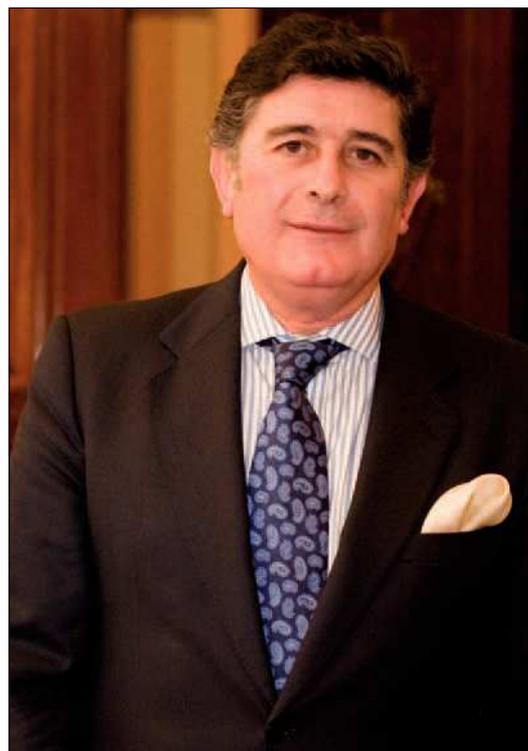


Fiel a su cita, Sevilla acogerá del 19 al 21 de febrero de 2009 la celebración de una nueva edición del Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras. Este encuentro bianual ha contado siempre con el apoyo del COF de Sevilla, una organización comprometida con la causa y objetivos de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), entidad promotora de este congreso. De hecho, el presidente del COF de Sevilla, Manuel Fuentes, lo es también del encuentro. Fuentes ha hablado para OFFARM de los objetivos del congreso, de los logros conseguidos desde la celebración de su primera edición, de los problemas a los que se enfrentan los afectados, y, entre otros temas, de la importante labor que se puede hacer a favor de esta causa, no sólo desde la industria farmacéutica o la administración pública, sino también desde la oficina de farmacia. Los organizadores prevén la asistencia de más de 300 congresistas.



## Manuel Pérez Fernández

Presidente del COF de Sevilla y del IV Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

«El cambio es posible y lo importante es ir poniéndose metas cortas, que son las que al final permiten un gran avance»

### BIOGRAFÍA PROFESIONAL

**Manuel Pérez Fernández** nació en Osuna (Sevilla) en 1957. Licenciado en Farmacia por la Universidad de Sevilla (1981), desde marzo de 2000 es presidente del COF de Sevilla, donde anteriormente ocupó los cargos de vocal, contador y tesorero.

Actualmente, compagina esta labor con sus responsabi-

dades como vocal del Comité Ejecutivo del Consejo Andaluz de COF, patrono de la Fundación Farmacéutica Avenzoar, consejero de Previsión Sanitaria Nacional de España, y con su ejercicio profesional en oficina de farmacia comunitaria en la capital andaluza.

Manuel Pérez ha sido ponente en congresos nacionales e inter-

nacionales y ha participado en la organización de numerosos eventos de debate científico y farmacéutico. Entre ellos, el Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras desde su primera edición.

Por su compromiso en la defensa y la difusión de la problemática de los pacientes afec-

tados por estas enfermedades, Manuel Pérez ha recibido, entre otros, el I Premio Teresa Barco de la Federación Española de Enfermedades Raras, el I Premio «Talla Única» de la Asociación de Enfermos ADAC de Deficiencia del Crecimiento y Desarrollo y el diploma de honor de la ONG «Madre Coraje»

ENTREVISTA REALIZADA POR:

**EUGENIA GARRIDO**

FOTOGRAFÍAS: LUIS DOMINGO



OFFARM

### ¿Cuál es el principal objetivo de este Congreso Internacional de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos?

En primer lugar, proporcionar a los pacientes y a las asociaciones que los representan un lugar de encuentro, un espacio en el que intercambiar experiencias y opiniones, no sólo entre ellos, sino también con todos los sectores y partes que pueden influir positivamente sobre su realidad: administración pública, industria farmacéutica, profesionales de la salud, universidades, medios de comunicación, etc. En cierto modo, el Congreso pretende ser una llamada de atención sobre la problemática a la que hacen frente estos enfermos, que además de una enfermedad, padecen también una gran soledad, incompreensión y desesperanza.

### Esta cuarta edición tiene por lema «Las Enfermedades Raras y su tratamiento, una década de avances». ¿Cuáles han sido estos avances?

Una de las ideas principales que surgieron del I Congreso fue que había que lograr que el Estado destinase recursos económicos para enfermedades raras y medicamentos huérfanos que sirvieran para desarrollar un sistema de prevención, diagnóstico precoz,

tratamiento y rehabilitación, de asistencia farmacéutica y social, de información y educación sanitaria, de apoyo a investigación y desarrollo de medicamentos huérfanos e igualdad de acceso a los mismos en todo el territorio nacional sin discriminación. La otra conclusión fue que era necesario convertir a las asociaciones de pacientes en organismos imprescindibles en la gestión y el control de los programas en materia de salud pública, de asistencia social y de investigación para las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos. Cuatro años más tarde, en el II Congreso se constataron algunas mejoras logradas. En febrero de 2007, en el III Congreso ya pudo ofrecerse una panorámica precisa y rigurosa de la situación de la investigación sobre las enfermedades raras y su tratamiento, así como de la evolución de las prestaciones sociales para atender las demandas y necesidades de los pacientes. Se revisó la situación de los tratamientos con medicamentos huérfanos y se analizó el avance experimentado en temas como la accesibilidad a los sistemas públicos de salud, servicios sociales, educación e investigación. Se constató, además, que desde la celebración del II Congreso se habían presentado 311 solicitudes de designación de nuevos medicamentos huérfanos, de

las que 184 habían sido informadas positivamente. Doce de esos medicamentos estaban ya en el mercado aportando grandes ventajas a sus pacientes, y el resto (172), se encontraba en esos momentos en fase de estudio clínico. Tan importantes como éstos han sido otros hitos como la creación de un registro de pacientes de enfermedades raras, la mayor financiación pública obtenida de las administraciones comunitaria y estatal, la creación del Instituto de Investigación en Enfermedades Raras, dependiente del Instituto Carlos III o el Plan de Acción sobre Enfermedades Raras.

### ¿Qué destacaría del programa de esta cuarta edición?

El mensaje que se quiere hacer llegar es que las enfermedades raras y su tratamiento con medicamentos huérfanos representan un problema de salud enormemente complejo que requiere la implicación sucesiva, permanente y continuada de numerosos organismos nacionales, internacionales, estatales, autonómicos, sanitarios, sociales... hasta llegar al establecimiento sanitario más próximo al paciente, que es su farmacia. Es precisamente esta implicación continuada la que ha permitido los avances de los últimos diez años a los que antes me he referido.

«Una sociedad avanzada que se autodenomina del bienestar y del conocimiento no puede dejar desprotegido a un sector de su población simplemente porque sus enfermedades son raras»





### **¿Habrá alguna novedad respecto a las ediciones anteriores?**

En los dos últimos congresos se han dotado becas de investigación con la aportación tanto del COF de Sevilla como de otros colegios e instituciones que generosamente se han sumado a la iniciativa. En esta edición, queremos incrementar aún más esa dotación, posibilitando, además, que cualquier persona, a título individual, pueda realizar una aportación a esas becas. Para ello, hemos creado la «Fila Cero», una vía para que aquellos, farmacéuticos o no, que quieran mostrar su apoyo a estos enfermos pero no puedan estar en el Congreso puedan hacerlo con una aportación económica para becas desde diez euros en una cuenta habilitada para ello.

### **Una de las mesas redondas organizadas tratará el abordaje por parte de la industria farmacéutica de los medicamentos huérfanos, ¿prestan los laboratorios suficiente atención a estos fármacos?**

Hay una parte de la industria a la que no le interesa el tema. Sin embargo, también es cierto que algunos laboratorios están muy implicados y tienen interés en continuar o abrir líneas de trabajo en este campo. Es verdad que se precisa una orientación más decidida en el fomento de investigación en enfermedades raras, a pesar de que ha habido avances notables en los últimos años. La propia FEDER ha creado una fun-

## «**Sigue faltando coordinación entre todas las administraciones y una actividad más decidida en todos los terrenos que afectan a estas enfermedades**»

dación con este objetivo. Muchos laboratorios podrían incorporarse a su actividad y ayudar a promocionar esta idea para resolver temas como la localización de enfermos para realizar ensayos clínicos.

### **¿Qué problemas básicos tiene planteados actualmente el desarrollo de estos fármacos?**

Son los problemas que tenía ayer y los que seguirá teniendo mañana, probablemente: que no es rentable. Por eso, hay que plantear la cuestión en términos de compromiso. Una sociedad avanzada que se autode-nomina del bienestar y del cono-cimiento no puede dejar desprotegido a un sector de su población, simplemente porque sus patologías son raras y desde un punto de vista mercantil resulta poco eficiente desarrollar investigaciones, medicamentos o una red de apoyo sociosanitario para ellas.

### **En el encuentro se presentará la organización administrativa y legislativa de las enfermedades raras en Europa y Estados Unidos, ¿la situación en España es mejor o peor?**

La Administración Central ha dado algunos pasos en los últimos años, y baste para ello citar la iniciativa del Centro de Burgos, que se inauguró en 2007, o la apuesta en investigación en genética de las enfermedades raras por parte del ministerio. En el ámbito autonómico, en el caso de Andalucía, se ha aprobado un Plan específico para Enfermedades Raras y me consta que se hacen esfuerzos, aunque no con la rapidez o eficiencia que haría falta. La

Unión Europea parece haber dado prioridad a la atención a afectados por enfermedades raras y esto se está plasmando en el desarrollo de un grupo de trabajo que está dis-cutiendo problemas que afectan al conjunto de los Estados y que también propone soluciones. La propia Dirección General de Investigación de la Comisión apuesta en el VII Programa Marco por la investigación de mecanismos moleculares de ciertas patologías, entre las que se cuentan las enfermedades raras. No obstante, sigue faltando coordinación en general entre todas las administraciones y una actividad más decidida en todos los terrenos que afectan a estas enfermedades.

### **¿Cuáles son las medidas que con mayor urgencia deberían adoptarse en esta materia?**

Según la OMS, hay más de 7.000 enfermedades clasificadas como enfermedades raras o poco frecuentes. En Europa, una enfermedad tiene la consideración de rara cuando su prevalencia es inferior a 5 casos por 10.000 habitantes. Se estima que del 6 al 8% de la población mundial padece una de estas enfermedades, lo que significa que en la UE haya entre 28 y 35 millones de pacientes y sólo en España existan entre 2 y 3 millones de afectados. La mayoría de estas enfermedades requieren procedimientos diagnósticos y terapéuticos muy específicos, que casi siempre son inexistentes o inaccesibles. La mejora experimentada en los sistemas de notificación de casos tanto a nivel nacional como internacional, así como la progresiva sensibilización

## El compromiso de un Colegio

**El compromiso del COF de Sevilla con las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos ha sido una constante en los últimos diez años, ¿cuáles son las razones de esta apoyo?**

Allí donde hay un problema relacionado con el medicamento tiene que estar la farmacia. A la farmacia le corresponde estar siempre con el paciente, y más en este caso en el que el problema es precisamente la falta de medicamentos. Ahora bien, más allá de las razones profesionales y corporativas, hay poderosas razones humanas para que los farmacéuticos abanderemos esta causa. Lo tenemos que hacer como farmacéuticos y como personas. Como buenas personas.



**El COF de Sevilla ha colaborado en la organización de este encuentro desde su primera edición, ¿cómo valoraría estos ocho años y cuatro ediciones de Congresos Internacionales?**

El primer contacto que tuvo el COF con las enfermedades raras fue a través de un farmacéutico de oficina de farmacia, Moisés Abascal Alonso<sup>1</sup>, cuando consultó al Centro de Información del Medicamento del COF sobre el tratamiento de una enfermedad concreta que le había solicitado la madre de un paciente. Ésta había acudido a su farmacia en busca de información sobre un problema que padecía su hijo y nadie le solucionaba. A través del COF, encontró lo que buscaba. En 1999, Moisés lideraba una Federación con las escasas asociaciones de enfermedades raras que existían por entonces. Decidido a concienciar a la sociedad de la necesidad de prestar atención

médica y farmacéutica a estos pacientes, encontró el apoyo de su Colegio. En el año 2000, después de salvar todo tipo de obstáculos, celebramos juntos en Sevilla el I Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras. Pocas cosas nos han reportado tanta satisfacción como aquella iniciativa que un día fuimos capaces de poner en marcha. Las ediciones posteriores no han hecho sino reafirmar esa satisfacción inicial.

**¿Cuáles son los retos del COF de Sevilla y de FEDER para los próximos años?**

Básicamente, seguir avanzando en un mayor conocimiento y una mayor concienciación social sobre la problemática de los medicamentos huérfanos, y lograr que los agentes que más capacidad tienen para mejorar la calidad de vida de estos enfermos, fundamentalmente las administraciones y la industria farmacéutica, acrediten un mayor esfuerzo y compromiso social. ■

«**Allí donde hay un problema relacionado con el medicamento tiene que estar la farmacia**»

de la sociedad y de la administración, está permitiendo en este aspecto un progreso significativo. Lograda esa sensibilización, lo que hace falta es una decidida apuesta por desarrollar los procedimientos diagnósticos y terapéuticos que aún no existen.

**En este sentido, ¿cómo vislumbra el futuro?**

Si no lo vislumbráramos con optimismo o al menos con esperanza, no organizaríamos este Congreso, ni estaríamos colaborando con las asociaciones de pacientes de forma sistemática. El cambio es posible y lo

importante es ir poniéndose metas cortas que son las que al final permiten un gran avance. Sabemos que con nuestra ayuda no vamos a lograr que todo sea de color de rosa de la noche a la mañana. Pero poco a poco se pueden ir dando pasos. Desde esa convicción optimista y de que nues-

## IV Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Sevilla, 19, 20 y 21 de febrero de 2009

### Organiza

COF de Sevilla y Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER).

### Programa preliminar

#### Jueves, 19 de febrero

- 10.00 h. Entrega de documentación
- 11.30 h. Acto de apertura oficial
- 12.00 h. Conferencia inaugural
- 15.30 h. I mesa redonda: Investigación, diagnóstico y tratamiento de enfermedades raras. El CIBERER y las enfermedades raras en España. Diagnóstico preimplantacional de enfermedades raras. Estado del tratamiento de una Enfermedad Rara. Aspectos tecnológicos en el desarrollo de un Medicamento Huérfano. Movilización de los afectados para conseguir la unidad de referencia de fibrosis quística.
- 17.30 h. II mesa redonda: la industria farmacéutica y los medicamentos huérfanos. Iniciativas de cooperación público-privada para el avance en la investigación en enfermedades raras. Acciones, resultados y dificultades de la industria farmacéutica respecto a los medicamentos huérfanos. Análisis de los medicamentos huérfanos autorizados y designados en Europa y Estados Unidos. Las unidades de ensayos clínicos (ECRIN, European Clinical Research Infrastructures Network) como apoyo a la investigación de medicamentos huérfanos.

#### Viernes, 20 de febrero

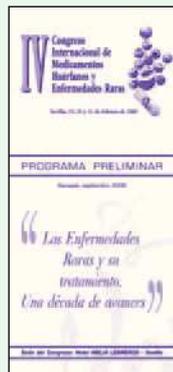
- 9.00 h. III mesa redonda. Acciones de los profesionales sanitarios frente a las enfermedades raras. La intervención del médico de familia. Actuación de la SEMFYC (Sociedad Española de Medicina Familiar y Comunitaria). Apoyo del médico pediatra a los enfermos con una enfermedad rara. Papel de la enfermería en los pacientes afectados de enfermedades raras. El farmacéutico ante el enfermo con enfermedad rara: acceso a los medicamentos huérfanos. Campaña Nacional de sensibilización en atención primaria: ¿y si fuera una enfermedad rara?
- 11.00 h. IV mesa redonda. Organización administrativa y legislativa de las enfermedades raras en Europa y Estados Unidos. Redes de centros de referencia en Europa. Grupo operativo de Enfermedades Raras de la Unión Europea. Experiencia francesa de los Centros de Referencia de Enfermedades Raras. Programa de acción del Centro Nacional de Enfermedades Raras de Italia. Programa

de acción de la Oficina de Enfermedades Raras de Estados Unidos.

- 15.30 h. V mesa redonda. Recursos asistenciales de los pacientes con enfermedades raras y sistemas de información. La importancia de los registros en la historia natural de las enfermedades raras. Estudio sobre las necesidades sociosanitarias de los afectados por enfermedades raras y propuestas de acción. Sistemas de información sobre algunas enfermedades raras globales: autismo. SIO: Servicio de Información y Orientación para los pacientes con enfermedades raras. Guía de apoyo psicológico para enfermedades raras.
- 18.00 h. VI mesa redonda. Planes sobre enfermedades raras de las distintas administraciones. Plan Europeo sobre Enfermedades Raras. Plan Andaluz sobre Enfermedades Raras. Enfermedades raras y salud pública. IMSERSO: objetivos y estrategias en el marco de las enfermedades raras. El papel de los pacientes en el impulso de políticas sociales y sanitarias para los afectados.

#### Sábado, 21 de febrero

- 9.15 h. Comunicaciones orales de los pósteres seleccionados y premio al mejor póster.
- 10.15 h. VII mesa redonda. Asociaciones de pacientes con enfermedades raras. Testimonios, logros y expectativas. EURORDIS: Declaración Europea de Servicios y Centros de Referencia en Enfermedades Raras para pacientes. Funciones del Comité de Ética de Investigación en Enfermedades Raras. Fundación FEDER. Centro multidisciplinar para Enfermedades Raras de Alicante. Testimonio concreto de una paciente con enfermedad rara: elefantiasis. Plataformas virtuales de salud para aumentar la calidad de vida de los afectados por enfermedades raras.
- 12.30 h. Conclusiones y acto de clausura.



tro granito de arena puede ayudar mucho, esperamos en este Congreso, con la ayuda de la Fila Cero y la mayor sensibilización por parte de otras entidades, poder aumentar la dotación de las becas para esa investigación que tanta falta hace.

**Para finalizar, dé a nuestros lectores una buena razón para inscribirse y participar en esta nueva edición del Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras.**

Qué mejor razón que la de estar contribuyendo a una buena causa, ser solidarios con unos pacientes y unas familias con las que tal vez un día nosotros mismos, nuestros hijos, nietos u otros familiares cercanos estén compartiendo su propia situación. No podemos volver la cara a estos pacientes, además de como personas, como profesionales sanitarios que somos, como el primer contacto del paciente con el sistema público de salud. La farmacia, además, puede hacer una labor asistencial extraordinaria en este campo, de apoyo y acompañamiento al paciente, de Atención Farmacéutica, incluso desde el campo de la formulación magistral. De todo ello vamos a hablar en el Congreso, con los expertos, con los pacientes y con los políticos. ■

#### Notas

1. Actual vicepresidente de la FEDER y presidente de la Fundación FEDER; y por aquel entonces presidente de la FEDER.