



VIII Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

'Enfermedades Raras, un compromiso en Red'

Sevilla

16, 17 y 18 de febrero de 2017



www.farmaceuticosdesevilla.es

CONCLUSIONES

1. La particular vulnerabilidad de los pacientes con enfermedades raras requiere que las autoridades sanitarias asuman una mayor proactividad para impedir la promoción comercial, distribución y venta de productos milagro y otros con escaso beneficio clínico, para evitar generar falsas expectativas de curación en los pacientes y cuidadores.
2. La financiación pública y privada de la investigación debe ser transparente y justificada. Es importante conocer los éxitos y los fracasos para poder seguir avanzando. Todos los pacientes requieren una sensibilidad única por parte de la sociedad civil y de las autoridades sanitarias.
3. Persiste una significativa desigualdad efectiva en el acceso real a los tratamientos de las enfermedades raras y, en particular, a los medicamentos huérfanos. Es preciso un esfuerzo especial para revertir esta situación.
4. El peregrinaje permanente en busca de un diagnóstico y tratamiento de los pacientes que aún no los tienen, exige promover iniciativas encaminadas a interrelacionar investigadores y profesionales sanitarios en torno al estudio coordinado y compartido de pacientes no diagnosticados.
5. La futura adaptación de todos los registros existentes a mecanismos modernos e interoperables, junto a las garantías éticas y empoderamiento de los pacientes, será la clave de la aplicación eficiente de los resultados en investigación.
6. Las asociaciones de pacientes con enfermedades raras deben participar en el diseño y promoción de ensayos clínicos para adaptarlos a las condiciones reales. Los plazos exigidos por la investigación clínica deben ser convenientemente explicados a los pacientes y cuidadores a fin de favorecer la colaboración y coordinación.
7. Las asociaciones de pacientes con enfermedades raras deben adquirir la importancia ejecutiva y organizativa, participando dentro de la estructura oficial y científica, con el fin de atender a las necesidades de este colectivo y servir de comunicación con los pacientes para proporcionarles información rigurosa.
8. El Pacto por la Sanidad debería ser sustanciado con acciones ejecutivas concretas.