



Manifiesto ARER Día Internacional de las Enfermedades Raras

1

Como cada 28 de Febrero, en distintos lugares dentro y fuera de nuestra geografía se celebra el Día Mundial de las Enfermedades Raras. **ARER**, como entidad que trabaja en el ámbito de la Comunidad Autónoma de La Rioja, tanto para dar a conocer a la población general como a los estamentos públicos la situación de los afectados y sus familias por este tipo de patologías poco frecuentes; nos unimos a la Campaña que la Federación Española de Enfermedades Raras (**FEDER**), está llevando a nivel nacional: **“LA INVESTIGACIÓN ES NUESTRA ESPERANZA”**

La raíz de esta campaña es reivindicar la necesidad perentoria de impulsar la investigación en este campo desde un enfoque integral y con una metodología de trabajo en Red.

Porque así se aumenta la capacidad del sistema para dar soluciones a las personas con Enfermedades Raras, tanto desde el campo imprescindible de la prevención, del acceso al diagnóstico (precoz y exacto), de un tratamiento adecuado y accesible, así como una atención social y sanitaria integral, porque son dolencias que inciden en todos los ámbitos de la vida de las personas afectadas y sus familias.

Es imprescindible pues, que la investigación trascienda e impregne todo el proceso de intervención de estas enfermedades de baja incidencia, teniendo como base el trabajo cooperativo para facilitar de una forma real, eficaz y eficiente el acceso a los distintos recursos y posibilitar el enriquecimiento, desarrollo e innovación terapéuticos.

Así desde todos los estamentos que estamos operando en este sector de población: afectados, familias, asociaciones, fundaciones, investigadores, personal sanitario, profesionales de los servicios sociales, educación y empleo. Pretendemos que la Investigación y Tratamiento de las Enfermedades Raras, suponga un reto para la Sanidad Pública, pero un reto con soluciones reales, con propuestas específicas para el incremento y puesta en marcha de políticas factibles dentro de la investigación en Enfermedades Raras.

2

Para ello, proponemos las siguientes líneas de actuación:

- 1º. Invertir en sistemas novedosos de diagnóstico precoz, lo cual hará posible el conocimiento científico de los factores de riesgo asociados a estas afecciones. Esto permitirá implantar estrategias efectivas en prevención primaria.
- 2º. Utilizar como paradigma el Registro Estatal de Enfermedades Raras, para crear sistemas de clasificación apropiados y reconocidos a nivel internacional.
- 3º. Desarrollar nuevas dianas terapéuticas para crear tratamientos y terapias de última generación. Así mismo, potenciar la investigación de medicamentos huérfanos, coadyuvantes, productos sanitarios, técnicas quirúrgicas concretas, ayudas técnicas, rehabilitación, productos de apoyo, prestaciones ortopédicas, y también el imprescindible y necesario apoyo psicológico y fisioterapéutico. Los Centros, Servicios y Unidades de Referencia para Enfermedades Raras (**CSUR**), deben convertirse en el eje principal para definir las estrategias terapéuticas y de seguimiento, y ser el nexo con las unidades clínicas que atienden a estos pacientes.

- 4º. Dar auge a la investigación en la definición de políticas sociales como medio para marcar las directrices, dentro de las prioridades en la atención sanitaria, social, educativa y laboral del colectivo que nos ocupa.

Para conseguir que estas necesidades se vean satisfechas es necesario:

- 1º. Implantar de manera real, eficaz y eficiente la coordinación y el trabajo en red, organizándose por grupos de patologías, obteniendo como resultado la optimización de los recursos desde una perspectiva integral, tanto a nivel nacional como internacional.

- 2º. Incentivar desde una doble actuación:

✚ **En primer lugar**, redactando un Reglamento Europeo que regule el acceso a los medicamentos huérfanos y que garantice su comercialización en todos los estados miembros de la Unión Europea, en condiciones de igualdad y equidad.

✚ **Segundo:** Incluyendo en la Ley de Presupuestos del Estado y de las respectivas CC.AA, una partida específica en la investigación de enfermedades raras como actividad primordial de mecenazgo.

- 3º. Aumentar los recursos destinados a la investigación, mediante un sistema de financiación que facilite la cooperación y colaboración entre los distintos ámbitos que participan en este campo, siendo prioritario que los esfuerzos de las administraciones públicas sean complementados con los incentivos necesarios del sector privado

como la industria, organizaciones de pacientes, fundaciones, centros de investigación académica, etc.

4º. Subrayando el coste-beneficio, puesto que la investigación en enfermedades raras generará un ahorro considerable al sistema de salud y beneficiará de forma indirecta a la investigación del resto de enfermedades no englobadas en este epígrafe.

5º. Posibilitando la implicación de los propios pacientes a lo largo de todo su proceso, siempre desde la ética y el respeto a los derechos y libertades fundamentales de la persona.

Teniendo en cuenta que en nuestra Comunidad Autónoma en el periodo 2010-2013, se contabilizaron 7.431 casos con un diagnóstico de enfermedad rara, queremos recordar tanto a los Poderes Públicos, como al resto de la sociedad que **LA INVESTIGACIÓN ES NUESTRA ESPERANZA.**