



Osakidetza
Servicio vasco de salud



EUSKO JAURLARITZA
GOBIERNO VASCO

OSASUN SAILA

DEPARTAMENTO DE SALUD

Propuesta de modelo asistencial para enfermedades raras en la CAV

Itziar Astigarraga Aguirre.

Vocal del Consejo Asesor de ER de la CAV

Pediatra. Hospital Universitario Cruces

Instituto de investigación BioCruces. UPV/EHU

Enfermedades Poco frecuentes Pero Importantes

- **Las enfermedades raras no son tan raras**
 - **Estimación: 6-7% de la población**
 - **CAPV: 125-150.000 personas ?**
 - **Niños (0-14) 17.000?**
- **Problema de Salud Pública:**
 - **Prioridad**
- **Avances recientes**
 - **Éxitos terapéuticos**
- **Quedan muchos retos y dificultades**

ER- Heterogéneas

- **Baja prevalencia (UE <5 casos/ 10.000 habit)**
- **Agrupación 6.000- 8.000 E**
- **Heterogeneidad: “Enfermedades de todo tipo”**
- **Gran variabilidad clínica**
 - **Forma de presentación, edad, gravedad, pronóstico**
- **Gran complejidad**

Para todas y cada una de las ER

Muchas ER son genéticas

- **80% de ER son genéticas**
- **Mayoría son monogénicas**
 - **Patrón de herencia definida**
 - **Dominantes, recesivas, ligadas al cromosoma X materno**
- **Población sana portadora: Riesgo transmisión**

Pacientes y familias

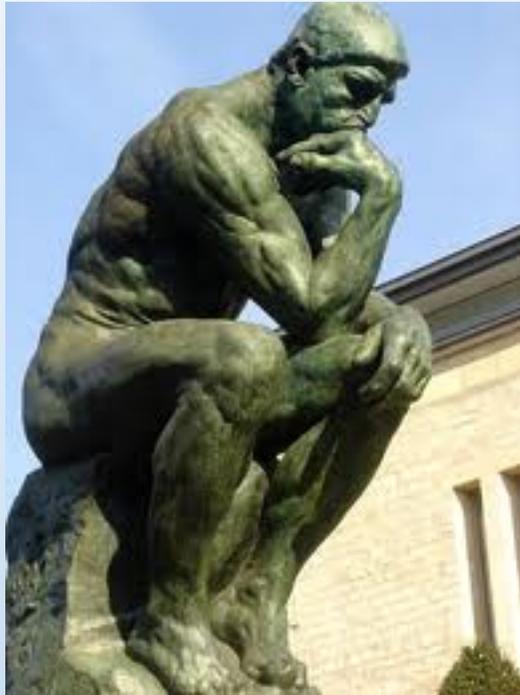
Muchas ER son crónicas e invalidantes

➤ **Alto grado de Dependencia**

➤ **Carga Social**
Sanitaria
Económica
Educativa

Gran impacto social

Dificultades diagnósticas: Retrasos



Escasas opciones de tratamiento

Terapias Poco Efectivas o Ausentes

➤ **Mayor disponibilidad:**

➤ **Medicamentos Huérfanos**

- **Mayor número de ensayos clínicos en ER**
- **Algunos éxitos importantes**

Limitaciones de la Medicina

- ***Falta de diagnóstico exacto***
 - ***Pocas herramientas diagnósticas: Genoma ???***
- ***Retrasos diagnósticos***
 - ***“Peregrinar” durante años***
- ***Incertidumbre en el pronóstico y evolución***
- ***Afecta a calidad de vida del paciente y cuidadores***

Programa europeo de Salud Pública



Burgos,
Noviembre 2010

Situación estrategias europeas

- 1. Francia (2005-2008)
- 2. Bulgaria
- 3. Portugal (*)
- 4. Grecia
- **5. España 2009 (*)**
- 6. República Checa 2010
- 7. Bélgica 2011
- 8. Reino Unido 2012
- 9. Alemania 2012
- ????? 2013



Estrategia en Enfermedades ER

- Aprobada por Consejo Interterritorial 6/2009
- Comisión de Evaluación y Seguimiento
- Líneas estratégicas de actuación
 - ❖ Información sobre ER
 - ❖ Prevención y detección precoz
 - ❖ Atención sanitaria
 - ❖ Terapias
 - ❖ Atención socio-sanitaria
 - ❖ Investigación
 - ❖ Formación

Estrategia en
Enfermedades Raras
del Sistema Nacional
de Salud

SANIDAD, 2009
MINISTERIO DE SANIDAD Y POLÍTICA SOCIAL

Informe de Seguimiento
de la Estrategia en
Enfermedades Raras
del Sistema Nacional
de Salud

Resumen ejecutivo

Iniciativas para mejorar la atención

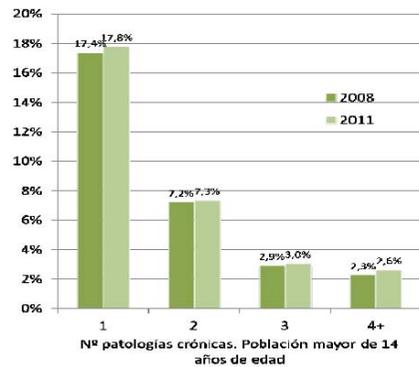


Apoyo institucional: Estrategia de la cronicidad (2009)



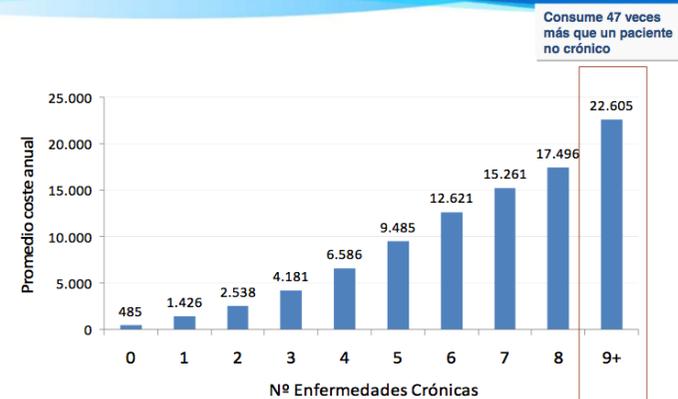
Enfermos crónicos y complejos

Cada vez tenemos más enfermos crónicos y más complejos



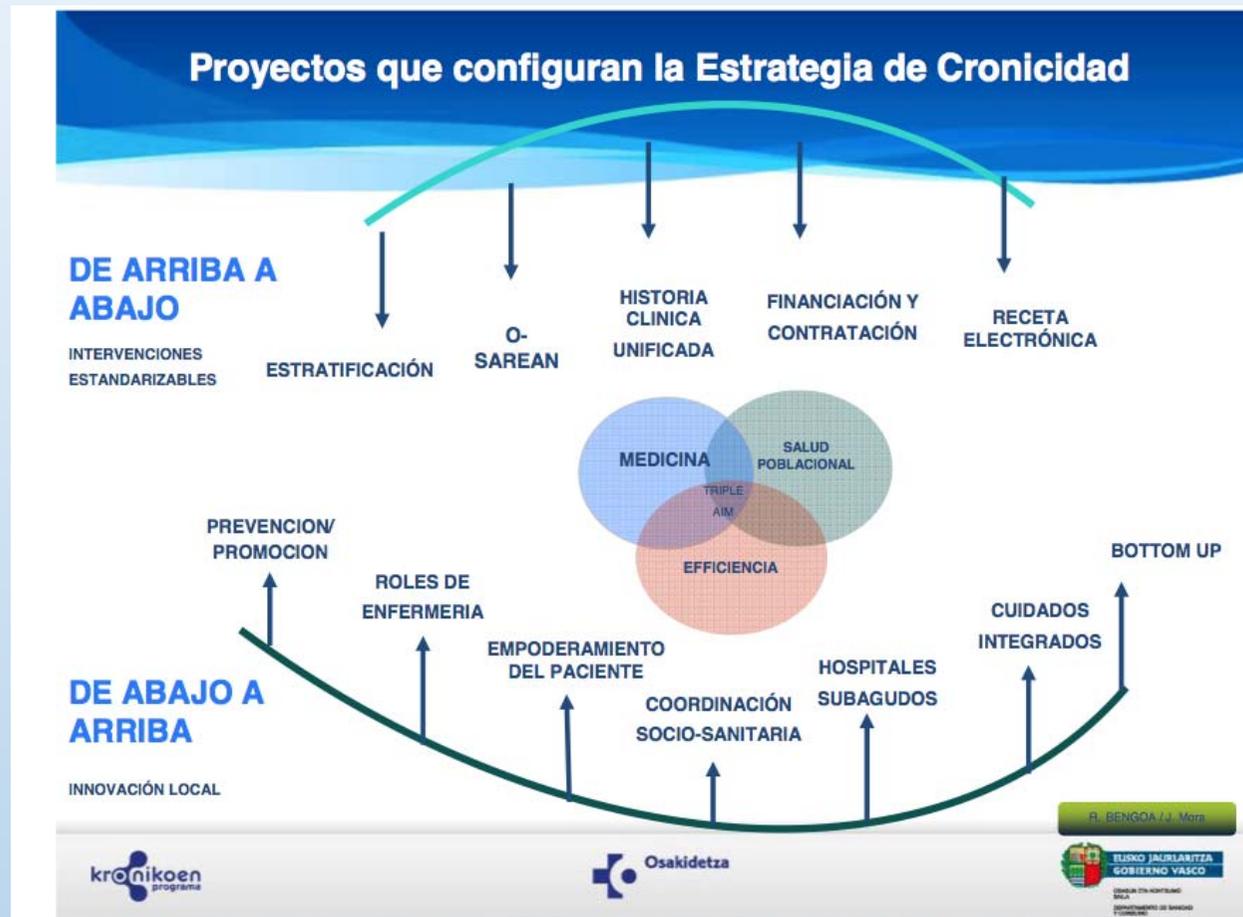
Fuente: Base de Datos Estratificación. Osakidetza 2011

A medida que aumentan las enfermedades crónicas el coste para el sistema sanitario aumenta



Fuente: Base de Datos Estratificación. Osakidetza 2011

Nuevos modelos de gestión



Estrategia en
Enfermedades Raras
del Sistema Nacional
de Salud

SAHIDIA, 2009
MINISTERIO DE SANIDAD Y POLÍTICA SOCIAL



Plan de acción de la
Estrategia en Enfermedades
Raras en la CAV

Junio 2011



PLAN PARA EL DESARROLLO DE LA GÉNETICA
EN LA COMUNIDAD AUTÓNOMA DEL PAÍS VASCO



Noviembre 2012

PLAN DE ACCIÓN DE LA ESTRATEGIA DE ENFERMEDADES RARAS EN LA COMUNIDAD AUTÓNOMA DEL PAÍS VASCO

PLAN DE ACCIÓN DE LA ESTRATEGIA DE ENFERMEDADES RARAS EN LA COMUNIDAD AUTÓNOMA DEL PAÍS VASCO

1.- Registro de EERR

2.-Aprobar y Desarrollar el Plan de Genética

3.-Colaborar con el sistema de CSUR del SNS

4.-Modelo organizativo asistencial para la CAPV

5.-Ampliación de los programas de prevención, diagnóstico precoz y cribado

6.-Mejora del acceso a los medicamentos y PS que resulten coste-efectivos .

7.-Formación a los profesionales.

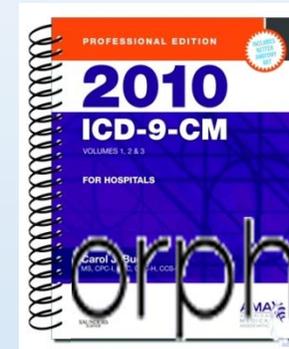
8.-Investigación.

9.-Asociaciones de Pacientes.

10-Estudio de las necesidades sociosanitarias de estos pacientes

1.- Mejorar la codificación y registro

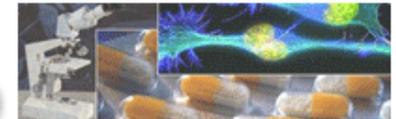
- Conocer la situación en la CAV
- Colaborar a nivel internacional
- Convenio con el Registro IIER
- Historia electrónica común AP-AE



orphanet



REGISTRO EPIDEMIOLÓGICO DEL PROGRAMA DE
INVESTIGACIÓN DE ENFERMEDADES RARAS (REPIER)
INSTITUTO DE INVESTIGACIÓN DE ENFERMEDADES RARAS (IIER)



Registro de Anomalías congénitas
RACAV en EUROCAT



Creación del Registro de ER en Euskadi

BOLETÍN OFICIAL DEL PAÍS VASCO

N.º 11

viernes 17 de enero de 2014

DISPOSICIONES GENERALES

DEPARTAMENTO DE SALUD

196

DECRETO 473/2013, de 30 de diciembre, de creación y funcionamiento del Registro de Enfermedades Raras de la Comunidad Autónoma de Euskadi.

Las fuentes principales de información para la identificación de casos son los registros hospitalarios de los hospitales públicos y privados y otros registros sanitarios gestionados por el departamento competente en materia de salud. La identificación de casos puede provenir también de consultas especializadas que atienden a los pacientes de enfermedades raras o de los que estén participando en ensayos clínicos o en otro tipo de proyectos de investigación clínica. Por otro lado, las diferentes asociaciones de pacientes también pueden constituir una buena fuente de información para la identificación de casos de este tipo de enfermedades.

Definición de caso registrable y variables

BOLETÍN OFICIAL DEL PAÍS VASCO

N.º 174

lunes 15 de septiembre de 2014

DISPOSICIONES GENERALES

DEPARTAMENTO DE SALUD

3847

ORDEN de 23 de julio de 2014, del Consejero de Salud, por la que se establece la definición de caso registrable y las variables que deben constar en la declaración de casos al Registro de Enfermedades Raras de la Comunidad Autónoma de Euskadi.

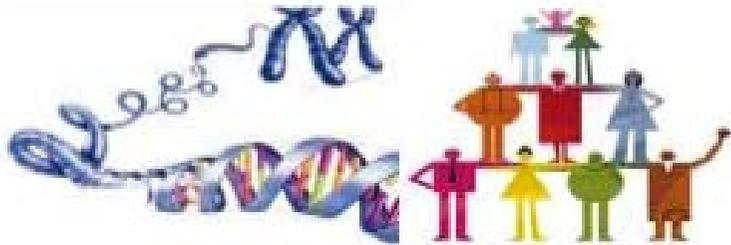
- Trabajo del Departamento de Salud (Epidemiología) y los profesionales sanitarios
- Selección inicial de ER: Carga de enfermedad

2.- Desarrollar el plan de genética

- **Mejorar el diagnóstico**
- **Asesoramiento genético**
- **Nuevas terapias**



Servicio de Genética HU Cruces (2012)



Genética del HUC aspira a ser el centro de referencia más especializado en asistencia y formación en Genética Médica de la CAV.

- 1 Jefatura de Servicio
- 2 Médicos adjuntos (Asunción López-Aríztegui, Isabel Llano)
- 4 Biólogos adjuntos (M.Isabel Tejada, Cristina Martinez Bouzas, Hiart Maortua, Laura García)

El servicio dispone de las siguientes **áreas** o unidades asistenciales:

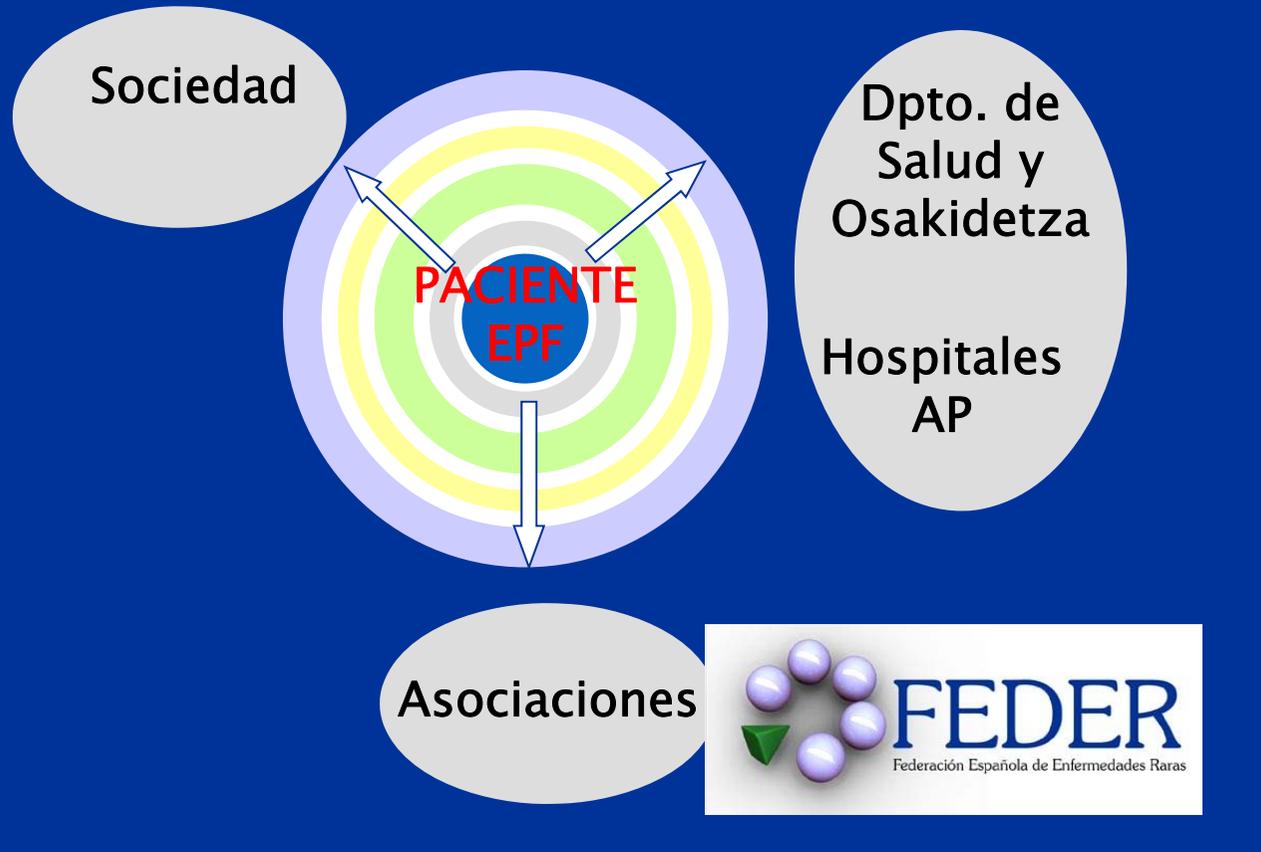
1. **Genética Clínica.** Consulta externa e interconsultas hospitalarias.
2. **Asesoramiento Genético.** Consulta externa.
3. **Citogenética.** Laboratorio de Citogenética convencional y molecular.
4. **Genética Molecular.** Laboratorio de Genética Molecular.

3.- Colaborar con el sistema de CSUR del SNS

- El objetivo es **promover y colaborar con el sistema de Comité de Designación de Centros, Servicios y Unidades de Referencia del Sistema Nacional de Salud** para facilitar la derivación de los pacientes.
- Participación en los procesos para la acreditación de los CSUR sobre EPF.
 - ❖ **Trasplante renal pediátrico, cirugía de las cardiopatías congénitas**
 - ❖ **Grupo de expertos de enfermedades metabólicas congénitas y Grupo de Enfermedades Neurológicas Raras, con representantes de la CAV.**
- Impulsar la acreditación en otras enfermedades
- Elaboración de mapas de experiencia de ER (junio 2013)

4.- *Mejorar el modelo asistencial*

El paciente es el centro de todo el sistema sanitario.



BASES GENERALES

- Seguridad y fiabilidad diagnóstica***
- Eficiencia en el proceso diagnóstico***
- Flujos de derivación sencillos y transparentes***
- Facilitar derecho 2ª opinión***
- Acceso a terapias innovadoras y seguras***
- Continuidad asistencial***
- Atención integral, multidisciplinar***
- Potenciar papel pediatras e internistas***
- Aprovechar Unidades CSUR***
- Facilitar diagnóstico genético***
- Organizar trabajo en red***
- Gestionar derivación a Unidades de referencia***
- Formación continuada***
- Promover investigación***

Mejorar el modelo asistencial

Adaptado a las necesidades cada ER

- Atención especializada
 - Un órgano afectado- Un especialidad
 - Varios órganos- Múltiples especialistas
 - Pluripatológicos- Atención multidisciplinar

- Atención primaria

Trabajo en red: Acceso a expertos

- Mapas de experiencia de cada patología
- Redes bien conectadas de profesionales
- Ámbito local e internacional

Propuesta Organizativa

1. Aprovechar infraestructura actual para dar mejor respuesta a las necesidades asistenciales

1. Atención Primaria
2. Atención Especializada
3. Atención Socio – Sanitaria y Educativa

2. Desarrollar Estructura organizativa Intrahospitalaria en los 4 H Universitarios y trabajar en red (sobre todo en ER Multiorgánicas)

1. Pediatría
2. Medicina Interna
3. Genética Clínica
4. Todos los especialistas

3. Accesibilidad y coordinación para utilización de Medicamentos Huérfanos

Atención Primaria

- **Pediatras:**

- Programas de detección precoz ER
- Programas para malformaciones congénitas RACAV-EUROCAT
- Atención integral desde RN hasta los 14 años para todos los niños
- Nuestro modelo es diferente al de la mayoría de los países

- **Médicos de familia**

- Primer lugar de consulta
- Reconocimiento de los primeros síntomas
- Orientación diagnóstica y del tratamiento
- Decisión sobre derivación o no a otros especialistas
- Escasa formación específica en ER

PRIMARIA

- Facilitar **accesibilidad Clara** entre Centros de Primaria y Centros Coordinadores
- Favorecer **Contacto con Especialistas** (CNP) para seguimiento conjunto
- Acceso a fuentes de **información** como ORPHANET, OMIN,..
- Favorecer uso herramientas de apoyo como DICE-APER
- Cursos de concienciación y de **formación**
- Promover **comunicación** fluida entre niveles

Atención especializada

- Hospitales
- Organización actual en especialidades y servicios
- Desarrollo de las subespecialidades
- Formación específica de cada especialidad

- Problemas en patologías complejas, varios órganos
- Difícil coordinación y atención multidisciplinar
- Necesario aprender y tener experiencia: Concentrar
- Dificultades diagnósticas
- Escasas opciones terapéuticas
- Largo peregrinar

ESPECIALIZADA

- Organizar Grupos de **trabajo coordinado** de ER más infrecuentes
- Replantearse las diferentes **Unidades de Atención Multidisciplinar**
Revisar consultas conjuntas, protocolos asistenciales
- **Visibilizar** y facilitar la actividad de los Grupos de Trabajo existentes
- Difusión de cuál es la “**ventana de comunicación**” de este tipo de patologías
- **Difusión** de actividades, protocolos, proyectos de investigación..

Unidades de referencia CSUR

- Sistema Nacional de Salud
- RD 1302/2006 para ciertas patologías
- Elevado nivel de especialización
- Alta tecnología
- Apoyo para confirmación diagnóstica, estrategias terapéuticas y de seguimiento
- “Consultor” para las unidades clínicas que atienden habitualmente a los pacientes

- Desde 2007: 53 patologías

SOCIO SANITARIA

- Crear **grupos de trabajo conjuntos** Servicios Sociales, Educación y Sanidad
- Potenciar trabajo de grupos existentes como **Equipo de Valoración en Atención Temprana** (EVAT) y ampliar a edades mayores
- Facilitar **intercambio de información** entre diferentes áreas
- Participación bidireccional en la Formación
- Apoyar la **participación de las Asociaciones de pacientes** para dar visibilidad, concienciación social....

Atención sanitaria y educativa

- EM que generan discapacidad: Necesidades específicas a nivel educativo en los niños
 - Informe Paine 2013
- Escasa coordinación Educación/Sanidad
- EVAT (Equipo valoración atención temprana 0-6)
 - Multidisciplinar: A sociales, sanitarios, educativos
- Programas con Salud Mental (TGD, TEA)
- Cursos de formación de los maestros

4.- Atención integral y coordinada



CONTINUIDAD ASISTENCIAL

Atención pediátrica

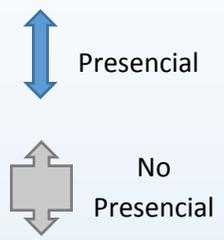
- Garantizar la atención integral de los niños
- Pediatra de referencia: coordina la salud del niño
 - A. Primaria
 - Hospital
- Asegurar la continuidad asistencial
 - Compartimos misma historia informática
 - 2013: Interconsultas no presenciales
- Facilitar la coordinación entre los especialistas
- Trabajo en red con los “mejores expertos”
- Favorecer la integración escolar de los niños

Transición de la Atención Pediátrica a la edad adulta

- Reflexión actual en muchas ER
- Asegurada la continuidad asistencial y buena coordinación en algunos grupos de enfermedades
- Colaboración de los “expertos pediátricos”
- Especialistas y “expertos” de los problemas de adultos

Atención en la edad adulta

- Expertos de las diferentes especialidades
- Evitar la atención “fragmentada” en los pacientes con problemas en varios órganos
- Asegurar la atención integral: “ Internistas”
- Consultas específicas para EM en Medicina Interna
- Importancia del trabajo en red y acceso a expertos



Asociaciones

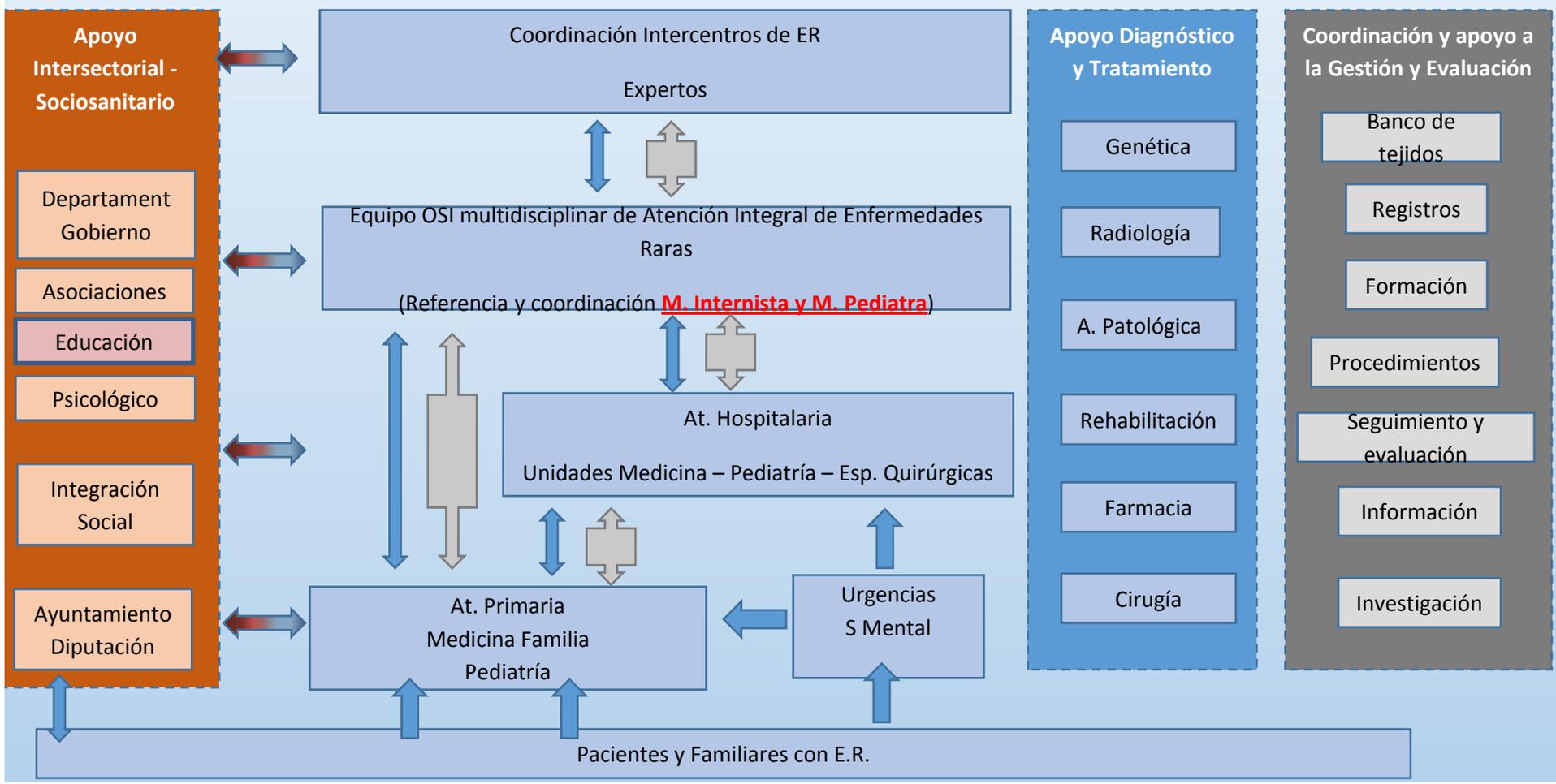
Comité Director
(Viceconsejero, Directora Planificación, DAS...)

Consejo Asesor

Sociosanitario

Asistencial

Gestión y apoyo





Trabajo en Red



HOSPITALES UNIVERSITARIOS

- Desarrollar Red **de Profesionales** que trabajen de forma coordinada. Fundamentalmente en patologías **multiorgánicas**

- Equipo de profesionales (**NODO**) organizado en el entorno de profesionales de M Interna, Pediatría, Genética, Otros (idiosincrasia de cada centro)
 - ❖ Unidad Funcional para EPF en Pediatría
 - ❖ Unidad Funcional para EPF en M. Interna

UNIDAD FUNCIONAL HU Cruces

EQUIPO: Pediatras + Internistas + Otros especialistas +
Genetistas



UNIDAD FUNCIONAL HU Araba

EQUIPO: Pediatras + Internistas + Otros especialistas



UNIDAD FUNCIONAL HU Basurto

EQUIPO: Genetista + Internista + Pediatras +
Otros especialistas



UNIDAD FUNCIONAL HU Donostia

EQUIPO: Medicina Interna (Equipo pluripatológicos)
+ Pediatras + Otros especialistas



UNIDAD FUNCIONAL

HU Cruces- HU Araba

- Elaborar Proyecto Organizativo Asistencial
- Registro de ER atendidas
- Elaborar Cartera de Servicios y Ofertarla
- Identificar los Profesionales dedicados a las ER
- Difusión de los Equipos y sus Funciones
- Diseñar Modelo Asistencial con HUA
- Diseñar Circuitos internos Multidisciplinares
- Transición edad pediátrica a adulta
- Alianzas con Asociaciones de pacientes



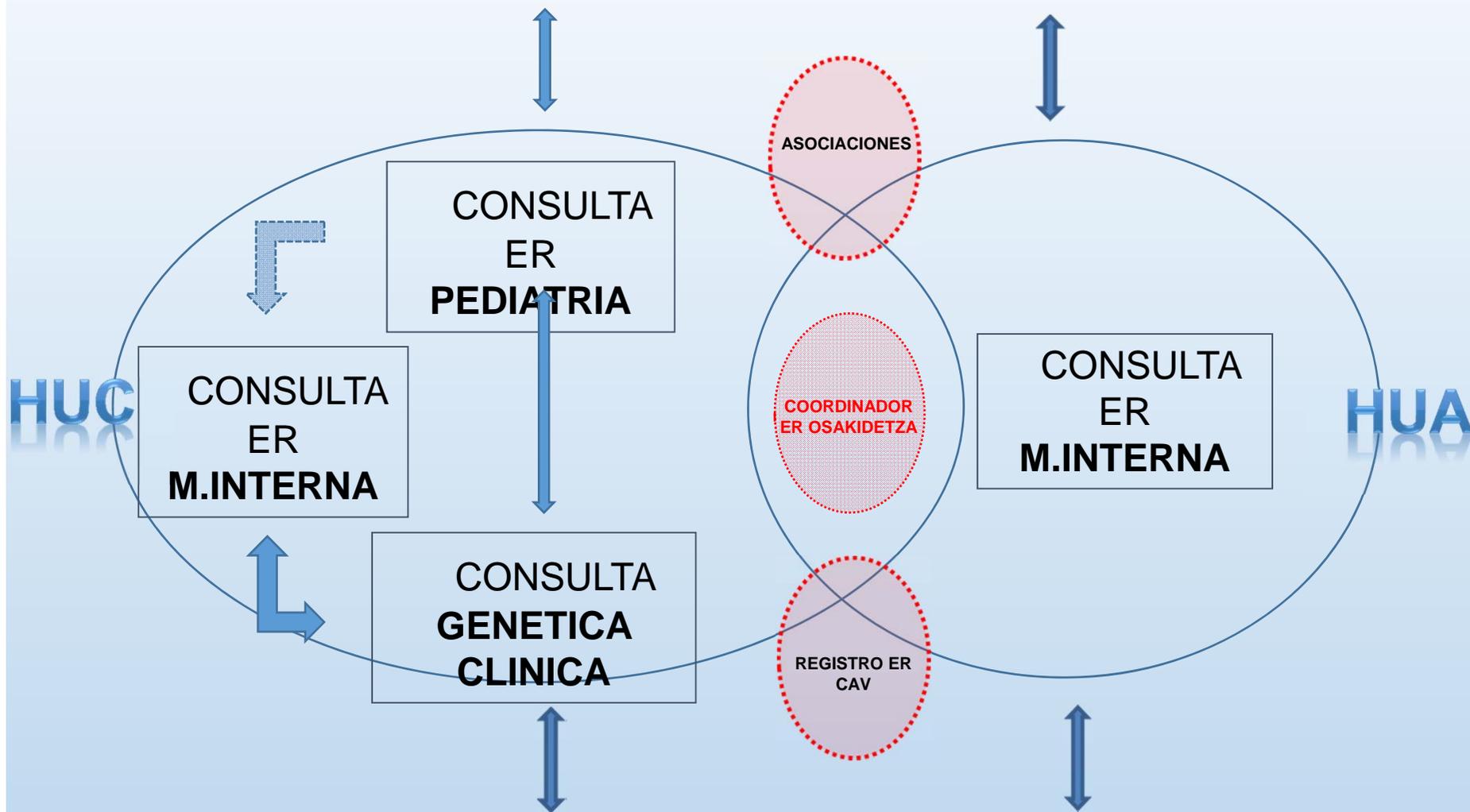
UNIDAD FUNCIONAL

HU Cruces- HU Araba



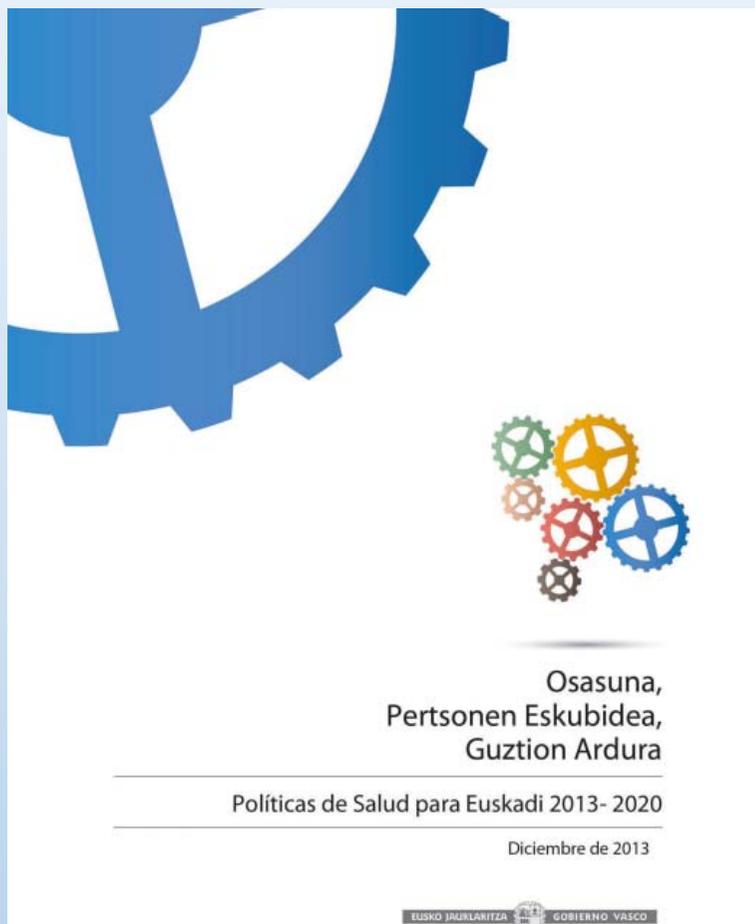
- Diseñar Modelo Asistencial con HUA
- Diseñar Circuitos internos Multidisciplinares
- Elaboración Guías de Práctica Clínica basada en la evidencia
- Difusión del Conocimiento a profesionales, sociedades científicas y asociaciones
- Trabajo en Red

ESPECIALISTAS



ATENCION PRIMARIA

ER en el Plan de Salud 2013-2010



ER en el Plan de Salud 2013-2010

5.2. AREA PRIORITARIA 2: PERSONAS CON ENFERMEDAD

INTERVENIR SOBRE LAS PERSONAS CON ENFERMEDAD PARA DISMINUIR LA MORBIMORTALIDAD Y LA DISCAPACIDAD DE LAS ENFERMEDADES

Esta segunda Área incluye los objetivos y las acciones curativas, rehabilitadoras y paliativas dirigidas a las personas con las siguientes patologías: cáncer, enfermedades cardiovasculares, diabetes mellitus, enfermedades respiratorias crónicas, trastornos mentales, enfermedades transmisibles, entre ellas las de transmisión sexual, enfermedades **ERIAS**, enfermedades neurodegenerativas y enfermedades osteoarticulares y reumatológicas. Se tiene

asistenciales y teniendo a la persona enferma como eje de la atención. Los objetivos y acciones de esta Área resaltan los elementos siguientes: a/ la ruta asistencial como concreción del proceso asistencial con visión integradora; b/ la coordinación de niveles asistenciales para el buen servicio a la persona y c/ los procesos de rehabilitación personalizados y en el entorno habitual de las personas enfermas, cuando sea posible.

ER en el Plan de Salud 2013-2010

OBJETIVO 2.12.

OTRAS ENFERMEDADES RELEVANTES

Mejorar la atención a personas con patologías de impacto relevante en su calidad de vida y en la Salud Pública: infecciones, insuficiencia renal crónica, enfermedades raras o poco frecuentes, enfermedades neurodegenerativas, enfermedades osteo-articulares y reumatológicas.

ACCIONES

2.12.1. Desarrollar la vigilancia, diagnóstico precoz y tratamiento de las infecciones con impacto relevante sobre la Salud Pública. Desarrollar programas de política antimicrobiana.

2.12.2. Promover acciones coordinadas entre niveles asistenciales para el diagnóstico y tratamiento precoz de la insuficiencia renal crónica.

2.12.3. Impulsar la declaración positiva de órganos en los documentos de voluntades anticipadas.

2.12.4. Establecer los criterios comunes de uso de medicamentos huérfanos y no huérfanos o de otros productos incluidos en la prestación farmacéutica en el tratamiento y cuidado de enfermedades raras.

2.12.5. Definir e implantar un modelo sociosanitario de atención psicogerítrica a personas afectadas de demencia.

2.12.6. Diseñar e implantar guías de práctica clínica sobre el dolor crónico, favoreciendo la coordinación e integración entre niveles asistenciales.

Criterios comunes de uso de medicamentos huérfanos y no huérfanos o de otros productos incluidos en la prestación farmacéutica en tto y cuidado de ER

OBJETIVOS Y ACCIONES

OBJETIVO 4.1.

SALUD INFANTIL

Promover la Salud Infantil mediante intervenciones integrales, apoyando a las familias en el proceso de crianza, como espacio y tiempo idóneo para las actividades de promoción de la vida saludable y prevención de las conductas de riesgo.

ACCIONES

4.1.1. Consolidar el programa de Cribado Prenatal⁴⁰ y el programa de Cribado Neonatal de Enfermedades Congénitas⁴¹, incluida la sordera dentro de este último.

4.1.2. Promocionar, proteger y apoyar el mantenimiento y la duración de la lactancia materna por sus beneficios para la salud tanto física como emocional, respetando la voluntad de la madre.

4.1.3. Incrementar el porcentaje de niños/as que utilizan cada año el Programa de Asistencia Dental Infantil (PADI), y potenciar el acceso y su uso en los grupos sociales más desfavorecidos.

4.1.4. Promover la oferta de asesoramiento genético a personas afectadas por enfermedades **raras** de origen genético.

Promover la oferta de Asesoramiento genético a personas afectadas por ER de origen genético

4.1.5. Vigilar los riesgos de malnutrición infantil y desarrollar mecanismos de prevención y abordaje en coordinación con los servicios sociales y educativos.

4.1.6. Desarrollar los mecanismos para la prevención, abordaje y seguimiento de la desprotección infantil (negligencia del cuidado, maltrato y abandono, y consecuencias de la violencia de género).

4.1.7. Mejorar la coordinación socio-sanitaria y el apoyo a las familias en la atención a la enfermedad mental en infancia y adolescencia, sin olvidar la coordinación con el ámbito educativo.

5.- Ampliación de los programas de prevención, detección precoz y cribado

- **Programas de cribado neonatal: 11 enferm**
 - Reflexión actual: Europa, Estatal, CAV
 - Ampliación progresiva:
 - 2010 Fibrosis Quística, 2011 Drepanocitosis
 - 2013 Homocistinuria, Academia Isovalérica (IVA), Academia Isoglutárica tipo 1 (GA1), Jarabe de Arce (MSUD) y Deficiencia de Acil CoA de cadena larga (LCHADD)



Reconocimiento Buenas Prácticas SNS 2013



ANEXO I

FICHA DE RECOGIDA DE BUENAS PRÁCTICAS EN ENFERMEDADES RARAS EN EL SISTEMA NACIONAL DE SALUD

1. TÍTULO Y NOMBRE DEL PROYECTO PRESENTADO A BBPP

Incorporación de las Recomendaciones Internacionales al Programa de Cribado Neonatal de Enfermedades Congénitas (Metabolopatías) de la Comunidad Autónoma del País Vasco
Enlace a sitio web (si procede): <http://www.osakidetza.euskadi.net>

2. DATOS DE LA ENTIDAD RESPONSABLE

- Nombre de la entidad y de la persona de contacto: Dirección de Salud Pública y Adicciones /Departamento de Salud/Gobiernos Vasco/Miren Dorronsoro
- Domicilio social (incluido Código Postal.): Calle Donostia nº1, Vitoria 01010
- CCAA: País Vasco
- Datos de contacto de la persona responsable del proyecto³:
Nombre y apellidos: e-mail: Teléfono: Mercedes Espada/metabobi-san@ej-gv.es/944031518

6.- Mejora en acceso a medicamentos y productos sanitarios

- Favorecer el desarrollo e investigación de Medicamentos huérfanos
- Participación ensayos clínicos internacionales
- Garantizar el acceso a las terapias efectivas y la seguridad de los pacientes
- Uso racional de los medicamentos. Coste-efectividad

7.- Formación a los profesionales

- Herramientas informáticas: Orphanet, Osanet...
- Iniciativas de sociedades científicas, asociaciones...
- "Pensar en EERR"
 - Buscar diagnóstico y terapia correcta de cada persona
 - Dedicación, estudio, interés
 - Competencias profesionales, Trato, respeto,...
- "Pensar en las personas con enfermedades no diagnosticadas"
 - Limitaciones de la Medicina

Formación a los profesionales

Saber + Pensar +Comunicar



Trabajo en red + Contactos



8. Investigación

- Convocatorias: EERR como líneas prioritarias
- Participar en estudios internacionales
- Favorecer la dedicación a la investigación de los clínicos

b+o
eusko fundazioa
Fundación Vasca de Innovación
e Investigación Sanitarias



BioCruces



Atención sanitaria de calidad

- Necesidad de apoyo institucional
- Adaptación de los modelos organizativos a las peculiaridades de cada una de las ER
- Implicación de los profesionales sanitarios
 - Dedicación, formación e investigación
- Colaboración con las asociaciones de pacientes

Asociaciones de pacientes / ER



La Voz de los Pacientes con Enfermedades Raras en Europa



Acerca de EURORDIS

Enfermedades Raras

Política de la UE

Medicamentos Huérfanos

Vivir con una enfermedad rara

Servicios a los Pacientes

Recursos de formación

Noticias y Eventos

Página de inicio

Idiomas EN | FR | DE | ES | IT | PT | RU

Los Medicamentos Huérfanos

"Los medicamentos huérfanos" son productos medicinales que sirven para diagnosticar, prevenir o tratar enfermedades o trastornos que amenazan la vida o que son muy serios y que son raros. A estos medicamentos se les llaman "huérfano" porque la industria farmacéutica tiene poco interés, bajo las condiciones normales del mercado, para desarrollar y poner en el mercado productos dirigidos solamente a una pequeña cantidad de pacientes que sufren de condiciones muy raras.

¿Qué es un medicamento huérfano?

Productos medicinales destinados al diagnóstico, prevención o tratamiento de enfermedades que ponen en riesgo la vida, o muy graves o enfermedades que son raras.



Promover el desarrollo de un medicamento huérfano

El creciente número de enfermedades raras que esperan tratamiento es un importante asunto de salud pública.



Designación de un Medicamento Huérfano

El primer paso en el desarrollo de cualquier medicamento huérfano es obtener la designación de Medicamento Huérfano.



Qué buscas:

eNews



¡Descubre las últimas noticias de la comunidad de enfermedades raras!

Correo:

Suscríbete

Redes Sociales

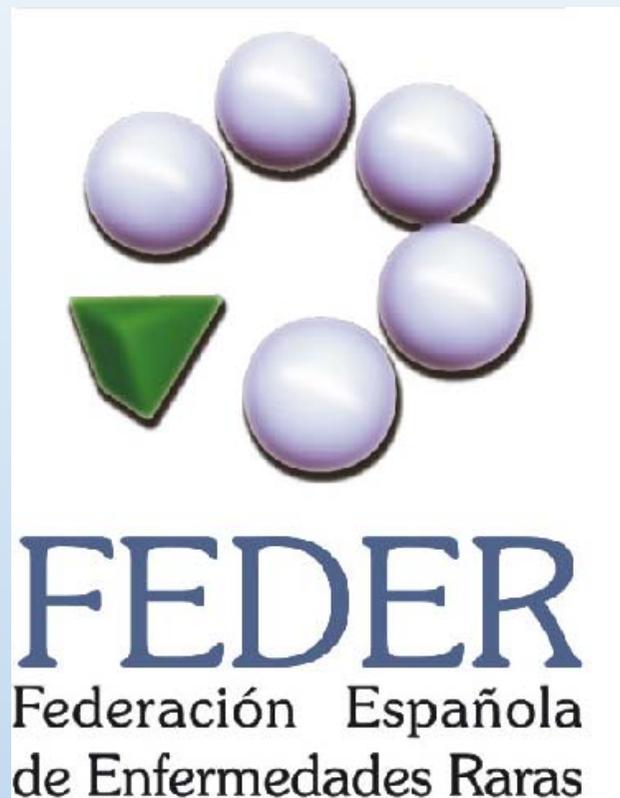


FACEBOOK

EURORDIS Initiatives



Asociaciones



Facilitar la calidad de vida



- Salud
- Familia
- Amigos
- Escuela
- Inclusión social
- .../...

MUCHAS GRACIAS

