



El paciente es una de las claves para fomentar la investigación en ER

Más de tres millones de españoles padecen alguna enfermedad rara (ER). Aunque hoy en día existe un amplio conocimiento tanto social como sanitario sobre estas patologías, aún queda mucho camino por recorrer. La investigación en ER se presenta como una de las claves para mejorar el abordaje futuro de estas patologías.

Redacción
GM Madrid

La escasa información existente sobre las enfermedades raras y la consecuente falta de conciencia social han sido dos de los problemas sociales más importantes a los que han tenido que enfrentarse los colectivos afectados. Francisco Palau, director científico del Centro de Investigación en Red de Enfermedades Raras (Ciber), considera que, hoy en día, "sí existe el conocimiento social, sanitario y científico de las ER". Con esta afirmación coincide también Manuel Pérez, presidente del Colegio Oficial de Farmacéuticos (COF) de Sevilla, quien consideró que, en realidad, han sido "los propios pacientes los que han buscado esa información que, muchas veces, en la Atención Primaria, no se les ha facilitado". Para Pérez, otro de los logros conseguidos por los pacientes ha sido "que la sociedad conozca estas patologías y las vea 'raras' por la escasa prevalencia que registran, no porque sean raras en sí mismas".

Investigación

De manera adicional, todos los expertos que se dieron cita en el XI Encuentro Salud 2000, celebrado

en la sede editora de GACETA MÉDICA, y centrado en las "Medidas para apoyar la investigación en las ER" coincidieron en el hecho de que la investigación es una "prioridad" cuando se habla de ER. No obstante, Palau afirmó que "en España, desde hace muchos años, hay ya grupos de investigación trabajando en ER", algo que, a su juicio, ha hecho posible la constitución del Ciber de ER. Este centro ha sido "una herramienta muy importante para investigar en este campo y para concienciar a la sociedad", aseguró Palau.

"La sociedad actual conoce las ER y las ve 'raras' por la escasa prevalencia que registran, no porque sean raras en sí mismas"

Por su parte, Rosa Sánchez, presidenta de la Federación Española de Enfermedades Raras (Feder), puso sobre la mesa las dos demandas que, desde su asociación, pretenden hacerse llegar tanto a la Administración como a la industria farmacéutica: "A la Administración le pedimos tener los mismos derechos como ciudadanos a recibir una calidad en la atención y, por tanto, que se investigue en estas enfermedades y a la industria, que valore y equilibre beneficios entre las ER y las más frecuentes, además de orientar la investigación básica a la clínica".

En este sentido, Palau añadió que para él, uno de los principales problemas es que, actualmente, "se

hace una investigación muy básica que tiene una relación muy escasa con la investigación clínica". La solución a este problema podría ser, por tanto, "reorientar parte de la investigación básica a la clínica", tal y como afirmó este experto.

De la misma manera, a lo largo de la reunión se hizo hincapié en la importancia que tiene el paciente en la investigación de las ER. En este sentido, la presidenta de Feder señaló la necesidad de "la implicación de las organizaciones de pacientes en la investigación" debido, fundamentalmente, a que son los pacientes los que tienen "una visión global de la patología", indicó. Por su parte, el presidente del COF de Sevilla consideró vital "dotar adecuadamente a la investigación", para lo cual admitió que es muy importante "no abandonar ninguna línea de investigación bien encaminada por falta de rentabilidad". En este contexto, Pérez hizo también referencia a la necesidad de "proteger" aquellos medicamentos que, en ocasiones tienen que hacer frente a esta "falta de rentabilidad".

Medicamentos huérfanos

Para Josep Torrent, representante del Comité Europeo de Medicamentos Huérfanos de la Agencia Europea del Medicamento (EMA), la investigación y el desarrollo de nuevos medicamentos para las enfermedades raras "exige y demanda una actuación globaliza-



El XI Encuentro Salud 2000 "Medidas para apoyar la investigación en Enfermedades Raras" se celebró en la redacción de GACETA MÉDICA.

da tanto a nivel de la Unión Europea como a nivel internacional". Para cumplir esta demanda, Torrent explicó que es "imperativo crear y fomentar redes concertadas entre la red pública y la industria farmacéutica" y, en este sentido, este experto añadió que son varias las iniciativas integradas en la EMA que pretenden "beneficiar a las industrias farmacéuticas interesadas en desarrollar medicamentos huérfanos".

Europa

El panorama europeo respecto a las ER ocupó una parte importante de este XI Encuentro Salud 2000. El abordaje de las ER en Europa presenta un panorama dispar si se analizan las iniciativas estatales, pero en términos generales, el impulso europeo que se está dando a este tipo de patologías es muy relevante. En opinión de Sánchez, "desde la Comisión Europea se ha puesto de manifiesto que las ER son una prioridad para la UE". Prueba de ello es que, tal y como adelantó Sánchez en este café de redacción, "va a tener lugar una comunicación, por parte de la Comisión Europea, en la que hará recomendaciones para elaborar Planes de Acción para las ER en todos los países miembro".

"Es necesario proteger aquellos medicamentos que, en ocasiones, tienen que hacer frente su falta de rentabilidad en el mercado"

Iniciativas

A pesar de que en España el abordaje de las ER necesita mejorar notablemente, lo cierto es que en los últimos años han sido varias las iniciativas puestas en marcha. Algunos ejemplos de ello han sido la creación del Ciber en Enfermedades Raras, la reciente convocatoria de financiación independiente de ensayos clínicos que acaba de otorgar el Ministerio de Sanidad o la creación del Centro de Enfermedades Raras de Burgos, entre otros.

La opinión de los expertos



● **Francisco Palau:**
"En enfermedades raras se hace una investigación muy básica que tiene escasa relación con la investigación clínica. Habría que reorientar la investigación básica a la clínica"



● **Manuel Pérez:**
"Hay que dotar adecuadamente a la investigación y no abandonar ninguna línea de investigación bien encaminada por falta de rentabilidad"



● **Rosa Sánchez:**
"La Comisión Europea emitirá una comunicación en la que se hará recomendaciones para elaborar Planes de Acción en Enfermedades Raras en todos los países miembro"



● **Josep Torrent:**
"Son varias las iniciativas de la EMA que pretenden beneficiar a las industrias farmacéuticas interesadas en desarrollar medicamentos huérfanos"