



VII Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Sevilla 12, 13 y 14 de febrero de 2015

"Consolidando esfuerzos: Una responsabilidad compartida"

CONCLUSIONES

- 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.



VII Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Sevilla 12, 13 y 14 de febrero de 2015

"Consolidando esfuerzos: Una responsabilidad compartida"

- 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.



VII Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Sevilla 12, 13 y 14 de febrero de 2015

"Consolidando esfuerzos: Una responsabilidad compartida"

- 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.