

# **TRASPLANTE DE MÉDULA ÓSEA O TRASPLANTE DE PROGENITORES HEMATOPOYÉTICOS**

**NORMATIVA DE COBERTURA DEL  
FONDO NACIONAL DE RECURSOS**

**FONDO NACIONAL  
DE RECURSOS**

**JUNIO 2006**

## ÍNDICE

1. Indicaciones
2. Indicaciones de tipo de TPH
3. Procedimientos financiados por el Fondo Nacional de Recursos. Alcance de la cobertura financiera de actos de trasplante de médula ósea (TPH)
4. Requisitos que deberán cumplir los IMAE
5. Autorización de cobertura de los actos
  - 5.1 Evaluación técnica de las solicitudes
  - 5.2 Requisitos del trámite de autorización
  - 5.3 Paraclínica necesaria para la autorización
  - 5.4 Carácter de la autorización y validez de la misma
6. Informe de realización y facturación
7. Seguimiento

## 1. Indicaciones cubiertas por el Fondo Nacional de Recursos

### Indicaciones de TPH en adultos

**Enfermedades congénitas en las que se plantea un trasplante de progenitores hematopoyéticos (TPH):** en todas estas patologías se acepta el trasplante alogénico de médula ósea.

- 1- Inmunodeficiencias congénitas severas.
- 2- Enfermedad de Fanconi.
- 3- Tumorización (enfermedades de depósito)
- 4- Hemoglobinopatías severas.
- 5- Enfermedades granulomatosas crónicas.
- 6- Otras.

**Enfermedades adquiridas en las que se plantea un TPH:** se acepta el trasplante de médula ósea autólogo o alogénico según la patología, la situación clínica y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible.

### Leucemias Agudas

#### 1- Leucemia aguda mieloblástica (LAM) de novo y secundarias:

- a) **LAM en primera remisión completa (RC1):** se acepta el TPH autólogo o alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
- b) **LAM - M3 es la excepción:** LAM promielocítica que presenta la traslocación (15;17) con reordenamiento PML / RaRa $\alpha$ ; el TPH no está indicado en RC1
- c) **LAM en segunda (RC2) o siguientes remisiones completas:** se acepta el TPH autólogo o alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
- d) **LAM en remisión parcial o fase de resistencia:** se acepta el TPH alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

#### 2- Leucemia aguda linfoblástica (LAL):

a) **LAL en RC1** en pacientes que presentan como factores de mal pronóstico la edad más alguno de los siguientes criterios:

- Formas hiperleucocitarias, gran masa tumoral o compromiso visceral.
- Citogenética desfavorable.
- Tiempo mayor a cuatro semanas para obtener la remisión completa.

Se acepta el TPH autólogo o alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

b) **LAL en RC2 o siguientes:** se acepta el TPH autólogo o alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

c) **LAL en RP:** se acepta el TPH alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

### Leucemias crónicas

1 - Leucemia Mieloide crónica (LMC):

- Se acepta el TPH alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

1 - Leucemia Linfoide crónica (LLC) estadios B y C (se excluye el estadio A)

a) **LLC en RC1 o siguientes remisiones:** se acepta el TPH autólogo o alogénico según la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible.

b) **LLC en las que no se obtiene la RC:** se acepta en estos casos el TPH alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

### Linfopatías tumorales

1 - Enfermedad de Hodgkin

a- **En RC1** se acepta TPH autólogo cuando se requirió más de un plan de quimioterapia para obtener la RC.

- b- **En RC 2 y siguientes** se acepta el TPH autólogo y alogénico en casos especiales, si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
- c- **En Remisión Parcial** luego de la utilización de al menos dos planes completos y distintos de tratamiento, se acepta el TPH autólogo; o TPH alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

## 2 - Linfomas no Hodgkinianos

### a) Linfomas no Hodgkin agresivos

- **En RC1**, con alguno de los siguientes criterios de mal pronóstico, se acepta el TPH autólogo:
  - Histología: Linfoma de Burkitt, Linfoma linfoblástico y Linfoma del Manto.
  - IPI mayor de 2.
  - Que requirió al menos dos planes distintos de quimioterapia para obtener la RC.
- **En RC2 o subsiguientes y remisión parcial mayor**, se acepta el TPH autólogo; o alogénico en casos seleccionados si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
- **En fase de resistencia a la quimio e inmunoterapia**, se acepta el TPH alogénico, en casos seleccionados si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

### b) Linfomas indolentes

- **En RC2 y siguientes remisiones**, se acepta el TPH autólogo; o alogénico en casos seleccionados si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
- **Pacientes en casos seleccionados**, donde no se obtiene la RC, se acepta el TPH alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
- **En casos seleccionados de pacientes** (pacientes jóvenes) donde no se obtiene la RC, quimiosensibles con remisión parcial mayor, si la situación biológica del paciente, su edad y ante la no-

disponibilidad de un donante familiar histocompatible podría aceptarse un TPH autólogo.

### **Mieloma Múltiple**

En pacientes portadores de enfermedad con respuesta a la quimioterapia mayor al 50% se acepta el TPH autólogo; o alogénico en casos muy seleccionados, si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible

### **Amiloidosis Primaria**

En pacientes sin deterioro orgánico cardiovascular y/o renal severo, se acepta el TPH autólogo.

### **Aplasia de Médula Ósea**

1. **Aplasias medulares graves** que no responden al tratamiento con ATG, se acepta el TPH alogénico, si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
2. **En casos seleccionados menores de 20 años**, el TPH alogénico se aceptaría como tratamiento inicial, si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

### **Síndromes Mielodisplásicos**

1. **En AR, ARS, AREB y LMMC**, se acepta el TPH alogénico, si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
2. **En AREB-t**, se aceptan las indicaciones contempladas para la LAM.

### **Metaplasia Mieloide con Mielofibrosis**

1. Se acepta el TPH alogénico si la situación biológica del paciente, su edad y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

### **Tumores sólidos**

1. Tumores germinales quimiosensibles metastásicos en RC1, se acepta el TPH autólogo.
2. Tumores germinales en RC2, se acepta el TPH autólogo.
3. Tumores germinales en remisión parcial o recidiva quimiosensible, se acepta el TPH autólogo.

### **Indicaciones de TPH en población pediátrica**

**A – Enfermedades congénitas en las que se plantea un TPH:** se aceptan las consideraciones establecidas en el capítulo de indicaciones para adultos, destacando que es en esta población pediátrica donde estas patologías tienen significancia.

**B – Enfermedades adquiridas en las cuales se plantea un TPH:** se aceptará un trasplante de médula ósea autólogo o alogénico, según la patología, la situación clínica y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible.

### **Leucemias Agudas**

#### 1- Leucemia aguda mieloblástica (LAM) de novo y secundarias:

- a) **LAM de alto riesgo**, en primera remisión completa (**RC1**) se acepta el TPH autólogo o alogénico si la situación biológica del paciente y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
- b) **LAM en segunda (RC2) o siguientes remisiones completas**, se acepta el TPH autólogo o alogénico si la situación biológica del paciente y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
- c) **LAM en remisión parcial o fase de resistencia** se acepta en estos casos el TPH alogénico si la situación biológica del paciente y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

#### 2- Leucemia aguda linfoblástica (LAL):

- a) **LAL en RC1** en casos seleccionados de muy alto riesgo (tiempo mayor a 4 semanas para obtener la remisión completa; citogenética desfavorable como por ejemplo Phi +) se acepta el TPH alogénico si se dispone de un donante familiar histocompatible; ante la no-disponibilidad de donante puede aceptarse el TPH autólogo.

- b) **LAL en RC2 o siguientes** se acepta el TPH autólogo o alogénico si la situación biológica del paciente y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.
- c) **LAL en RP o fase de resistencia:** se acepta el TPH alogénico si la situación biológica del paciente y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

### Leucemias crónicas

- 1 - Leucemia Mieloide crónica (LMC): se acepta el TPH alogénico si existe un donante familiar histocompatible.
- 2 - Leucemia Linfoide crónica (LLC): situación muy excepcional a considerar en forma individualizada.

### Linfopatías tumorales

- 1 - Enfermedad de Hodgkin
  - **En RC 2** y siguientes se acepta el TPH autólogo.
  - **En primera remisión parcial** luego de dos planes de tratamiento poliquimioterápico se acepta el TPH autólogo; o en forma excepcional TPH alogénico si existe donante familiar histocompatible y la situación biológica del paciente lo permite.
  - **En segunda o siguientes remisiones parciales quimiosensibles** se acepta el TPH autólogo; o en forma excepcional TPH alogénico si existe donante familiar histocompatible y la situación biológica del paciente lo permite.
- 2 - Linfomas no Hodgkinianos
  - **Linfomas no Hodgkinianos de alto riesgo en RC2 y siguientes** se acepta el TPH autólogo.
  - **En remisiones parciales quimiosensibles**, se acepta el TPH autólogo o, en forma excepcional, TPH alogénico si existe donante familiar histocompatible y la situación biológica del paciente lo permite.

### Aplasia de Médula Osea

- **Aplasias medulares graves**, se acepta el TPH alogénico, si la situación biológica del paciente y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.



## **Síndromes Mielodisplásicos.**

- Se acepta el TPH alogénico si la situación biológica del paciente, y la posibilidad de disponer de un donante familiar histocompatible lo hacen posible.

## **Tumores sólidos.**

- **Neuroblastoma** de alto riesgo, en remisión completa o parcial, se acepta el TPH autólogo.
- **Méduloblastoma** en menores de 4 años en remisión completa o parcial, se acepta el TPH autólogo.
- **Sarcoma de Ewing estadio IV** y alto riesgo en remisión completa, se acepta el TPH autólogo.
- **Tumor de Wilms anaplásico estadio IV**, en remisión completa o parcial, se acepta el TPH autólogo.
- **Tumores germinales estadios IV** en remisión completa o parcial, se acepta el TPH autólogo.

## **2. Indicaciones de tipo de TPH**

- **TPH autólogo**, se acepta en aquellas patologías contempladas en esta normativa para pacientes con edad menor o igual a 65 años, sin afección orgánica o psíquica que lo contraindique.
- **TPH alogénico convencional de donante familiar histocompatible**, se acepta en aquellas patologías contempladas en esta normativa, para pacientes con edad menor o igual a 50 años, sin afección orgánica o psíquica que lo contraindique.
- **TPH alogénico semiablatoivo**, de donante familiar idéntico, se acepta dentro de aquellas patologías contempladas en esta normativa, en situaciones especiales, para pacientes con edad menor o igual a 60 años, sin afección orgánica o psíquica que lo contraindique.
- TPH de donante no emparentado y TPH haploidéntico, deberán ser objeto de un análisis profundo para determinar en un futuro las condiciones de aceptación.

### **3. Procedimientos financiados por el Fondo Nacional de Recursos. Alcance de la cobertura financiera de actos de trasplante de médula ósea (TPH)**

#### **3.1 Según la normativa vigente**

El Fondo Nacional de Recursos (FNR) sólo realizará la cobertura financiera de las indicaciones previstas en esta normativa, cuando no exista otro tipo de restricción de las que se especifican más adelante. Las indicaciones no contempladas en esta normativa podrán ser sometidas a un estudio más detallado, en cuyo caso la autorización dependerá de la evaluación médica de cada caso en particular

#### **3.2 Según las condiciones generales del paciente y su expectativa de vida**

A efectos de autorizar la cobertura financiera, en todos los pacientes se tomará en cuenta en forma integral la edad, la calidad de vida, la existencia de comorbilidades y el pronóstico, de tal manera que de la evaluación surja una expectativa de vida razonable, posibilidades ciertas de rehabilitación y un adecuado balance entre calidad de vida esperada y riesgos inherentes al procedimiento.

El FNR dispondrá los procedimientos técnico administrativos que entienda necesarios, previos a emitir la autorización de cobertura, incluyendo sistemas de segunda opinión y ateneos, entre otros. El FNR podrá solicitar al Instituto de Medicina Altamente Especializada (IMAE) o a la institución de origen que se realicen los estudios o interconsultas necesarias a los efectos de completar esta evaluación.

### **4. Requisitos que deberán cumplir los IMAE**

Los Servicios que aspiren a desarrollar su actividad como IMAE deberán, en primer lugar, obtener la habilitación pertinente en el Ministerio de Salud Pública (MSP).

Una vez otorgada dicha habilitación, deberán presentarse ante la Comisión Honoraria Administradora (CHA) del FNR adjuntando constancia de la misma y solicitando la cobertura financiera de los procedimientos a realizar. En esa instancia deberán adjuntar una descripción de los procedimientos que realizarán y manifestarán su conformidad con los protocolos técnico-administrativos vigentes. Deberán detallar el equipo técnico que actuará en el IMAE especificando su experiencia acreditada en la especialidad en el país y en el exterior. Identificarán un responsable del servicio en carácter de Director Técnico. De igual modo, presentarán ante el FNR el equipamiento disponible y otra información que resulte útil para evaluar las condiciones del servicio médico a brindar.

La CHA solicitará los asesoramientos técnico-administrativos que entienda convenientes así como otra información que considere necesaria para emitir un pronunciamiento. Dichos asesoramientos incluirán visitas a las instalaciones y podrán resultar en niveles de exigencia aún mayores que los requeridos para la habilitación.

La CHA emitirá una resolución por la cual se establecerá si se otorga o no la cobertura financiera a los actos a cumplirse por parte de los solicitantes, para aquellos pacientes que opten por atenderse en ese IMAE. Dicha resolución podrá incluir algún tipo de condicionante o restricción y podrá ser modificada cuando existan razones que lo ameriten a juicio de la CHA.

El FNR solicitará periódicamente a los IMAE la actualización de la información presentada al inicio de su actividad, sin desmedro de lo cual, es obligación del IMAE informar al FNR cada vez que se produzca un cambio en el plantel de técnicos actuantes y en particular en la Dirección Técnica.

Es obligación del IMAE informar al FNR toda complicación o evento adverso que se produzca durante la atención de pacientes bajo esta cobertura financiera. Es también obligación de los IMAE informar de inmediato al FNR la ocurrencia de fallos o problemas con el equipamiento o con las instalaciones en las cuales desarrollan su actividad. El FNR podrá realizar en cualquier momento los controles que entienda pertinentes respecto a esos aspectos.

El FNR implementará actividades de auditoría, seguimiento, evaluación de resultados y control técnico-administrativo de los actos que financia, incluyendo consultas directas a los pacientes tratados, control de historias clínicas y otras que entienda pertinentes para el cumplimiento de sus fines.

Es obligación de los IMAE facilitar la tarea de control y seguimiento, por lo cual deberán estimular la participación de los pacientes en los programas del FNR.

El IMAE es responsable de la atención brindada a los pacientes, por lo cual deberá contar con un registro de los procedimientos que realiza, llevando un archivo de historias clínicas completo y ordenado, todo lo cual podrá ser consultado por el FNR cuando lo entienda necesario.

Los IMAE tienen responsabilidad sobre el seguimiento de los pacientes a los cuales tratan, asegurando una adecuada coordinación con la institución de origen.

## **5. Autorización de cobertura de los actos**

### **5.1 Evaluación técnica de las solicitudes**

La autorización de cobertura de los actos por parte del FNR se hará basándose en la evaluación técnica de las solicitudes, para lo cual podrá utilizar los mecanismos de asesoramiento que entienda necesarios, incluyendo la segunda opinión médica, discusión en ateneos y requerimiento de documentación adicional.

## 5.2 Requisitos del trámite de autorización

- Envío de la solicitud

Las solicitudes de cobertura de TPH serán enviadas al FNR, en donde se estudiará la pertinencia de la indicación en función de la presente normativa, verificándose además el cumplimiento de los aspectos administrativos necesarios para dar curso a la misma.

No se admitirán trámites de autorización de actos ya realizados.

- Indicación

La indicación de la técnica constituye una etapa indisoluble del tratamiento integral del paciente y en consecuencia es de responsabilidad directa del médico tratante de la institución asistencial que da cobertura al paciente. Por ese motivo la Hoja de Identificación del Paciente debe estar firmada por el médico tratante.

- Elección del IMAE que realizará el procedimiento

Para la elección del IMAE que desarrollará el procedimiento regirá en todos los casos la libertad de opción del paciente.

- Documentación necesaria

La documentación a enviar al FNR incluye:

- **Fotocopia de Cédula de Identidad** del paciente
- **Fotocopia del Carné de Asistencia vigente** si se trata de un beneficiario de ASSE – MSP
- **Hoja de identificación del paciente.** La Hoja de identificación es un formulario preimpreso, cuyo modelo es aportado por el FNR y en donde deben ser llenados los datos identificatorios del paciente, el tipo de cobertura, el acto médico solicitado, consignando el IMAE en que será realizado y la firma del responsable de la Institución de origen (Director, Director Médico, Director Técnico, etc.). Deberá incluir de manera visible uno o más números telefónicos en los cuales el paciente o su familia inmediata puedan ser ubicados luego del alta.
- **Formulario de consentimiento informado.** El trámite de solicitud debe acompañarse del consentimiento informado del paciente a los efectos de la realización del acto médico. Este consentimiento será recabado por el hematólogo tratante en un formulario aportado por el FNR. El

hematólogo deberá informar al paciente sobre los riesgos de la intervención, alternativas de tratamiento y posibilidades reales de rehabilitación en relación a las expectativas del paciente. Deberá constar en el mismo la firma del médico y del paciente. El formulario a utilizar será el correspondiente a trasplante de médula ósea. Para el caso de pacientes menores de edad o incapaces, el consentimiento será firmado por sus padres, tutores o curadores.

- **Formulario de Solicitud de Trasplante de Médula Ósea.** Los datos médicos que justifican la indicación del acto deben ser recogidos en el Formulario de Solicitud. El mismo es una hoja preimpresa cuyo modelo es aportado por el FNR y que contiene datos sobre las condiciones del paciente y la patología que motiva el procedimiento. El FNR registrará en su base de datos la información de este formulario por lo cual es imprescindible registrar en forma completa todos los ítems consignados en los casilleros correspondientes. Cualquier omisión en su llenado será causal de devolución de la solicitud.
- **Historia Clínica resumida.** En la misma deben establecerse los principales hechos y su evolución explicando los motivos de la indicación.

### **5.3 Paraclínica necesaria para la autorización**

Los informes de la paraclínica deben ser recientes a efectos de que puedan ser evaluados correctamente con la situación del paciente al momento de la autorización. Quedará a criterio del FNR la conveniencia de actualizarla.

En caso que surja la necesidad de ampliar información respecto a la situación clínica y a la evolución, los técnicos del FNR podrán recabar información con el médico tratante o con el paciente.

### **5.4 Carácter de la autorización y validez de la misma**

Evaluada la información por parte del equipo médico del FNR y teniendo en cuenta las normativas vigentes, se emitirá -si corresponde- una autorización para realizar el procedimiento solicitado con cobertura financiera del FNR.

La no emisión de la autorización solicitada significa solamente que, en las condiciones específicas, el procedimiento no se encuadra dentro de los requerimientos técnico-administrativos de cobertura financiera por parte del FNR. Por lo tanto no modifica las obligaciones asistenciales de los médicos actuantes y no supone un pronunciamiento sobre la pertinencia o no de la indicación médica realizada.

El FNR entiende que la responsabilidad del IMAE actuante no culmina con el alta otorgada en el mismo. Por lo tanto, no emitirá autorizaciones para actos subsiguientes si entiende que están relacionados a un procedimiento recientemente realizado.

La autorización emitida podrá incluir a modo de aclaración en su texto, alguna restricción al pago del procedimiento en virtud de la existencia de otro u otros procedimientos concomitantes financiados también por el FNR.

El FNR emite la autorización sobre la base de la información médica enviada. La efectivización del pago estará sujeta a una evaluación definitiva con la información que se envíe una vez realizado el procedimiento.

La autorización del FNR tiene una validez de tres meses. Pasado ese plazo sin que el procedimiento haya sido realizado, se deberá gestionar ante el FNR la actualización de la misma explicitando los motivos por los cuales al acto médico fue postergado.

## **6. Informe de realización y facturación**

Una vez que el paciente se encuentre de alta, el IMAE actuante deberá enviar al FNR:

- 1) Formulario de realización de cada paciente. El modelo de dichos formularios es entregado por el FNR y constituye una historia codificada. Deben completarse todos los datos.
- 2) Autorización correspondiente emitida por el FNR
- 3) Resumen de alta de cada uno de los pacientes

Los IMAE sólo podrán facturar los procedimientos que el FNR les comunique que tienen pago autorizado.

En forma previa al pago de los procedimientos presentados al cobro, el equipo médico del FNR estudiará la documentación enviada con los procedimientos realizados por los IMAE. En caso que se encuentre algún tipo de inconsistencia entre los datos enviados o se carezca de algún dato relevante, se suspenderá el trámite de pago y se solicitará por escrito al IMAE la información necesaria. Si de la evaluación resulta que se ha actuado fuera de los protocolos vigentes, o bien que la información enviada antes del procedimiento no reflejaba adecuadamente la situación clínica del paciente, podrá disponerse el no pago del acto realizado.

Los IMAE sólo podrán utilizar insumos y dispositivos registrados y autorizados por el MSP.

## **7. Seguimiento**

El FNR realiza un seguimiento de todos los procedimientos efectuados bajo su cobertura con la finalidad de la evaluación de la técnica en el mediano y largo plazo. Los datos recogidos a través del formulario de solicitud y del formulario de realización alimentan una base de datos que permitirá evaluar los resultados obtenidos con los diferentes procedimientos.

El FNR podrá realizar evaluación de los pacientes internados o de las historias clínicas, así como entrevistas a pacientes a efectos de conocer la evolución posterior. Toda vez que lo entienda necesario podrá solicitar al IMAE actuante que cite a determinado grupo de pacientes e informe sobre su evolución.