La jornada ha tenido como objetivo que las personas con enfermedades poco frecuentes pudieran conocer de primera mano los procesos de autorización de los medicamentos, los pasos previos antes de su comercialización, con qué criterios se toman las decisiones y quién las toma, y sobre todo, cómo pueden participar como asociaciones de pacientes en la toma de decisiones.

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) y la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) han celebrado hoy una jornada conjunta de puertas abiertas en el contexto de las celebraciones conmemorativas del Día Mundial de las Enfermedades Raras que tiene lugar el próximo 28 de febrero de 2014.

La directora de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), Belén Crespo Sánchez-Eznarriaga, y el presidente de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), Juan Carrión, han inaugurado esta jornada, que ha tenido como objetivo que las personas con enfermedades poco frecuentes pudieran conocer de primera mano los procesos de autorización de los medicamentos, los pasos previos antes de su comercialización, con qué criterios se toman las decisiones y quién las toma, y sobre todo, cómo pueden participar como asociaciones de pacientes en la toma de decisiones.

Durante la jornada se abordaron temas como:

- La designación como medicamentos huérfanos en Europa; la labor del COMP (siglas en inglés del Comité de medicamentos huérfanos o Committee for Orphan Medicinal Products).
- Los ensayos clínicos en España: bases de datos y acceso a la información.
- El proceso de autorización de los medicamentos. Participación de los pacientes en las decisiones.
- El acceso a medicamentos en situaciones especiales (medicamentos extranjeros, uso compasivo, medicamentos en investigación, etc.).
- El papel de los informes de posicionamiento terapéutico.

La jornada que contó con la asistencia destacada de los representantes de las asociaciones de pacientes, se desarrolló en un formato dinámico permitiendo la participación y resolver las inquietudes de los asistentes.

La AEMPS participa activamente en la designación de medicamentos huérfanos que concede la Comisión Europea tras el informe de la Agencia Europea de Medicamentos. Durante el año 2013 fueron designados en Europa como huérfanos 116 medicamentos y la Comisión Europea autorizó la comercialización de seis medicamentos huérfanos.

FEDER es la voz de las personas con enfermedades poco frecuentes y sus familias y trabaja para defender, proteger y promover los derechos de las personas con estas patologías en España.

Según la definición de la Unión Europea, enfermedades raras, minoritarias, huérfanas o enfermedades poco frecuentes son aquellas enfermedades con peligro de muerte o de invalidez crónica que tienen una prevalencia menor de 5 casos por cada 10.000 habitantes.

Aunque es difícil precisar el número de enfermedades raras, se estima que podría oscilar entre 6.000 y 8.000. A pesar de tratarse de enfermedades poco frecuentes de forma aislada, en su conjunto son importantes ya que afectan a un 5-7% de la población de países desarrollados, lo que supone en el caso de España más de 3 millones de personas afectadas.

Las enfermedades raras se caracterizan no sólo por su baja prevalencia sino por su complejidad etiológica, diagnóstica y evolutiva, su importante morbi-mortalidad, los altos niveles de discapacidad que conllevan y que dificultan el desarrollo de un proyecto vital normal, no solo a quién las padece sino también a las familias, por lo que es preciso un abordaje integral sociosanitario de este problema.

Dentro del marco de la Unión Europea se entiende por «Medicamento Huérfano» aquel producto destinado al diagnóstico, prevención o tratamiento de una afección que ponga en peligro la vida o conlleve una incapacidad grave y crónica que no afecte a más de 5 personas/10.000, que resulte improbable que, sin incentivos, la comercialización de dicho medicamento en la comunidad genere suficientes beneficios para justificar la inversión necesaria y que los beneficios sean significativos para las personas afectadas por la enfermedad de que se trate.

Fuente: AEMPS 25/02/12