



## VIII Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

'Enfermedades Raras, un compromiso en Red'

Sevilla

16, 17 y 18 de febrero de 2017



feder

mehuer

Fundación feder

[www.farmaceticosdesevilla.es](http://www.farmaceticosdesevilla.es)

**El VIII Congreso de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras que se celebra hasta el sábado en Sevilla, organizado por la Fundación Mehuer, del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla, y la Federación Española de Enfermedades Raras, abre con el conmovedor testimonio de una madre que perdió a su hija tras ser diagnosticada de una enfermedad neurodegenerativa.**

**“LA PATERNIDAD ESTÁ POR DEFINICIÓN ENFOCADA AL FUTURO, ¿CÓMO SE PLANTEA LA CRIANZA DE UN HIJO PARA EL QUE NO HAY FUTURO?”**

*“Con un ‘no hay nada que hacer’, nos dieron el pésame junto al diagnóstico, pero los padres de niños con pronóstico terminal no necesitamos consuelo ni tampoco pedimos milagros, lo que necesitamos son herramientas y recursos para caminar a través del fuego sin ser consumidos por él... Nuestra sociedad no acepta que los niños también se mueren, pero cada año miles de niños requieren cuidados muy especializados y solo los reciben en Madrid y Barcelona y algunos pocos centros más. ¿Qué clase de sociedad permite este abandono?”.* Son palabras de Beatriz Fernández, que hoy dirige la asociación ACTAYS, que representa a los pacientes con Tay-Sachs y Sandhoff, dos enfermedades que causan en poco tiempo debilidad muscular, epilepsia, ceguera, incapacidad para comer... y muerte.

Los pacientes reclaman participación no sólo en la fase de investigación, sino en la de decisión de comercialización y fijación de precio. “En esta fase, ni pacientes, ni asociaciones somos tenidas en cuenta, pese a ser los destinatarios del tratamiento”, explica el vicepresidente de FEDER, Santiago de la Riva, que reclama igualdad de acceso en todo el territorio nacional y un mayor esfuerzo del Sistema Nacional de Salud para favorecer que la investigación y autorización de estos medicamentos.

La industria valora como *‘un antes y un después’* la existencia de una legislación específica sobre medicamentos huérfanos, pero el director del Departamento Técnico de Farmaindustria, Emili Esteve, subraya que *“de nada sirve que se regulen determinados incentivos (reducción de tasas de tramitación, exclusividad comercial) si después del registro, las autoridades competentes en materia de intervención de precios o los gestores de las CCAA establecen condiciones que suponen, en la práctica, una limitación de acceso y unas notables diferencias entre CCAA”*.

**Sevilla, 16 de febrero de 2017.-** *“Mi nombre es Beatriz y soy la directora de ACTAYS, una asociación que representa Tay-Sachs y Sandhoff: dos enfermedades neurodegenerativas que le arrebatan la vida a un niño en poco tiempo, después de causarle debilidad muscular, epilepsia, ceguera, incapacidad para comer... Antes de crear ACTAYS era, soy, la madre de Isabel. Una rubia de ojos enormes que nació en*

*apariencia sana y que si hoy siguiera aquí tendría ocho años. Pero tras años de lucha, viajes médicos e intensos cuidados, Isabel, ya no está...”* Con el testimonio de Beatriz Fernández se ha abierto hoy el VIII Congreso Nacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras, que se celebra en Sevilla hasta el sábado, organizado por la Fundación Mehuer, del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla, y la Federación Española de Enfermedades Raras, FEDER.

*“Todo empezó con la odisea diagnóstica. Fue un macabro viaje de pruebas interminables, hasta que un día llegó la respuesta: enfermedad de Tay-Sachs... Con un ‘no hay nada que hacer’, nos dieron el pésame junto al diagnóstico. La paternidad está por definición enfocada al futuro. Pero ¿cómo se plantea la crianza de un hijo para que el que no hay futuro? Los padres de niños con pronóstico terminal no necesitamos consuelo. Necesitamos herramientas que nos permitan caminar a través del fuego sin ser consumidos por él. Y esas herramientas deben ser provistas por el Sistema Nacional de Salud”,* ha explicado Beatriz Fernández.

Evitarle el sufrimiento a su hija en la última etapa de su vida se convirtió en una necesidad imperiosa para ella. *“Fue un privilegio, y me atrevo a llamarlo así, porque hay familias que ni siquiera llegan a contar con un equipo coordinado y con experiencia. En los últimos años los fondos de cohesión han quedado desmantelados. En España sufrimos una terrible injusticia territorial, que nos condena a recibir menos en función del lugar de residencia. Al desconcierto entre Comunidades se suma la falta de recursos. Los médicos de nuestros hospitales están desbordados. Nuestra sociedad no acepta que los niños también se mueren, pero cada año miles de niños requieren cuidados muy especializados y solo los reciben en Madrid y Barcelona y algunos pocos centros más. ¿Qué clase de sociedad permite este abandono? Las organizaciones de pacientes pedimos recursos, no milagros”,* ha señalado la actual directora de ACTAYS, que ha reivindicado el papel jugado por las organizaciones de pacientes en los últimos años: *“gracias a nuestro activismo, hemos salido del mero asistencialismo para ser el motor de muchas investigaciones que no existirían sin nuestro empuje, y a través del trabajo en red con otros agentes civiles, gubernamentales y de otros países, las asociaciones de pacientes viven hoy un cambio de paradigma que las pueden llevar a desarrollar un papel clave en la esfera de las enfermedades poco frecuentes”.*

En las mesas redondas posteriores se ha debatido precisamente sobre las dificultades de acceso al medicamento por parte de los pacientes afectados por patologías raras y las mayores necesidades de financiación e incorporación de medicamentos innovadores. En esta dirección, el vicepresidente de la Fundación FEDER, Santiago de la Riva, ha explicado que sólo el 10% de las enfermedades raras tienen una investigación activa asociada, y de ellas, sólo un 4% cuenta ya con algún tipo de tratamiento específico. *“Estas cifras tan bajas son consecuencia directa de los problemas económicos para mantener una línea de investigación constante en el tiempo, no inferior a 10-15 años, que pueda llegar a generar un medicamento huérfano”,* ha afirmado de la Riva, que ha subrayado que, con el medicamento aprobado, el problema vuelve a ser económico. *“Aún medicamentos reposicionados, tendrán un incremento sobre el precio original. Si se trata de un medicamento nuevo, el coste será inabordable para los pacientes. Por eso, el acceso a estos medicamentos,*

*imprescindibles para la vida del paciente, requiere ayuda del SNS. Desde FEDER reclamamos un esfuerzo del SNS en España, y reclamamos la igualdad de acceso en las diferentes comunidades”, ha dicho hoy.*

Por su parte, Alba Ancochea, directora general de FEDER, ha reclamado la participación de los pacientes más allá del proceso de investigación y desarrollo de los medicamentos. *“En la fase de investigación, los pacientes participan como expertos en los ensayos clínicos y son determinantes para el diseño del proceso, identificación de la muestra y el posterior reclutamiento. Además, están adquiriendo un papel significativo en los Comités de Ética y en la mayoría de los consejos científicos, ofreciendo información insustituible sobre algunas de las variables que definen el avance del tratamiento. El siguiente paso es la decisión de comercialización y fijación de precio. En esta fase, ni pacientes, ni asociaciones son tenidas en cuenta, aun pese a ser los destinatarios del tratamiento”,* se ha lamentado Alba Ancochea, que ha explicado que el actual modelo de autorización y comercialización de medicamentos huérfanos en España se traduce en retrasos de más de dos años en la comercialización y una media de 13 meses en el acceso. Por fortuna, según ha explicado, desde hace dos años se trabaja en un modelo único a nivel europeo de autorización y fijación de precios, donde además estén presentes todos los sectores. *“Ese modelo aseguraría el verdadero cumplimiento de la ley de garantías y uso racional de los medicamentos, así como la toma de decisiones basados no únicamente en criterios economicistas, sino en criterios de efectividad e impacto social”,* ha concluido.

Por su parte, en representación de la industria, ha participado Emili Esteve, director del Departamento Técnico de Farmaindustria, que ha defendido que *“los titulares de la autorización de comercialización de medicamentos huérfanos deberían contar con suficientes incentivos para que las condiciones de acceso reales mejoraran”. Y ha añadido: “Aunque queda mucho por hacer, es indiscutible que la existencia de una legislación específica sobre medicamentos huérfanos ha supuesto un antes y un después en la mera existencia de este tipo de productos, pero de nada sirve que se regulen determinados incentivos (reducción de tasas de tramitación, exclusividad comercial) si después del registro, las autoridades competentes en materia de intervención de precios o los gestores de las CCAA establecen condiciones que suponen, en la práctica, una limitación de acceso y unas notables diferencias entre CCAA. Este es, posiblemente, el principal reto de futuro y, desde luego, habrá que profundizar en la mejor manera de poner a disposición de los profesionales sanitarios y de los pacientes los tratamientos que, inexorablemente, aparecen cada año en las memorias de las agencias como nuevos medicamentos autorizados”.*

Por su parte, César Hernández, de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), ha señalado que *“aunque la regulación ha promovido la investigación, desarrollo y existencia de medicamentos huérfanos, es cierto que el sistema ha experimentado al mismo tiempo una tensión importante en el acceso a dichos medicamentos”.* Algunas causas de ello son, a su juicio, *“un cierto equívoco sobre lo que representa una designación como Medicamento Huérfano o una autorización condicional, el solapamiento de los incentivos, la ausencia de incentivos adicionales que promuevan la investigación con independencia del resultado comercial,*

*o la indefinición de conceptos como la necesidad médica no cubierta o el beneficio significativo que los Medicamentos Huérfanos deben mantener en su autorización”.*

**Para más información:**

**Gabinete de Prensa. Manuela Hernández 651 867278**