



El VII Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras, como es tradición, concluyó con la lectura de las conclusiones del encuentro. Diecisiete puntos que servirán de guía de actuación ante las patologías de baja prevalencia en los dos años que distan hasta la celebración del próximo encuentro que organizan la Fundación Mehuer, el Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla, FEDER y la Fundación FEDER.

Los puntos elaborados como resumen de esta edición del congreso, marcan las siguientes prioridades de actuación para los próximos meses:

- 1) Los registros específicos de pacientes con enfermedades raras son una herramienta imprescindible para abordar la atención integral de estos pacientes y requieren de un marco jurídico que asegure su sostenibilidad y una adecuada coordinación con las CCAA.
- 2) La investigación en enfermedades raras, tanto aplicada al diagnóstico como al tratamiento, requiere ser potenciada desde una visión innovadora que combine financiación pública y privada.
- 3) Las enfermedades raras comparten bases patológicas con las enfermedades más prevalentes. Por ello, su investigación aporta un valor adicional general en el campo de la salud.
- 4) La formulación magistral tiene razón de ser como tratamiento en ausencia de formulaciones industriales de medicamentos huérfanos autorizados y registrados. Siempre la formulación debe dar respuesta a las necesidades de los pacientes.
- 5) En cualquier comité farmacoterapéutico o farmacoeconómico donde se evalúen las enfermedades raras y sus tratamientos, deben participar de pleno derecho los representantes de estos pacientes.
- 6) Debe garantizarse la equidad en el acceso a la atención sociosanitaria integral y la unión entre niveles asistenciales, dentro del sistema nacional de salud.
- 7) Es preciso favorecer estrategias de comunicación y transparencia para dar a conocer a los pacientes los recursos actualmente disponibles para su diagnóstico y tratamiento.
- 8) Para asegurar la equidad de una adecuada asistencia sanitaria se precisa establecer un fondo de cohesión nacional en los presupuestos generales del Estado, debidamente dotado.



9) La concienciación de los equipos de Atención Primaria y su coordinación con la Atención Especializada son clave para que se entienda la necesidad de detectar y registrar correctamente a los pacientes con enfermedades raras. Las recomendaciones sanitarias de los profesionales en este ámbito, deberán incluir aspectos relacionados con la vida doméstica, desplazamientos, tiempo libre, actividad laboral y autocuidado.

10) El asociacionismo de los pacientes con enfermedades raras en España está experimentando una evolución favorable. En nuestro país, FEDER agrupa a 285 asociaciones que totalizan más de 83.000 pacientes. Asimismo, FEDER es la entidad nacional que más asociaciones aporta a la agrupación europea EURORDIS, con 60 de sus 667 entidades.

11) Es necesario desarrollar completamente el proyecto EUROPLAN como forma de coordinar y armonizar la atención de los pacientes entre las Comunidades Autónomas y con la Unión Europea.

12) El cuidador del paciente con una enfermedad rara es una figura primordial en la atención de estos pacientes y se requiere un mayor compromiso por parte de la administración pública para asegurar soporte económico, social y formativo para éste.

13) La actuación contra la exclusión social de los pacientes con enfermedades raras debe considerar también a la familia y a los entornos de acogida.

14) Los derechos del niños deben garantizarse y protegerse especialmente en el caso de los pacientes pediátricos con enfermedades raras, dada su particular vulnerabilidad.

15) Es necesario el consenso de todos los partidos políticos a favor de la causa de las enfermedades raras, en el que se comprometan a que, gobierne quien gobierne, anualmente se celebre en la televisión pública programas que permitan la concienciación y la recaudación de fondos, como un telemaratón, en pro de la investigación de las enfermedades raras.

16) No debe olvidarse que en las enfermedades raras lo que está en juego es la vida de los pacientes y, aunque aquellas sean infrecuentes, cada paciente es único y exige un abordaje multidisciplinar en centros de referencia y unidades de expertos.

17) En definitiva, consolidar esfuerzos es una responsabilidad compartida.