



El papel de los pacientes con enfermedades raras y su rol en el SNS

Alba Ancochea, Directora de FEDER y su
Fundación

direccion@enfermedades-raras.org

Madrid, 07/03/2017

- ❖ **Las personas con ER y sus familias como agente transformador.**
 - » Como individuos
 - » Como movimiento asociativo
 - » Motor de información y transformación

- ❖ **La participación de los pacientes en el desarrollo y comercialización de MMHH.**
 - » Investigación y Registros
 - » Designación y autorización
 - » Comercialización y fijación de precio

A group of four children are playing on a white floor in a bright, airy room. In the foreground, a young girl with long brown hair is lying on her stomach, propped up on her elbows, looking towards the camera with a slight smile. To her right, another girl with long brown hair is sitting up, looking upwards with an open-mouthed expression of surprise or joy. In the background, two other children are visible: a boy with short brown hair is sitting up, looking towards the camera, and a girl with short brown hair is sitting next to him, also looking towards the camera. They are all wearing light-colored clothing. The room has a white wall and a white floor, with some furniture visible in the background, including a blue chair and a white table. The overall atmosphere is bright and cheerful.

Las personas con ER y sus familias como agente transformador

Del paciente pasivo → al paciente experto

- ❖ **Expertos por necesidad:** el desconocimiento, la falta de especialización e información convierte a los pacientes con ER en **expertos de su patología.**

» El **56% de los pacientes se ha sentido insatisfecho** con la atención sanitaria recibida por falta de conocimiento



Las asociaciones lideran la generación del conocimiento

- ❖ **Potenciadores del conocimiento.** Las asociaciones de pacientes lideran la generación del conocimiento a través de proyectos que permiten conocer la problemática y el estado de situación para posteriormente plantear la búsqueda de soluciones
 - **Estudio ENSERio:** Estudio de Necesidades Sociosanitarias de Enfermedades Raras (en proceso de actualización).
 - **EUROPLAN:** análisis del estado de situación a través de indicadores europeos.
 - **Informes por patologías** y que analizan aspectos en profundidad.
 - Participación en **workshop** y grupos de trabajo.



Los pacientes y las asociaciones motor de la formación en ER

» **Servicios de Información y Orientación** como el de FEDER, son claves para la generación del conocimiento.

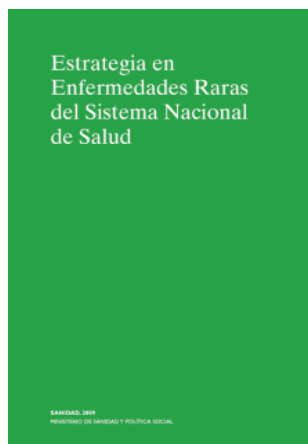
» Los pacientes impulsan **guías** y establecen **buenas prácticas** para el abordaje de las patologías:

- Guías para la Valoración de la Discapacidad en ER
- Guías de apoyo psicológico y técnico para ER
- Guías específicas por patologías que procedimentan protocolos de atención

» Participación de manera continua en **congresos, foros médicos especializados y jornadas formativas**



Estrategias De Salud



Plan integral de enfermedades raras en Murcia



Plan Mejora Atención Personas con ER en la C.

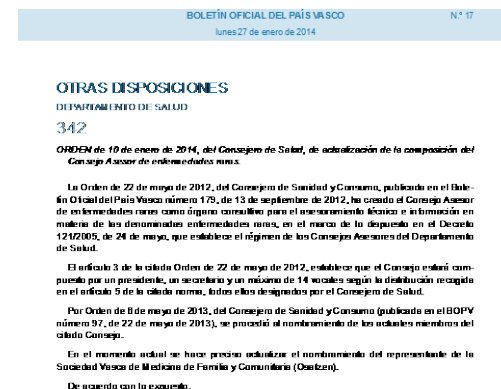
■ ■ ■ ■ ■



Comisión de Malalties Minoritaries



Consejo Asesor ER País Vasco



A photograph of five children in a bright, indoor setting. In the foreground, a girl with long brown hair lies on her stomach, resting her chin on her hands and looking towards the camera with a slight smile. To her right, another girl with long brown hair sits up, looking upwards with an open-mouthed expression. In the background, three other children are visible: a boy sitting and looking forward, a girl sitting next to him, and another child partially visible behind them. The room has a white floor and a blurred background showing some furniture. The text "La participación de los pacientes en el proceso de desarrollo de MMHH" is overlaid in the center in a bold, purple font.

La participación de los pacientes en el proceso de desarrollo de MMHH

Información y registros

El **Registro Estatal de Enfermedades Raras** es el punto de partida de la investigación como fuente principal de información.

Pueden **participar voluntariamente** registrando sus datos

Generan información base para impulsar la investigación

Grupo de Trabajo del Manual de Procedimiento que desarrolla y realiza seguimiento del Registro.

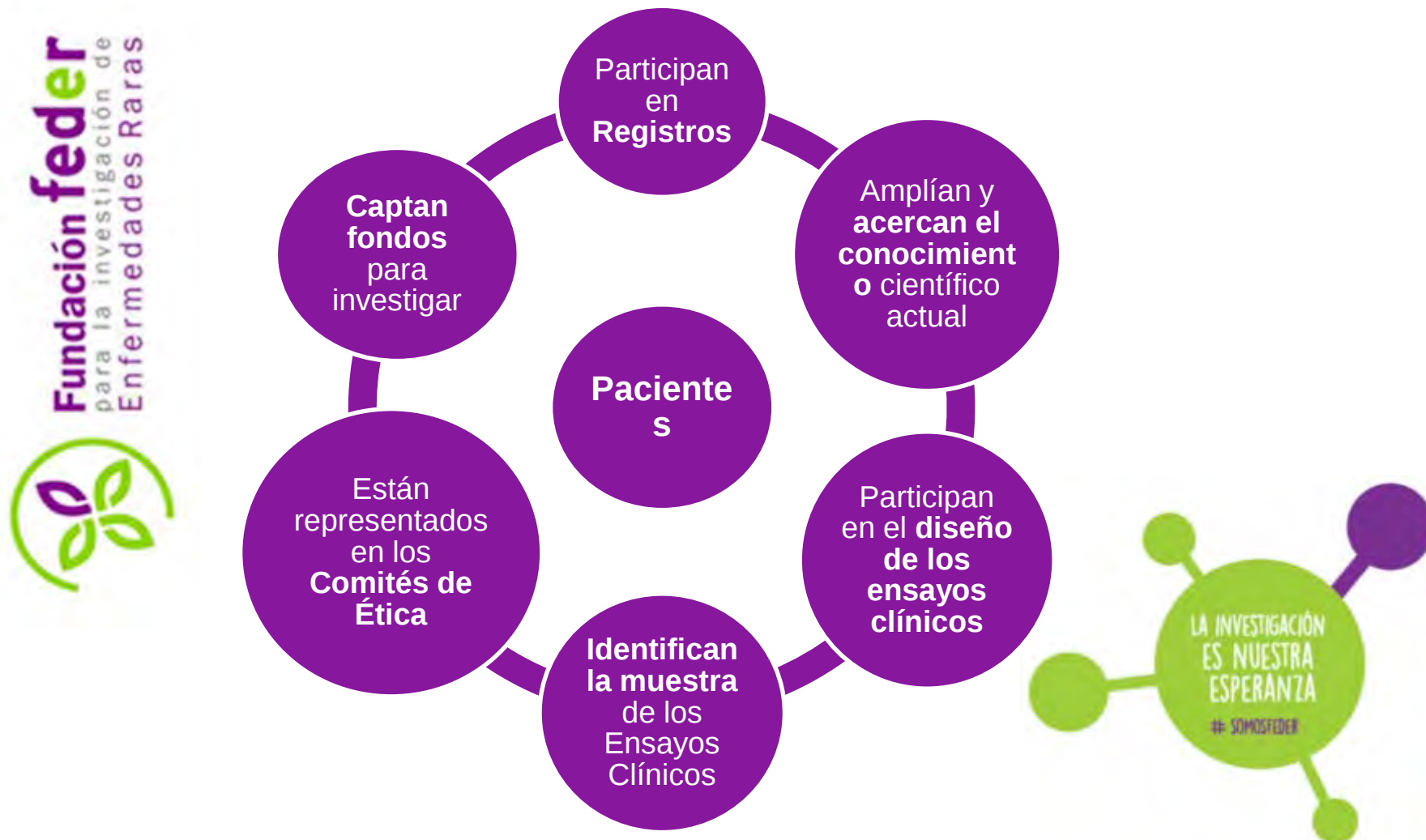
Priorización:
el Registro sea de todas las ER

Normalización:
los **datos** de los pacientes estén **protegidos**.

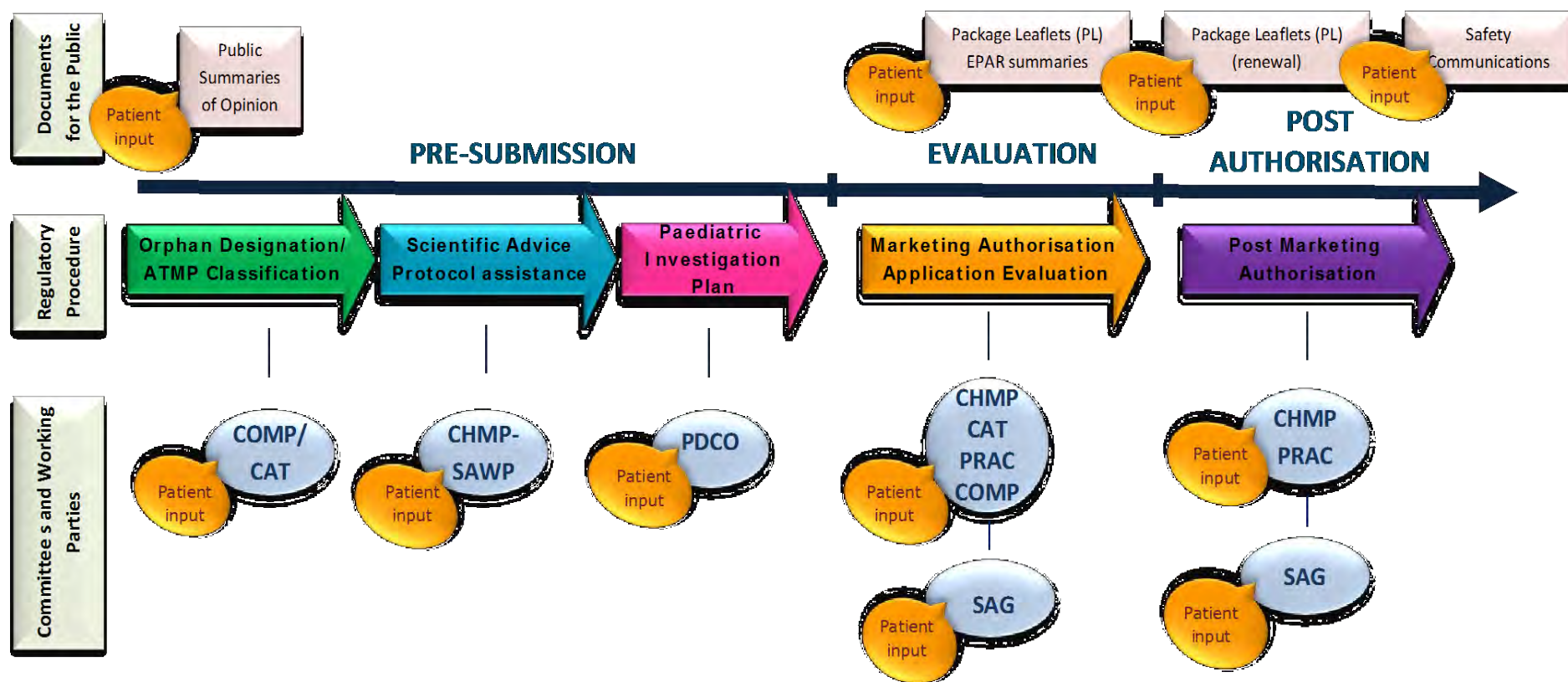
Acceso:
a la **información** de pacientes e investigadores.



Los pacientes, presentes en todo el proceso



Presencia de los Pacientes en los Comités de la EMA



A photograph of five children in a bright, indoor setting. In the foreground, a girl with long brown hair lies on her stomach, resting her chin on her hands and looking towards the camera with a slight smile. To her right, another girl with long brown hair is lying on her stomach, looking up and smiling broadly. In the background, three other children are visible: a boy with short brown hair is sitting and looking up, a girl with short brown hair is sitting next to him, and another boy with short brown hair is sitting behind them, also looking up. The children are all wearing light-colored clothing. The background is a bright, out-of-focus room with a white wall and some furniture. The text "La participación de los pacientes en la evaluación y fijación de precios" is overlaid in the center of the image in a purple, serif font.

**La participación de los pacientes en la evaluación y
fijación de precios**

Desde la designación hasta la comercialización

Gran distancia entre los que se encuentran autorizados por la EMA y los comercializados en nuestro país.



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.**

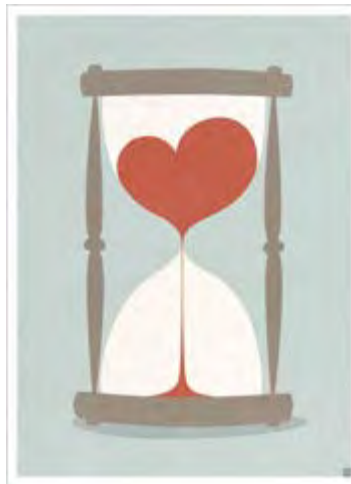
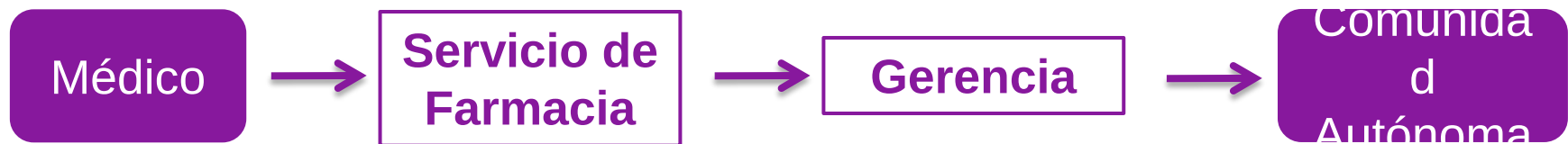


comercializados
por la Dirección
General de
Farmacia y
Productos

Desde la designación hasta la comercialización

Gran distancia entre los que se encuentran autorizados por la EMA y los comercializados en nuestro país.

El proceso de toma de decisión, normalmente, sigue el flujo:



Participación real y efectiva en IPT

- ❖ Actualmente los pacientes reciben los **Informes de Posicionamiento Terapéutico** (IPTs). Son escuchados, pero su voz no es tenida en cuenta ni es vinculante.
- ❖ Es preciso una participación real y efectiva del paciente



Comercialización y fijación de precio

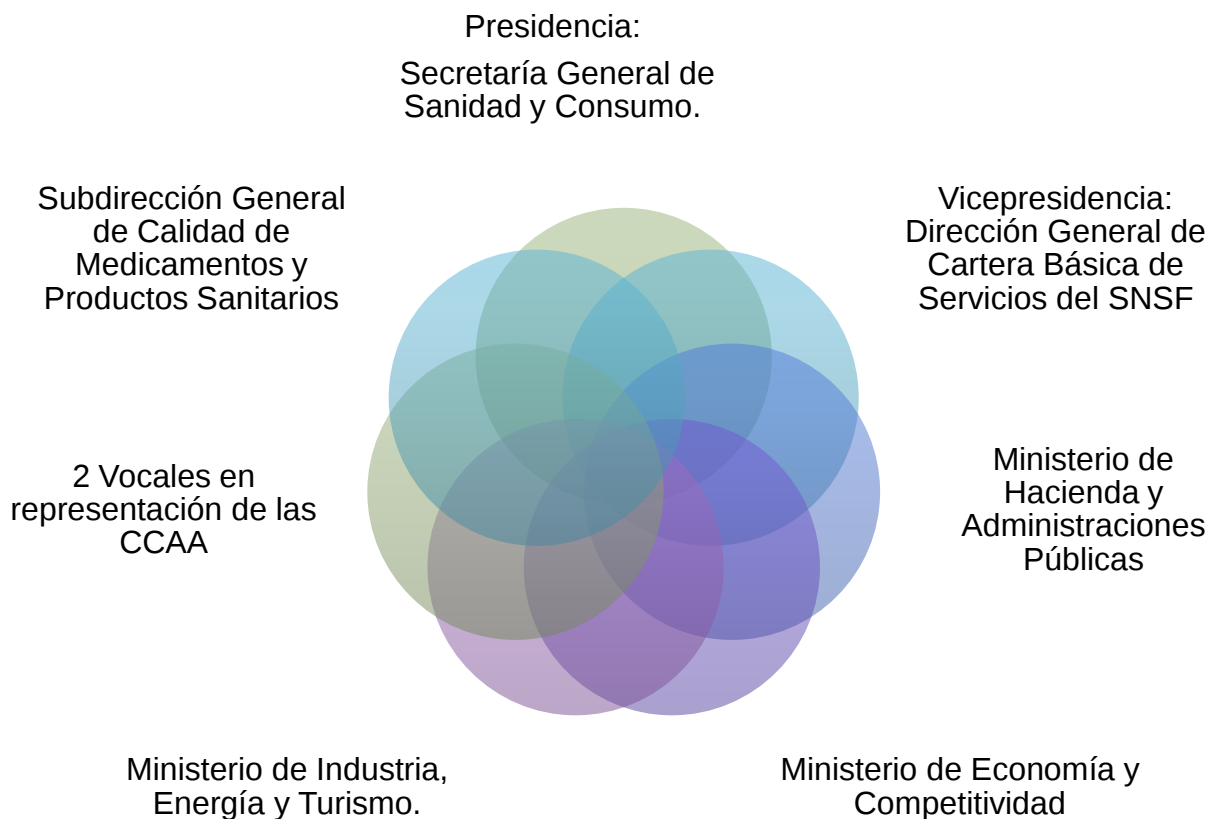
Proyecto de Real Decreto por el que se regula la financiación y fijación de precios de medicamentos y productos sanitarios y su inclusión en la prestación farmacéutica del sistema nacional de salud

*Las condiciones de financiación pública fijadas para los medicamentos y productos sanitarios incluidos en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud podrán ser modificadas, conforme a los criterios legalmente establecidos, en función del conocimiento científico, **las necesidades de los pacientes**, la coyuntura económica o los cambios en la estructura de costes y/o los precios vigentes en el mercado farmacéutico español, así como los precios y otros parámetros en el marco de la Unión Europea y en otros países relacionados con ésta.*



Derechos de los pacientes

Comisión Interministerial de Precios.



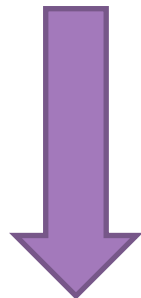
Acciones impulsadas por el movimiento asociativo



Acciones del movimiento asociativo a nivel internacional



- ❖ Llamamiento Internacional a **las Autoridades Competentes Nacionales de la UE** en materia de fijación de Precios y Reembolso.



Creación de una mesa de negociación de la fijación de precios en los estados miembros

Acciones del movimiento asociativo a nivel internacional

Grupos de Trabajo y Espacios de Negociación



- ❖ **Grupo de Trabajo Internacional DITA**, para analizar los procesos de regulación de y favorecer tanto la transparencia como su acceso.
- ❖ Iniciativas como el **MoCCa**.
- ❖ **Symposium** de Bruselas
- ❖ Participación de los pacientes en la **HTA**

Acciones del movimiento asociativo a nivel internacional



Recomendaciones, posicionamientos y grupos de consenso



- ❖ Proyecto EUROPLAN.
- ❖ Posicionamiento de Acceso a Medicamentos
- ❖ Posicionamientos de acceso a Uso Compasivo
- ❖ Recomendaciones para la evaluación y fijación de precios

La participación de los pacientes en la evaluación y fijación de precios

El papel de los pacientes ha sido y es clave en el desarrollo de propuestas y medidas enfocadas al acceso a tratamiento.

La labor del tejido asociativo hace posible que los pacientes estén representados en la toma de decisiones que les afectan.

Su papel, el nuestro, el de la familia FEDER, es clave en el ejercicio de los derechos de las personas con Enfermedades Raras.

