



La creación de una red de Centros de Referencia, paso imprescindible para mejorar el diagnóstico y tratamiento de las enfermedades raras

PharmaMar celebra, en colaboración con FEDER, el panel de expertos «Centros de Referencia y Calidad Asistencial en Enfermedades Raras»

Madrid, 24 de febrero de 2016.- La creación de una red de Centros de Referencia nacional y europea para abordar las enfermedades raras es un paso imprescindible para afrontar los principales problemas a los que se enfrentan los afectados por estas patologías, cuya cifra alcanza ya los tres millones de personas en España. Ésta fue una de las principales conclusiones del panel de expertos **«Centros de Referencia y Calidad Asistencial en Enfermedades Raras»**, organizado por PharmaMar en colaboración con la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER).

Este encuentro contó con la participación de **Dña. Maravillas Izquierdo**, subdirectora General de Cartera Básica de Servicios del SNS y Fondo de Cohesión del Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad; el **Dr. Ricardo Cubedo**, facultativo especialista en Oncología del Hospital Universitario Puerta de Hierro de Madrid; **D. Santiago de la Riva**, miembro de la Junta Directiva de FEDER, y **Dña. Sara Ortiz**, jefe de Proyectos del departamento de Asuntos Regulatorios de PharmaMar.

Los especialistas presentes coincidieron en que la demora en el diagnóstico y la falta de acceso a los recursos asistenciales y tratamientos son los principales escollos a los que se debe hacer frente en el abordaje de estas patologías. Así lo demuestran los datos del estudio ENSERio¹ que señala que uno de cada cinco afectados por enfermedades raras sufrió una demora diagnóstica de 10 o más años y que en el 62,28% de los casos esta espera fue de más de un año. El estudio

¹ https://www.enfermedades-raras.org/images/stories/documentos/Estudio_ENSERio.pdf

revela, además, que el 42,68% de los pacientes con enfermedades raras asegura no disponer de tratamiento o, si lo dispone, considera que no es el adecuado.

Para FEDER, tal y como ha asegurado Santiago de la Riva, el trabajo en red es fundamental para poder solucionar estos problemas de acceso al diagnóstico y tratamiento. Por ello, según ha explicado, este año la campaña para conmemorar el Día Mundial de las Enfermedades Raras, que se celebra el próximo 29 de febrero, se centra en el lema "Creando Redes de Esperanza". *"La coordinación es urgente y 2016 se configura como un año clave, ya que la Comisión Europea lanzará una convocatoria para que los estados miembros presenten sus candidaturas a las Redes Europeas de Referencia. Esta convocatoria tiene como objetivo establecer redes de centros de excelencia que, con elevados conocimientos, técnicas y equipos multidisciplinares, compartan el escaso conocimiento existente en enfermedades raras y faciliten la asistencia sanitaria a los pacientes"*, ha añadido.

En esta línea, el doctor Ricardo Cubedo, que centró su intervención en las unidades funcionales en oncología y en el sarcoma como ejemplo, explicó que los centros de referencia son útiles para asegurar un tratamiento correcto una vez los pacientes son derivados, pero no aseguran la derivación temprana. *"No creo que haya demasiadas medidas eficaces para el diagnóstico precoz de una enfermedad rara. En España parece que el eslabón de la cadena en el que se acumulan más retrasos no son los propios pacientes ni los médicos de Atención Primaria, sino los especialistas. En el caso del sarcoma, muchas veces, el paciente acude a ellos, generalmente cirujanos que atienden al paciente por primera vez, y éste no está familiarizado con la enfermedad. Esto retrasa el diagnóstico"*, ha subrayado.

Para este experto, salvo en Italia y en los países Escandinavos, el resto de los países Europeos comparten las mismas dificultades en cuanto al acceso al primer diagnóstico de sarcoma. Esta situación, según ha asegurado, se ve agravada en España como consecuencia de la fragmentación autonómica y las barreras de acceso a los tratamientos. *"En España la impermeabilidad de las barreras administrativas que separa la asistencia sanitaria de la comunidades autónomas dificulta notablemente la derivación a centros expertos y, en algunos casos, incluso el acceso a algunos tratamientos"*, ha subrayado.

Respecto a esto, el responsable de FEDER, ha recordado que el Grupo de Expertos de la Comisión Europea establece 21 grupos entorno a los cuales deben organizarse las redes europeas sobre enfermedades raras. España, según ha afirmado, dispondría de grupos acreditados para participar en menos del 50% de ellos. *"Junto a esto –ha añadido– Europa señala que es preciso que estos Centros de Referencia en Enfermedades Raras coordinen los recursos existentes en todas las comunidades autónomas. Pero esto no ocurre porque la mayoría de los centros se ubican en Madrid y Cataluña y no existe una coordinación entre ellos, por tanto el 80% del territorio nacional quedaría fuera de esta acción"*

Coordinación de todos los agentes implicados

Durante el panel se puso de manifiesto, además, que la coordinación no debe darse sólo en la red asistencial, sino que también debe producirse entre todos los sectores implicados en la lucha contra las enfermedades raras: profesionales sanitarios, sociedades científicas, investigadores y asociaciones de pacientes. *"Queremos hacer un llamamiento a las sociedades científicas, profesionales, investigadores y especialistas e instarlos a que compartan conocimiento y favorezcan que la experiencia traspase las barreras autonómicas"*, ha apostillado Santiago de la Riva.

En esta misma línea, se ha pronunciado el Dr. Cubedo, quien asegura que la mejora en el acceso al diagnóstico y tratamiento de las enfermedades raras pasa también por una potenciación de las asociaciones de pacientes con una presencia bien estructurada en internet y en las redes sociales.

Acceso al mercado de los medicamentos huérfanos

Durante su presentación centrada en la investigación y desarrollo de nuevos medicamentos, Sara Ortiz ha explicado que, a pesar de que el espíritu de la legislación europea ha favorecido la investigación de las enfermedades raras y, por tanto, el desarrollo de nuevos medicamentos huérfanos, existe todavía un largo camino por recorrer. *"Es fundamental un mayor conocimiento de este tipo de enfermedades con la creación de registros de pacientes y bases de datos que permitan el desarrollo de guías más específicas por parte de las autoridades regulatorias. Un mejor conocimiento de estas patologías facilitará el diseño y*

objetivos de la investigación clínica en el desarrollo de nuevos medicamentos huérfanos”, ha asegurado.

Esta experta ha señalado que, aunque la autorización de un medicamento huérfano es única para todos los países de la Unión Europea, el principal escollo se encuentra en el acceso al mercado, que está regulado por diferentes requisitos en cada uno de los estados miembro. *“En el caso de España, el acceso al mercado debe cumplir no solo con los requerimientos de la Administración Central sino, seguidamente, con los de las comunidades autónomas. Por ello, es importante que se adopten iniciativas por parte de la Administración para disminuir las barreras de acceso al mercado”, ha concluido.*

Sobre PharmaMar

PharmaMar es una compañía biofarmacéutica con sede en Madrid, líder mundial en el descubrimiento, desarrollo y comercialización de nuevos antitumorales de origen marino. PharmaMar tiene una importante cartera preclínica de compuestos y un potente programa de I+D. La compañía desarrolla y comercializa YONDELIS® en Europa y dispone de otros tres compuestos en desarrollo clínico para tumores sólidos y hematológicos: plitidepsina, PM1183 y PM060184. PharmaMar es una compañía biofarmacéutica global con presencia en Alemania, Italia, Francia, Suiza, Reino Unido, Bélgica y EE.UU. PharmaMar también tiene la participación mayoritaria de otras compañías: GENOMICA, primera empresa española en el campo del diagnóstico molecular; Sylentis, dedicada a la investigación de las aplicaciones terapéuticas del silenciamiento génico (RNAi), y dos empresas del sector químico, Zelnova Zeltia y Xylazel. Para más información, visite nuestra web: www.pharmamar.com

Nota importante

Este documento no constituye ni forma parte de ninguna oferta o invitación a la venta o la solicitud de cualquier cuestión de la compra, la oferta o la suscripción de acciones de la Sociedad. Asimismo, este documento, ni su distribución, son o puede ser parte de la base para cualquier decisión de inversión o contrato y no constituye ningún tipo de recomendación en relación con las acciones de la Compañía.

Contacto con los medios de comunicación

Paula Fdez. Alarcón – Media Relations Manager (+34 638 79 62 15)

pfalarcon@pharmamar.com

Teléfono: +34 918466000



Contacto con los inversores

Teléfono: +34 914444500

O visita nuestra página web www.pharmamar.com