

GOBIERNO DE PUERTO RICO

20^{ma.} Asamblea
Legislativa

1^{ra.} Sesión
Ordinaria

SENADO DE PUERTO RICO**P. del S. 416**

11 de marzo de 2025

Presentado por los señores *Rivera Schatz, Ríos Santiago*, la señora *Jiménez Santoni*, los señores *Matías Rosario, Morales Rodríguez*, la señora *Barlucea Rodríguez*, los señores *Colón La Santa, González López*, las señoras *Padilla Alvelo, Moran Trinidad, Pérez Soto*, el señor *Reyes Berríos*, la señora *Román Rodríguez*, los señores *Rosa Ramos, Sánchez Álvarez, Santos Ortiz*, las señoras *Soto Aguilú, Soto Tolentino*, y el señor *Toledo López*

Referido a la Comisión de Salud

LEY

Para establecer la “Ley de la Oficina Enlace para el Apoyo y Registro de las Personas con Enfermedades Raras”, adscrita al Departamento de Salud, a los fines de recopilar, mantener y actualizar un registro oficial de las personas con enfermedades raras en la Isla; disponer su funcionamiento; determinar sus deberes, facultades y responsabilidades; y para otros fines relacionados.

EXPOSICIÓN DE MOTIVOS

Las enfermedades raras, también conocidas como enfermedades huérfanas, son condiciones de salud que afectan a un pequeño porcentaje de la población. Generalmente, una enfermedad se considera rara cuando su prevalencia es menor a una (1) de cada dos mil (2,000) personas. No obstante, aunque individualmente sean poco frecuentes, en su conjunto representan un desafío significativo para los sistemas de salud y para quienes las padecen. La mayoría de estas enfermedades tienen un origen genético, son crónicas, discapacitantes y carecen de tratamientos efectivos, lo que impacta gravemente la calidad de vida de los pacientes y sus familias.

En Puerto Rico, la situación de las enfermedades raras es aún más preocupante. Se estima que hasta un veintiocho por ciento (28%) de la población puertorriqueña podría estar afectada por alguna de estas condiciones, lo que evidencia la necesidad urgente de una política pública que garantice el acceso a diagnósticos precisos, tratamientos adecuados y apoyo integral para los pacientes. Sin embargo, la Isla carece de un registro oficial que permita conocer con exactitud la cantidad de personas afectadas, sus características clínicas y sus necesidades específicas. Esta ausencia de datos y de una estructura gubernamental especializada limita la capacidad del Estado para desarrollar estrategias de intervención efectivas, lo que se traduce en demoras en los diagnósticos, restricciones en el acceso a terapias especializadas y una desconexión con centros de investigación y tratamiento fuera de la Isla.

Los pacientes con enfermedades raras enfrentan múltiples barreras para obtener un diagnóstico oportuno y acceder a tratamientos innovadores. La falta de conocimiento dentro de la comunidad médica y la escasez de especialistas capacitados en estas condiciones prolongan la incertidumbre de los pacientes, retrasan el inicio de terapias y aumentan el riesgo de complicaciones graves. Además, la ausencia de un sistema estructurado de apoyo limita la orientación y asistencia que tanto los pacientes como sus familias requieren para afrontar los desafíos médicos, económicos y emocionales asociados con estas enfermedades.

A nivel nacional, la RARE DISEASES ACT, 42 U.S.C. § 283H (2002), estableció la “*Office of Rare Diseases Research*” (ORDR) para fortalecer la investigación y el desarrollo de tratamientos dirigidos a estas condiciones. Asimismo, diversas entidades federales y estatales coordinan esfuerzos en la investigación y el apoyo a personas con enfermedades raras, promoviendo iniciativas que mejoran su calidad de vida.

Ante esta realidad, es imperativo establecer la Oficina Enlace para el Registro y Apoyo a Personas con Enfermedades Raras, adscrita al Departamento de Salud de Puerto Rico. Esta entidad tendrá como misión principal la recopilación, mantenimiento y actualización de un registro oficial de personas con enfermedades raras en la Isla,

proporcionando así una base de datos confiable para el desarrollo de estrategias de salud pública fundamentadas en evidencia.

Además, la Oficina Enlace para el Registro y Apoyo a Personas con Enfermedades Raras servirá como un canal de comunicación y coordinación entre los pacientes, sus familias, los proveedores de servicios de salud, los centros de investigación y las entidades gubernamentales. Será responsable de gestionar acuerdos de colaboración con hospitales, universidades y laboratorios de investigación, tanto a nivel local como internacional, con el propósito de facilitar el acceso temprano a diagnósticos certeros y terapias avanzadas.

El establecimiento de esta Oficina permitirá mejorar la calidad de vida de los pacientes con enfermedades raras en Puerto Rico, promoviendo la equidad en el acceso a la atención médica y fomentando la investigación de estas condiciones en la Isla. Asimismo, facilitará la integración de Puerto Rico en la red global de estudios y tratamientos para enfermedades raras, asegurando que los ciudadanos puedan beneficiarse de los avances científicos y médicos disponibles en otras jurisdicciones. Con este esfuerzo, el Gobierno de Puerto Rico reafirma su compromiso con el bienestar de sus ciudadanos y con la promoción de políticas inclusivas que garanticen el derecho a la salud para todos, especialmente para quienes padecen enfermedades raras y que, por demasiado tiempo, han permanecido invisibilizados.

DECRÉTASE POR LA ASAMBLEA LEGISLATIVA DE PUERTO RICO:

1 Artículo 1.-Título.

2 Esta Ley se conocerá y podrá ser citada como la “Ley de la Oficina Enlace para el
3 Apoyo y Registro de las Personas con Enfermedades Raras”.

4 Artículo 2.-Propósito.

5 Esta Ley tiene la finalidad de recopilar, mantener y actualizar un registro oficial de
6 las personas con enfermedades raras en la Isla, facilitar el acceso a diagnósticos precisos

1 y tratamientos innovadores, y coordinar esfuerzos con entidades nacionales e
2 internacionales especializadas en la investigación y manejo de estas condiciones,
3 promoviendo así una atención integral y efectiva para los pacientes.

4 Artículo 3.-Creación.

5 Se establece la Oficina Enlace para el Apoyo y Registro de las Personas con
6 Enfermedades Raras, la cual estará adscrita al Departamento de Salud de Puerto Rico.

7 Artículo 4.-Definiciones.

8 Para efectos de esta Ley, los siguientes términos tendrán el significado que se indica
9 a continuación:

- 10 a. Comité Asesor.-Significará el órgano consultivo compuesto por expertos y
11 representantes de sectores pertinentes, encargado de asesorar al
12 Departamento de Salud en políticas públicas y estrategias para la atención,
13 tratamiento y calidad de vida de personas con enfermedades raras en Puerto
14 Rico.
- 15 b. Enfermedades Raras.- Significará aquellas condiciones de salud reconocidas
16 por la *“Office of Rare Diseases Research”* a través del *“Genetic and Rare Diseases*
17 *Information Center”*.
- 18 c. Oficina Enlace.- Significará la Oficina Enlace para el Apoyo y Registro de las
19 Personas con Enfermedades Raras, adscrita al Departamento de Salud de
20 Puerto Rico, encargada del registro, apoyo, orientación y coordinación de
21 servicios para personas con enfermedades raras.

1 d. Registro Oficial de Enfermedades Raras.- Significará Base de datos
2 administrada por la Oficina Enlace con información actualizada de los
3 pacientes con enfermedades raras en Puerto Rico.

4 e. Medicamentos Huérfanos.- Significará aquellos fármacos o productos
5 biológicos destinados a prevenir, diagnosticar o tratar enfermedades raras,
6 cuya baja prevalencia limita su desarrollo e inversión. Se consideran tales
7 aquellos reconocidos por la FEDERAL FOOD, DRUG, AND COSMETIC ACT, 21
8 U.S.C. §§ 301-399 (1938) y la ORPHAN DRUG ACT, 21 U.S.C. §§ 360AA-360FF
9 (1983).

10 Artículo 5.-Dirección y Organización.

11 La Oficina Enlace estará dirigida por un Director Ejecutivo, quien será nombrado
12 por el Secretario del Departamento de Salud de Puerto Rico. El Director Ejecutivo será
13 responsable de la implementación y supervisión de las funciones de la Oficina, así como
14 de la ejecución de las políticas y estrategias establecidas por el Comité Asesor.
15 Asimismo, la Oficina Enlace contará con personal especializado en áreas como
16 medicina, trabajo social, asesoramiento legal y funciones administrativas para
17 garantizar el cumplimiento efectivo de sus funciones, conforme con las cartas circulares,
18 reglas, reglamentos, normas y procedimientos vigentes en el Departamento de Salud.

19 Artículo 6.- Funciones y Responsabilidades de la Oficina Enlace.

20 La Oficina Enlace tendrá las siguientes funciones y responsabilidades:

- 1 a. Asesorar al secretario del Departamento de Salud en el diseño,
2 implementación y evaluación de políticas públicas y estrategias dirigidas a
3 mejorar la prevención, diagnóstico, tratamiento y calidad de vida de las
4 personas con enfermedades raras en Puerto Rico
- 5 b. Crear y mantener un Registro Oficial de Enfermedades Raras de las personas
6 diagnosticadas con enfermedades raras en Puerto Rico;
- 7 c. Facilitar el acceso a servicios médicos especializados, terapias y
8 medicamentos huérfanos;
- 9 d. Proveer orientación a pacientes, familias y profesionales de la salud sobre
10 enfermedades raras y sus tratamientos disponibles;
- 11 e. Establecer acuerdos de cooperación con centros de investigación,
12 universidades y hospitales especializados dentro y fuera de Puerto Rico;
- 13 f. Fomentar el desarrollo de estudios científicos y clínicos sobre enfermedades
14 raras en la Isla;
- 15 g. Desarrollar programas de apoyo y asistencia económica, social y psicológica
16 para pacientes y sus cuidadores; y
- 17 h. Implementar campañas educativas para sensibilizar a la sociedad sobre el
18 impacto de las enfermedades raras y la importancia de su reconocimiento y
19 atención.

20 Artículo 7.- Registro Oficial de Enfermedades Raras.

1 La Oficina Enlace establecerá y administrará un Registro Oficial de Enfermedades
2 Raras en Puerto Rico, el cual contendrá información detallada y actualizada sobre los
3 pacientes diagnosticados con estas condiciones. El Registro Oficial será utilizado para la
4 planificación y ejecución de estrategias de salud pública, así como para la coordinación
5 de investigaciones científicas y el desarrollo de políticas de apoyo a los pacientes.

6 Artículo 8.- Confidencialidad de la Información.

7 La recopilación y uso de datos en el Registro Oficial estará sujeto a estrictas normas
8 de confidencialidad y protección de datos personales, en conformidad con la legislación
9 vigente.

10 Artículo 9.- Comité Asesor.

11 Se establecerá un Comité Asesor sobre Enfermedades Raras, el cual estará
12 compuesto por cinco (5) miembros:

- 13 a. El secretario del Departamento de Salud, quien presidirá el Comité
14 Asesor;
- 15 b. Un (1) genetista;
- 16 c. Un (1) representante de organizaciones de pacientes;
 - 17 a. Un (1) académico con experiencia en investigación o políticas de salud
18 pública; y
 - 19 b. Un (1) profesional de la salud con experiencia en el manejo clínico de
20 enfermedades raras.

1 El Comité tendrá la responsabilidad de asesorar al Departamento de Salud en el
2 diseño, implementación y evaluación de políticas públicas y estrategias dirigidas a
3 mejorar la prevención, diagnóstico, tratamiento y calidad de vida de las personas con
4 enfermedades raras en Puerto Rico. Asimismo, podrá emitir recomendaciones para la
5 adopción de nuevas medidas o programas que fortalezcan la atención y los derechos de
6 estos pacientes.

7 Artículo 10.- Financiamiento.

8 La Oficina Enlace será financiada mediante asignaciones presupuestarias del
9 Departamento de Salud.

10 Artículo 11.- Reglamentación.

11 El Departamento de Salud de Puerto Rico adoptará la reglamentación necesaria para
12 la implementación efectiva de esta Ley en un término no mayor de ciento veinte (120)
13 días a partir de su aprobación.

14 Artículo 12.-Acuerdos Colaborativos.

15 Con el propósito de garantizar el cumplimiento efectivo de las disposiciones de esta
16 Ley, se faculta al Departamento de Salud a formalizar acuerdos colaborativos con otras
17 entidades gubernamentales, según sea necesario, para viabilizar la implementación y
18 ejecución de las medidas establecidas en la presente Ley.

19 Artículo 13.- Cláusula de Separabilidad.

20 Si cualquier cláusula, párrafo, subpárrafo, oración, palabra, letra, artículo,
21 disposición, sección, subsección, título, capítulo, subcapítulo, acápite o parte de esta Ley

1 fuera anulada o declarada inconstitucional, la resolución, dictamen o sentencia a tal
2 efecto dictada no afectará, perjudicará, ni invalidará el remanente de esta Ley. El efecto
3 de dicha sentencia quedará limitado a la cláusula, párrafo, subpárrafo, oración, palabra,
4 letra, artículo, disposición, sección, subsección, título, capítulo, subcapítulo, acápite o
5 parte de esta que así hubiere sido anulada o declarada inconstitucional. Si la aplicación
6 a una persona o a una circunstancia de cualquier cláusula, párrafo, subpárrafo, oración
7 palabra, letra, artículo, disposición, sección, subsección, título, capítulo, subcapítulo,
8 acápite o parte de esta Ley fuera invalidada o declarada inconstitucional, la resolución,
9 dictamen o sentencia a tal efecto dictada no afectará ni invalidará la aplicación del
10 remanente de esta Ley a aquellas personas o circunstancias en las que se pueda aplicar
11 válidamente.

12 Artículo 14.- Vigencia.

13 Esta Ley entrará en vigor inmediatamente después de su aprobación.