



CONGRESO
INTERNACIONAL DE
**MEDICAMENTOS
HUÉRFANOS Y
ENFERMEDADES RARAS**



Hacia un 2030 lleno de esperanza

SEVILLA

26, 27 y 28 de abril de **2022**



feder
Fundación Española de
Enfermedades Raras

mehuer
Fundación Medicamentos Huérfanos
y Enfermedades Raras de Sevilla

Fundación feder
para la Investigación de
Enfermedades Raras

CONCLUSIONES DEL X CONGRESO INTERNACIONAL DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ENFERMEDADES RARAS

- 1 Las peculiaridades de las enfermedades raras precisan **nuevos enfoques de evaluación**, ya que los convencionales pueden no ser adecuados para los tratamientos destinados a estas enfermedades.
- 2 El **Registro Estatal de Enfermedades Raras** es un instrumento de referencia para recoger información de los pacientes que padecen estas enfermedades.
- 3 Las nuevas técnicas de diagnóstico genético representan un avance en el incremento de la tasa de diagnóstico de enfermedades raras. En este sentido, la creación de **la especialidad de Genética Clínica** se considera una prioridad para mejorar y hacer más preciso el diagnóstico y tratamiento de las enfermedades raras.
- 4 Se ha incrementado notablemente el número de **medicamentos huérfanos autorizados en la Unión Europea**, incluyendo algunos de Terapias Avanzadas. En los últimos 20 años más de 7 millones de pacientes en Europa se han beneficiado de la incorporación de estos tratamientos.
- 5 Encontrar una fórmula regulatoria para el **reposicionamiento de medicamentos** fuera de protección intelectual y regulatoria puede suponer un incentivo a la generación de evidencia y una mejora en el acceso a este tipo de medicamentos.
- 6 Para incrementar la incorporación de nuevos medicamentos para enfermedades raras necesitamos un ecosistema donde se **fomente la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos** que ayuden a satisfacer las necesidades de los pacientes sin alternativa terapéutica y que todos los medicamentos autorizados lleguen a los pacientes de forma rápida y equitativa. La experiencia de estos resulta determinante para conseguir el desarrollo y evaluación de nuevos medicamentos.
- 7 Se está trabajando en el desarrollo de nuevos procedimientos y metodologías en los **ensayos clínicos** que permitan estudiar específicamente las necesidades en **pediatría**.



CONGRESO
INTERNACIONAL DE
**MEDICAMENTOS
HUÉRFANOS Y
ENFERMEDADES RARAS**



feder

mehuer
Fundación Medicamentos Huérfanos
y Enfermedades Raras de Sevilla

Fundación feder
para la Investigación de
Enfermedades Raras



Hacia un 2030 lleno de esperanza

SEVILLA

26, 27 y 28 de abril de **2022**

CONCLUSIONES DEL X CONGRESO INTERNACIONAL DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ENFERMEDADES RARAS

- 8** La Unión Europea explora diferentes opciones de cambio normativo del reglamento de medicamentos huérfanos para que se **supere el umbral actual de la consideración de enfermedad rara**.
- 9** Se han observado **efectos particularmente negativos de la COVID-19** en pacientes pediátricos con enfermedades raras que no estaban vacunados.
- 10** Es necesaria una **actuación decidida y coordinada a través del Consejo Interterritorial de Salud** que proporcione uniformidad en las actuaciones, planes y estrategias dentro del Estado con el fin de evitar los retrasos en el diagnóstico y tratamiento de los pacientes con enfermedades raras.
- 11** La experiencia obtenida durante la pandemia ha demostrado que la **dispensación de medicamentos Hospitalarios y de Diagnóstico Hospitalario en la Farmacia Comunitaria** ha conseguido proporcionar equidad y accesibilidad a los medicamentos manteniendo la eficiencia y el control sanitario de manera rigurosa. El reto es mantener la sintonía entre la innovación, la sostenibilidad y el acceso en equidad a los tratamientos para los pacientes con enfermedades raras.