

Congreso Andaluz de Enfermedades Raras ▶ Ponencias

Piden a las farmacéuticas un precio «justo» para los 'fármacos huérfanos'

▶ Los afectados dicen que gastan más en marketing que «en curar a nuestros hijos»

CARMEN LOZANO
loza@cordoba.elperiodico.com
CÓRDOBA

Con la entrega de un cheque de 9.158 euros a la Fundación Isabel Gemio comenzó ayer en el Rectorado el Congreso Andaluz de Enfermedades Raras, impulsado por asociaciones como la Red de Padres y Madres Solidarios, en el que se instó a la industria farmacéutica a que los denominados *fármacos* o *medicamentos huérfanos* —destinados al diagnóstico, prevención o tratamiento de determinadas enfermedades raras— tengan un precio «justo y razonable». La designación de *huérfano* sirve para que las empresas que quieren desarrollarlo tengan ventajas como la exclusividad de 10 años en el mercado, «lo que implica que la negociación de los precios se hace a su antojo», además de incentivos al desarrollo, a la preparación del protocolo y la participación en becas y convocatorias a nivel internacional, «de forma que se les favorece para llevar a cabo el desarrollo del medicamento», señaló ayer durante su intervención la asesora de control farmacéutico Karina Villar.

La experta explicó que «esta consideración de *huérfano* no significa que el medicamento sea fantástico, porque necesita mucho desarrollo, que, una vez que se lleva a cabo y se ha comprobado su eficacia a través de ensayos clínicos, se comercializa a precios muy altos» porque la investigación es «muy cara», pero, según la especialista, «muchas veces las industrias farmacéuticas destinan más dinero al protocolo de ventas y al marketing que a la investigación y desarrollo». «Estamos presionando a las adminis-



MIGUEL ÁNGEL SALAS

▶ Autoridades y organizadores, en la sesión inaugural del congreso.

traciones sanitarias para que financien todo, pero eso es imposible», continuó Villar, que apuestó porque estas administraciones favorezcan la investigación dentro de sus propios centros, sin necesidad de acudir a empresas externas y farmacéuticas, «aunque después se pueda llegar a algún tipo de acuerdo con alguna de estas compañías, pero sin que sean ellas las que se encarguen de todo el desarrollo y pongan el precio que quieren». Por otro lado, la especialista señaló que, en vez de presionar a las administraciones sanitarias, «hay que presionar a las farmacéuticas para que bajen los precios porque pueden hacerlos. De hecho, según explicó la experta, en el caso de las medicinas contra la hepatitis C, «Joan Ramón Laporte asegura que el precio de fabricación del tratamiento cuesta 70 euros, mientras que se están pagando 12.000 por paciente». «La industria se casa con

las asociaciones para que exijamos que nos den el medicamento a cualquier precio, y habría que decirle a ellas que sean solidarios», concluyó Villar.

**ENEMIGOS ** Por su parte, Rosa García, presidenta de la Red de Padres y Madres Solidarios, señaló con «pena y enfado» que «los pacientes de enfermedades raras y sus familias somos un negocio de medicamentos huérfanos, y también en la rehabilitación». «Nos ha venido muy bien saber cómo funcionan las farmacéuticas, que parecen nuestros enemigos» porque «se gastan más en marketing que en curar a nuestros pequeños».

Según García, el objetivo de este congreso es visibilizar la problemática de las enfermedades raras, y en las ponencias se ha buscado, sobre todo, «que los investigadores nos informen sobre qué es lo que va a pasar, que con-

pliquen tendrán nuestros hijos a lo largo de su vida».

«Al parecer, hay medicamentos, pero nosotros no lo sabemos, nadie nos lo dice», subrayó García, que explicó que también la rehabilitación es un problema para las familias cuando el niño cumple seis años, edad en la que se suspende el tratamiento. «Buscamos acercarnos a los investigadores y ayudarles, por eso hemos entregado hoy 9.158 euros a la Fundación Isabel Gemio» que provienen de las familias de la asociación, que realizan eventos solidarios con este fin, «poniendo cada uno ponga su granito de arena». García no se muestra optimista respecto al futuro, porque «me he dado cuenta de que somos un negocio, y los negocios no se destruyen, están para sacar beneficios», asegurando que «el poder está en nosotros, en los ciudadanos», exigiendo «responsabilidad» a los políticos. ≡

flecos FORMACIÓN Los médicos de familia

El genetista clínico Ismael Ejarque defendió que el médico de familia debe saber mucho más sobre enfermedades raras y genética clínica y, actualmente, en su formación «no se contemplan esas competencias», algo que debería hacerse lo mismo «que se hace en otros países de nuestro entorno», ya que este facultativo es «la puerta de entrada al sistema de salud». «Es el que mejor conoce la historia personal y familiar del paciente. Y, al igual que el genetista clínico, ve a las personas en familia, no de forma aislada», dice el experto, que asegura que así habría una mejor atención a estos pacientes.

REGISTRO El síndrome post-polio

El especialista José María Amate, que ha sido hasta hace poco tiempo jefe de área en la Agencia de Valoración de Tecnología Sanitaria del Instituto de Salud Carlos III, habló del síndrome post-polio, que está en el límite en la consideración de enfermedades raras. Y para definirlo «habría que hacer un estudio epidemiológico serio». Es por eso que el experto recomendaba establecer un registro con pacientes con polio y así normalizar las definiciones y los criterios diagnósticos. Ese registro permitiría saber la población real a la que afecta y la que puede evolucionar hacia el post-polio.

Nº1
EN EL
OLIVAR

24
HORAS
AGROCOR.COM
online shop

¡CUIDATE!
CON LAS MEJORES OFERTAS

AGROCOR 

Polig. La Torreclilla : 957 294 433
Polig. Las Quemadas : 957 325 270

STIHL

Ofertas válidas hasta el 22 de Diciembre de 2017

1 Atención sanitaria
El 46,6% de las personas no se sienten satisfechos con la atención que reciben

2 Dependencia
Más de un 70% de los afectados posee el certificado de discapacidad

3 Medicamentos huérfanos
Sólo el 6% de los pacientes con enfermedades raras utiliza medicamentos huérfanos

el perfil

CARMEN GARRIDO ▶ S. MOYAMOYA

«Sientes impotencia, nadie te da respuestas»



▶▶ Carmen Garrido.

Carmen Garrido ha puesto hace poco nombre a la enfermedad de su hija, síndrome Moyamoya, una dolencia cerebrovascular de origen asiático que provoca ictus frecuentes que obstruyen las carótidas. El diagnóstico fue posible tras una prueba que descubrió la maraña de humo de las arterias de su hija, de solo 6 años. «Es una enfermedad muy reciente sobre la que no hay estudios», explica Garrido, «existe una operación que se hace para ralentizar los síntomas, aunque apenas hay experiencias previas». La enfermedad debutó a los 3 años pero varios diagnósticos fueron fallidos. «Sientes mucha impotencia cuando ves que no hay respuestas». Su objetivo ahora es crear una asociación.

FERNANDA PÉREZ ▶ SÍNDROME NOONAN

«Un tratamiento estándar no siempre nos vale»



▶▶ Fernanda Pérez.

Fernanda ha crecido con un síndrome cardiológico llamado síndrome Noonan que le genera problemas de alimentación, baja estatura, cardiopatías o trastornos de articulaciones y visión. «Me lo diagnosticaron con 4 años», explica, «cada paciente es distinto, pero en mi caso el problema se concentra en la sangre, con las plaquetas». Su vida está llena de sobresaltos y rachas buenas y malas. «Lo malo es que hay operaciones o tratamientos estándar que funcionan a la gente normal y a nosotros no porque nuestro organismo funciona de forma distinta, está comprobado, por eso hace falta investigar más y analizar no solo el ADN de los hombres porque el ADN de las mujeres no es exactamente igual», recalca.

ISABEL GONZÁLEZ ▶ S. MAULLIDO DE GATO

«Perdió la vista porque no se atrevían a operarlo»



▶▶ Isabel y su hermano.

Isabel tiene ahora 30 años. Su vida ha transcurrido paralela a la de su hermano, 3 años mayor, que sufre el síndrome del maullido de gato, una enfermedad rara que afecta a su movilidad, a su desarrollo cognitivo o a la vista (actualmente está ciego). «Cuando nació él estaba ahí, siempre lo he vivido como algo natural salvo por la mirada de rechazo y descaro de algunas personas», explica. «Falta educación y sensibilidad». Recuerda las dificultades que han tenido para atender a su hermano. «Los dentistas no se atrevían a atenderlo y los médicos tampoco, tenía desprendimiento de retina y cataratas y no lo operaban, al final perdió la vista».

Mª CRUZ JIRÓN ▶ DSR Y S. EHLERS-DANLOS

«Solo hay parches para paliar los síntomas»



▶▶ Mª Cruz Jirón.

Para contar el caso de Mª Cruz haría falta un libro. Basta con decir que tiene tres hijos de 14, 11 y 7 años, los tres afectados por dos enfermedades raras distintas. Experta en términos difícilmente inteligibles para el común de los mortales, lleva años luchando contra el dolor espeluznante de su hija mayor, afectada por una distrofia simpática refleja (DSR), e investigando el síndrome de Ehlers-Danlos, de origen genético, que padecen los menores, que se manifiesta entre otros síntomas por hiperlaxitud o una forma de graves urticarias en la piel. «No hay tratamiento ninguno, nada que detenga el avance de la enfermedad, solo parches para paliar los síntomas».

MARÍA RIOLOBOS ▶ MICROCEFALIA

«La evolución depende de mucha terapia»



▶▶ María Riobos.

María es abuela de un niño de 7 años con microcefalia. «Nació perfectamente, el parto fue normal, pero después se vio que no podía mamar, le costó coger el biberón...», explica. «Yo he tenido 4 hijos y veía algo raro en sus ojos». 10 meses después del nacimiento, una prueba genética confirmó sus sospechas. Al parecer, una gripe que la madre sufrió en el embarazo se transmitió al niño, impidiendo el desarrollo normal del cerebro. «No tiene tratamiento ni cura, no puede hablar, andar o comer solo, la evolución es gracias a mucha terapia y rehabilitación», afirma, «pero qué pasa con quien no pueda pagarlo?».

CONCHI POYATO ▶ ATAXIA DE FRIEDREICH

«Sin rehabilitación mi hija estaría en una silla»



▶▶ Conchi Poyato.

Conchi Poyato tiene una hija de 17 años a la que le detectaron ataxia de Friedreich con 14, una enfermedad neurodegenerativa que causa en quienes la padecen una pérdida progresiva de muchas de las funciones necesarias para una autonomía personal: pérdida de sensibilidad, descoordinación en los movimientos, escoliosis... «Empezó con problemas de equilibrio», explica Conchi, que se queja de la falta de medios. «Los niños de más de 6 años no reciben rehabilitación, la tenemos que pagar las familias y las sesiones cuestan caras, pero sin eso mi hija estaría en una silla de ruedas», afirma.

URGENCIAS DE OFTALMOLOGÍA



laArruzafa

HOSPITAL INSTITUTO OFTALMOLOGÍA FUNDACIÓN

Avda. de la Arruzafa, 9 | T. 957 76 76 10 | www.hospitalarruzafa.com

