

EL VALOR TERAPÉUTICO Y SOCIAL DE LAS TERAPIAS AVANZADAS, CLAVE PARA AGILIZAR SU DISPONIBILIDAD PARA LOS PACIENTES DE EERR

- Se han abordado tanto los avances clínicos y los desafíos en su evaluación, financiación y compra pública, como los modelos económicos que faciliten el acceso a estos tratamientos.
- Los pacientes de enfermedades raras recuerdan la necesidad de seguir trabajando para poder acceder a estas terapias.

Madrid, 09 de julio de 2024.- La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (**AELMHU**) ha celebrado hoy la II Jornada Nacional El futuro de las Terapias Avanzadas en Enfermedades Raras, en el Auditorio de la Universidad Camilo José Cela, con el objetivo de fomentar el diálogo y la reflexión crítica entre los diferentes agentes del sistema sanitario para poner en valor el desarrollo de este abordaje terapéutico para las enfermedades raras y seguir trabajando conjuntamente para facilitar su disponibilidad y acceso.

Entre las principales conclusiones, los participantes han coincidido en señalar el valor terapéutico y social de estas terapias avanzadas, y el trabajo conjunto de los distintos agentes implicados, indispensables para acelerar su disponibilidad y cambiar la vida de las personas que sufren enfermedades minoritarias.

Tras las palabras de bienvenida de Beatriz Perales, presidenta de AELMHU, la Jornada ha sido inaugurada por Raquel Yotti, comisionada del PERTE para la Salud de Vanguardia del Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades.

Entre otros asuntos, los participantes han debatido sobre los avances clínicos en este ámbito y los desafíos en su evaluación, financiación y compra pública, así como sobre los posibles modelos económicos que faciliten el acceso a este tipo de tratamientos que, además de los beneficios que aportan a la salud y calidad de vida de las personas que tienen estas patologías y sus familias, tienen un notable valor económico y social.

Previamente a las mesas de debate, Sol Ruiz, jefa de División de Productos Biológicos, Terapias Avanzadas y Biotecnología de la AEMPS, ha centrado su intervención en la situación actual de este tipo de terapias; y Álvaro Hidalgo, economista de la Salud, catedrático y director del Grupo de Investigación en Economía de la Salud y Gestión Sanitaria de la Universidad de Castilla La Mancha (UCLM), lo ha hecho sobre los modelos económicos para facilitar el acceso a estas terapias.

En la primera mesa de debate, moderada por Jorge Mestre, economista de la Salud, José Luis Poveda, gerente del Hospital Universitari i Politècnic La Fe; Juan Manuel Fontanet, representante del Área del Medicamento del Servicio Catalán de Salud; Elena Casaus, jefa de la División de la Unidad de Terapias Avanzadas de la Comunidad de Madrid; y Lluís Alcover, abogado especialista en derecho farmacéutico de Faus & Moliner Abogados han abordado los desafíos asociados a la evaluación, financiación y compra pública de estas terapias.

En la segunda mesa, moderada por Borja Smith, director general de BioInnova Consulting, Víctor Jiménez, jefe de Servicio de Hematología del Hospital Universitario La Paz; Alessandra Magnani, responsable de la Plataforma de Terapias Avanzadas e Inmunoterapia del Hospital Sant Joan de Déu; y Javier García, director del Departamento de Desarrollo de Medicamentos de Terapias Avanzadas del ISCIII, han puesto sobre la mesa tanto los avances como los desafíos clínicos de este abordaje terapéutico para las enfermedades minoritarias.

No podía faltar en este encuentro la voz de los pacientes, que ha sido representada por Isabel Motero, directora de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), quien, tras reconocer todo lo avanzando en este ámbito durante los últimos años, ha destacado “la necesidad de que todos los esfuerzos conjuntos señalados en esta Jornada permitan que estas terapias, que cambian la realidad de las personas afectadas, lleguen a las familias”.

“El resultado de la primera Jornada que celebramos hace ahora un año nos animó a seguir apostando por este tipo de iniciativas, y no nos equivocamos. La colaboración y el trabajo conjunto, aunando una perspectiva multidisciplinar, son sin duda la mejor vía para seguir avanzando en este ámbito”, señala Beatriz Perales, presidenta de AELMHU.

Agradeciendo la implicación de los participantes y el resultado de la Jornada, Iván Silva, vocal de la Junta Directiva de AELMHU, ha sido el encargado de su clausura.

El evento ha sido posible gracias al apoyo de BioMarin, CSL Behring, Novartis, PTC Therapeutics, Ultragenyx y Vertex, compañías asociadas a AELMHU. La secretaría técnica ha sido gestionada por BioInnova Consulting.

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 salud y la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras. AELMHU quiere servir de interlocutor ante la sociedad, la comunidad científica y las instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

Actualmente, los asociados de AELMHU son Alexion AstraZeneca Rare Diseases, Alnylam Pharmaceuticals, Amgen, AOP Health, Argenx, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, Csl Behring, Grupo

Italfarmaco, Immunocore, Insmed, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.

Para más información:
información@aelmhu.es