los daños y perjuicios que puedan derivarse del uso del medicamento (responsabilidad directa o en vía de regreso, según si se trata del ejercicio privado o público de la actividad sanitaria), en particular ante la ausencia de referencias en el protocolo terapéutico asistencial del centro sanitario, y que es aquí donde encuentra mayor sentido la obligación de constituir una garantía financiera, con independencia, todo ello, del juicio que pueda merecer la opción asumida por el RD 1015/2009 en lo referente a la supresión de la autorización administrativa como requisito para esta modalidad de uso y la previsión de recomendaciones sólo para supuestos determinados, en un contexto, por ende, de reconocimiento de la realidad de esta práctica.

Con estas premisas, puede sostenerse que la interpretación del artículo 4 más conforme con el régimen general de las figuras es la que entiende que el precepto no pretende definir ningún régimen de responsabilidad singular, para lo que además carecería de rango normativo suficiente, sino que simplemente recuerda —más que impone, como pretendió el Consejo de Estado³¹— la obligación de aseguramiento de la responsabilidad derivada de los daños que sean imputables a los facultativos que ejercen la medicina privada³². Desde esta perspectiva, pues, la conclusión no puede ser otra que la del

³⁰ María del Carmen NÚÑEZ LOZANO (2006: 338 y 339). Para J. M. SUÑÉ-ARBUSÁ, en cambio, la responsabilidad es siempre y exclusivamente del médico [J. M. SUÑÉ-ARBUSÁ (2009), «Compassionate use of medicinal products», *Pharmaceuticals Policy and Law*, 11, pág. 205].

³¹ Significativamente, el Consejo de Estado se pronunció sobre la conveniencia de establecer una nueva disposición transitoria que concediese el tiempo necesario para adaptar los contratos de seguro de responsabilidad civil a lo dispuesto en el artículo 4 del Proyecto; tal transitoria no se incluyó finalmente.

³² Sin que la omisión de la mención al aseguramiento en el ejercicio de la actividad sanitaria pública signifique otra cosa que la falta de competencia del Estado en la materia

carácter superfluo del precepto, del que muy bien se hubiera podido prescindir y que puede ocasionar un aumento de las primas del seguro de responsabilidad, al entenderse que el artículo 4 amplía las coberturas de éste, cuando lo cierto es que las pólizas de los seguros de responsabilidad profesional ya ofrecían cobertura al tipo de daño por el que entendemos se debe responder (el causado por culpa o negligencia en la atención de los efectos derivados del uso del medicamento).

La conclusión se robustece si consideramos lo dispuesto en el artículo 24.5 de la Ley 29/2006, del siguiente tenor:

«La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios podrá autorizar temporalmente la distribución de medicamentos no autorizados, en respuesta a la propagación supuesta o confirmada de un agente patógeno o químico, toxina o radiación nuclear capaz de causar daños. En estas circunstancias, si se hubiere recomendado o impuesto por la autoridad competente el uso de medicamentos en indicaciones no autorizadas o de medicamentos no autorizados, los titulares de la autorización y demás profesionales que intervengan en el proceso estarían exentos de responsabilidad civil o administrativa por todas las consecuencias derivadas de la utilización del medicamento, salvo por los daños causados por productos defectuosos».

En principio, podría interpretarse, por comparación, que si la Ley hubiera querido excluir la responsabilidad de los profesionales que intervienen en la prescripción de medicamentos bajo uso compasivo o bajo uso alternativo con recomendaciones establecidas, lo hubiera dicho expresamente, tal y como ha sucedido en este apartado quinto del mismo artículo 24. Sin embargo, esta interpretación no me parece correcta.

Conviene aclarar que el precepto exonera de la responsabilidad por los daños que pueda causar la administración del medicamento; en mi opinión, la exoneración no alcanza a los daños que pudieran causarse a resultas de una atención deficiente o, más ampliamente, de la falta de atención. Creo que ello es así en virtud de los términos que emplea la Ley, que precisa que la exención de responsabilidad lo es en cuanto a la utilización del medicamento, con la salvedad de que el producto fuera defectuoso (en mal estado, por ejemplo). Luego, por tanto, la exoneración de responsabilidad tiene el mismo alcance que *supra* he postulado para el uso compasivo y el uso alternativo bajo recomendaciones.

La cuestión que entonces se plantea es la de qué sentido tienen estas precisiones que, sin embargo, se omiten para las modalidades que son objeto de nuestro estudio. A mi juicio, el artículo 24.5 explicita esta regla de respon-

y, a mayor abundamiento, la falta de rango del RD si por hipótesis la competencia fuera estatal.

sabilidad porque, en términos generales, es un precepto que efectivamente entra a regular el supuesto que contempla: así, define el presupuesto de hecho, prevé la intervención de la Agencia, selecciona un instrumento de policía concreto y fija la regla de responsabilidad que rige en tales casos³³. El artículo 24.3, en cambio, es un precepto deslegalizador, que no tiene prácticamente densidad regulatoria alguna: selecciona el supuesto de hecho del uso compasivo y remite al reglamento su regulación, por una parte, y, por otra, encarga al Ministerio de Sanidad y Consumo la fijación de las condiciones del uso alternativo, precisando tan sólo que: 1) se ha de respetar, en el caso del uso compasivo, la legislación vigente en materia de autonomía del paciente y de los derechos y obligaciones en materia de información y documentación clínica (lo cual es obvio y rige también para el uso alternativo, aunque la Ley 29/2006 no lo especifique), y 2) el uso alternativo es excepcional (como también lo es el uso compasivo, aunque la Ley 29/2006 no lo especifique).

Se comprende entonces que la Ley 29/2006 no haya establecido ninguna regla de responsabilidad: no ha especificado nada porque, de suyo, no ha regulado nada. De ahí que no quepa interpretar *a sensu contrario* el artículo 24.5 para concluir la regla opuesta en caso de uso compasivo y de uso alternativo bajo condiciones. Antes bien, considero que la interpretación correcta consiste en: 1) constatar que la Ley 29/2006 no ha regulado la materia de la responsabilidad en estos supuestos; 2) que el RD 1015/2009 no tiene rango para establecer una regla especial de imputación de los daños derivados del uso de un medicamento bajo intervención administrativa y conforme a la misma; 3) que lo que hace el artículo 4 del RD 1015/2009 es, en todo caso, recordar un deber general de aseguramiento de la responsabilidad en el ejercicio de la actividad sanitaria privada; 4) y que si de argumentar sobre la base del artículo 24.5 se trata, habría que concluir que en la hipótesis de que el artículo 24.3 hubiera aportado alguna regulación sustantiva sobre nuestras figuras, muy probablemente habría afirmado también la exoneración de la responsabilidad por los daños derivados de la administración de medicamentos bajo uso compasivo y en régimen de uso alternativo bajo condiciones.

Por último, este régimen de exoneración de responsabilidad del facultativo no debe conducir a considerar que en los supuestos de daños es la Agencia la que responde por haber autorizado el uso compasivo o formulado las recomendaciones sobre el uso alternativo. En mi opinión, el daño derivado de la prescripción y administración de medicamentos en estas condiciones no es antijurídico; su producción sería la actualización de un riesgo cierto, co-

³³ De hecho, la Exposición de Motivos del RD confiesa, sin necesidad alguna de hacerlo y a instancias del dictamen 661/2009 del Consejo de Estado —criticable en varios aspectos, sin que sea factible detallarlos en un estudio de limitada extensión como éste—, que «junto con las disposiciones sobre dispensación de medicamentos que regulan los artículos 26 y 40 del Real Decreto 1345/2007, de 11 de octubre, por el que se regula el procedimiento de autorización, registro y condiciones de dispensación de los medicamentos de uso humano fabricados industrialmente, se completa el desarrollo reglamentario del artículo 24 de la Ley 29/2006, de 26 de julio, *sin perjuicio de la aplicación directa de su apartado 5 en los casos de propagación supuesta o confirmada de agentes patógenos o químicos, toxinas o radiación nuclear*» (la cursiva es mía).

nocido y consentido por el paciente. En consecuencia, el rigor de la exigencia ha de desplazarse hacia el consentimiento informado del paciente, verdadera pieza nuclear del régimen excepcional que el Derecho diseña para estos supuestos en que, deliberadamente, la seguridad cede en aras de las expectativas de la conservación de la vida o de unas determinadas condiciones de vida.

V. EL USO COMPASIVO DE MEDICAMENTOS

El uso compasivo de medicamentos presenta en la actualidad dos modalidades: el uso bajo autorización individual y el uso bajo autorización temporal. Ambos tipos comparten unos elementos comunes que son los que se exponen a continuación, antes de abordar el análisis específico de cada uno de ellos.

1. *Elementos comunes*

A tenor de los artículos 1.a) y 2.1 del RD 1015/2009, como ya nos consta, el uso compasivo tiene lugar respecto de los medicamentos en investigación y consiste en su utilización antes de su autorización en España, en pacientes que no se encuentran incluidos en un ensayo clínico y que padecen una enfermedad crónica o gravemente debilitante o que se considera pone en peligro su vida y que no pueden ser tratados satisfactoriamente con un medicamento autorizado; el medicamento debe estar sujeto a una solicitud de autorización de comercialización, o bien deberá estar siendo sometido a ensayos clínicos.

Al igual que sucedía en el régimen anteriormente vigente, forma parte de la definición de uso compasivo el requisito de que el paciente no se encuentre incluido en un ensayo clínico. Con ello, se vuelve a marcar la diferencia que existe entre esta modalidad de acceso a los medicamentos sin autorización y la característica de los ensayos clínicos, de manera que una y otra opción son lógicamente incompatibles, aunque no las patologías que motivan la eventual inclusión en un ensayo médico o el acceso al uso compasivo³⁴.

El lícito uso compasivo de medicamentos ha de ser autorizado por la Agencia (art. 7.1), bien de forma individualizada, bien de forma genérica

³⁴ *Vid.* la nota 10. El Proyecto de RD sometido a informe del Consejo de Estado exigía que el paciente no pudiera formar parte de un ensayo clínico; el Consejo, con buen criterio, se mostró crítico con esta puntualización, reconociendo que la participación del paciente en el ensayo puede ser material y jurídicamente posible, pero inviable o improcedente por otras causas; y que «exigir la imposibilidad de participar en ensayos clínicos para acceder al uso compasivo de medicamentos puede excluir indebidamente a pacientes que necesiten dicho uso». Lo idóneo, sin embargo, es que el paciente reciba el medicamento en el seno de un ensayo clínico; por eso, el artículo 10.f) encomienda a la Agencia que fomente y facilite la inclusión de pacientes para los cuales se ha solicitado la utilización de un medicamento en investigación por uso compasivo, en los ensayos clínicos promovidos en relación con el mismo.

mediante las denominadas «autorizaciones temporales de utilización» (art. 7.2). En ambos casos se requiere la verificación de los supuestos recogidos en la definición que proporciona el artículo 2.1 (art. 7.1), lo que, anunciamos ya, es factible respecto de la autorización individual pero no respecto de la autorización temporal de utilización.

También se exige que, con carácter previo, el promotor del ensayo clínico o el solicitante de la autorización de comercialización hayan manifestado su disposición a suministrar el medicamento en investigación para uso compasivo, así como cualquier otra información relevante al respecto (art. 7.1 *in fine*). Como ya he advertido *supra*, no se impone el deber de suministro, de manera que la efectiva administración del medicamento en régimen de uso compasivo queda a expensas de estos sujetos.

El RD detalla las obligaciones del médico que solicite el acceso al medicamento. Son las siguientes: 1) Elaborar el informe clínico justificativo de la necesidad del tratamiento, incluyendo posología y duración prevista. En el informe deberá quedar claramente justificado el motivo por el que no se considera adecuada la administración de medicamentos autorizados para el tratamiento de dicha condición médica y la falta de alternativas terapéuticas. 2) Informar al paciente en términos comprensibles de la naturaleza del tratamiento, su importancia, implicaciones y riesgos, y obtener su consentimiento informado por escrito o, en su caso, el de su representante, conforme a lo establecido en la Ley 41/2002, de 14 de noviembre. 3) Notificar de forma inmediata las sospechas de reacciones adversas graves a la Agencia. 4) Cumplimentar los formularios específicos de recogida de datos de seguimiento cuando así se establezca en uno u otro tipo de autorización. 5) Proporcionar a la Agencia cualquier información que solicite relativa a los resultados del tratamiento (art. 11.1).

Por último, en caso de que aparezcan problemas de seguridad en el uso del medicamento, la Agencia debe comunicarlo a las autoridades competentes de las CC.AA. y al promotor del ensayo clínico o solicitante de la autorización de comercialización [art. 10.e)]. Específicamente, debe comunicar a estos últimos las sospechas de reacciones adversas graves en un plazo de quince días desde su recepción [art. 10.i)].

2. La autorización de acceso individualizado

La solicitud de la autorización de acceso individualizado corresponde al centro hospitalario, previo visto bueno de la dirección del mismo (art. 8.1). A la solicitud ha de acompañarse la siguiente documentación: a) El informe clínico del médico responsable, en los términos ya vistos; en sede de autorización individualizada, el RD especifica que se ha de indicar el «motivo por el que no puede tratarse de forma satisfactoria con las alternativas terapéuticas autorizadas, datos que apoyan el uso del medicamento para el paciente y razones por las cuales el paciente no puede ser incluido en un ensayo clínico» [art. 8.1.a)]. b) La conformidad del promotor de los ensayos clínicos o

del solicitante de la autorización de comercialización en los casos que así lo requiera, que debe obtenerla la dirección del centro [arts. 8.1.b) y 10.2, que con mayor realismo expresan la intervención que corresponde a ambos sujetos]. c) El número de envases requeridos.

No ha de adjuntarse el documento que exprese el consentimiento informado del paciente o de su representante, de manera que puede optarse por no anticipar al enfermo la posibilidad de acceso al medicamento en uso compasivo, con la finalidad de no crear expectativas que puedan frustrarse si a la postre no se obtiene la autorización. No obstante, parece conveniente que la solicitud se acompañe de la petición expresa del paciente, que, en mi opinión, es el primer interesado en este procedimiento. Naturalmente, su consentimiento informado es imprescindible para la administración del fármaco (art. 8.2).

Si la solicitud no reúne los requisitos establecidos, ha de requerirse al solicitante para que subsane las deficiencias en el plazo máximo de diez días, con indicación de que si así no lo hiciera se le tendrá por desistido de su solicitud (art. 8.3). A mi juicio, nada impide que en un momento posterior se pueda iniciar de nuevo el procedimiento.

Si la Agencia considera que no puede autorizarse el acceso individualizado, debe ponerlo en conocimiento del solicitante, a fin de que en un plazo de diez días pueda efectuar las alegaciones y aportar la documentación que estime oportuna (art. 8.4). Aunque el RD no lo mencione expresamente, cabe recurso contra la denegación de la Agencia, estando legitimado al efecto el centro sanitario, el facultativo y el propio paciente o su representante. Como ya tuve ocasión de exponer en otro lugar³⁵, lo idóneo es la interposición del recurso contencioso-administrativo, con petición de suspensión de la denegación de la autorización, por concurrir los presupuestos que exigen los artículos 129.1 y 130.1 de la Ley de la Jurisdicción Contencioso-Administrativa. En este caso, la suspensión equivaldría a la autorización provisional otorgada por el propio órgano judicial, justificada por las características y la finalidad que se persigue con el procedimiento de uso compasivo³⁶; porque la denegación de la Agencia presupone ya un juicio favorable de al menos el facultativo y del director del centro; y porque de la medida cautelar así adoptada no se seguiría perturbación grave de los intereses generales ni de terceros (art. 130.2 de la Ley de la Jurisdicción).

El RD silencia varias cuestiones importantes: 1) qué sucede cuando el promotor del ensayo clínico o el titular de la solicitud de autorización de comercialización no muestran su conformidad o su disposición para suministrar el medicamento; 2) qué posibilidades tiene el paciente para acceder al uso compasivo cuando el facultativo se niega a iniciar el procedimiento o el centro no presenta la solicitud; 3) cuáles son los motivos por los que la Agencia puede denegar la autorización.

³⁵ María del Carmen NÚÑEZ LOZANO (2006: 345 y 346).

³⁶ Se trata de un procedimiento, como ya se ha dicho, que mira en exclusiva al interés del paciente.

A la primera cuestión ya he tenido ocasión de referirme *supra*. Cabe añadir ahora que la negativa o disconformidad puede deberse a razones objetivas y justificadas, de índole científica³⁷; pero también a la prevalencia de intereses distintos de los del paciente. Sea como fuere, lo cierto es que al día de hoy no contamos en nuestro Derecho con una respuesta clara y adecuada ante la negativa a suministrar el medicamento o a prestar la conformidad, respuesta que en cualquier caso tampoco podría haber venido de la mano del RD 1015/2009 por insuficiencia de rango. En mi opinión, ha de ser una ley la que regule el supuesto, si lo que se pretende es, como creo que debe ser, imponer el suministro si no hay justificación científica que avale la negativa, de manera que la conformidad o no del promotor del ensayo o del titular de la solicitud de autorización resulte irrelevante.

En segundo lugar, la negativa del médico, hoy como antaño, trae consigo la imposibilidad de acceder al tratamiento, de modo que al paciente no le quedan más alternativas que la de aquietarse a la decisión del médico —con la posibilidad de presentar en su caso una reclamación³⁸— o la de buscar otro facultativo que esté dispuesto a suscribir la petición de uso compasivo, opción ésta que no siempre resulta sencilla en el sistema sanitario público³⁹ y que genera una clara y grave situación de desigualdad respecto de aquellos que opten por acceder a estos usos en el ámbito de la medicina privada. Como en el caso anterior, la ausencia de conformidad del director puede dar lugar a la presentación de una reclamación, si bien lo más sencillo será igualmente sortear el obstáculo, si se cuenta con la opinión favorable del médico, acudiendo a un centro privado.

Por lo que respecta a los motivos de la Agencia para denegar la autorización, sigo considerando que al ser la incertidumbre científica en sí misma presupuesto de hecho de la aplicación de este régimen de uso compasivo, con mayor o menos grado de intensidad⁴⁰, no cabe denegar la autorización argumentando insuficiente base científica⁴¹. Como tuve ocasión de exponer en su momento⁴², el criterio prevalente en orden a la adopción de la decisión no puede ser otro que la voluntad del paciente, que desea la curación, la mejora de su calidad de vida y, en no pocos supuestos, simplemente vivir. Este régimen singular del uso compasivo de medicamentos está establecido en

³⁷ Por ejemplo, la evidencia de que el medicamento aún no comercializado resulta manifiestamente contraindicado.

³⁸ Artículo 10.12 de la Ley 14/1986, de 25 de abril, General de Sanidad. El éxito de una reclamación de estas características es más que dudoso, como fácilmente se comprende; ha de tenerse en cuenta, además, que el tiempo que se tarda en resolver juega en contra del paciente.

³⁹ En la Comunidad Autónoma de Andalucía, *v. gr.*, el ejercicio del derecho a una segunda opinión médica se ha regulado en términos muy restrictivos (*vid.* el Decreto 127/2003, de 13 de mayo).

⁴⁰ Habrá más incerteza en los supuestos de medicamentos sujetos a ensayo clínico que en los casos de medicamentos cuya autorización de comercialización ya se haya presentado.

⁴¹ Al exigirse que el medicamento se encuentre en fase de ensayo clínico o con la autorización de comercialización solicitada, siempre habrá una base científica (*vid.* el art. 60.2 de la Ley 29/2006)

⁴² María del Carmen NÚÑEZ LOZANO (2006: 342 ss.).

interés y beneficio del paciente, al que le resulta indispensable, en los términos ya vistos, la aplicación de la terapia, de manera que en ausencia de determinaciones específicas en la normativa y por extrapolación incluso del principio de precaución⁴³, cabe considerar que la autorización sólo debe denegarse si la Agencia dispone de datos que evidencien la inutilidad del uso compasivo⁴⁴; aquí, pues, sí sería exigible una base científica para adoptar la decisión de no otorgar la autorización. Ello aparece también corroborado por la ausencia de normas procedimentales específicas, en contraste con las que contienen los artículos 18, 19 y 20 ss. del RD 223/2004⁴⁵. Descarto, por consiguiente, que la Agencia pueda valorar el riesgo que asume el paciente en función de la entidad de la enfermedad o aspectos tales como la viabilidad del tratamiento o el coste del mismo. Y es que la valoración del riesgo corresponde al propio paciente y se plasma en su consentimiento informado; la viabilidad del tratamiento ya fue considerada por el facultativo que puso en marcha la solicitud y también ha podido ser considerada por el promotor del ensayo clínico o por el titular de la solicitud de autorización de comercialización; y el director del centro, con su visto bueno, ya expresó un juicio positivo sobre el aspecto económico de la pretensión.

3. *Las autorizaciones temporales de utilización*

Las autorizaciones temporales de utilización son una de las grandes novedades de la nueva regulación del uso compasivo. Su ámbito es más estricto que el de las autorizaciones individuales, puesto que no se otorgan respecto de medicamentos que se encuentren simplemente sometidos a ensayos clínicos, sino que éstos han de estar «en una fase avanzada de la investigación clínica encaminada a sustentar una autorización de comercialización» o bien, ahora sí como en el caso de las autorizaciones individuales, se ha de haber solicitado la autorización de comercialización. Son temporales, precisamente, porque se espera que en el futuro se aprueben los medicamentos concernidos, de manera que el uso compasivo ceda paso al uso ordinario. En todo caso, es condición necesaria que se prevea su utilización para un grupo significativo de pacientes (art. 9.1).

Las autorizaciones las dicta la Agencia y su peculiaridad radica en que incluyen los requisitos y las condiciones en las cuales puede utilizarse el me-

⁴³ Esto es, la falta de certidumbre científica no debe impedir la acción. Me parece ilustrativo en este sentido el artículo del periodista A. MUÑOZ titulado «Caso Bio-Bac: el principio de precaución y el uso compasivo», *Discovery Salud*, 47, consultado en Internet, abril 2006 (no disponible en junio de 2010), http://www.daslud.com/numero47_3.htm.

⁴⁴ Considero, por tanto, aplicable al uso compasivo de medicamentos el principio que encarnan los artículos 60.3 de la Ley 29/2006 y 3.4 del RD 223/2004; a tenor de este último, «con el fin de garantizar una protección óptima de la salud y los derechos de los sujetos, no se podrán llevar a cabo investigaciones obsoletas o repetitivas».

⁴⁵ Regulan estos preceptos el procedimiento para la emisión del dictamen del Comité Ético de Investigación Clínica en ensayos unicéntricos, el procedimiento de dictamen único en ensayos clínicos multicéntricos y la autorización de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.

dicamento en investigación fuera del marco de un ensayo clínico sin necesidad de solicitar una autorización de acceso individualizado para cada paciente (art. 9.2). En la definición de las condiciones de utilización deben colaborar el promotor de los ensayos clínicos o el solicitante de la autorización de comercialización, puesto que se establecen sobre la base de los resultados procedentes de la investigación clínica en marcha (art. 9.3); la Agencia puede contar también con su red de expertos y debe tener en cuenta los dictámenes de la Agencia Europea del Medicamento [art. 10.b)]⁴⁶. Queda, pues, patente la necesidad que de la ciencia tiene la Administración⁴⁷.

La intervención de la Agencia en esta modalidad de uso compasivo es más intensa que en el tipo de uso sujeto a autorización individual: mientras que en éste es el facultativo el que orienta el proceso asistencial, en las autorizaciones temporales es la Administración —la Agencia— la que se anticipa al juicio técnico del médico, estableciendo de antemano las condiciones de uso del medicamento, de manera que las autorizaciones revisten carácter general y afectan a una pluralidad indeterminada de destinatarios. Por ello, el artículo 9.2 prescribe que se pongan a disposición de los interesados, que entendemos son, como mínimo, los sujetos que se relacionan en el artículo 3⁴⁸. No obstante, en el elenco de este precepto falta la mención a los pacientes o, al menos, a sus asociaciones u otras fórmulas organizativas que los agrupan; de ahí que considere que el deber que para la Agencia marca el artículo 9.2 es, desde luego, más extenso que el genérico del artículo 3. En cuanto a la fórmula idónea para su cumplimiento, resulta obligada la referencia a la publicidad a través de la página web de la Agencia⁴⁹.

En esta modalidad, la dirección del centro hospitalario donde se administre el tratamiento asume formalmente un mayor protagonismo, puesto que es la que decide en última instancia, mediante su visto bueno, la administración del medicamento a un paciente concreto⁵⁰; para ello debe considerar que el paciente cumple las condiciones establecidas en la autorización temporal de utilización y debe asegurarse de que se obtiene su consentimiento informado por escrito antes de la administración del medicamento. Debe también, a efectos informativos, comunicar a la Agencia cada uno de los pacientes que se acogen a la autorización temporal de utilización (arts. 9.4 y 10.2).

⁴⁶ Han de notificar las autorizaciones a la Agencia Europea del Medicamento; el artículo 10.d) puntualiza que esto es así «según lo previsto en el artículo 83 del Reglamento (CE) núm. 726/2004 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 31 de marzo de 2004». Sin embargo, no es esto lo que exactamente dispone el precepto: la obligación de notificación afecta a los medicamentos de las categorías mencionadas en los apartados 1 y 2 del artículo 3 del Reglamento, y además rige para todas las modalidades de uso compasivo.

⁴⁷ José ESTEVE PARDO (2009).

⁴⁸ En el artículo 10.e) se señala que es responsabilidad de la Agencia comunicar las autorizaciones a las autoridades competentes de las Comunidades Autónomas y al promotor del ensayo clínico o solicitante de la autorización de comercialización.

⁴⁹ Sin embargo, la página de la Agencia no ofrece información de este tipo. Para la información relevante contempla el acceso restringido mediante una aplicación electrónica, disponible sólo para laboratorios, centros sanitarios y Comunidades Autónomas.

⁵⁰ En el supuesto de la autorización individual, queda en manos de la dirección del centro la presentación de la solicitud.

La naturaleza de estas autorizaciones es compleja. Formalmente se presentan como actos administrativos, pero su funcionalidad es la de una norma. Con ellas se diseña un concreto régimen de utilización de cierta clase de medicamentos, sometido a la variabilidad típica de la norma jurídica, puesto que la Agencia puede modificar, suspender o revocar las autorizaciones según lo aconsejen nuevos datos científicos [art. 10.c)]⁵¹, lo que supondrá no tanto, o no siempre, la alteración de la atención sanitaria del paciente tratado en uso compasivo⁵² como la variación del marco jurídico general en que éste se consiente. Las autorizaciones, así, acotan con carácter general y abstracto el ámbito lícito de esta modalidad especial de utilización de medicamentos en que consiste el uso compasivo, para tipos determinados de ellos; con ello y en principio, se define en negativo, respecto de los medicamentos no autorizados concernidos, variaciones de prescripción y administración que en todo caso quedan prohibidas. Esta última apreciación, por otra parte, nos permite considerar otro aspecto asociado a la función normativa que cumplen estas autorizaciones temporales: si eventualmente se solicitara una autorización individual de un uso no amparado por una autorización temporal establecida para un concreto medicamento, y la Agencia llegara al convencimiento de que tal variante de uso, distinto del contemplado en la autorización temporal, es factible, no tendría que autorizar individualmente el uso, sino que habría de modificar la autorización temporal para recoger en ella la nueva variante, confirmándose, pues, respecto de estas autorizaciones temporales, la misma lógica que plasma el principio de inderogabilidad singular de los reglamentos.

Por ello, porque las autorizaciones temporales tienen cuerpo de acto y alma de norma⁵³, no acierta el artículo 7.1 del RD cuando señala, con carácter general y por tanto también para las autorizaciones temporales, que la Agencia podrá autorizar el uso compasivo de medicamentos en investigación, cuando se verifiquen los supuestos recogidos en la definición dada a este término en el artículo 2.1: la Agencia podrá recoger los elementos de la definición del artículo 2.1 en su resolución y podrá verificar que el medicamento de que es objeto la autorización temporal cumple, en efecto, los requisitos del artículo 2.1, pero lo que no podrá verificar en ningún caso es que el paciente reúne las características que selecciona como presupuesto de hecho el artículo 2.1, sencillamente porque la resolución no tiene un destinatario concreto y su funcionalidad es, precisamente, la de establecer un marco general para un medicamento concreto.

⁵¹ Para garantizar la seguridad del paciente y la adecuada utilización del medicamento.

⁵² Puede considerarse que la modificación, suspensión o revocación dejen a salvo, en determinados casos, los tratamientos ya iniciados.

⁵³ Parafraseo a CLAVERO ARÉVALO, que en fase temprana del Estado autonómico sentenció que «las Comunidades Autónomas tienen apariencia y cuerpo de estado y alma de Corporaciones Locales» [vid. Manuel Francisco CLAVERO ARÉVALO (1990), «La implantación de las Instituciones Autonómicas de Andalucía», *Administración de Andalucía. Revista Andaluza de Administración Pública*, 1, pág. 13].

VI. EL USO ALTERNATIVO DE MEDICAMENTOS

Como repetidamente se ha indicado, supone una novedad del RD el tratamiento del uso alternativo como una figura diferente de la del uso compasivo. Su elemento definitorio es la utilización del medicamento en condiciones distintas de las incluidas en la ficha técnica autorizada (art. 2.2 del RD 1015/2009), sin que se exija que el mismo se encuentre en investigación. Es el último apartado del artículo 24.3 de la Ley 29/2006 el que presta cobertura al RD, al señalar que el ministro de Sanidad y Consumo establecerá las condiciones para la prescripción de medicamentos autorizados cuando se utilicen en condiciones distintas a las autorizadas, que en todo caso tendrá carácter excepcional⁵⁴.

El RD ofrece un tratamiento general del uso alternativo. Pero, además, distingue ciertos supuestos en los que interviene la Agencia.

Así, con carácter general reitera que es un uso excepcional y dispone que se utilizará a las situaciones en las que se carezca de alternativas terapéuticas autorizadas para un determinado paciente⁵⁵, respetando en su caso las restricciones que se hayan establecido ligadas a la prescripción y/o dispensación del medicamento y el protocolo terapéutico asistencial del centro sanitario; el médico responsable del tratamiento debe justificar convenientemente en la historia clínica la necesidad del uso del medicamento e informar al paciente, en términos comprensibles, de la naturaleza del tratamiento, su importancia, implicaciones, posibles beneficios y riesgos potenciales, obteniendo su consentimiento conforme a la Ley 41/2002, de 14 de noviembre [arts. 13.1 y 15.a) y c)].

La intervención de la Agencia se produce sólo en determinados supuestos⁵⁶. El artículo 13.2 y 3 del RD establece que la Agencia podrá elaborar recomendaciones de uso, que se tendrán en cuenta en la elaboración de protocolos terapéuticos asistenciales de los centros sanitarios, cuando pudiera preverse razonablemente un riesgo para los pacientes derivado de la utilización de un medicamento en condiciones no contempladas en la ficha técnica.

⁵⁴ El dictamen del Consejo de Estado sobre el Reglamento ha llamado la atención acerca de que finalmente se han regulado las condiciones por Real Decreto y, por ello, sugería la inclusión en el texto de una remisión a una posterior Orden Ministerial que desarrollara con mayor detalle las condiciones para este uso, distinta de la genéricamente contenida en la disposición final segunda del RD. En mi opinión, se trata de una cuestión hasta cierto punto irrelevante.

⁵⁵ Por ello, no puedo estar de acuerdo con J. M. PAREDERO DOMÍNGUEZ *et al.* cuando manifiestan que «en el marco de un protocolo asistencial, diseñado a partir de los resultados que arroja la evidencia científica, no debería haber la posibilidad de que un medicamento autorizado para una indicación dada desplace a otro medicamento FFT [se refieren a los medicamentos fuera de ficha técnica, esto es, en uso alternativo] cuando éste ha demostrado superar en eficacia, seguridad, conveniencia o eficiencia al primero». Esta afirmación, plena de sentido común, no se aviene con el texto de la norma. *Vid.* J. M. PAREDERO DOMÍNGUEZ *et al.* (2010), «Disponibilidad del medicamento en situaciones especiales (RD 1015/2009)», *Boletín Fármaco Terapéutico de Castilla-La Mancha*, vol. 11, núm. 2, pág. 2.

⁵⁶ No obstante, con carácter general tiene el deber de notificar al titular de la autorización de comercialización las sospechas de reacciones adversas [art. 14.e)].

ca, cuando se trate de medicamentos sometidos a prescripción médica restringida, conforme al Real Decreto 1345/2007, de 11 de octubre⁵⁷, o cuando el uso del medicamento en estas condiciones suponga un impacto asistencial relevante⁵⁸. Las recomendaciones se basarán en los datos de eficacia y seguridad disponibles; la Agencia debe revisar al efecto los resultados de los ensayos clínicos de los que tenga conocimiento y el plan de gestión de riesgos del medicamento; para su elaboración, puede contar con su red de expertos y recabar información del titular de la autorización de comercialización [art. 14.a)], al que a su vez ha de informar sobre las recomendaciones [art. 14.d)]. Debe, por otra parte, revisar las recomendaciones cuando los nuevos datos así lo aconsejen [art. 14.c)].

El elemento más destacado de esta regulación es, como ya se ha puesto de manifiesto, la normalización del uso alternativo de medicamentos. La Exposición de Motivos del RD reconoce la realidad de esta práctica⁵⁹ y la justifica, además, poniendo de manifiesto uno de los problemas que presenta la investigación en nuestro país, en el que ahora no podemos entrar: la ausencia de interés comercial para determinadas investigaciones⁶⁰. En consecuencia, los artículos 13 ss. la regulan, pero con una perspectiva parcial e insuficiente que trae consigo consecuencias muy negativas.

En efecto, el propósito central de la nueva normativa es, en cumplimiento del artículo 24.3 de la Ley 29/2006, establecer las condiciones de prescripción bajo uso alternativo, que en todo caso ha de tener carácter excepcional. A tal fin establece el régimen general que ya he explicado, en el que no se prevé ninguna fórmula de intervención administrativa. Y para determinados supuestos contempla la emanación de recomendaciones de la Agencia. Se ha su-

⁵⁷ Téngase en cuenta que los medicamentos se someterán a prescripción médica restringida cuando: a) a causa de sus características farmacológicas, o por su novedad, o por motivos de salud pública, se reserven para tratamientos que sólo puedan utilizarse o seguirse en medio hospitalario o centros asistenciales autorizados (Medicamentos de Uso Hospitalario); b) se utilicen en el tratamiento de enfermedades que deban ser diagnosticadas en medio hospitalario, o en establecimientos que dispongan de medios de diagnóstico adecuados, o por determinados médicos especialistas, aunque la administración y seguimiento puedan realizarse fuera del hospital (Medicamentos de Diagnóstico Hospitalario de prescripción por determinados médicos especialistas); c) estén destinados a pacientes ambulatorios, pero cuya utilización pueda producir reacciones adversas muy graves, lo que requerirá, en su caso, prescripción por determinados médicos especialistas y una vigilancia especial durante el tratamiento (Medicamentos de Especial Control Médico).

⁵⁸ FRANCISCO BOMBILLAR SÁENZ (2010a: 398 y 2010b: 40) lo cifra en un aumento considerable del gasto farmacéutico público. En mi opinión, debe entenderse que el impacto lo es por el número de personas afectadas, entre otras razones porque las recomendaciones de la Agencia surten efecto general, también, por tanto, en el ámbito de la prescripción de medicamentos en la sanidad privada.

⁵⁹ Se estima que el uso alternativo tiene lugar en el 74% del uso de anticonvulsivos, en el 60% de los antipsicóticos, en el 50-75% de los tratamientos oncológicos y en un 41% del uso de antibióticos. En general, el uso alternativo representa el 21% de los tratamientos. Vid. J. M. PAREDERO DOMÍNGUEZ *et al.* (2010: 2).

⁶⁰ Sobre cómo los centros que dominan la investigación determinan las decisiones políticas, *vid.* JOSÉ ESTEVE PARDO (2009: 62); a su vez, el objeto de la investigación viene determinado por las perspectivas de aplicación y de aprovechamiento (*ibidem*, 70). Critican que las fuerzas del mercado condicionen la investigación en salud Dolores MONTERO *et al.* (2009: 427).

primido, pues, la necesidad de obtener autorización de la Agencia, de manera que se evita, desde luego, la demora que se producía en el acceso al tratamiento; por otra parte, se libera a la Agencia de una carga de trabajo bien significativa; y se legaliza, como se ha indicado, la práctica de prescribir bajo uso alternativo sin autorización de la Agencia, de manera que ésta deja de ser una conducta ilícita en sí misma considerada si se realiza respetando los requisitos del artículo 13.1. Se ha suprimido también la intervención del director del centro, que ya no ha de prestar su conformidad; la intervención de los centros, pues, se limita, en su caso, a la inclusión o proscripción del uso alternativo en el protocolo terapéutico asistencial.

Ahora bien, la supresión de la autorización de la Agencia y la legalización de la práctica no despojan al uso alternativo de su carácter excepcional, de manera que sigue siendo un uso del que no cabe presumir las garantías de calidad, seguridad y eficacia, que son las notas fundamentales del uso de medicamentos conforme a su ficha técnica. Y menos aún en la medida en que ya no se exige que el medicamento esté en investigación, lo que al fin y al cabo suponía en teoría un cierto nivel de seguridad⁶¹. Por ello, en mi opinión, no se puede afirmar, como antaño, que la prescripción de un uso alternativo, aunque concurren los requisitos del artículo 13.1, esté exenta en todo caso de responsabilidad: lo estará la prescripción que siga las recomendaciones de la Agencia en los casos en que se hayan establecido tales recomendaciones; puede quedar exonerado de responsabilidad, y aun sería dudoso, el facultativo que prescriba el uso alternativo con arreglo al protocolo asistencial del centro sanitario; pero no queda exonerado el propio centro asistencial por el mero establecimiento de un protocolo asistencial ni el facultativo que prescriba en ausencia de protocolo asistencial.

La consecuencia de todo ello es clara: la Agencia puede haber ganado en eficacia al liberarse del cometido de otorgar autorizaciones para usos alternativos, pero no cabe duda de que el nuevo régimen es disuasorio para los facultativos y para los centros sanitarios, como ya avancé *supra* al tratar de la responsabilidad. De este modo, el paciente necesitado de un medicamento en régimen de uso alternativo puede no tener acceso al mismo por una elemental razón de autoprotección del médico o del centro sanitario⁶²; incluso, la nueva regulación aparentemente impide que tenga acceso al medicamento utilizando la modalidad de uso compasivo, puesto que aun siendo posible

⁶¹ Digo en teoría porque ciertos datos evidencian que el uso alternativo, como modalidad de uso compasivo al amparo del RD 223/2004, no se limitó a medicamentos en investigación. Tales datos son el número de solicitudes presentadas a la Agencia y el reconocimiento de que ha sido una práctica habitual.

⁶² Cada vez con más frecuencia se aplauden las disposiciones de matiz liberalizador y simplificador, que se presentan como un factor de fomento de la responsabilidad de los profesionales. A mi juicio, empero, esta perspectiva no es acertada porque no toma en cuenta que ni el facultativo ni el centro sanitario están obligados a prescribir bajo uso alternativo, y menos aún en ausencia de recomendaciones de la Agencia, sencillamente porque no es una conducta a la que obligue la *lex artis*; por otra parte, tampoco se repara en que la responsabilidad profesional que se fomenta tiene como contrapartida la asunción de la responsabilidad patrimonial en un ámbito no cubierto por la *lex artis*.

un ensayo clínico sobre un medicamento autorizado [art. 2.a) y d) del RD 223/2004], el uso compasivo sólo es posible si el medicamento no está autorizado (art. 2.1 del RD 1015/2009), de manera que cabe que no llegue a obtener la autorización individual de uso compasivo⁶³, modalidad ésta en la que la responsabilidad del médico es la ordinaria.

Otro efecto que produce la nueva regulación es el de «petrificar» la gama de usos alternativos posibles, salvo que con audacia se recurra a la experiencia clínica de otros países o que en éste, como en otros ámbitos, la autorregulación de un procedimiento pase a primera línea para conferir legitimación a las decisiones mediante la racionalidad formal de un protocolo de actuación⁶⁴. Y es que si el fundamento del uso alternativo, como señala la Exposición de Motivos del RD, es la existencia de «datos clínicos que avalan un determinado uso terapéutico para un medicamento ya autorizado», y tales datos sólo llegarán a obtenerse a partir de ahora si hay suficientes médicos y centros sanitarios valientes y arriesgados como para generar una praxis idónea en orden a su reflejo en un protocolo asistencial, cabe conjeturar que las únicas posibilidades de usos alternativos serán las que con anterioridad se hubiesen realizado al amparo de las autorizaciones concedidas en el pasado por la Agencia y que hayan quedado reflejadas en los protocolos asistenciales⁶⁵.

Ello nos lleva a considerar otro aspecto adicional, ahora sobre el ámbito de las recomendaciones de la Agencia. Éstas, probablemente, recogerán, en su caso, el conjunto de autorizaciones que en el pasado haya concedido la propia Agencia, quizás tamizadas por el filtro de coste económico que pueda entrañar el uso alternativo —que es un factor del que debería prescindir la Agencia, siquiera sea porque sus recomendaciones rigen también en el ámbito de la sanidad privada—; es posible también que puedan referirse a usos alternativos de medicamentos autorizados en investigación. Pero es muy dudoso que puedan referirse a los supuestos de medicamentos autorizados cuya investigación sobre nuevos usos no tenga interés comercial, sencillamente porque no habrá ensayos y porque el régimen de responsabilidad habrá disuadido de cualquier práctica clínica que pudiera tomar en consideración la Agencia.

⁶³ Salvo, claro está, que se interprete que el uso alternativo de un medicamento autorizado equivale al uso de un medicamento no autorizado, de manera que sea factible su uso compasivo. Es así como debe interpretarlo un jurista y es así como, en consecuencia, estarían obligados a interpretarlo los facultativos, gestores y políticos.

⁶⁴ Me parece muy significativa, en esta línea, la iniciativa del Grupo de Evaluación de Novedades, Estandarización e Investigación en Selección de Medicamentos, de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria, sobre el establecimiento del procedimiento para la utilización de medicamentos en uso alternativo: http://genesis.sefh.es/Enlaces/PNT_FFT_GENESIS_Borrador_07_11_2009.pdf (consultado en junio de 2010).

⁶⁵ Por ejemplo, en la Resolución del Defensor del Pueblo de Andalucía de 23 de marzo de 2010 se explica que el Servicio de Oncología de un hospital sevillano se negó a prescribir un uso alternativo de un medicamento porque la indicación se encontraba en fase de investigación básica, sin que existieran ensayos clínicos en humanos, de manera que no había evidencia científica que sustentara la decisión; el paciente ya había iniciado el tratamiento por otro cauce y había experimentado una mejora de calidad de vida, aunque no acompañada por una evolución clínica favorable, extremo éste que se argumentó también ante el Defensor.

Finalmente, y en cuanto a la naturaleza de las recomendaciones, considero que no son, evidentemente, normas jurídicas ni tampoco autorizaciones. Son juicios técnicos de la Agencia, formulados con carácter general para medicamentos concretos y que producen el efecto de exonerar la responsabilidad de los profesionales sanitarios. No pueden considerarse, en mi opinión, meras guías carentes de valor alguno, porque lo cierto es que generan confianza en los centros sanitarios en la medida en que éstos las incorporen en sus protocolos asistenciales y, en consecuencia, en los facultativos. Otra solución, consistente en interpretar que carecen de relevancia jurídica, sólo podría llevarnos a concluir que el Gobierno, a través de los artículos 13 ss. del RD 1015/2009, ha realizado un ejercicio irresponsable de su potestad reglamentaria, retrocediendo por tanto, en los términos más absolutos, respecto de los logros que con el diseño de la figura del uso alternativo, bajo la modalidad de uso compasivo, ya había alcanzado el RD 223/2004, aun cuando el régimen de éste fuera en sí mismo criticable.

VII. VALORACIÓN CRÍTICA

La nueva regulación del uso compasivo y del uso alternativo de medicamentos presenta aspectos positivos, de mejora de la regulación anteriormente existente, pero también aspectos que impiden que el juicio sobre el RD 1015/2009, en la materia que aquí se ha analizado, pueda ser por completo favorable.

Es cierto que en abstracto resulta acertada la distinción entre uso compasivo y uso alternativo; que se fortalece la seguridad del uso compasivo al exigirse que el medicamento se encuentre sometido a ensayo clínico o que la autorización de comercialización ya se haya solicitado; que se contempla expresamente el deber de transparencia de la Agencia y que, aun limitadamente, aparecen en escena las CC.AA.; que se gana en agilidad con las autorizaciones temporales de uso compasivo; que se ha reconocido la frecuencia y necesidad del uso alternativo; que las autorizaciones temporales facilitan la tarea asistencial de los profesionales sanitarios, al no tener que adoptar la iniciativa para el acceso al uso compasivo; que la fórmula de las recomendaciones permite también el acceso expedito al medicamento; que tanto las autorizaciones temporales como las recomendaciones mejoran el acceso en condiciones de igualdad al medicamento⁶⁶; que se presta especial atención al intercambio de información, esencial en el ámbito de la farmacovigilancia⁶⁷...

Pero la cuestión clave, a la hora de valorar el régimen que se ha expuesto, es la de la medida en que se atiende realmente a los intereses de los pacientes, desde la premisa de que los suyos son, efectivamente, los intereses que

⁶⁶ Cristina AVENDAÑO SOLA (2009: 425). Al respecto, resultan muy ilustrativos los antecedentes de la Resolución del Defensor del Pueblo de Andalucía de 23 de marzo de 2010.

⁶⁷ Vid. Gabriel DOMÉNECH PASCUAL (2009), *El régimen jurídico de la farmacovigilancia*, Cizur Menor, Civitas-Thomson Reuters.

debe proteger el ordenamiento jurídico con esta regulación⁶⁸. Como punto de partida, creo que en el RD puede identificarse, ciertamente, el interés del paciente como el interés prevalente a que se atiende. Con todo, hay que considerar también que, sin embargo, se cercenan a priori determinadas posibilidades de acceso al uso compasivo (no se deja ninguna puerta abierta al uso de medicamentos en investigación pero que no se encuentren en ensayo clínico), con olvido de los presupuestos subjetivos de acceso al mismo y de la básica libertad de determinación personal de los riesgos asumibles. Por otra parte, el nuevo régimen del uso alternativo, en particular la controvertida responsabilidad de los profesionales sanitarios, resulta patentemente negativo para los pacientes. Además, el enfermo no tiene protagonismo alguno: no lo tuvo ni aun en el procedimiento de elaboración del RD 1015/2009⁶⁹; no se le reconoce iniciativa; no puede hacer valer el resultado de la ponderación de intereses que haya podido llevar a cabo; se le presume una carencia de conocimiento y de criterio suficientes para pronunciarse sobre la apuesta por la conservación de su vida, o de unas determinadas condiciones de vida, que en definitiva entrañan el uso compasivo y el uso alternativo de medicamentos; no resulta acreedor del deber de transparencia que se le impone a la Agencia; no se prevén específicamente mecanismos de reacción ágiles frente a la denegación de autorización de la Agencia, o frente a la negativa del centro sanitario a subsumir su situación en la correspondiente autorización temporal de uso compasivo... Finalmente, la igualdad en el acceso no está plenamente garantizada, habida cuenta de que depende, a la postre, del centro sanitario⁷⁰.

Por todo ello, y aun valorando los progresos en la regulación que encarna el RD 1015/2009, la conclusión final no es otra que la de abogar por una nueva reforma de esta normativa que clarifique y defina, al menos, sus aspectos más controvertidos, que son, por un lado, la expresión clara y sin ambages del alcance de la responsabilidad de los profesionales sanitarios y, además, desde una perspectiva más general, los derechos que efectivamente asisten a los enfermos y los mecanismos de que disponen para su defensa.

⁶⁸ Así lo sostuve en el año 2006, al analizar el régimen entonces vigente sobre uso compasivo de medicamentos, por contraposición a lo que sucedía respecto de los ensayos clínicos, en los que se daban cita, como hoy también sucede, una pluralidad de intereses, fundamentalmente los del promotor, los del investigador, los del sujeto del ensayo y también los de la sociedad.

⁶⁹ El Consejo de Estado, en su dictamen sobre el RD, destacó que no se había recabado el informe del Consejo de Consumidores y Usuarios.

⁷⁰ *Vid.* la Resolución del Defensor del Pueblo de Andalucía de 23 de marzo de 2010.

