



## **NOTA DE PRENSA**

*28 de febrero, Día Mundial de las Enfermedades Raras*

### **EL COLEGIO DE FARMACÉUTICOS DE SEVILLA Y LA FUNDACIÓN MEHUER INSISTEN EN LOS BENEFICIOS DE CENTRALIZAR EN UN FONDO ESTATAL LOS RECURSOS PARA ADQUIRIR TRATAMIENTOS PARA LAS PERSONAS CON ENFERMEDADES RARAS**

- Pese a los notables avances en sensibilización y divulgación, queda aún mucho por hacer en el ámbito del diagnóstico y el tratamiento
- El fomento de la investigación, de la mano incluso de incentivos fiscales; o del acceso equitativo a los tratamiento a través de un fondo nacional específico coordinado por el Consejo Interterritorial de Salud, entre las demandas que se realizan para garantizar una mayor calidad de vida a los pacientes con enfermedades raras
- El modelo de funcionamiento de la Organización Nacional de Trasplantes, ejemplo para centralizar la compra de los medicamentos huérfanos. Actualmente son los hospitales los que deben adquirir estas terapias, lo que compromete seriamente sus presupuestos
- Entre la aparición de los primeros síntomas de una enfermedad rara hasta la consecución de un diagnóstico es de 5 años, aunque para uno de cada cinco afectados transcurren 10 años o más
- En el caso del tratamiento, un 30% de los pacientes asegura no recibir apoyo o tratamiento y el 18% que ha recibido algún tratamiento inadecuado
- Las enfermedades raras afectan a un 7% de la población. Por tanto, en Sevilla habría más de 48.000 personas afectadas por esta realidad, algo más de 135.000 en el conjunto de la provincia y unas 500.000 en toda Andalucía

**Sevilla, 27 de febrero de 2023.-** Con motivo de la celebración del Día Mundial de las Enfermedades Raras, que tendrá lugar mañana martes, desde el Colegio de Farmacéuticos de Sevilla y la Fundación Mehuer –entidad creada por el citado Colegio

con el fin de promover la sensibilización e investigación en el campo de las patologías de baja prevalencia– se insiste en la necesidad de redoblar esfuerzos en torno a estas enfermedades, en especial, para asegurar un diagnóstico y tratamiento efectivos a todas aquellas personas que tienen alguna de estas dolencias, de las que hay catalogadas más de 8.000 y que afectan al 7% de la población, por lo que en Sevilla habría más de 48.000 personas afectadas por esta realidad, algo más de 135.000 en el conjunto de la provincia y unas 500.000 en toda Andalucía.

“Se ha avanzado mucho en cuestiones como sensibilización y divulgación y hay unidades de referencia en Andalucía de alto nivel científico y técnico, pero es cierto que queda aún mucho por hacer en el ámbito del diagnóstico y el tratamiento, un desafío que no es exclusivo de nuestro entorno”, recuerda Manuel Pérez, presidente del Colegio de Farmacéuticos sevillano y de Mehuer.

El promedio de tiempo estimado que transcurre entre la aparición de los primeros síntomas de una enfermedad rara hasta la consecución de un diagnóstico es de 5 años, aunque para uno de cada cinco afectados transcurren 10 años o más entre la aparición de los primeros síntomas hasta conocer el diagnóstico. En el caso del tratamiento, según los datos de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) –que nació en Sevilla de la mano del farmacéutico Moisés Abascal– señala que casi 30% de los pacientes no recibe apoyo o tratamiento y que el 18% ha recibido algún tratamiento inadecuado.

Con el fin de reconducir estos registros, Pérez apuesta incluso por establecer medidas que incentiven la investigación en este campo, incluyendo entre ellas bonificaciones fiscales que atraigan talento a este ámbito y favorezca la puesta en marcha y desarrollo de nuevos proyectos que aceleren la consecución de resultados, donde, lamenta, “los avances son lentos”. En este sentido, el presidente de los farmacéuticos sevillanos también solicita aprovechar “la inercia y el potencial investigador” que ha aflorado en España desde la irrupción de la pandemia de la COVID-19, enfermedad hacia la que muchos grupos de investigación han dirigido en estos últimos años sus esfuerzos.

Aunque la investigación también es especialmente necesaria para la consecución de terapias específicas para el mayor espectro posible de enfermedades –y más ahora, con las posibilidades que plantean las terapias génicas–, Pérez pone el foco en otra cuestión, más de ámbito administrativo, igualmente importante: en España existe una clara situación de inequidad en el acceso a los tratamientos, propiciada por los distintos criterios sanitarios existentes entre las comunidades autónomas a la hora de financiar los fármacos disponibles en el mercado. Esta situación de desigualdad entre territorios se solucionaría “unificando informes y evaluaciones y evitando demoras en las decisiones sobre financiación, prescripción y dispensación de los medicamentos”, subraya.

La designación de un medicamento huérfano –tratamiento indicado para las enfermedades raras– y su autorización para su disposición en el mercado corresponde en nuestro entorno comunitario a la Agencia Europea de Medicamentos mientras que

la evaluación del valor terapéutico, la fijación del precio y el reembolso (la financiación pública) corresponde a las Agencias del Medicamento de cada uno de los estados de la Unión Europea (en el caso español, la AEMPS). Eso es así excepto en España, debido a su configuración administrativa en el ámbito sanitario, descentralizada a las comunidades autónomas.

De este modo, las comisiones de evaluación de medicamentos de cada una de las comunidades autónomas realizan una revisión de los procesos anteriores, culminando en la renegociación del precio de cada medicamento huérfano con el laboratorio fabricante, lo que retrasa su prescripción a los pacientes. Una vez terminada la renegociación en cada comunidad autónoma son las gerencias de cada uno de los centros hospitalarios las que renegocian nuevamente con los laboratorios desde el punto de vista económico, pues es en sus presupuestos donde se imputan los gastos en medicamentos huérfanos. De este modo, a pesar de que el plazo legal establecido para poner un medicamento huérfano y en la Unión Europea es de 180 días, algunos estados tardan hasta 700 días en hacerlo, lo que dificulta a los pacientes acceder a los medicamentos.

Según Pérez, se podrían “evitar estas continuas e innecesarias negociaciones y renegociaciones entre partes que retrasan la llegada de los fármacos a los pacientes creando y dotando suficientemente un fondo estatal para sufragar los tratamientos con medicamentos huérfanos y eliminar, de esta forma, la presión económica a la que están sometidas habitualmente las consejerías, los servicios de salud y las gerencias de los hospitales, a quienes corresponde la adquisición de los tratamientos”, sostiene el presidente de los farmacéuticos sevillanos.

Para conseguir todos estos propósitos, Pérez considera imprescindible una coordinación “real, leal y efectiva en el seno del Consejo Interterritorial de Salud”, que se encargaría de gestionar, de forma justa y equitativa, los fondos destinados para la adquisición de dichos tratamientos. El presidente de Mehuer y de los farmacéuticos sevillanos también pone como ejemplo el modelo de funcionamiento de la Organización Nacional de Trasplantes, “un ejemplo mundial y que nadie discute”, para centralizar la compra de los medicamentos huérfanos.

Actualmente son los hospitales los que deben adquirir estas terapias, lo que compromete seriamente sus presupuestos. “Esa presión no debe tenerla el gerente de un hospital, ni el prescriptor”, subraya el presidente del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla y la Fundación Mehuer.

## **25 años junto a las personas con enfermedades raras**

Junto con la resolución de las trabas administrativas anteriormente descritas, Manuel Pérez subraya la necesidad de fomentar e incrementar la investigación tanto en estrategias de diagnóstico como tratamientos factibles para el mayor número posible de enfermedades raras.

En este propósito se insiste precisamente desde el Colegio de Farmacéuticos de Sevilla desde hace 25 años, periodo desde el que lleva ofreciendo colaboración a las personas afectadas por estas patologías y a sus familias.

En este tiempo, bien de forma directa, bien a través de la Fundación Mehuer, el Colegio de Farmacéuticos sevillano ha dotado con más de 200.000 euros en torno a una treintena de becas para investigar sobre enfermedades raras y ha organizado diez congresos internacionales en la ciudad de Sevilla que han ayudado a sensibilizar a la población y a las administraciones sobre los problemas de acceso a los pocos tratamientos existentes que sufren estos pacientes, así como sobre la falta de recursos destinados a la investigación en este ámbito.

Asimismo, desde Mehuer también se fomenta la divulgación y sensibilización con su premio periodístico bienal, así como el debate y desarrollo de propuestas de innovación en el campo de las enfermedades raras a través del Foro InnovaER, que ya ha llevado a cabo sesiones en lugares como Madrid, Barcelona, Zaragoza, Sevilla, Pamplona o Burgos, entre otros, orientadas a promover que la ciudadanía –y en especial, las personas afectadas por enfermedades raras, ya sean pacientes o familiares– participen de manera más activa y directa en los procesos de toma de decisiones estratégicas relativas a su salud.

Estos 25 años de actividad le han merecido al Colegio de Farmacéuticos de Sevilla y a Mehuer el reconocimiento de instituciones como la Federación Española de Enfermedades Raras, FEDER –en cuya constitución tuvo este Colegio de Farmacéuticos un papel destacado–, la Asociación de Fundaciones Andaluzas, la Fundación Cofares, la Academia de Farmacia de Castilla y León, la Diputación de Sevilla, Academia de Farmacia de Cataluña, y el Foro Albert Jovell, Federación Católica de Asociaciones de Padres de Alumnos (FECAPA), Colegio de Farmacéuticos de Granada, ABC Salud, Correo Farmacéutico, Sanitaria 2000, Ediciones Mayo, la Medalla del Consejo General de Colegios de Farmacéuticos y muy recientemente la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) o La Carabela La Pinta en su categoría de oro del Colegio de Farmacéuticos de Huelva, entre otras muchas, que han valorado la larga trayectoria del Colegio tanto en la difusión y sensibilización como en el apoyo a la investigación.

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

Según la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), esta es, en datos, la realidad de las enfermedades raras en España:

#### **Diagnóstico**

Un paciente con una enfermedad rara espera una media de 4 años hasta obtener un diagnóstico, en el 20% de los casos transcurren 10 o más años hasta lograr el diagnóstico adecuado. Mientras que se demora el tiempo de diagnóstico, el paciente:

- No recibe ningún apoyo ni tratamiento (29,37% de los casos)
- Ha recibido algún tratamiento inadecuado (17,9% de los casos)

- Ve como su enfermedad se ha agravado (31,26% de los casos)

### **Atención sanitaria**

- El 46,82% no se siente satisfecho con la atención sanitaria que reciben por su enfermedad.
- El 47% reciben un tratamiento que consideran inadecuado o que no es el que necesitan.
- El 72% cree que, al menos, una vez fue tratado inadecuadamente por algún personal sanitario por su enfermedad. Principalmente por la falta de conocimientos sobre su patología (56% de los casos).
- La cobertura de productos sanitarios por la Sanidad Pública es escasa o nula (21% de los casos).
- El 47% reciben un tratamiento que consideran inadecuado o que no es el que necesitan.
- El 44% de los pacientes no tiene totalmente cubiertos los costes de los productos sanitarios que necesita para su enfermedad.
- Los medicamentos coadyuvantes y productos sanitarios por su enfermedad son tratamientos continuos o de larga duración (85% de los casos).
- El 15% utiliza medicamentos huérfanos.
- El 51% de las familias tiene dificultades para acceder a estos medicamentos.

### **Desplazamientos**

- Cerca del 50% de los pacientes tuvo que viajar en los últimos años fuera de su provincia debido a su enfermedad.
- De estos desplazados, el 40% se desplazó 5 o más veces en busca de diagnóstico o tratamiento.
- El 17% de los pacientes no pudo viajar aunque lo necesitó.

### **Gastos**

- Los costes suponen cerca del 20% de los ingresos familiares anuales.
- De media, cada familia destina más de 320 euros a esta causa.

Gastos a cubrir: adquisición de medicamentos y otros productos (44% de los casos), tratamiento médico (34,45% de los casos), ayudas técnicas y ortopedia (36,90% de los casos), transporte adaptado (36,70% de los casos), asistencia personal (23% de los casos) y adaptación de la vivienda (9% de los casos).

### **Exclusión**

**El 43% sintió discriminación, al menos, en alguna ocasión debido a su enfermedad.**

Principales ámbitos de discriminación: Relaciones sociales (un 56,91%), atención sanitaria (43,21%), ámbito educativo (32,46%) y actividades de la vida cotidiana (62,56%).

### **Otras necesidades**

- Más del 80% de las personas con estas patologías posee el certificado de discapacidad.
- El 35,40% aseveran que no están satisfechos con el grado de discapacidad reconocido.
- Una de cada tres personas indica que requiere más de 6 horas diarias de apoyo en la asistencia personal de paciente.

Los pacientes necesitan ayuda para sus actividades diarias: vida doméstica (52,98% de los casos), desplazamientos (42,70% de los casos) o movilidad (40,99% de los casos) y sólo el 12,81% no necesita ningún apoyo.

Sobre quién les proporciona el soporte: padres (60,41% de los casos), hijos (10,06% de los casos) o pareja (29,50% de los casos).

- Uno de cada tres (el 33,74%) tiene menos tiempo libre.
- El 10% dice haber perdido oportunidades laborales.
- El 12,03% ha tenido que reducir su jornada laboral.
- El 10,45% ha perdido oportunidades de formación.

**Para más información:**

**Gabinete de comunicación del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla y la Fundación Mehuer: Tomás Muriel (605 603 382)**