



III Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Sevilla, 14 al 17 de febrero de 2007

CONCLUSIONES

1. La Sanidad Pública sigue sin cubrir suficientemente las necesidades reales de los pacientes con enfermedades raras, al no contemplar las especificidades que se dan en este tipo de patologías.
2. Se propone la creación de un registro general de pacientes, mediante la puesta en marcha de un programa de identificación de afectados por enfermedades raras en los Centros de Salud. Esto permitiría conocer sus principales necesidades desde la Atención Primaria.
3. El establecimiento de Redes Europeas de Centros de Referencia (ENCR) deberían orientarse preferentemente hacia las redes de expertos más que a los propios centros. Por otro lado, la concentración en centros de referencia de algunas enfermedades raras permitirá acumular experiencia sobre las mismas, reducir la variabilidad de los resultados y, en definitiva, mejorar la eficacia del centro y/o de los profesionales.
4. En un sistema donde la evaluación de las tecnologías va a desempeñar un papel significativo en la toma de decisiones sobre la adopción, difusión y utilización de las mismas, el proceso de selección de ellas para la evaluación debe ser cuidadosamente diseñado.
5. La salud es un derecho básico y fundamental que no puede estar condicionado por rentabilidades económicas ni puede ser analizado desde una perspectiva exclusivamente de mercado.
6. El consentimiento para la participación de un familiar en un ensayo clínico de un medicamento huérfano, debe sustentarse no solo en la esperanza de conseguir un tratamiento que cure o amortigüe la enfermedad rara, sino también obtener una mejor calidad de vida para el paciente.
7. Se propone la elaboración de sistemas de intercambio de información de las unidades de atención primaria con las unidades de atención especializada.
8. La utilización de medicamentos huérfanos por los médicos especialistas todavía implica importantes dificultades: conocer su existencia, falta de experiencia en el uso y, especialmente, superar las trabas administrativas para economizar el gasto farmacéutico.
9. La terapia génica constituye una de las claves en el tratamiento futuro de las enfermedades raras, si bien, hasta el momento las investigaciones en este campo suponen menos del 25% del conjunto de indicaciones terapéuticas investigadas.
10. Las Oficinas de Farmacia posibilitan, a través de la formulación magistral, una forma eficiente de elaborar y dispensar medicamentos huérfanos a la medida de las necesidades específicas de cada paciente.
11. Muchas de las enfermedades raras provocan discapacidades físicas que podrían ser paliadas en parte por la fisioterapia, mejorando notablemente la calidad de vida de los pacientes. Sin embargo, entre las prestaciones sanitarias públicas, este servicio está

muy limitado para estos pacientes. Es imprescindible un cambio de actitud por parte de la Administración ante este tipo de prestaciones.

12. Todavía quedan importantes desigualdades en cuanto a beneficios sociales y prestaciones sanitarias entre las diferentes comunidades autónomas, tales como el reconocimiento de minusvalía, el cribaje neonatal o el diagnóstico preimplantacional, entre otros.
13. Se propone la creación de Unidades de adultos en los centros hospitalarios para determinadas enfermedades raras, así como la disponibilidad de pisos de acogida en las ciudades con centros de referencia, realizar actuaciones específicas en el campo de la integración educativa y laboral de los afectados, y fomentar la investigación de nuevas terapias.
14. Las Comunidades Autónomas están impulsando y dinamizando modelos de atención sociosanitaria en los que necesariamente debe intervenir la educación; específicamente dirigidos a aquellos niños con necesidades especiales de atención, sin exclusiones, que precisan de una acción multiprofesional y un enfoque interdisciplinar y hace necesaria la cooperación intersectorial.
15. La diferencia entre Europa y Estados Unidos en la autorización de medicamentos huérfanos es fruto de la mayor experiencia del sistema de registro de medicamentos de Estados Unidos, así como de algunas diferencias en los criterios de designación.
16. Debería prestarse más atención al conocimiento y al tratamiento del síndrome del cuidador de pacientes con enfermedades raras, con el fin de mejorar su calidad de vida.
17. La Fundación FEDER pretende contribuir al desarrollo y mejora de las condiciones de vida de las personas afectadas, a través de la promoción y apoyo de programas de investigación médica y farmacéutica, el fomento del asociacionismo de los pacientes y familiares, y la difusión de cuanta información exista en torno a estas enfermedades.
18. Iniciativas altruistas privadas, como la Fundación Inocente, Inocente, están permitiendo recaudar fondos para ayudar a aquellas entidades que dedican todo o parte de su esfuerzo a niños y niñas con problemas de carácter físico, psíquico y/o de marginación y exclusión social, buscando concienciar e involucrar a toda la sociedad española sobre los problemas y situaciones difíciles que les afectan.
19. Las enfermedades raras son una de las prioridades del Programa de Salud Pública 2003-2007 de la Unión Europea, por medio del fomento del intercambio de información y la coordinación a escala comunitaria.
20. Se considera necesario potenciar la función de defensa de los derechos de los pacientes en España, a semejanza de lo que está ocurriendo en otros países de nuestro entorno.
21. La sensación de soledad del paciente con enfermedades raras y de sus cuidadores, finaliza cuando conoce a otras personas que padecen iguales o similares problemas. La fundación de asociaciones y la incorporación a otras de más amplio nivel supone una ayuda muy valiosa para la lucha diaria en este campo.
22. Manifestamos nuestro apoyo al informe de la Ponencia de Enfermedades Raras del Senado Español, que incluye la creación de la Organización Estatal de Enfermedades Raras y la reorganización y mejora de la coordinación de las actividades relativas a las enfermedades raras. Para ello, es imprescindible la disponibilidad de una financiación pública suficiente para su desarrollo.
23. Expresamos nuestra esperanza de que en el próximo congreso de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras podamos presentar los progresos conseguidos en los diversos aspectos contemplados y evaluar dicha progresión.