

## Día Mundial de las Enfermedades Raras

***60 organizaciones de pacientes, profesionales e industria se unen por primera vez para alcanzar compromisos y soluciones contra las ER***

## **FRENTE COMÚN CONTRA LAS ENFERMEDADES RARAS**

***El documento se presentará ante instituciones públicas y políticas, tanto nacionales como autonómicas***

**Madrid, 28 de febrero de 2017.-** Con motivo del Día Mundial de las Enfermedades Raras, 60 organizaciones de pacientes, profesionales e industria se han unido por primera vez para hacer frente a los retos en el ámbito de las enfermedades raras (ER), presentando un documento conjunto de recomendaciones con medidas y soluciones prácticas para defender, promover y mejorar la situación que padecen las personas afectadas por estas enfermedades en España.

Liderado por la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) y la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), el documento se presentará ante instituciones públicas y políticas, tanto a nivel nacional y autonómico, para recabar voluntad política con el fin de alcanzar compromisos y soluciones conjuntas con los colectivos involucrados en el ámbito de las ER.

*“Este documento marca un antes y un después en el ámbito de las enfermedades raras, ya que es la primera vez que se unen más de medio centenar de organizaciones de diversos ámbitos para presentar soluciones ante los obstáculos a los que se enfrentan todos los pacientes con enfermedades raras en España”, afirma Juan Carrión, Presidente de FEDER.*

El documento propone varias medidas entre las que se encuentra la **promoción del conocimiento** general sobre las enfermedades raras; el **apoyo a la investigación** favoreciendo la viabilidad y sostenibilidad de los laboratorios que investigan las enfermedades raras; la consecución de un **acceso rápido y equitativo al diagnóstico y tratamiento** con los medicamentos apropiados en las distintas Comunidades Autónomas, **proporcionando la financiación** necesaria para ello; así como la necesidad de **evitar demoras en las decisiones sobre financiación y precio** de los medicamentos huérfanos.

En este sentido, el presidente de Aelmhu, Josep Maria Espinalt, señaló que *“para poder garantizar soluciones en el ámbito de las enfermedades raras, creemos necesario la existencia de plataformas activas que sirvan de foro de discusión y de coordinación entre las autoridades públicas competentes, los representantes políticos y los demás colectivos involucrados en la materia”*.

El escrito también recoge medidas para promover la participación en el empleo de las personas con enfermedades raras; favorecer la inclusión educativa o fortalecer los servicios sociales, especialmente los relacionados con la atención a la discapacidad y a la dependencia.

### **Soluciones para defender, promover y mejorar las enfermedades raras en España**

En concreto, para poder poner en práctica dichas medidas, los firmantes solicitan al **Gobierno de España** que incorpore en el **Comité de Seguimiento y Evaluación de la Estrategia en**

**Enfermedades Raras** del Sistema Nacional de Salud a todos los colectivos vinculados en materia de enfermedades raras.

En este aspecto, también piden que se garantice un entorno normativo, administrativo y político estable, ágil, previsible y transparente en el que esté garantizada la seguridad jurídica: “Demandamos procedimientos administrativos definidos con claridad, para que las compañías que investigan y desarrollan los tratamientos específicos, puedan seguir aportando beneficio y calidad a los pacientes con enfermedades raras, manteniendo su compromiso con la I+D+i y con la introducción de medicamentos en el mercado para tratar estas enfermedades”, apunta Josep M<sup>a</sup> Espinalt.

**A los partidos políticos** que forman parte de las Cortes Generales en la presente legislatura, los firmantes **piden la creación de una Comisión Mixta Permanente (Congreso-Senado)** para abordar la problemática de las enfermedades poco frecuentes en nuestro país, mientras que a **los responsables políticos** se solicitan **presupuestos específicos** para el tratamiento de los pacientes afectados por enfermedades raras con el fin de mitigar las situaciones de inequidad y diferencias entre regiones.

Por último, a las **Comunidades Autónomas** reclaman el desarrollo de un mecanismo de compensación entre comunidades transparente, ágil y eficaz, en el que puedan conocerse las dificultades y los retrasos en el acceso a estos medicamentos para poder solventarlos.

#### **Organizaciones firmantes del documento**

La iniciativa es continua y está abierta a cualquier organización que quiera adherirse. A día de hoy cuenta con el apoyo de las siguientes organizaciones:

#### **SOCIEDADES CIENTÍFICAS/PROFESIONALES**

Asociación Española de Genética Humana (AEGH)  
Asociación Española de Pediatría  
Asociación Española de Pediatría de Atención Primaria (AEPap)  
Asociación Española para el Estudio de los Errores Congénitos del Metabolismo (AECOM)  
Consejo General de Colegios Oficiales de Enfermería de España  
Consejo General de Colegios Oficiales de Farmacéuticos  
Consejo General de Colegios Oficiales de Médicos (CGCOM)  
Consejo General de la Psicología (COP)  
Consejo General del Trabajo Social  
Federación de Asociaciones de Enfermería Comunitaria y Atención Primaria (FAECAP)  
Fundación MEHUER  
Institut d'Investigació Biomèdica de Bellvitge (IDIBELL)  
Instituto de Investigación contra la Leucemia Josep Carreras  
Registro Español de Inmunodeficiencias Primarias (REDIP)  
Sociedad Española de Arteriosclerosis (SEA)  
Sociedad Española de Bioquímica Clínica y Patología Molecular (SEQC)  
Sociedad Española de Cardiología (SEC)  
Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH)  
Sociedad Española de Gastroenterología Hepatología y Nutrición Pediátrica (SEGHNP)  
Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH)  
Sociedad Española de Inmunología (SEI)

Sociedad Española de Investigación Ósea y Metabolismo mineral (SEIOMM)  
Sociedad Española de Medicina de Familia y Comunitaria (SEMFYC)  
Sociedad Española de Medicina Interna (SEMI)  
Sociedad Española de Médicos de Atención Primaria (SEMERGEN)  
Sociedad Española de Médicos Generales y de Familia (SEMG)  
Sociedad Española de Nefrología (SENEFRO)  
Sociedad Española de Neumología y Cirugía Torácica (SEPAR)  
Sociedad Española de Neurología (SEN)  
Sociedad Española de Pediatría Social (SEPS)  
Sociedad Española de Reumatología Pediátrica (SERPE)  
Sociedad Española de Reumatología  
Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH)  
Unión Española de Sociedades Científicas de Enfermería (UESCE)  
Vall d'Hebron Institut de Recerca (VHIR)

### **ASOCIACIONES DE PACIENTES**

Alianza General de Pacientes (AGP)  
Asociación Alfa-1 de España  
Asociación de Afectados por Displasia Ectodérmica (AADE)  
Asociación de Enfermos de Fiebre Mediterránea Familiar y Síndromes Autoinflamatorios de España  
Asociación de Hemofilia de la Comunidad de Madrid  
Asociación Española de Angioedema Familiar (AEDAF)  
Asociación Española de Cistinosis  
Asociación Española de Déficits Inmunitarios Primarios (AEDIP)  
Asociación Española de Enfermos y Familiares de la Enfermedad de Gaucher (AEEFEG)  
Asociación Española de Familiares y Enfermos de Wilson  
Asociación Española de las Mucopolisacaridoses y Síndromes Relacionados (MPS España)  
Asociación española de niños con trasplante multivisceral y afectados de fallo intestinal y nutrición parenteral  
Asociación Española de Porfiria  
Asociación Española de Trasplantados (AET)  
Asociación Hemoglobinuria Paroxística Nocturna (HPN)  
Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER)  
Federación Española de Hemofilia (FEDHEMO)  
Foro Español de Pacientes  
Fundación Ana Carolina Díez Mahou  
Fundación Contra la Hipertensión Pulmonar (FCHP)

### **INDUSTRIA**

Asociación de Medicina de la Industria Farmacéutica (Amife)  
Asociación Española de Bioempresas (ASEBIO)  
Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultra huérfanos (AELMHU)  
European Confederation of Pharmaceutical Entrepreneurs (EUCOPE)  
Farmaindustria

La Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) es la voz de 3 millones de personas con enfermedades raras en España. FEDER es una organización de ámbito nacional sin ánimo de lucro que, desde 1999 y constituida por 300 asociaciones, representa más de 1.700 enfermedades minoritarias. Algunos de los problemas a los que enfrentan quienes padecen una enfermedad poco frecuente son: falta de acceso al diagnóstico correcto, poca información y un alto coste de los pocos medicamentos existentes. La misión de FEDER es mejorar la calidad de vida de las personas con enfermedades poco frecuentes y la de sus familias. Su visión es tan ambiciosa como admirable la de una sociedad más justa, equitativa e integradora con este colectivo.

#### ***Sobre AELMHU***

AELMHU es una Asociación sin ánimo de lucro, que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un claro compromiso por invertir en descubrir y desarrollar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultra-raras. La finalidad principal de AELMHU es aprovechar la capacidad individual de sus asociados en el desarrollo de fármacos innovadores para asegurar el acceso de los afectados a los tratamientos, con el objetivo de mejorar su salud y calidad de vida y servir de interlocutor ante la sociedad, comunidad científica e instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

#### ***Para más información:***

**Prensa FEDER**

Tlfno: 915334008/ 654365221

**Prensa AELMHU**

Tlf: 91 745 48 00 / 609128287