

RESPUESTA A LA CONSULTA PÚBLICA

ANTEPROYECTO
DE LEY DE SALUD
PÚBLICA DE
CANTABRIA

aeLmhu



La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), es una organización de 24 de empresas farmacéuticas y biotecnológicas, con un **decidido compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para mejorar la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras.**

Entre los compromisos de la Asociación está:

- 1 DAR VISIBILIDAD** a las características especiales de las EE.RR. y ultrarraras.
- 2 FORMAR E INFORMAR** sobre el valor que aportan los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) y ultrahuérfanos para el tratamiento de estas patologías.
- 3 EDUCAR Y FUNDAR** una colaboración sólida con el personal sanitario para un diagnóstico más rápido.
- 4 COLABORAR** con organizaciones de pacientes, Administraciones públicas, así como con otros agentes, en aras de aportar conocimiento y experiencia en el tratamiento de las EE.RR.
- 5 SUMAR ESFUERZOS** y apoyar la I+D+i para conseguir que nuevos MM.HH. lleguen al mercado en un tiempo aceptable.

Tras haber analizado el anteproyecto de ley, a continuación, se aportan algunos comentarios.

Análisis

Las compañías que forman parte de AELMHU realizan una importante labor investigadora para el desarrollo de fármacos que sean capaces de tratar este tipo de enfermedades minoritarias. Enfermedades que suelen desarrollarse en la niñez o infancia y que, por ser mayoritariamente genéticas y no disponer de tanta evidencia ni estudios clínicos, cuentan con una menor esperanza de vida y pueden llegar a ser fatales para el paciente con el paso de los años. Ante estos hechos, la realización de un diagnóstico eficaz y temprano es vital como garantía de nivel y calidad de vida de los pacientes.

Según los datos de FEDER, en nuestro país, aproximadamente **3 millones de personas tienen una enfermedad rara**. Sin embargo, los datos en referencia al diagnóstico de las enfermedades raras en España son abrumadores. Los pacientes con una enfermedad minoritaria esperan una media de 6 años hasta obtener un diagnóstico. Asimismo, dependiendo de la Comunidad Autónoma donde se encuentren los pacientes, los tiempos y las patologías detectables y diagnosticadas pueden llegar a variar enormemente, conllevando mayores inconvenientes para un tratamiento eficaz.

Junto con la barrera de los tiempos de espera de un diagnóstico, siguiendo el estudio realizado por ENSERIO (Estudio sobre situación de Necesidades Sociosanitarias de las personas con Enfermedades Raras en España), las personas que conviven con esta enfermedad se enfrentan además a dificultades como el acceso a tratamiento, ya que el 40% de los pacientes no dispone de tratamiento o, si dispone de él, no es el adecuado; o a una larga espera para acceder al mismo. Por otro lado, cabe mencionar, **la falta de especialización sanitaria**, donde más del 45% de los afectados aseguraba no sentirse satisfecho con la atención recibida y un 55% de los casos que avisaba del desconocimiento del profesional.

Así, una espera tan dilatada en el tiempo acarrea frecuentemente un deterioro incremental de la salud de los pacientes, que hace de la **detección y tratamiento temprano un factor fundamental y determinante**, tanto para su abordaje y progresión, como para la calidad de vida de éstos y su entorno familiar, social y laboral.

Tanto es así que, junto con más de 30 entidades del ámbito farmacéutico, así como científico, nuestra Asociación llevó a cabo en el 2017 un informe sobre Recomendaciones para la Búsqueda de soluciones en el ámbito de Enfermedades Raras, el mayor documento de consenso jamás alcanzado en cuanto al abordaje de las patologías poco frecuentes en España. Entre las recomendaciones plasmadas en el informe, se hace en hincapié en implementar un modelo de **Asistencia Integral que dé respuesta a las personas con enfermedades poco frecuentes, asegurando un diagnóstico precoz y la armonización de un cribado ampliado en todas las Comunidades Autónomas.**

Celebramos que desde el Gobierno de Cantabria se quiera dar respuesta a la necesidad de actualización y adaptación dentro de la Comunidad de la Ley 33/2011 de 4 de octubre, General de Salud Pública con el objetivo de implementar la norma **nacional en el marco de las singularidades autonómicas.** En concreto, acogemos con agrado que se incluya dentro de esta norma **la orientación de actividades para la detección precoz de enfermedades, diagnóstico y tratamiento temprano.** Es una muestra del compromiso del Gobierno cántabro con la promoción de la salud y el bienestar de los ciudadanos, sobre todo de aquellos que padecen este tipo de patologías minoritarias.

En este sentido, tenemos la certeza de que **Cantabria es una región comprometida y pionera con las enfermedades minoritarias** y su detección en fases tempranas pues, a pesar de que, en la actualidad, este cribado únicamente cubre 12 enfermedades congénitas (frente a la media nacional de 20), el Gobierno autonómico ha ido aumentando su programa de cribado neonatal con el fin de llegar las 21 patologías para el año 2026.

Prueba del compromiso anterior es el impulso normativo que la Ley de Salud Pública da a la **orientación de las actividades a la detección precoz de enfermedades, diagnóstico y tratamiento temprano.**

En este contexto, celebramos que, Cantabria, impulsada por la necesidad y oportunidad de la norma, centre en el compromiso del gobierno regional reformar las estructuras de Salud Pública, así como garantizar y promover la salud de sus ciudadanos. Y más aún, **teniendo presente la aparición y el auge en estos últimos años de nuevos avances en técnicas y herramientas analíticas**, especialmente en el ámbito de la genética, que permiten una detección más eficaz y temprana de un mayor número de patologías.

Recomendaciones

Tras analizar la consulta pública previa, AELMHU considera que el trámite de consulta previa a la elaboración del anteproyecto de la Ley de Salud Pública de Cantabria va a desempeñar un papel relevante en la mejora de la calidad de vida de los pacientes y a continuación se aportan algunas recomendaciones.

Soluciones regulatorias:

- 1 SOLICITAR LA INCLUSIÓN** del mayor número posible de enfermedades raras en el programa de cribado neonatal como herramienta común de detección temprana y accesible, priorizando la incorporación de todas aquellas patologías que dispongan de una técnica de cribado segura, efectiva y coste-efectividad adecuados y cuenten con un tratamiento aprobado e incluido en la Cartera Común Básica del Sistema Nacional de Salud.
- 2 AGILIZAR EL PROCEDIMIENTO** de inclusión de esas patologías hasta alcanzar ese número de 21 antes de 2026, garantizando de esta manera un acceso rápido y equitativo al diagnóstico de enfermedades, al mismo tiempo que igualando a esta región a la media nacional.
- 3 PROMOVER E IMPULSAR** la innovación con el fin de garantizar la salud y el bienestar de los ciudadanos a lo largo de su vida. **A través de este tipo de políticas sanitarias, pueden estimularse los avances terapéuticos y la investigación y desarrollo de nuevos medicamentos.**
- 4 PROMOVER LA COLABORACIÓN** público-privada en la mejora de la accesibilidad a los medicamentos ya que ha demostrado ser una herramienta muy útil para mejorar la calidad de vida de las personas.

aeLmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos



aelmhu.es