



### NOTA DE PRENSA

## **PROPONEN ESTABLECER UNA ESTRATEGIA NACIONAL QUE GARANTICE UN TRATO EQUITATIVO A LOS PACIENTES DE ENFERMEDADES RARAS**

- **Sevilla acoge desde hoy y hasta el viernes el IX Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras, que ha sido inaugurado hoy por el presidente de la Junta de Andalucía, Juan Manuel Moreno Bonilla**
- **Según la OMS, entre el 6 y el 8 por ciento de la población padece alguna de las más de 7.000 enfermedades raras, cifra que se traduciría entre 116.000 y 155.000 personas tan sólo en la provincia de Sevilla**
- **Una encuesta realizada por la Federación Española de Enfermedades Raras señala que más del 40% de los pacientes de estas patologías no se sienten satisfechos con la atención sanitaria que reciben y un 43% asegura haber sentido discriminación por su situación**

**Sevilla, 13 de febrero de 2019.-** Sevilla acoge desde hoy hasta el viernes la novena edición del Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras, el encuentro con mayor trayectoria y proyección de cuantos se celebran en su ámbito en España. Con tal motivo, el presidente del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla, la Fundación Mehuer y el propio congreso, Manuel Pérez, ha hecho un llamamiento para solicitar que en España se establezca una estrategia nacional que garantice un trato equitativo a las personas afectadas por estas dolencias. Pérez ha expuesto incluso para que se tome como referencia “el modelo de la Organización Nacional de Trasplantes, para que así los pacientes de enfermedades raras puedan tener acceso a las mejores opciones de diagnóstico, tratamiento y atención disponibles en cualquier punto del país, sin distinción de cuál sea su comunidad autónoma de referencia”.

El acceso de los pacientes en condiciones de equidad a los denominados medicamentos huérfanos es, precisamente, uno de los temas más relevantes de cuantos afectan a las personas con patologías de baja prevalencia y que se abordarán en el encuentro que comienza hoy en Sevilla, y en el que también se tratarán los avances en la investigación de nuevas terapias, las necesidades socio-sanitarias de los pacientes o la problemática de los casos que carecen de diagnóstico.

Pese a los avances producidos en el campo de las enfermedades raras en los últimos 20 años –tiempo que prácticamente ha transcurrido desde que el Colegio de Farmacéuticos de Sevilla comenzara su actividad en el campo de estas patologías y organizara la primera edición del congreso, que tuvo lugar en el año 2000–, especialmente en lo



IX CONGRESO INTERNACIONAL DE  
**MEDICAMENTOS HUÉRFANOS  
Y ENFERMEDADES RARAS**

“LAS ENFERMEDADES RARAS,  
UN DESAFÍO GLOBAL”



**SEVILLA**  
13, 14 y 15 FEBRERO DE 2019



relativo a divulgación y concienciación social, “queda aún mucho por hacer, por ejemplo en ámbitos como el diagnóstico precoz, la atención personalizada o el acceso equitativo a los tratamientos, un pilar esencial en la correcta atención a los pacientes y un aspecto sobre el que hemos reiterado en estos últimos años la necesidad de articular medidas” explica Manuel Pérez.

Los nuevos modelos de financiación de los tratamientos, el papel que han de jugar las asociaciones de pacientes en las decisiones sobre el acceso a los medicamentos huérfanos, los avances (especialmente en medicina genómica y métodos diagnósticos), el análisis de las necesidades sociosanitarias de las personas afectadas o el desarrollo de una política común ante las enfermedades raras constituyen algunos de los temas que se expondrán y analizarán en el marco del congreso, en el que se van a dar cita más de 300 personas, entre las que se encontrarán pacientes –se espera la presencia de más de un centenar de representantes de colectivos de personas afectadas–, miembros de la industria, investigadores, profesionales sanitarios y representantes de la administración y de grupos políticos.

Al respecto de esto último, cabe destacar la presencia del presidente de la Junta de Andalucía, Juan Manuel Moreno, en el acto de inauguración, en el que también han participado el consejero de Salud y Familias, Jesús Aguirre; el alcalde de Sevilla, Juan Espadas; el presidente de la Federación Española de Enfermedades Raras (entidad co-organizadora del encuentro), Juan Carrión; el presidente del Consejo General de Colegios Oficiales de Farmacéuticos, Jesús Aguilar; y el presidente del Consejo Andaluz de Colegios Oficiales de Farmacéuticos, Antonio Mingorance.

En esta primera jornada congresual, cabe destacar la celebración de la mesa redonda 'El reto del acceso a los medicamentos por los pacientes con enfermedades raras', en la que participará Patricia Lacruz, directora General de Cartera Básica de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia del Ministerio de Sanidad; M<sup>a</sup> Jesús Lamas, directora de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios; y Julián Isla Gómez; miembro del Comité de Medicamentos Huérfanos de la Agencia Europea de Medicamentos.

El primer día del encuentro se completará con la mesa 'Avances en la investigación sobre medicamentos huérfanos', en la que se contará con la presencia de Eduardo F. Tizzano, director del Área de Genética Clínica y Molecular del Hospital Universitario Vall d'Hebron; Amelia Martín, responsable de la Plataforma de Medicamentos Innovadores de Farmaindustria; y Ana López-Casero, tesorera del Consejo General de Colegios Oficiales de Farmacéuticos.

Entre otros ponentes destacados, este jueves participarán Ivo Glynne, director del Centro Nacional de Análisis Genómico, para hablar de avances en genómica; Enrique Terol, de la Comisión Europea, para tratar las redes de referencia europeas; Luis Cayo,



IX CONGRESO INTERNACIONAL DE  
**MEDICAMENTOS HUÉRFANOS  
Y ENFERMEDADES RARAS**

“LAS ENFERMEDADES RARAS,  
UN DESAFÍO GLOBAL”



**SEVILLA**  
13, 14 y 15 FEBRERO DE 2019



presidente del Comité Español de Representantes de Personas con Discapacidad (CERMI), para hablar de prestaciones sociosanitarias, así como la presidenta de la Comisión de Sanidad, Consumo y Bienestar Social del Senado, M<sup>ra</sup> del Carmen de Aragón Amunárriz, que hará lo propio sobre el abordaje de las enfermedades raras a nivel nacional.

En la última jornada del congreso, viernes 15 de febrero, destacará la intervención de Manuel Posada de la Paz, director del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos III, sobre casos sin diagnóstico.

### **La realidad de las enfermedades raras en España**

Según datos de la OMS, entre el 6 y el 8 por ciento de la población padece alguna enfermedad rara, de las que ya se han descrito más de 7.000 distintas. Atendiendo al intervalo de porcentaje descrito por la Organización Mundial de la Salud, en una ciudad como Sevilla habría entre 42.000 y 56.000 personas con alguna de estas patologías, o 116.000 y 155.000 personas en el caso de la provincia, muchas de las cuales no lo sabrían siquiera al no contar con diagnóstico.

Pese a los alcances logrados en estos últimos años, son muchos los retos que quedan por solventar en la asistencia a estas dolencias. Según los resultados recogidos en la actualización de 2018 del Estudio ENSERio (Estudio sobre situación de Necesidades Sociosanitarias de las Personas con Enfermedades Raras en España) realizado por FEDER, estos son los principales problemas:

### **El diagnóstico de las enfermedades raras**

El 89% de la población estudiada dispone de un diagnóstico confirmado, un 8% tiene uno pendiente de confirmación y el 3% declara carecer de diagnóstico. Una de cada cuatro personas encuestadas afirma haber tenido que desplazarse fuera de su Comunidad Autónoma en los dos últimos años para conseguir un diagnóstico, mientras que la mitad de los encuestados asegura haber sufrido retraso en su diagnóstico

### **Atención sanitaria**

Más del 40% de las personas indican que no están satisfechas con la atención sanitaria que han recibido y/o reciben. Las principales causas de esta falta de satisfacción son: que no existe un tratamiento (29%) o que el tratamiento existente es muy caro (44%). Otras causas son la falta de comunicación con profesionales sanitarios (29%); que no se le realizan las pruebas necesarias para diagnosticar su enfermedad; que no se valora suficientemente la calidad de vida del paciente; el retraso en el diagnóstico (49%); y el lento avance en la investigación de la enfermedad. Otros motivos también son la sensación de escasa coordinación entre los distintos profesionales y servicios sanitarios (de atención primaria, especializada, hospitales, etc.) que han de afrontar el diagnóstico



y tratamiento de la ER (59%), así como la coordinación entre estos profesionales y servicios y otros ámbitos como el educativo y el social (49% y 55% respectivamente).

### **Desplazamientos en busca de diagnóstico y tratamiento**

Prácticamente la mitad de los afectados ha tenido que viajar en los últimos 2 años fuera de su provincia a causa de su enfermedad. De estas personas, cerca del 40% de las personas se han desplazado 5 o más veces en busca de diagnóstico o tratamiento. El 17% de los pacientes no ha podido viajar aunque lo ha necesitado.

### **Tratamiento**

El 34% de las personas estudiadas afirma tener el tratamiento que precisa, el 25% indica que no lo tiene y el 22% que dispone de un tratamiento, pero lo considera inadecuado. Sumando estas dos últimas magnitudes, un 47% de la muestra se encuentra en una mala situación respecto de su tratamiento.

### **Productos sanitarios y medicamentos**

Casi la mitad de la muestra asegura tener dificultades para acceder a los productos sanitarios o medicamentos que necesitaba. Las causas son, principalmente, el elevado precio del producto, que esté indicado para una patología distinta a la del paciente, la inexistencia del producto, que ha de obtenerse en otro país u otra Comunidad Autónoma o la retirada del producto o problemas burocráticos, entre otros.

### **Gastos relacionados con la atención de la enfermedad**

Los gastos por enfermedad suponen más del 20% de los ingresos para el 30% de las personas con una enfermedad poco frecuente. Estos gastos se dedican en su mayoría a pagar medicamentos (en el 44% de los casos), a la fisioterapia (35% de los encuestados que responden esta cuestión), a los tratamientos médicos (para el 34%), al transporte (para el 29%) y a los productos de ortopedia (el 28% de los casos).

Todo ello determina la impresión generalizada entre estas personas de que su situación vital es insatisfactoria. Los datos indican que más del 40% de las personas analizadas considera que su situación económica es insuficiente, mala o muy mala.

### **Discapacidad**

Más del 80% de las personas con enfermedades poco frecuentes tiene algún tipo de discapacidad y un porcentaje similar posee ya el certificado oficial de esta condición. Uno de cada tres de estas personas tuvo que esperar más de un año para recibir la ayuda a la que tiene derecho por poseer este certificado. Un porcentaje similar indicó que no estar conforme con la valoración del grado de discapacidad reconocido por los servicios públicos.



IX CONGRESO INTERNACIONAL DE  
**MEDICAMENTOS HUÉRFANOS  
Y ENFERMEDADES RARAS**

“LAS ENFERMEDADES RARAS,  
UN DESAFÍO GLOBAL”



**SEVILLA**  
13, 14 y 15 FEBRERO DE 2019



### **Prestaciones por causa de discapacidad o dependencia**

Más de la mitad (el 55%) indicaron que no reciben ninguna prestación como consecuencia del reconocimiento de discapacidad o dependencia; un 19% recibe la prestación por hijo con discapacidad a cargo; el 17% recibe alguna pensión de invalidez (el 10% contributiva y el 7% no contributiva); y el 5% recibe otro tipo de ayudas económicas. En suma, el 41% recibe algún tipo de prestación por causa de su enfermedad rara o discapacidad.

### **Ámbito laboral**

La tasa de actividad entre las personas con enfermedades poco frecuentes es actualmente del 58% y la de paro es del 24%. Según datos de la Encuesta de Población Activa (EPA) del primer trimestre de 2017 (cuando se realizó este estudio) para la población general, la tasa de actividad era en ese momento del 59% y la de paro del 19%. Por tanto, la tasa de actividad en el caso de las personas con este tipo de patología es prácticamente idéntica a la de la población general, al tiempo que su tasa de paro es algo más de 5 puntos superior.

### **Discriminación percibida**

En la actualización del Estudio ENSERio publicada en 2018 se ha observado un aumento de la sensación de discriminación respecto a su anterior edición (2009) de trece puntos, hasta alcanzar el 43%.

**Programa completo Congreso #MHER19:** <https://bit.ly/2TBH1wh>

### **Para más información:**

**Gabinete de comunicación del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla y la Fundación Mehuer: Manuela Hernández / Tomás Muriel (95 462 27 27 / 605 603 382)**