



ER, una prioridad social y sanitaria

Escuela de Formación CREER-FEDER

Módulo de Portavocía

Alba Ancochea Díaz Directora FEDER

Juan Carrión Tudela Presidente FEDER

Índice de Contenidos

- ❖ Nuestras prioridades
- ❖ Estrategia Nacional de ER
- ❖ Registro Nacional de ER
- ❖ CSUR y ERN
- ❖ Tratamientos y MMHH

Nuestras prioridades

Prioridades de FEDER

Impulsar un Plan de desarrollo e implementación de la **Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud**.

Garantizar la sostenibilidad del **Registro Nacional de ER**.

Impulsar la investigación en Enfermedades Raras.

Promover la Formación e Información en Enfermedades Raras.

Fortalecer la designación de los Centros, Servicios y Unidades de Referencia (CSUR) y su participación en las Redes Europeas de Referencia (ERNs).

Implementar un **modelo de Asistencia Integral** que responda a las necesidades de las personas con ER.

Conseguir un **acceso rápido y equitativo al diagnóstico y tratamiento** con los medicamentos apropiados en las distintas Comunidades Autónomas

Promover la **inclusión laboral y educativa** de las personas con ER.

Fortalecer los servicios sociales, especialmente los relacionados con la atención a la discapacidad y a la dependencia

Nuestras prioridades



Estrategia en
Enfermedades Raras del
Sistema Nacional de Salud

SANIDAD 2013

MINISTERIO DE SANIDAD, SERVICIOS SOCIALES E IGUALDAD

Antecedentes



El pasado 11 de noviembre de 2008, **la Comisión Europea (CE)** adoptó una **Comunicación** para apoyar a los Estados Miembros en el diagnóstico, tratamiento y atención socio-sanitaria en ER.

Un año después, la Comisión adoptó una **Recomendación** en donde instaba a los países comunitarios a cumplir unas directrices para garantizar la correcta atención de las personas. Esta Recomendación se centra en:

- *La definición, la codificación y el inventario de las ER*
- *La Investigación*
- *Las Redes Europeas de Referencia (ERN)*
- *Recabar conocimientos especializados a escala de la UE*
- *La responsabilidad de las organizaciones de pacientes*
- *La sostenibilidad*

Estrategia Nacional de ER: Contexto y normativa

La estrategia pretende el establecimiento de medidas que posibiliten la mejora de la calidad de vida de quienes conviven con una ER en nuestro país

La Estrategia Nacional de ER fue aprobada por el **Consejo Interterritorial del Sistema Nacional** en junio de **2009** y actualizada en el **2014**.

Desde los inicios de la Federación, en 1999, **las asociaciones de pacientes, venían reclamando el desarrollo de un Plan Nacional** sobre enfermedades poco frecuentes.

La **Comunicación y las Recomendaciones de la UE aceleraron el establecimiento** de la Estrategia en España.

Fue el resultado del **trabajo conjunto** entre las CCAA, las sociedades científicas y las asociaciones de pacientes.

Estrategia Nacional de ER

Primera Parte

Situación general
de las
enfermedades raras
en España

Segunda Parte

Desarrollo de las líneas estratégicas,
donde se detallan los objetivos y las
recomendaciones:

- LE1: Información sobre las ER
- LE2: Prevención y detección precoz
- LE3: Atención sanitaria
- LE4: Terapias
- LE5: Atención sociosanitaria
- LE6: Investigación
- LE7: Formación

Las líneas estratégicas se despliegan
en objetivos generales y específicos.

Tercera Parte

Seguimiento y
evaluación

Estrategia Nacional de ER

Problemática

Ausencia de indicadores que midan los objetivos marcados



Falta de coordinación en la implementación y desarrollo



Ausencia de un Órgano auditor que recoja el estado de situación de manera periódica



Propuesta

indicadores claros, **plazos** de cumplimiento y **partida presupuestaria** estatal que garantice la sostenibilidad

un **órgano** que coordine y cohesione la **implementación** y el **desarrollo** de las **propuestas** establecidas

Creación de un **Comité de Seguimiento y Evaluación Externo** que emita un informe anual del estado de situación de los propósitos acordados

Distribución Presupuestaria

Distribución del crédito para estrategias frente a enfermedades raras y otras estrategias de salud

COMUNIDADES AUTONOMAS	PADRON 2015	Distribución del Crédito para Estrategias frente a enfermedades raras
Total	43.794.649	1.000.000
Andalucía	8.399.043	191.782,00
Aragón	1.317.847	30.092,00
Asturias (Principado de)	1.051.229	24.004,00
Baleares (Islas)	1.104.479	25.220,00
Canarias	2.100.306	47.958,00
Cantabria	585.179	13.362,00
Castilla y León	2.472.052	56.446,00
Castilla-La Mancha	2.059.191	47.019,00
Cataluña	7.508.106	171.439,00
Comunidad Valenciana	4.980.689	113.728,00
Extremadura	1.092.997	24.957,00
Galicia	2.732.347	62.390,00
Madrid (Comunidad de)	6.436.996	146.981,00
Murcia (Región de)	1.467.288	33.504,00
Rioja (La)	317.053	7.240,00
Ceuta	84.263	1.924,00
Melilla	85.584	1.954,00

Fuente: Padrón 2015 Real Decreto 1079/2015, de 27 de noviembre

Estrategias De Salud



Plan Mejora Atención Personas con ER en la C. Madrid



Comisión de Malalties Minoritàries



Plan integral de enfermedades raras en Murcia



Consejo Asesor ER País Vasco



Problemática

La falta de información y coordinación en ER impide:

- ❖ el mantenimiento y **actualización de los datos**
- ❖ una **intervención sanitaria** cualificada.
- ❖ el **seguimiento** óptimo de la enfermedad.
- ❖ **delinear la política sanitaria** más adecuada y adaptada al problema.
- ❖ el desarrollo de la **investigación** en ER.
- ❖ la **planificación y la gestión de los recursos** públicos adaptados a las ER.
- ❖ el **conocimiento familiar para el afrontamiento** de la enfermedad.

Registro Nacional de ER

Registro Nacional de ER: Contexto y normativa

RD 1091/2015 de 4 de diciembre por el que se crea y regula el Registro Estatal de ER: establece su regulación básica y la adecuada coordinación entre los registros o sistemas de información de las CCAA



- Sostenibilidad económica
- Participación de los pacientes
- Garantía de coordinación
- Datos de diferentes fuentes
- Periodicidad en el volcado de datos
- interoperabilidad

Implementación del registro

2016 – Establecimiento de un **cronograma de hitos**, gracias a las alegaciones de FEDER al RD:

- Desde la entrada en vigor del RD y en un plazo de **8 meses** se ha de poner en marcha el **Manual de Procedimientos**.
- Desde la creación del Manual de Procedimientos y en un plazo máximo de **6 meses**, las CCAA deben **adaptar sus registros** en base a los parámetros establecidos.
- El Registro deberá estar plenamente operativo en el plazo máximo de 3 meses desde el plazo mencionado en el apartado anterior.

Registro Nacional de ER

Consideraciones generales al Registro

Problemática

El Registro se ha concebido únicamente como una herramienta para mejorar y hacer más eficaz la **planificación y gestión de recursos públicos y políticas sanitarias** relacionadas con las ER

Falta de consenso en los registros autonómicos respecto a que enfermedades deben **priorizarse** para enviar unos datos de calidad debidamente validados

Ausencia de partida presupuestaria a nivel autonómico para la consolidación del registro en las CCAA

Propuesta

Es necesario un Manual de Procedimiento que desarrolle **con claridad los supuestos en los que se puede acceder a los datos del Registro**. Es necesario que el registro también aporte beneficios claros en el impulso de la investigación.

Se propone como criterio la consolidación de los **Grupos de Patologías** identificados por Europa para la convocatoria a las ERNs

Es preciso una **partida estatal** que financie el funcionamiento del registro y permita su implantación en las CCAA

Consideraciones generales al Registro

Problemática

El RD habla en el art 5.1 de salida de **informes periódicos** que habrá de elaborar el MSSSI como responsable del registro

RD habla en el art 10.4 **del acceso a los datos** del registro siempre de forma dissociada para finalidades distintas a las previstas en el RD.

Ausencia de **financiación** para acometer esta tarea.

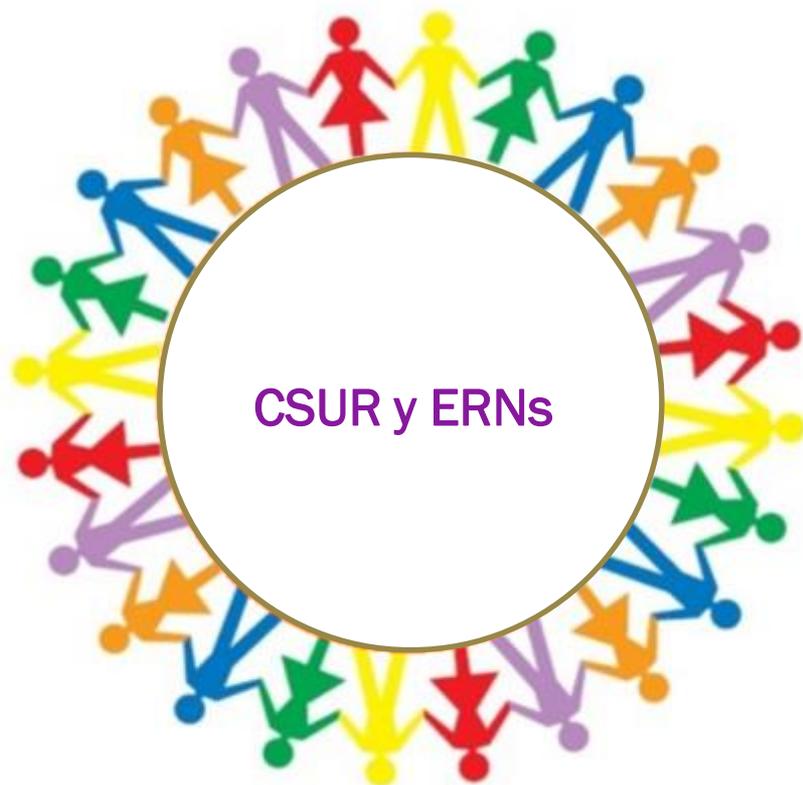
Propuesta

pero no detalla ni su contenido, ni cuál será su difusión ni con qué periodicidad se van a emitir y publicar dichos informes.

El RD dice expresamente que las condiciones de este acceso habrán de tratarse en el Manual de procedimiento. FEDER ha propuesto un grupo de trabajo para recoger este punto en la agenda

Es preciso una **partida estatal** que financie el funcionamiento del registro y permita su implantación en las CCAA

Nuestras prioridades



I Convocatoria
REDES EUROPEAS
DE REFERENCIA (ERNs)



European
Reference
Networks

Redes Europeas de Referencia

- » Según El artículo 12 de la Directiva 2011/24/UE



Las redes pretenden mejorar el acceso al diagnóstico, al tratamiento y a la prestación de una asistencia sanitaria de gran calidad a todos los pacientes cuyas dolencias requieran una especial concentración de recursos o de conocimientos especializados, y podrían convertirse, asimismo, en puntos focales para la formación y la investigación médicas y para la difusión de información y la evaluación, especialmente en el caso de enfermedades raras

¿Qué son las redes europeas de referencia?

¿Cómo formar parte de las Redes Europeas de Referencia?

- Los **estados miembros** → principales responsables de la participación nacional en las ERNs.
- Centro de la red **centro asociado o colaborador**
- Para que se genere una Red debe haber un mínimo de **10 Centros Sanitarios en 8 países** diferentes.
- Estas Redes de Referencia Europeas deben disponer de **un coordinador y un órgano de gestión integrado** por un representante de cada centro vinculado a la red.
- **Cumplir con rigurosos requisitos y auditorias.**



DESIGNACIÓN DE CSUR



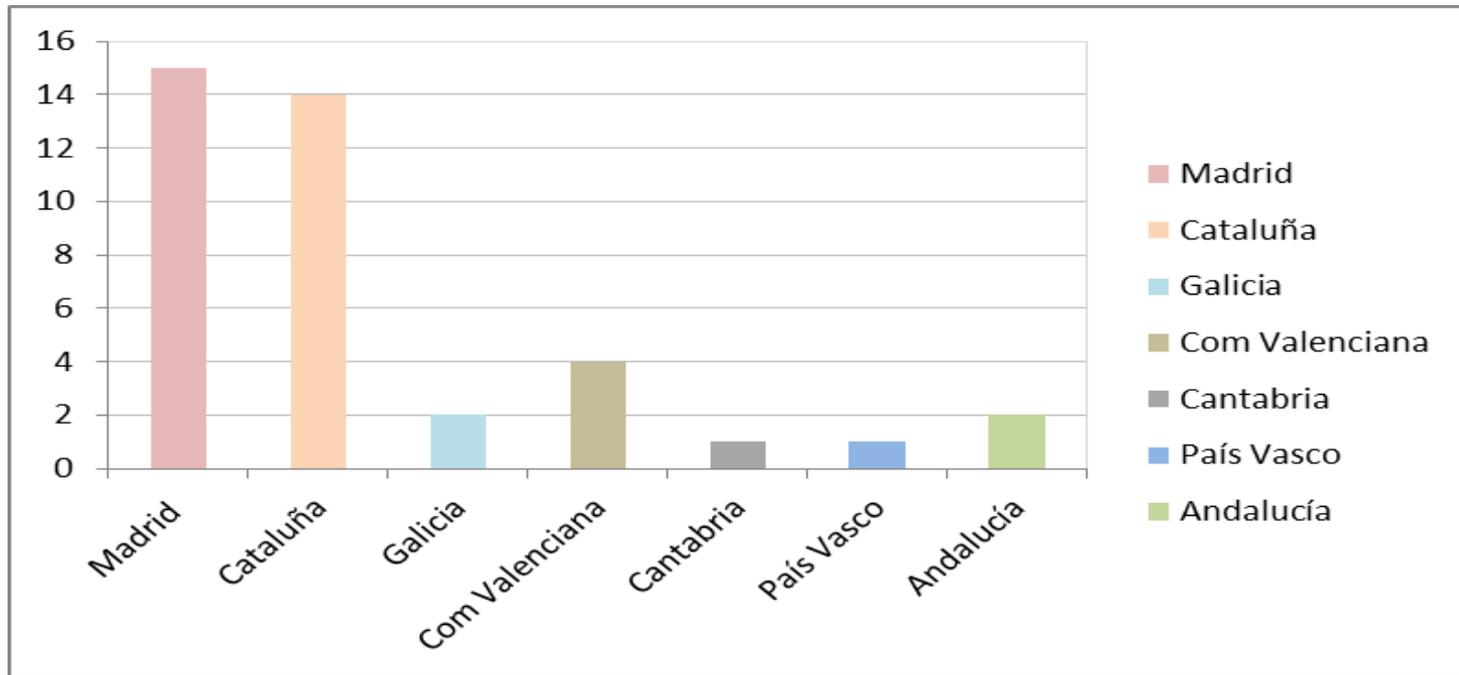
CSUR en España

- Escasez de **CSUR** designados
- CSUR para **patologías concretas**
- CSUR que pertenecen a varios grupos
- Dificultades de derivación
- La **coordinación** entre CSUR inexistente



Atención Especializada

En cuanto a distribución geográfica



Centros y Unidades de Referencia

Centros, Servicios y Unidades de Referencia (CSUR) Abril 2016

- Enfermedades metabólicas congénitas,
- Ataxias y paraplejias hereditarias
- Enfermedades neuromusculares raras,
- Síndromes neurocutáneos genéticos (Facomatosis),
- Enfermedades raras que cursan con trastornos del movimiento.
- Trastornos complejos del sistema nervioso autónomo,
- Neuroblastomas Sarcomas en la infancia
- Sarcomas y otros tumores musculo-esquelético adultos.
- Hipertensión pulmonar
- Pendientes de acreditación Neuromusculares
- Pendiente de publicación: Epidermólisis y Mastocitosis.

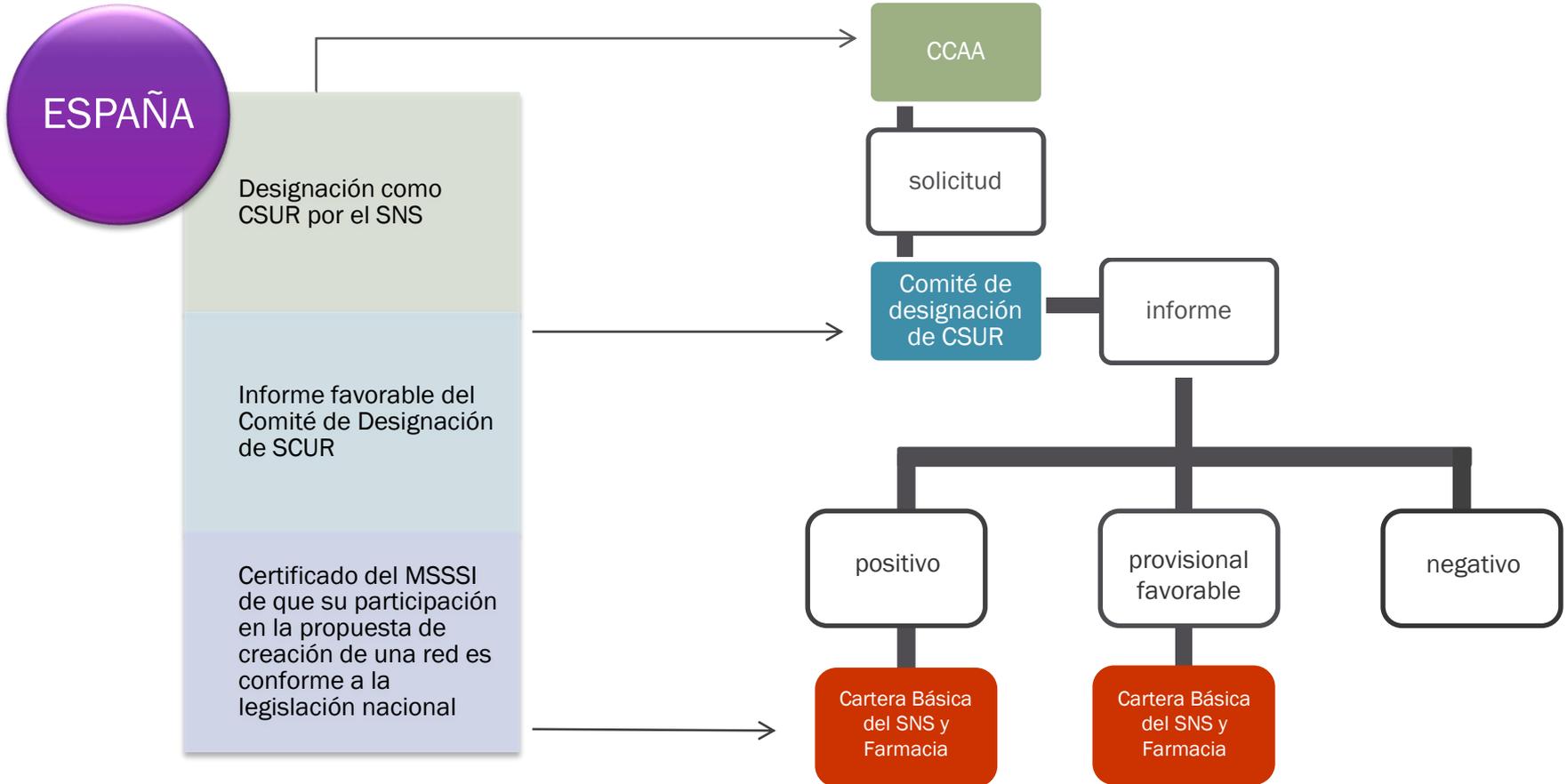


ACUERDO PARA FACILITAR QUE LOS PRESTADORES DE ASISTENCIA SANITARIA PUEDAN ACCEDER A SER MIEMBROS DE LAS REDES EUROPEAS DE REFERENCIA (ERN)

- Designación de **8 CSUR** para **2 patologías**
- Comprometer al MSSSI para la **designación de CSUR para 9 nuevas patologías**

Presentación de Centros con informe favorable del comité

PARTICIPACIÓN EN REDES



Centros, Servicios y Unidades de Referencia (CSUR) Actualidad

DE LA PIEL

- ❖ Epidermolisis ampollosa hereditaria
- ❖ Trastornos hereditarios de la queratinización

UROLOGICAS- NEFROLOGICAS

- ❖ Tumores renales con afectación vascular
- ❖ extrofia-epispadias (extrofia vesical, epispadias y extrofia de cloaca)
- ❖ Enfermedad renal infantil grave y tratamiento con diálisis
- ❖ Cirugía reconstructiva uretral compleja del adulto

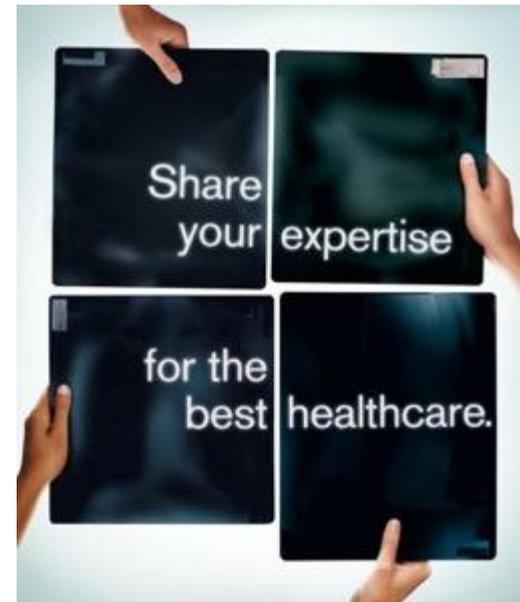
HEMATOLOGIAS

- ❖ Enfermedades glomerulares complejas (niños y adultos)
- ❖ Eritropatología hereditaria
- ❖ Coagulopatías congénitas y enfermedades afines
- ❖ Síndromes de fallo medular congénito
- ❖ Mastocitosis

¿Qué son las redes europeas de referencia?

¿Cómo formar parte de las Redes Europeas de Referencia?

- Los **estados miembros** → principales responsables de la participación nacional en las ERNs.
- Centro de la red **centro asociado o colaborador**
- Para que se genere una Red debe haber un mínimo de **10 Centros Sanitarios en 8 países** diferentes.
- Estas Redes de Referencia Europeas deben disponer de **un coordinador y un órgano de gestión integrado** por un representante de cada centro vinculado a la red.
- **Cumplir con rigurosos requisitos y auditorias.**



Nuestras prioridades



Tratamientos y MMHH

Problemática

- ❖ Tan sólo el 2% de las ER disponen actualmente de tratamientos autorizados.
- ❖ El 51,28% de los pacientes manifiestan tener dificultades para acceder a los Medicamentos Huérfanos aprobados y autorizados.
- ❖ Un medicamento puede tardar hasta 2 años en llegar a las familias.
- ❖ La mitad de ellos se han visto obligados a viajar fuera de su provincia o Comunidad Autónoma de residencia.
- ❖ El coste del diagnóstico y tratamiento de la enfermedad supone cerca del 20% de los ingresos anuales de cada familia afectada.

Dificultades para el acceso a tratamiento

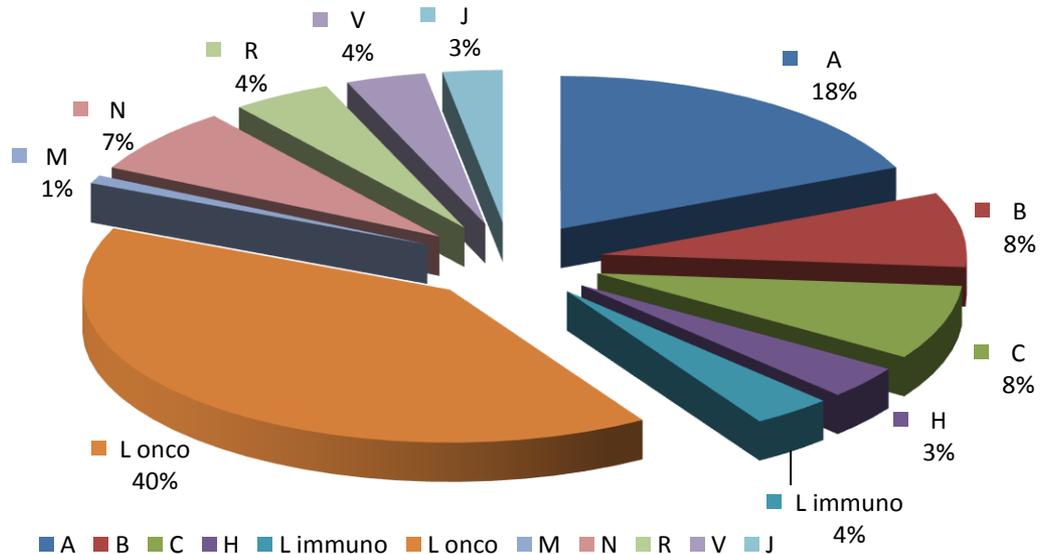
1. La escasez de Medicamentos Huérfanos

40% Cáncer
18% Metabólicas

7% Hematológicas
7% Musculoesqueléticas

26% el resto

A Metabólicas y tracto alimentario
B Metabólicas
C Sistema cardiovascular
H Systemic hormonal
J Antiinfeccioso
L Inmunológicas
L Antineoplásicas
M Musculo-esqueléticas
N Sistema Nervioso
R Sistema respiratorio
V Various



Tratamientos y MMHH

Contexto



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

94 vigentes en la
Agencia Europea del
Medicamento (EMA)



75 aprobados por la
Agencia Española de
Medicamentos y Productos
Sanitarios (AEMPS)

**El 40% de los MM.HH
se encuentran
pendientes de
comercialización.**



51 comercializados
por la Dirección
General de Farmacia
y Productos
Sanitarios.

Tratamientos y MMHH

Contexto

En los últimos 4 años, en la EMA y en España:

MMHH aprobados por la EMA: 44

MMHH autorizados
con P&R en
España: 13

MMHH que han
solicitado P&R en
España: 20

MMHH que no han
solicitado P&R en
España: 11

Decisión de no
financiación por el SNS:
9

Pendientes de decisión
de P&R:
11

Tratamientos y MMHH

Logros

- ❖ Se actualiza el **Informe de la Ponencia del Senado** con un análisis detallado del acceso a MM.HH.
- ❖ Impulsamos el posicionamiento europeo para una **fijación de precios única**.
- ❖ Participamos en el **Grupo de Trabajo Internacional DITA**.
- ❖ Participamos en el **Comité de Seguimiento de la Estrategia Nacional** de ER y se incluye nuestra propuesta de indicadores para garantizar el acceso.
- ❖ Establecemos **alianzas** con: MEHUER, AELMHU y AEMPS.

Logros

- ❖ **26 sociedades Científicas se adhieren** al documento de recomendaciones que elaboramos con AELMHU.
- ❖ **9 enmiendas presentadas por 4 grupos políticos** recogiendo nuestras peticiones para el restablecimiento del Fondo de Cohesión Sanitaria.
- ❖ Acuerdo de investidura entre PP y C's para crear un fondo sanitario de 100 millones de euros.