



VI Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos

y Enfermedades Raras

Seguimos avanzando

Sevilla 14, 15 y 16 de febrero de 2013

CONCLUSIONES

1.- Existe un grave problema de inequidad en el acceso a las pruebas diagnósticas y al tratamiento con medicamentos huérfanos. Su elevado coste, su reducida utilización y su impacto sobre los recursos sanitarios, hacen aconsejable su incorporación a una futura cartera básica de servicios. La consecución de acuerdos entre Agencias evaluadoras y Comités de Expertos de las diferentes Comunidades Autónomas contribuiría a una mayor equidad en la atención de los pacientes, independientemente de donde vivan.

2.- Se evidencia la necesidad de coordinar y homogeneizar las múltiples acciones institucionales relativas al registro, la atención de pacientes y la investigación en enfermedades raras. En este sentido, parece razonable que sea la Unión Europea el referente esencial.

3.- De acuerdo con las recomendaciones de la Unión Europea, los países miembros deben tener Planes de Acción para las enfermedades raras antes de finales del 2013.

4.- La investigación en enfermedades raras y en medicamentos huérfanos ya está rindiendo resultados ciertamente contrastados y al mismo tiempo esperanzadores. Es importante que las actuales incertidumbres presupuestarias, tanto en el ámbito público como en el privado, no frenen la actual dinámica de progreso en el avance de la investigación en este campo.

5.- En determinadas enfermedades raras el trasplante representa una opción válida de tratamiento, siendo importante que sea llevado a cabo por un equipo multidisciplinar con amplia

experiencia. La rentabilidad de los trasplantes en ciertas enfermedades raras es muy alta. No solo el paciente trasplantado vuelve a nacer sino que a todo su entorno le cambia sensiblemente la vida.

6.- El presente Congreso promueve la realización de una encuesta nacional sobre enfermedades raras. Esta se llevará a cabo a los profesionales de la oficina de farmacia, con el fin de valorar su conocimiento sobre este tipo de patologías y a los pacientes para detectar qué servicios específicos pueden ofrecerles estos establecimientos sanitarios.

7.- Aunque el número de propuestas de medicamentos huérfanos en la Unión Europea ha experimentado un incremento sustancial en los últimos años, no ha ocurrido lo mismo con el de nuevos medicamentos huérfanos autorizados, cuya tasa anual permanece prácticamente constante. A pesar de la creciente convergencia con Estados Unidos, la Unión Europea mantiene una notable inferioridad en la designación y autorización de nuevos medicamentos huérfanos.

8.- Los objetivos básicos de la investigación de medicamentos huérfanos son similares a los del resto de los medicamentos. No obstante, presentan particularidades y dificultades específicas que deben ser oportunamente consideradas y resueltas desde el punto de vista regulatorio.

9.- El enorme vacío terapéutico que existe en las enfermedades raras necesita proyectos colaborativos interdisciplinarios para desarrollar nuevos medicamentos para esas enfermedades.

10.- La sinergia entre las distintas Sociedades Científicas, Organizaciones Profesionales Sanitarias, Asociaciones de Pacientes y Comunidades Autónomas constituye la vía óptima para el abordaje eficiente de las enfermedades raras.

11.- Más de la mitad del coste asociado a los cuidados de los pacientes con enfermedades raras recae en sus familias y allegados.

12.- La figura del cuidador del paciente con una enfermedad rara tiene una relevancia especial, mayor que en otros tipos de patologías. Es fundamental facilitar y potenciar su formación, así como dotarle de los medios necesarios, en aras de la mejor atención a estos pacientes.

13.- El desarrollo de un sistema ordenado de criterios de buenas prácticas clínicas y sociales para las enfermedades raras constituye un nuevo campo de actuaciones que requiere un alto nivel de compromiso institucional.

14.- La utilización de productos de apoyo resulta fundamental para mejorar la calidad de vida de los pacientes con enfermedades raras. Sin embargo, más de la mitad de ellos desconoce su existencia, disponibilidad o su uso adecuado. Por tanto, la actuación profesional del farmacéutico en este campo resulta de gran valor para estos pacientes y sus cuidadores.

15.- La intervención psicosocial reduce el estrés y mejora tanto el rendimiento académico como la integración de los niños con enfermedades raras. Además, repercute positivamente en varios indicadores objetivos de salud y de calidad de vida.

16.- Las personas con liderazgo de opinión constituyen un elemento esencial en la divulgación y en la concienciación social de estas patologías.

17.- La implicación de la Casa Real en el Congreso de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras supone un extraordinario estímulo para que las enfermedades raras y su entorno dejen de ser marginales para la sociedad.

&&&