



NOTA DE PRENSA

LOS PACIENTES SOLICITAN TENER UNA IMPLICACIÓN MÁS ACTIVA EN LA INVESTIGACIÓN EN ENFERMEDADES RARAS

- **Representantes de afectados por estas patologías han apelado a extender los límites de la investigación más allá de la biomedicina, a ámbitos como la psicología, priorizando siempre las necesidades de las personas afectadas y no “los criterios de la administración o los propios investigadores”**
- **Los pacientes han solicitado no asociar el estudio sobre estas patologías a la “beneficencia o la captación de fondos, sino que cuenten con un compromiso y una apuesta real desde el ámbito público”**

Sevilla, 13 de febrero de 2015.- Los pacientes se han convertido en los principales protagonistas de la segunda jornada del VII Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras. En ese sentido, ha destacado la intervención de Miguel Ángel Ruiz Carabias, responsable de la Fundación para la Investigación por las Enfermedades Raras (Fundación FEDER), quien ha solicitado que los afectados por estas dolencias tengan una implicación más activa en la investigación en enfermedades raras, aludiendo a que “los colectivos de pacientes contamos con investigadores en nuestras asociaciones y sabemos muy bien de qué hablamos, y aparte, somos los principales interesados en el desarrollo de la investigación ya que el tiempo juega en contra de la salud y la propia vida de los afectados”, ha sentenciado Carabias.

Durante su intervención, el representante de la Fundación FEDER también ha apelado a extender los límites de la investigación más allá de la biomedicina, a ámbitos como la psicología, priorizando siempre las necesidades de las personas afectadas y no “los criterios de la administración o los propios investigadores”, así como de no asociar el estudio sobre estas patologías a la “beneficencia o la captación de fondos, sino que cuenten con un compromiso y una apuesta real desde el ámbito público”.

Ruiz Carabias ha resaltado en su ponencia que “España cuenta con recursos suficientes para llevar a cabo una buena investigación en enfermedades raras, aunque es necesario ajustarse a las necesidades reales de los pacientes para ver resultados”. En referencia a esta idea y a su

solicitud de dar un papel más relevante a las asociaciones de pacientes, ha concluido su intervención parafraseando a Severo Ochoa: “La investigación necesita más cabeza que medios”.

En la misma mesa en la que ha participado Carabias, titulada ‘Avances en la investigación traslacional’, ha participado también Luis Cruz, presidente de AELMHU, (Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos), quien ha explicado la complejidad que conlleva la investigación en fármacos especialmente diseñados para tratar patologías de baja prevalencia. “Sólo una de cada 100.000 moléculas investigadas llegan al mercado, y todo, tras unos 12 ó 15 años de investigación”, ha reseñado. En su intervención, Cruz ha explicado que en Europa existen actualmente 79 medicamentos huérfanos, de los 68 tienen designación como tal en España, aunque sólo 47 tiene establecido precio en territorio español.

En relación con esta ponencia, el Dr. Manuel Posada de la Paz, director del instituto de investigación de enfermedades raras del Instituto de Salud Carlos y que ha profundizado en el funcionamiento y la labor del Consorcio Internacional de Investigación en Enfermedades Raras (IRDIRC), explicó que los objetivos de este consorcio es conseguir al menos 200 nuevas terapias y que todas las enfermedades raras tengan un biomarcador para su diagnóstico en el año 2020.

Testimonios en primera persona

Otros de los platos fuertes de esta segunda jornada del congreso ha sido la intervención de cuidadores de pacientes de enfermedades raras en una mesa específica dedicada a ellos, y en la que han narrado en primera persona los problemas a los que se enfrentan a diario para ofrecer la mejor calidad de vida posible a sus familiares.

En este sentido destacó la participación de M^a del Rosario Sánchez madre de un afectado por la enfermedad de Pompe, quien aseguró que “los cuidados que todos los padres tienen hacia un hijo con una enfermedad rara se convierte en pesadillas, incertidumbres y una enorme preocupación”, sosteniendo asimismo que “el cuidador familiar requiere de una gran fortaleza y fuerza física” para llevar a cabo dicha atención.

Junto a su testimonio, también despertó especial atención el de Enrique Recuero, padre y cuidador de una niña sin diagnóstico que, con 9 años, ha comenzado a andar. Recuero, quien ante la falta de respuestas para el caso de su hija ha creado la asociación ‘Objetivo Diagnóstico’, abordó las dificultades médicas, administrativas y educacionales a las que se enfrentan personas como su hija en cuanto al acceso a tratamiento, atención temprana o carencia de prestaciones sociales, entre otras muchas.

La programación de esta jornada del congreso también ha dedicado amplio espacio a profundizar en la accesibilidad a los tratamientos para enfermedades raras (autorización y comercialización efectiva, prescripción y decisión de ampliar los medicamentos, etc.) o en el funcionamiento y la coordinación autonómica entre los centros de referencia y planes asistenciales hospitalarios.

Sobre el Congreso

El VII Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras está organizado por el Colegio de Farmacéuticos de Sevilla y la Fundación Mehuer, en colaboración con FEDER y la Fundación FEDER. El lema de esta séptima edición es 'Consolidando esfuerzos: una responsabilidad compartida', en alusión a los importantes avances que se han producido en los últimos años en relación a la concienciación social y política sobre estas patologías pero, a la par, a la necesidad de dar una respuesta sanitaria y social a los afectados, más de 3.000.000 millones de personas en toda España, según las estimaciones de FEDER. Respuesta desde el ámbito de la investigación y diagnóstico de estas patologías, con las opciones que abren nuevos los biomarcadores o la investigación traslacional; en el tratamiento – accesibilidad en condiciones de igualdad en todo el territorio nacional y financiación-; y respuesta sociosanitaria –dependencia y cuidadores, educación, etc.-.

Para más información:

**Gabinete de comunicación del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla y la Fundación Mehuer:
Tomás Muriel / Manuela Hernández (95 462 27 27 / 605 603 382 / 651 867 278)**