



## **II Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras. Conclusiones (Sevilla, 18-21 de febrero de 2004)**

- Las enfermedades raras tienen una relevancia enorme. Treinta millones de europeos y, entre ellos, tres millones de españoles, se ven afectados.
- Es necesario coordinar las políticas de subvención nacionales y europeas, así como potenciar las redes de centros de referencia.
- Hasta la fecha, la Comisión Europea ha designado 187 medicamentos huérfanos.
- El aumento del número de países de la Unión Europea comporta riesgos de desequilibrio en cuanto a prestaciones médico-farmacéuticas, frente al que es preciso responder con nuevas estrategias de colaboración entre asociaciones e instituciones.
- La participación de las asociaciones en el control ético de los bancos de muestras biológicas ha dado lugar a regulaciones más justas y eficientes.
- Es relevante la creación en España del Instituto de Enfermedades Raras, con el objetivo de fomentar la investigación clínica y básica, y apoyar la referencia sanitaria e innovación en la atención de la salud en enfermedades raras.
- Sigue siendo imprescindible la mejoría de la formación de los profesionales, especialmente pediatras y médicos de atención primaria.
- Esta formación debe desarrollarse de forma simultánea a acciones asistenciales, informativas y sociales.
- A pesar de los problemas, la Unión Europea es un territorio privilegiado para trabajar en enfermedades raras, tanto por la agregación de poblaciones, medios asistenciales y redes de expertos.
- Las políticas de reembolso deben tener en cuenta las necesidades de los pacientes con enfermedades raras, y la conveniencia de uniformar criterios en toda la Unión Europea
- La prevención de enfermedades raras es técnicamente posible en un gran porcentaje de casos, y el avance científico permite ser optimistas para un próximo futuro.



- Es necesario facilitar el acceso de los pacientes a los tratamientos con medicamentos, no solo a través de la farmacia hospitalaria sino también a través de la farmacia comunitaria.
- Las distintas formas de apoyo social tienen importantes efectos sobre la salud de los pacientes, tanto a nivel físico, como psicológico.
- Hay un hilo conductor entre todos los niveles de intervención ante el paciente con enfermedades raras: la educación y la formación del individuo afectado, de sus familias y de sus cuidadores, así como del personal sanitario.
- Las asociaciones de enfermos proporcionan referentes reales sobre la propia problemática, experiencias y acompañamiento. Son el lugar donde recabar y depositar información sobre patologías, especialistas y tratamientos; además, son interlocutores esenciales para exponer las necesidades a las autoridades y reclamar los correspondientes derechos.
- La apuesta por mejorar la situación de los afectados debe nacer de quien tiene en sus manos las decisiones políticas para invertir en sanidad e investigación.
- Es necesario que las administraciones públicas estimulen e induzcan a la industria farmacéutica para invertir en investigación y desarrollo de tratamientos para las enfermedades raras.