



ENFERMEDADES RARAS

El abordaje de las
EERR en tiempos del
COVID-19

EDITORIAL

El impacto económico del COVID-19 sobre el Sistema Sanitario Español y su repercusión en las Enfermedades Raras **PAG 5**

ARTÍCULO EN PROFUNDIDAD

Fernando Abdalla y Néboa Zozaya
Las enfermedades raras en tiempos del COVID-19: impacto y perspectivas de futuro **PAG 9**

BARÓMETRO newsRARE

Los efectos del COVID-19 en los pacientes con enfermedades raras en España **PAG 21**

ARTÍCULOS EN DETALLE

Antoni Montserrat Moliner
Miembro del Consejo de Administración de ALAN
Maladies Rares en Luxemburgo **PAG 25**

Juan E. del Llano Señarís
Presidente de la Asociación Española de Evaluación de Tecnologías Sanitarias **PAG 29**

ENTREVISTAS

Dr. Cristobal Belda Iniesta
Subdirector de Evaluación y Fomento de la Investigación del Inst. de Salud Carlos III (ISCIII) **PAG 32**

Dr. Jordi Esteve Reyner
Servicio de Hematología, Inst. Clínic de Enfermedades Hematológicas y Oncológicas, Hospital Clínic de Barcelona **PAG 34**

Dra. María Josep Cabañas Poy
Jefa de Sección del Área Materno-Infantil del Servicio de Farmacia, Hospital Universitario Vall d'Hebron **PAG 37**

EDITOR

Dr. Álvaro Hidalgo Vega

Profesor Titular del Área de Fundamentos de Análisis Económico de la UCLM
Presidente de la Fundación Weber

EDITOR ASOCIADO

Dr. José Luis Poveda Andrés

Jefe de Servicio de Farmacia. Hospital Universitario y Politécnico la Fe. Valencia

CONSEJO DE REDACCIÓN

D^a. Alexandra Ivanova. Gerente. Weber

D^a. Renata Villoro. Vicepresidenta. Fundación Weber

D^a. Néboa Zozaya. Directora del Área de Economía de la Salud. Weber

D. Ramón Ferrer. Director de newsrare.es

CONSEJO EDITORIAL

D^a. Alba Ancochea Díaz. Directora General. Federación Española de Enfermedades Raras y la Fundación FEDER para la investigación

Dr. Alberto Jiménez Morales. Director de la Unidad de Gestión Clínica de Farmacia. Hospital Virgen de las Nieves, Granada

Dr. Antoni Gilibert Perramon. Director del Área de Farmacia y del Medicamento. Consorcio de Salud y Social de Cataluña

D. Antoni Montserrat Moliner. Miembro del consejo de dirección. ALAN - Maladies Rares Luxembourg

Dr. Antonio Román Broto. Director Asistencial. Hospital Universitario Vall d'Hebron

D^a. Blanca Segurola Lázaro. Jefa de Servicio Corporativo de Farmacia. Dirección de Asistencia Sanitaria. Osakidetza

Dr. Félix Rubial Bernardez. Gerente del Área Sanitaria de Ourense, Verín e O Barco de Valdeorras. Servicio Gallego de Salud (SERGAS)

Dra. Gloria González Aseguinolaza. Directora. Programa de Terapia Génica y Regulación de la Expresión génica del CIMA. Universidad de Navarra (UNAV)

Dr. Gonzalo Calvo Rojas. Jefe del Servicio de Farmacología Clínica. Hospital Clínico de Barcelona

Dra. Itziar Astigarraga Aguirre. Jefa de Servicio de Pediatría. Hospital Universitario Cruces

Dr. Jordi Gascón-Bayarri. Facultativo Especialista de Neurología. Hospital Bellvitge

Dr. Juan Oliva Moreno. Profesor Titular. Área de Fundamentos de Análisis Económico. Universidad de Castilla – La Mancha (UCLM)

Dr. Julio López Bastida. Profesor Titular. Facultad de Terapia Ocupacional, Logopedia y Enfermería de Talavera de la Reina. Universidad de Castilla – La Mancha (UCLM)

Dr. Manuel Macía Heras. Jefe de Servicio de Nefrología. Hospital Universitario Ntra. Sra. de Candelaria. Santa Cruz de Tenerife

D^a. María Codesido López. Directora Gerente. Hospital Vithas Nisa Pardo de Aravaca

Dra. María Dolores del Pino y Pino. Presidenta. Sociedad Española de Nefrología (SEN)

Dra. María José Calvo Alcántara. Subdirectora General de Farmacia y Productos Sanitarios. Consejería de Sanidad de la Comunidad de Madrid

Dr. Miguel Ángel Calleja Hernández. Jefe de Servicio de Farmacia. Hospital Universitario Virgen de la Macarena

Dra. Olga Delgado Sánchez. Presidenta. Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH)

Dr. Reyes Abad Sazatornil. Jefa de Servicio de Farmacia. Hospital Miguel Servet

D. Ricardo Herranz Quintana. Gestihealth Consulting

D. Xavier Badía Llach. CEO & Partner. Omakase Consulting

EDITORIAL: Fundación Weber
C/ Moreto, 17
28014 Madrid (España)

COORDINACIÓN EDITORIAL
Marta Méndez
marta.mendez@weber.org.es

DISEÑO GRÁFICO
Luis de Miguel

newsRARE es una publicación periódica especializada que se distribuye principalmente a personal de los servicios de salud. newsRARE está dirigida especialmente a profesionales sanitarios, tanto a nivel hospitalario, como de atención primaria y de salud pública, que estén trabajando en algún campo relacionado con enfermedades raras.

ISSN: 2660-8685 (versión impresa) 2695-8724 (versión digital)

Depósito legal: M-31717-2015

doi: <https://doi.org/10.37666/R-vol.5-1>

Fundación
weber

ÍNDICE

4 | NOTA DE LOS EDITORES

5 | EDITORIAL

El impacto económico del COVID-19 sobre el Sistema Sanitario Español y su repercusión en las Enfermedades Raras

9 | EN PROFUNDIDAD

Las enfermedades raras en tiempos del COVID-19: impacto y perspectivas de futuro

21 | BARÓMETRO **newsRARE**

25 | ARTÍCULOS EN DETALLE

32 | OPINIÓN

39 | EN PRIMERA PERSONA

46 | HUMANIZACIÓN

55 | ACTUALIDAD

62 | OBSERVATORIO

64 | CALL FOR PAPERS

Nota de los editores

Este número 1 del volumen 5 de newsRARE supone una nueva etapa en la revista, que cumple el 5º año desde su lanzamiento. Desde la Fundación Weber, junto con los editores, pensamos que era necesario un nuevo impulso y abrir la revista a la sociedad. Por este motivo, emprendimos, con la ayuda de Ramón Ferrer, que se incorporó al consejo de redacción de la revista, un proceso de renovación consistente tanto en modificar la revista, añadiendo nuevas secciones, como en aumentar el número de patrocinadores y crear un foro de discusión anual con el curso de verano newsRARE, focalizado en enfermedades raras y realizado dentro de la programación de los cursos de verano de la Universidad de Castilla-La Mancha. En este año tan peculiar, el curso de verano se celebrará el 30 de octubre, debido al reajuste que ha supuesto la pandemia en casi todos nuestros planes vitales a lo largo del año 2020.

Dentro de las nuevas secciones destacan especialmente el observatorio newsRARE, que aglutina una serie de variables recogidas en otras fuentes. Por tanto, nuestro objetivo ha sido realizar un observatorio de observatorios y concentrar en un par de páginas los indicadores más relevantes para el seguimiento de las enfermedades raras y la evolución de los medicamentos huérfanos. La segunda sección nueva, es el barómetro newsRARE, en el que se realiza una breve encuesta sobre el tema central de cada número a nuestro consejo editorial, a expertos en enfermedades raras, a asociaciones de pacientes y a gestores sanitarios. De esta forma, podemos tomar el pulso a la actualidad y su influencia en la gestión y la atención de los pacientes con enfermedades raras, pretendiendo ser un referente de opinión cualificada sobre los aspectos clave que afectan a las enfermedades raras y a los medicamentos huérfanos. La tercera sección que merece unas líneas en esta nota editorial es la de humanización, ya que creemos que ésta es esencial en la atención sanitaria en general, pero es imprescindible en el caso de las enfermedades raras. Por ello, en cada número de la revista vamos a dedicar un espacio específico a iniciativas que mejoren la humanización de la asistencia sanitaria a pacientes con enfermedades raras, ya que creemos que debemos fomentar cualquier proyecto que suponga una atención sanitaria más humana y centrada en el paciente.

En esta línea, hemos dedicado un suplemento de la revista, otro de los elementos novedosos de esta etapa, al manual de buenas prácticas de humanización de la atención a pacientes con enfermedades raras de los servicios de farmacia hospitalaria impulsado por el Dr Poveda. Junto a los suplementos, tendremos muy pronto los coloquios newsRARE donde abordaremos diferentes temas relevantes en enfermedades raras o medicamentos huérfanos, de la mano de miembros del consejo editorial de la revista y de diferentes expertos y gestores a nivel regional y nacional. Por último, nos gustaría destacar que, a partir de este año, la revista acepta artículos originales, siendo la primera revista en castellano focalizada exclusivamente en enfermedades raras y dónde los investigadores, académicos o profesionales sanitarios pueden tener un cauce para publicar investigaciones originales en este ámbito.

Para concluir, nos gustaría expresar nuestro agradecimiento a los miembros del consejo editorial de la revista, a todas las personas e instituciones que han colaborado en la misma en algún momento, a las asociaciones de pacientes que encuentran en newsRARE un foro para expresar sus inquietudes y proyectos y a los patrocinadores de la revista, ya que sin su apoyo no podría ser una realidad cada día más sólida en el panorama de las publicaciones sanitarias.

Alvaro Hidalgo y José Luis Poveda
Editores newsRARE

EL IMPACTO ECONÓMICO DEL COVID-19 SOBRE EL SISTEMA SANITARIO ESPAÑOL Y SU REPERCUSIÓN EN LAS ENFERMEDADES RARAS

ÁLVARO HIDALGO

Presidente de la Fundación Weber y Codirector del Grupo de Investigación en Economía de la Salud y Gestión Sanitaria de la UCLM

Quisiera empezar por hacer una reflexión importante como economista, algo que siempre comentamos en nuestras clases de economía y especialmente en las de economía de la salud: más no siempre es mejor. La segunda reflexión es que la solución no es sólo más dinero: desde mi punto de vista el cómo y el para quién es lo fundamental.

Veamos la primera reflexión. Los datos de mortalidad ajustados por habitantes están mostrando, al menos hasta ahora, que la incidencia del COVID-19 no está teniendo nada que ver con el nivel de recursos destinados a sanidad. Así, los países que a 21 de julio, según el centro de datos de la Universidad Johns Hopkins, experimentan tasas de mortalidad por millón de habitantes superiores a 500 son: Bélgica con 858,4, Reino Unido 682,8, España 608,3; Italia 580,1 y Suecia 553,8 además de Andorra y San Marino. En cambio, Portugal, Grecia o Corea del Sur registran tasas de 164,5; 18,2 y 5,7 respectivamente. Y otros países centrales de la Unión Europea se encuentran entre estos extremos tal cómo se muestra en la tabla siguiente:

TABLA 1: MORTALIDAD POR COVID-19 Y GASTO SANITARIO (% PIB 2019)

	COVID-19 Muertos/Millón de Habitantes	Gasto Sanitario (% PIB 2019)		
		Total	Público y obligatorio	Privado o voluntario
Bélgica	858,4	10,33	7,98	2,35
Reino Unido	682,8	10,30	8,00	2,30
España	608,3	8,86	6,24	2,62
Italia	580,1	8,81	6,54	2,27
Suecia	553,8	11,00	9,23	1,77
Francia	450,5	11,20	9,34	1,86
Portugal	164,5	9,10	6,05	3,05
Alemania	109,7	11,20	9,46	1,74
Grecia	18,2	7,85	4,73	3,12
Corea del Sur	5,7	8,10	4,84	3,26

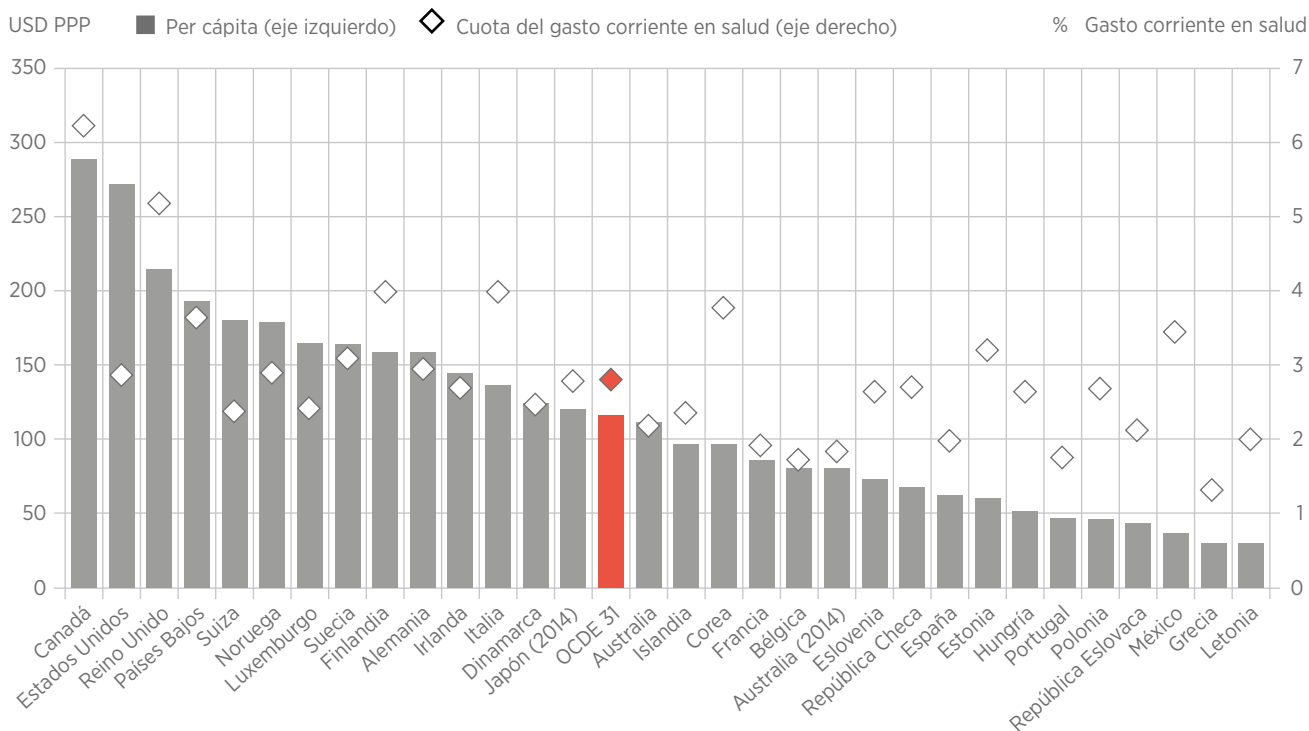
Fuente: *Elaboración propia a partir del centro de datos de la Universidad Johns Hopkins y OCDE*

Si comparamos los datos de mortalidad con el Gasto Sanitario en % del PIB, ya sea total, privado o público vemos que aparentemente no existe una correlación entre gasto sanitario y mortalidad ajustada por población con COVID-19. Al menos hasta el momento, ya veremos cuando tengamos la foto al final de la crisis. Tampoco parece determinante el mayor peso de lo público, ni el grado de centralización del sistema sanitario. Por tanto, lo que parece evidente es que el problema no está en el cuánto, sino en el cómo, lo que enlaza con la segunda reflexión. Es decir, cómo se gasta y las decisiones que se toman y cómo se utiliza la información y la tecnología disponible. Ni siquiera sirve utilizar los datos en gasto en prevención y salud pública, tal como muestra la Figura 1, en donde países con mayor gasto van a tener un comportamiento peor que otros muchos con un esfuerzo menor.

Desde mi punto de vista, lo que queda claro es que el 2,8% de gasto medio en prevención sobre el total de gasto sanitario se ha manifestado como claramente insuficiente. En este sentido, creo que es fundamental empezar a rediseñar la reconstrucción de nuestro sistema sanitario, ya que el foco sobre el COVID-19 está dejando de lado el resto de patologías y de necesidades asistenciales que se deberán retomar una vez se superen los momentos más álgidos de la pandemia. Si esto es cierto en términos generales, lo es mucho más en el caso de los pacientes con enfermedades raras, tal como queda patente en el barómetro newsRARE que presentamos en este número.

Mi previsión es que el esfuerzo en término de gasto debe ser alto, para poder superar la crisis sanitaria que se va a producir una vez la pandemia pase. Tendremos que hacer compatible la financiación del exceso de gasto realizado durante la pandemia, con el esfuerzo adicional que tendremos que realizar ineludiblemente para estar mejor preparados para la

FIGURA 1. GASTO EN PREVENCIÓN PER CÁPITA Y COMO PORCENTAJE DEL GASTO SANITARIO TOTAL EN 2015



Fuente: OCDE Health Statistics 2017

próxima y para poner al día nuestro sistema sanitario. Creo que se debe realizar una gestión que maximice los recursos a nivel nacional y que puedan reasignarse de forma eficiente los recursos existentes. En este sentido, creo que es esencial poner en el foco a las enfermedades raras, ya que debido a sus características (difícil diagnóstico, baja prevalencia, conocimiento escaso y disperso, alto coste y necesidad de alta coordinación) pueden pasar a un segundo plano; hecho que tendría repercusiones muy graves sobre los pacientes y sus familias. Del mismo modo, todos los esfuerzos en investigación destinados al COVID-19 pueden hacer que la inversión necesaria para tratar las enfermedades raras se retrase considerablemente.

Por otro lado, creo que es necesario una gestión muy delicada de los recursos humanos, en la que se compatibilice el reconocimiento social con el reconocimiento profesional. Del mismo modo, pienso que es necesario diferenciar los circuitos de los pacientes de COVID-19 del resto cuando la pandemia dé el suficiente respiro. Igualmente, considero que se debe seguir potenciando la compra directa de material sanitario y establecer nuevas formas de aprovisionamiento.

Creo que la principal enseñanza es la del valor de la prevención y la de la gestión de riesgos. En este sentido, parece esencial dotar de forma adecuada a los servicios de salud pública, disponer de planes de contingencia y reservas estratégicas de material sensible. En otras palabras, creo que es necesario un incremento del presupuesto dedicado a sanidad y especialmente a prevención. Del mismo modo, creo que hemos aprendido que la información debe circular de otra forma entre las diferentes comunidades autónomas y que debemos de integrar de forma decidida la digitalización, la telemedicina, el uso del big data y las nuevas tecnologías para poder gestionar de forma diferente la asistencia sanitaria. Creo que otro elemento esencial es rediseñar la colaboración público-privada, ya que ante un escenario como el que estamos viviendo la respuesta ha de ser coordinada por todo el sistema sanitario. Otro aspecto esencial es el de la humanización, en esta crisis se ha puesto de manifiesto la necesidad de contar con una asistencia sanitaria que integre la humanización como elemento clave. Por último, deberíamos replantear el Ministerio de Sanidad y dotarle de la estructura y de los profesionales necesarios para poder liderar y coordinar este tipo de situaciones.

Todos estos aspectos, puestos en valor durante la pandemia, son igualmente necesarios en la gestión y el abordaje de las enfermedades raras. El tema de la humanización es clave en el caso de la atención sanitaria de las personas con enfermedades raras, tal como bien señala Alexandra Ivanova en su artículo de este número y, como venimos poniendo de manifiesto desde newsRARE, con iniciativas como la divulgación del manual de buenas prácticas de humanización de la atención de pacientes con enfermedades raras de los servicios de farmacia, impulsado por el editor de newsRARE, José Luis Poveda. Del mismo modo, la coordinación entre centros hospitalarios y entre niveles asistenciales es imprescindible en el caso de las enfermedades raras. La digitalización y la telemedicina son herramientas que deben ponerse igualmente al servicio de los profesionales del Sistema Nacional de Salud y que permitirán una adecuada gestión de las enfermedades raras y sus pacientes, ya que en muchos casos los pacientes provienen de comunidades autónomas distintas de donde está ubicado el centro de referencia donde son atendidos.

Por último, quisiera reflexionar sobre el papel de los costes indirectos. Para ello, haré un cálculo aproximado con la información disponible hoy en día. Según las proyecciones promedio de los principales organismos económicos, la previsión de crecimiento del PIB de España para 2020 se situaba en +1,6% antes de la pandemia^{2,3,4,5}, muy lejos de las últimas proyecciones (de junio/julio de 2020), del -11,6%^{6,7,8,9}. En términos absolutos, el impacto del COVID-19 sobre el PIB español en 2020 se situaría en torno a 165 mil

millones de euros, y podría oscilar entre 156 mil y 179 mil millones de euros. En el acumulado 2020-2021, el impacto podría oscilar entre 251 mil y 310 mil millones de euros (promedio de 267.000 M€).

Si tenemos en cuenta que un informe del Imperial College de Londres cifra que el confinamiento ha supuesto que se evitaran 16.000 muertos en España en marzo, y asumiendo que esa cifra sea de 24.000 muertes evitadas más en abril y mayo, sabiendo que la edad media de los fallecidos es en torno a los 75 años y que la esperanza de vida ajustada por calidad en España según las estimaciones de Pérez et al (2016¹⁰) es de 8,5 años, el cálculo es una ganancia de 340.000 Años de Vida Ajustados por Calidad. Si medimos el importe de los costes indirectos únicamente por el promedio del impacto en la economía en 2021, 164.695 miles de millones de euros, y dividimos por el aumento de los años de vida obtenidos gracias al confinamiento, obtenemos que únicamente en términos de costes indirectos, sin contar el gasto sanitario, la ratio por AVAC ascendería a 484 millones de euros. Es evidente que el Análisis Coste Utilidad debe cuando menos replantearse después de esta crisis los umbrales no sirven cuando existen externalidades y lo relevante siempre, aunque muchos países, incluido España, sigan sin tenerlo en cuenta, es la perspectiva social que incluye costes y beneficios indirectos. Después de la crisis tendremos que replantear muchas cosas y entre ellas la evaluación económica aplicada a la sanidad. Esta reflexión es igualmente válida para los medicamentos huérfanos, donde deberíamos incluir la perspectiva social y plantear alternativas a los umbrales coste utilidad.

TABLA 2. ESTIMACIÓN DEL IMPACTO DEL COVID-19 SOBRE EL PIB DE ESPAÑA, 2020-2021

Indicador / año	ESTIMACIONES PRE COVID-19 (%)		ESTIMACIONES POST COVID-19		VARIACIÓN ESTIMADA				IMPACTO ACUMULADO (M€)
	2020	2021	2020	2021	(%)		M€		
Banco de España	1,7	1,6	-11,6	9,1	-13,3	7,5	-165.629	-85.714	-251.343
FMI	1,6	1,6	-12,8	6,3	-14,4	4,7	-179.328	-131.158	-310.486
OCDE	1,6	1,6	-11,1	7,5	-12,7	5,9	-158.157	-95.369	-253.526
Comisión Europea	1,6	1,5	-10,9	7,1	-12,5	5,6	-155.666	-95.864	-251.531
<i>Promedio</i>	1,6	1,6	-11,6	7,5	-13,2	5,9	-164.695	-102.026	-266.721
<i>Min</i>	1,6	1,5	-10,9	6,3	-12,5	7,5	-155.666	-85.714	-251.343
<i>Max</i>	1,7	1,6	-12,8	9,1	-14,4	4,7	-179.328	-131.158	-310.486

Fuente: Elaboración propia a partir de las estimaciones de Banco de España (2019¹, 2020⁶), FMI (2020^{5,1}), OCDE (2019³, 2020⁷) y Comisión Europea (2019⁴, 2020⁸). PIB de 2019 (1.245.331M€), datos ajustados por estacionalidad y calendario. PIB a precios de mercado y sus componentes. Precios corrientes (INE)




1. Fondo Monetario Internacional. Actualización de las perspectivas de la economía mundial, enero de 2020: ¿Tenue estabilización, lenta recuperación? 2020.
2. Council of the European Union. European Council conclusions, 17-21 July 2020. [accedido 21 julio 2020]. Disponible en: <http://www.consilium.europa.eu/en/press/press-releases/2020/07/21/european-council-conclusions-17-21-july-2020/>.
3. Banco de España. Proyecciones macroeconómicas de la economía española (2019-2022): contribución del Banco de España al ejercicio conjunto de proyecciones del Eurosistema de diciembre de 2019. 2019.
4. OECD. OECD Economic Outlook, Volume 2019 Issue 2. OECD ILibrary. [accedido 20 julio 2020]. Disponible en: https://read.oecd-ilibrary.org/economics/oecd-economic-outlook-volume-2019-issue-2_9b89401b-en.
5. European Commission. Winter 2020 Economic Forecast: Offsetting forces confirm subdued growth. European Commission - European Commission. [accedido 20 julio 2020]. Disponible en: https://ec.europa.eu/info/business-economy-euro/economic-performance-and-forecasts/economic-forecasts/winter-2020-economic-forecast-offsetting-forces-confirm-subdued-growth_en.
6. Fondo Monetario Internacional. Actualización de las perspectivas de la economía mundial, junio de 2020: una crisis como ninguna otra, una recuperación incierta. 2020
7. Banco de España. Proyecciones Macroeconómicas de la economía española (2020-2022): Contribución del Banco de España al Ejercicio conjunto de Proyecciones del Eurosistema de junio. 2020.
8. OECD. Economic Outlook online database, Statistical Annex, June 2020. [accedido 20 julio 2020]. Disponible en: <http://www.oecd.org/economy/outlook/statistical-annex/>.
9. European Commission. Economic forecast for Spain, June 2020. European Commission - European Commission. [accedido 20 julio 2020]. Disponible en: https://ec.europa.eu/info/business-economy-euro/economic-performance-and-forecasts/economic-performance-country/spain/economic-forecast-spain_en.
10. Pérez, Jorge & Sánchez, Fernando & Abellan-Perpiñan, Jose. (2016). Esperanza de Vida Ajustada por la Calidad en España: una aproximación. Revista de Evaluación de Programas y Políticas Públicas. 1. 28. 10.5944/reppp.6.2016.15348.



LAS ENFERMEDADES RARAS EN TIEMPOS DEL COVID-19: IMPACTO Y PERSPECTIVAS DE FUTURO

FERNANDO ABDALLA, NÉBOA ZOZAYA

Departamento de Economía de la Salud, Weber



La actual pandemia del COVID-19 tendrá un impacto sin precedentes en la historia reciente sobre la economía y la sociedad, haciendo que tengamos que replantearnos nuestra forma de vivir, relacionarnos, trabajar y articular nuestro sistema sanitario.

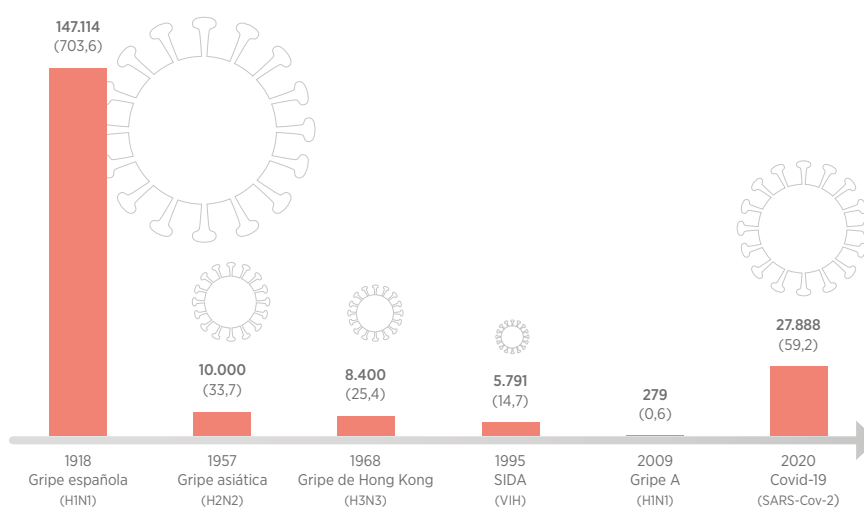
Este artículo pretende repasar los distintos ámbitos en los que las personas con enfermedades raras (EERR) pueden verse afectadas por esta crisis global, y reflexionar sobre las medidas que podrían llevarse a cabo para paliar la situación en el corto y medio plazo.

EL CONTEXTO DE LA PANDEMIA

La pandemia causada por el COVID-19 es de una dimensión sin precedentes desde la Gripe Española de 1918, que causó más de 50 millones de defunciones en todo el mundo, de las cuales más de 165.000 (la mayoría en el primer año), se produjeron en España (Figura 1)¹.

En los seis primeros meses de 2020, el coronavirus se ha extendido rápidamente por todo el mundo, contabilizándose a día de hoy más de 11 millones de casos y 520.000 muertes en todo el mundo. En España, se han notificado más de 297.000 contagios

FIGURA 1. LAS GRANDES PANDEMIAS DE LA HISTORIA (MORTALIDAD EN ESPAÑA, 1918-2020)



Notas: La figura recoge el número de muertes en España por cada enfermedad en el primer año del surgimiento del brote y, entre paréntesis, la tasa de mortalidad por cada 100.000 habitantes. Para el VIH se considera el año con mayor número de muertes observadas. No figuran las tres pandemias mundiales que no han producido muertes en España: SARS (2002); Síndrome Respiratorio de Oriente Medio (2012); Enfermedad por el virus del Ébola (2014).

Fuente: elaboración propia a partir de Hays (2005)¹, Valenzuela (2016)⁴, INE (2019)³, OMS (2020)², Mediavilla (2020)⁵, Cervera (2020)⁶, Ordiz (2020)⁷

y 28.000 muertes², tantas como las causadas anualmente por neumonía, asma y enfermedades crónicas de las vías respiratorias juntas³.

La virulencia, letalidad y propagación del virus ocasionaron una rápida saturación del sistema sanitario en muchas regiones y países, obligando a imponer medidas especiales destinadas a la prevención de la transmisión, el aseguramiento de infraestructura y personal sanitario, la provisión de servicios y la financiación de ciertas actividades⁸. Asimismo, muchos países, entre ellos España, decretaron la obligación de aislamiento social como forma de luchar contra el virus. Se estima que, en ausencia del decreto del estado de alarma y del confinamiento total, el número de casos confirmados en la España peninsular hubiera aumentado de 126 a 617 mil casos a fecha de 4 de abril de 2020. Con dicha

medida, por tanto, se han evitado alrededor de 491 mil infecciones (casi un 80%)⁹ y 450 mil muertes (un 95%)^{9,10}. Igualmente, se estima que medidas similares han evitado un total de 2,6 millones de muertes en otros 10 países de Europa,

a fecha 4 de mayo (un 96%)¹⁰. La presión asistencial en los hospitales y en el sistema sanitario se ha multiplicado, forzando una reasignación de recursos hacia el tratamiento de pacientes infectados por el coronavirus. Durante el pico de la pandemia (mes de marzo), al menos un 40% de todas las camas UCI disponibles en España estaban ocupadas por personas contagiadas por el COVID-19, y en las comunidades más afectadas, esta proporción había superado el 100%¹¹, obligando a incrementar la capacidad asistencial con recursos adicionales.

Como consecuencia, los servicios considerados no esenciales han sido cancelados o reprogramados. Por ejemplo, se han observado caídas de un 85% en los trasplantes de órganos realizados, y de un 57% en la actividad de angioplastias (Figura 2)^{12,13}.

Algunos grupos de la población son especialmente vulnerables a los cuadros clínicos causados por este virus, como pueden ser las personas mayores, las que padecen patologías crónicas (diabetes,

FIGURA 2. EJEMPLOS DE EFECTOS DE LA PANDEMIA SOBRE EL SISTEMA SANITARIO

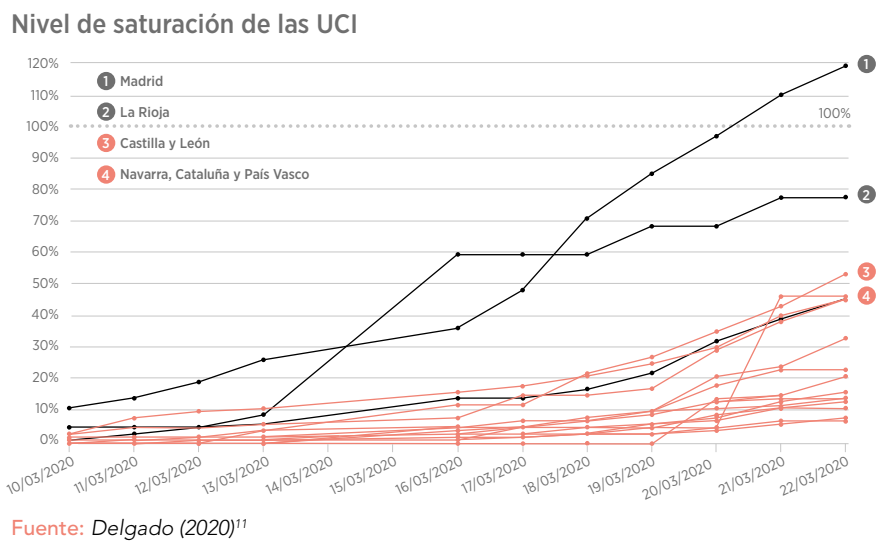
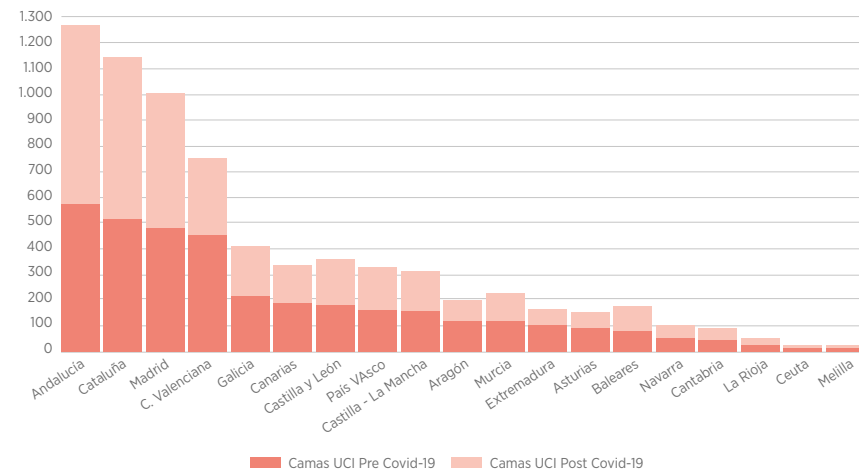
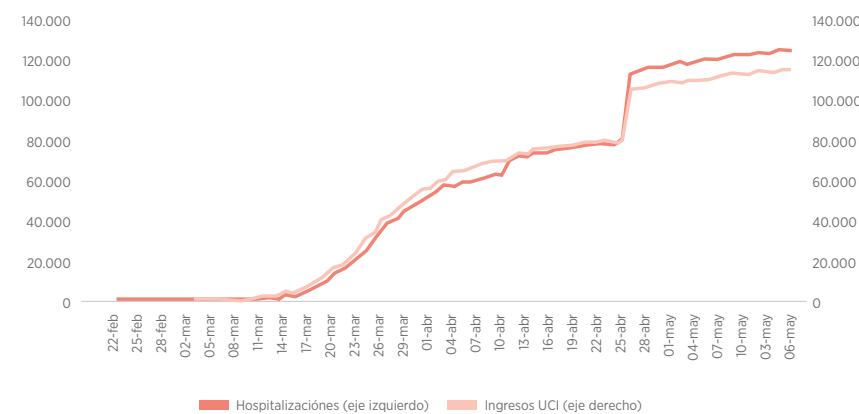


FIGURA 2. EJEMPLOS DE EFECTOS DE LA PANDEMIA SOBRE EL SISTEMA SANITARIO

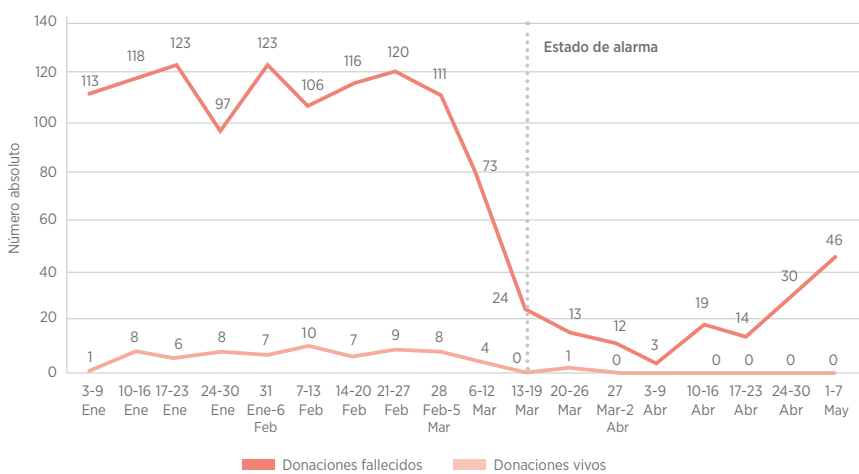
Necesidad de aumento de capacidad (camas UCI)



Hospitalizaciones e ingresos UCI por COVID-19 (acumulados)



Actividad de trasplante de órganos



Fuentes: Delgado (2020)¹⁴, Organización Nacional de Trasplantes (2020)¹³, Ministerio de Sanidad (2020)¹⁵

enfermedades respiratorias y cardiovasculares), los pacientes inmunocomprometidos (SIDA, lupus, esclerosis múltiple) y las personas con ciertos tipos de cáncer.

De manera general, los pacientes con enfermedades raras también son considerados un grupo de riesgo en lo que concierne el desarrollo de síntomas severos causados por la infección por coronavirus. Dentro del colectivo de personas con enfermedades raras, el mayor riesgo de infección y de desarrollo de consecuencias clínicas graves se encuentra en aquellas con algún tipo de enfermedad pulmonar y errores innatos del metabolismo¹⁶.

UN IMPACTO ECONÓMICO SIN PRECEDENTES EN LA HISTORIA RECIENTE

Nos encontramos ante un escenario inédito, en el que la pandemia del COVID-19 está teniendo y tendrá un impacto económico sin precedentes en la historia reciente a nivel nacional y mundial. Solo en el primer trimestre del año 2020, el PIB de la economía española se redujo en un 5,2%, y para todo el año 2020 se estima una reducción de entre el 6% y 14%¹⁷. Por poner en contexto, en los últimos cien años, solo se produjeron caídas mayores al 5% del PIB nacional en los años 1921 (-7,9%) y 1936 (-18,8%)¹⁸, y la caída acumulada del PIB español durante los 5 años de crisis económica (2008-2013) fue del -8%. A nivel mundial, se espera una caída de entre el 3% y 6% del PIB¹⁹, y algunos análisis prevén que hasta finales de 2022 no se recuperarán los niveles económicos anteriores a la pandemia²⁰.

Igualmente, variables intermedias, como la demanda de electricidad, el gasto familiar, el número de tran-

sacciones con tarjeta de crédito o la cotización del IBEX-35 han mostrado señales tempranas de la dimensión del parón económico producido, con reducciones de entre el 35% y 60% en las 6 semanas posteriores al inicio del confinamiento (Figura 3)²¹.

El parón económico ha tenido a su vez un impacto sin parangón a nivel laboral. En España, entre marzo y mayo se produjeron casi 3,5 millones de expedientes de regulación temporal de empleo, y el paro aumentó en 615.000 personas, a los que hay que sumar los 1,5 millones de autónomos con una reducción muy sustancial de sus ingresos^{22,24}.

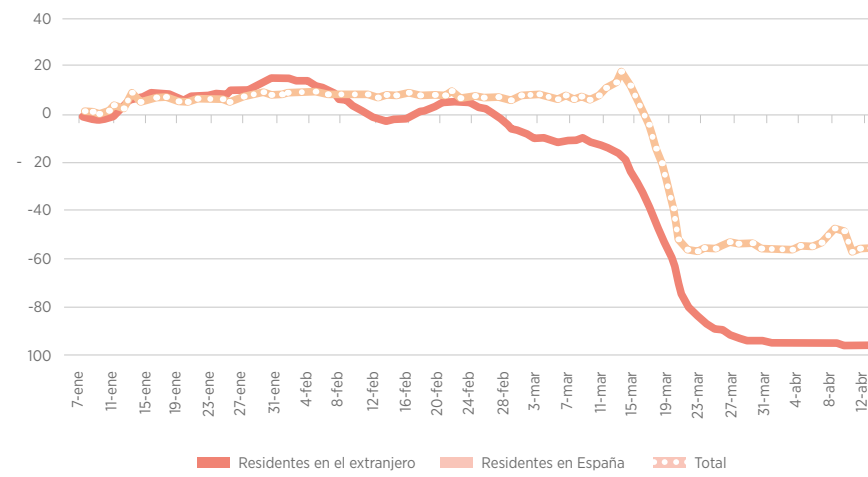
Por su parte, el barómetro del Centro de Investigaciones Sociológicas de abril de 2020 confirmaba la percepción de la sociedad acerca de estos pronósticos. Un 80% de las 3.000 personas encuestadas estaba de acuerdo con que las consecuencias económicas y laborales derivadas del COVID-19 serán muy graves, y casi la totalidad se mostraba bastante o muy preocupada con esta situación²⁵.

EL EFECTO DE LA CRISIS SANITARIA Y SOCIAL SOBRE LAS PERSONAS CON ENFERMEDADES RARAS

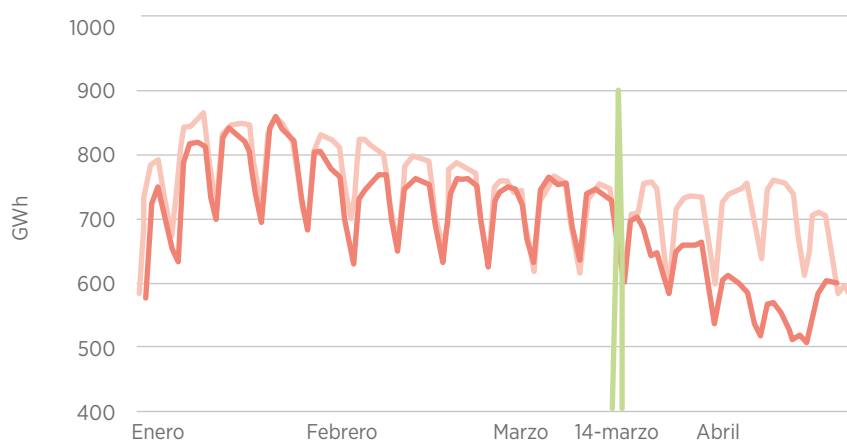
El impacto del coronavirus sobre el sistema sanitario y social previsiblemente aumentará la vulnerabilidad de las personas con EERR, que requieren cuidados específicos y a medida²⁶. A continuación, detallamos los principales ámbitos en los que podrían verse afectadas las personas que padecen este tipo de enfermedades poco frecuentes, y que abarcan desde la atención sociosanitaria a los aspectos relacionados con la vida laboral y cotidiana, así como a la investigación en medicamentos huérfanos (MMHH) (Figura 4).

FIGURA 3. EJEMPLOS DEL IMPACTO DEL COVID-19 SOBRE LA ECONOMÍA Y LA ACTIVIDAD

Gasto de los consumidores, por tipo de residencia (variación interanual, media móvil de 7 días)



Demanda de electricidad (consumo diario)



Fuente: Felgueroso (2020)²¹

Aspectos relacionados con la capacidad de la atención y los cuidados sanitarios

El rápido y sustancial incremento en el número de pacientes que requieren cuidados médicos relacionados con el COVID-19 ha obligado al sistema sanitario a centrarse en la contención y manejo de la pandemia, priorizando recursos humanos, materiales e infraestructuras para su uso, en detrimento de necesidades sanitarias menos urgentes. Así, la

mayor parte de las visitas médicas, hospitalizaciones y pruebas diagnósticas programadas han sido pospuestas o canceladas, al menos a corto plazo. Evidentemente, la atención que requiriera el traslado a otra región geográfica se ha visto particularmente afectada.

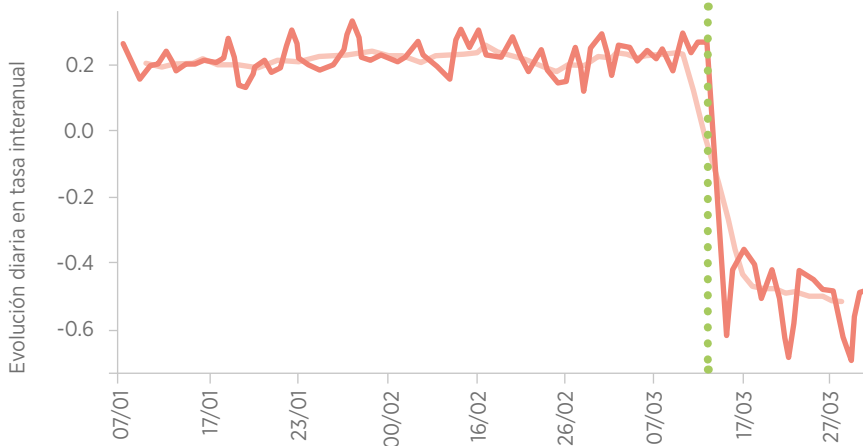
Las personas con enfermedades raras también han sido testigo de esta repentina dificultad de acceso a los servicios sanitarios. Desde el

FIGURA 3. EJEMPLOS DEL IMPACTO DEL COVID-19 SOBRE LA ECONOMÍA Y LA ACTIVIDAD

Cotización del Ibex-35



Número de transacciones diarias con tarjeta de crédito



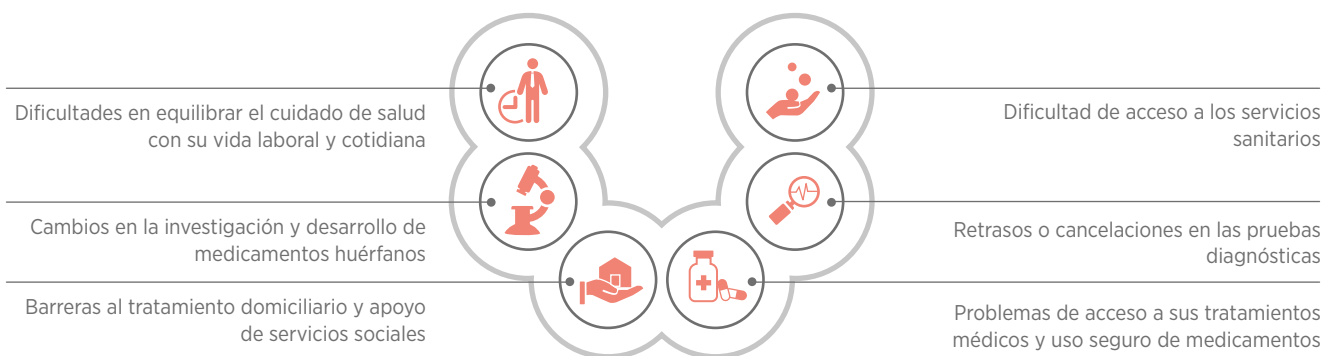
Fuentes: Ministerio del Trabajo y Economía Social (2020)²², Carvalho (2020)²³

inicio del brote, un 90% de las más de 5.000 personas con EERR encuestadas en el barómetro de EURORDIS de mayo de 2020 habían reportado alguna interrupción en la atención que recibían, y un tercio tenía la percepción de que esto suponía un riesgo para su supervivencia²⁷.

En concreto, un 70% sufrió restricciones a consultas médicas y a su tratamiento habitual, y más de la mitad experimentó anulaciones o aumentos en los tiempos de espera para la realización de intervenciones quirúrgicas (vitales para algunas enfermedades). Un tercio de los pacientes ha vivido dificultades añadidas, debido al cierre total de su unidad de tratamiento habitual²⁷. Adicionalmente, debido a la ausencia de protocolos para el cuidado de personas con enfermedades raras que padecen los síntomas del COVID-19, estos pacientes se han enfrentado a problemas de discriminación o de no priorización en el acceso al tratamiento²⁶.

Por su parte, un 60% de los pacientes con EERR han reportado demoras o cancelaciones en las pruebas diagnósticas, lo que acentúa el ya de por sí grave problema de retraso diagnóstico de la enfermedad²⁷. De hecho, se estima que, en promedio, el diagnóstico de una enfermedad rara suele durar 5 años, debido a

FIGURA 4. ¿CÓMO AFECTA EL COVID-19 A LAS PERSONAS CON ENFERMEDADES RARAS?





Designed by Kpangeter / Freepik

la falta de conocimiento sobre la enfermedad y a la ausencia de criterios estándares²⁸.

Otra de las áreas más afectadas ha sido el acceso al tratamiento, ya que el foco en el COVID-19 ha generado dificultades logísticas y de reorganización de los recursos existentes²⁶. Más de la mitad de los pacientes con enfermedades raras a nivel europeo ha experimentado problemas de acceso a sus tratamientos médicos, tales como infusiones, quimioterapia o tratamientos hormonales, entre otros²⁷. Además, al menos un tercio de los pacientes con enfermedades raras ha recibido indicaciones explícitas de no acudir a centros sanitarios u hospitales en el caso de agravamiento de los síntomas asociados a su enfermedad, y más de la mitad ha decidido no hacerlo en aras de evitar el contagio por COVID-19. Esto aumenta el riesgo de automedicación y abandono del tratamiento habitual²⁶.

Por su parte, se estima que dos tercios de los pacientes con enfermedades raras han sufrido interrupciones en sus tratamientos psiquiátricos o psicológicos²⁷, a lo que se une el propio impacto psicológico que supone de por sí el confinamiento.

Finalmente, debido a las características específicas de diversas enfermedades raras, el cuidado de los pacientes que las padecen debe ser realizado de manera holística e



interdisciplinar, incluyendo la necesidad de apoyo por parte de los servicios sociales²⁶. En Europa, casi un 60% de los pacientes ha reportado la imposibilidad de recibir tratamiento domiciliario. Los centros de rehabilitación, fisioterapia, servicios de relevo o guardería se han visto obligados a un cierre total o parcial, situación que afectó a aproximadamente 8 de cada 10 pacientes²⁷.

Aspectos relacionados con la investigación en medicamentos huérfanos

La situación generada por el coronavirus ha supuesto además cambios importantes en el ámbito de la investigación, al desplazarse rápidamente el foco hacia la búsqueda de tratamientos efectivos contra el virus, así como una vacuna que prevenga la enfermedad. Así, en pocos meses se han puesto en marcha más de 600 ensayos clínicos para el desarrollo de tratamientos y vacunas para el COVID-19^{29,30}. Esta situación puede generar la reasignación de personal investigador y fondos dedicados a otras actividades, llegando a retrasar e incluso paralizar ensayos ya en marcha.

En este sentido, la priorización de las actividades de investigación hacia el COVID-19 puede afectar a las enfermedades raras, ya que, hasta el surgimiento del nuevo coronavirus, estaban en fase de desarrollo más de 700 medicamentos huérfanos. El 95% de las enfermedades raras carece de tratamientos efectivos, y aunque el número de nuevos fármacos introducidos en los últimos años haya aumentado significativamente, sigue habiendo una gran necesidad de desarrollo de nuevas terapias³¹. Está por ver si el impacto en I+D se producirá solo a corto plazo, o si se verá afectada la investigación a medio y largo plazo.

FIGURA 5. IMPACTO DEL COVID-19 EN LAS PERSONAS CON ENFERMEDADES RARAS EN EUROPA

PREGUNTA	%	
Experimentaron interrupciones en la atención recibida o en el cuidado de su enfermedad rara	90	
Consideran que estas interrupciones deterioran su estado de salud	60	
Consideran que estas interrupciones ponen en riesgo su supervivencia	30	
Se han cancelado o postergado sus cirugías	>50	
Se han anulado o postergado sus citas para terapias de rehabilitación (física o del habla)	80	
Su hospital o unidad de cuidado habitual ha tenido que cerrar durante el periodo de la crisis	30	
Ha utilizado el sistema de teleconsultas	50	
Reportaron ser la primera vez que utilizaron el sistema de teleconsultas	20	
Consideraron su experiencia con la teleconsulta como de gran ayuda	90	
Han sufrido restricciones de acceso a sus tratamientos médicos (como infusiones, quimioterapia y tratamiento hormonal)	60	
Han sufrido restricciones de acceso a pruebas diagnósticas	>60	
Se anularon sus consultas con médicos de atención primaria o especializada	70	
Experimentaron interrupciones en su seguimiento psiquiátrico/psicológico habitual	60	
Reportaron que el material y equipamiento médico necesario para su tratamiento no estaba disponible (utilizado para el tratamiento del Covid-19)	>10	
Han sido explícitamente orientados para no acudir al hospital en caso de enfermedades no relacionadas al COVID-19	>30	
Declararon no haber acudido al hospital, por miedo a contraer la infección por COVID-19	50	

Fuente: EURORDIS (2020)²⁷

Aspectos relacionados con la vida laboral y cotidiana

Además de las dificultades de acceso a los servicios sociosanitarios, así como la repercusión en las actividades de investigación y desarrollo, el COVID-19 está teniendo un impacto en el día a día de las personas con enfermedades raras. Este colectivo ya se enfrenta con frecuencia a situaciones de dificultad a la hora de equilibrar el cuidado de su salud con las actividades relacionadas con su vida cotidiana.

En general, más del 70% de las familias considera que los costes relacionados con el manejo de la enfermedad son muy elevados (en general, suponen un 20% de los presupuestos familiares), en una situación en la que un 65% de las personas con EERR se encuentra en situación de desempleo, y un 70% de sus cuidadores ha tenido que adaptar sus circunstancias laborales a las necesidades del paciente³².

Por su parte, un 80% de las personas con enfermedades raras perci-

ben un deterioro en los aspectos relacionados con su vida cotidiana y, para más de la mitad, la enfermedad rara aumenta el distanciamiento de sus amigos y familia, y genera tensiones entre miembros de su entorno familiar³³. Todas estas situaciones pueden verse agravadas en el escenario de crisis económica generada por el COVID-19²⁶.

MEDIDAS PARA PALIAR LA SITUACIÓN

En aras de hacer frente a la pandemia y a sus devastadores conse-

cuencias, las distintas administraciones han llevado a cabo medidas de todo tipo, muchas de las cuales redundarán también en las personas con enfermedades raras, si bien hay otras posibles acciones que también podría ser deseable abordar. A continuación, se hace un repaso de algunas de ellas que también sería deseable abordar.

Medidas para incrementar la capacidad de la atención y los cuidados sanitarios

Uno de los principales grupos de medidas para paliar esta crisis, y reconocido como fundamental en las necesidades de las personas con enfermedades raras, ha sido el de incrementar la capacidad sociosanitaria, con el objetivo de disminuir las restricciones de acceso ocasionadas por el COVID-19.

Uno de estos pilares está relacionado con la **logística e infraestructura del sistema**. A nivel general, se han implementado medidas para incrementar la capacidad sanitaria y garantizar el suministro de medicamentos y materiales sanitarios, tales como la duplicación del número de camas UCI disponibles, la distribución masiva de equipos de protección individual (40 millones de mascarillas, más de 20 millones de guantes, y casi 2 millones de ventiladores mecánicos), reducciones del IVA a 0% para la compra de productos sanitarios por parte de los hospitales y las ONG, la reconversión de diversas industrias para la producción de materiales sanitarios, la implementación de hospitales de campaña, la centralización y la monitorización diaria de la necesidad de medicación y la flexibilización de procedimientos (a nivel europeo y nacional), con el objetivo de facilitar el transporte de productos sanitarios³⁴⁻³⁶.

Además, se han hecho grandes esfuerzos para cubrir el aumento exponencial de necesidad de **recursos humanos**. En España, se han autorizado contrataciones de médicos de distintas partes del mundo, así como la utilización de recursos todavía no incorporados o que ya se encontraban fuera del sistema. Asimismo, se han realizado diversos tipos de esfuerzos de reorganización y redistribución, como la transferencia intra-comunitaria de profesionales y el empleo de profesionales de distintas especialidades en cuidados intensivos o de urgencia³⁴.

Todos estos esfuerzos son parte del conjunto de recomendaciones realizadas por EURORDIS para paliar la situación de las personas con enfermedades raras, aunque además proponen otras medidas, tales como el reconocimiento de los cuidadores como expertos en la enfermedad, permitiendo que acompañen a los pacientes en la UCI, el aseguramiento de servicios esenciales a las necesidades de estas personas (diagnóstico, asistencia social), así como la potenciación del uso de la teleconsulta y la atención a domicilio.

Medidas para garantizar avances en el desarrollo de nuevos tratamientos

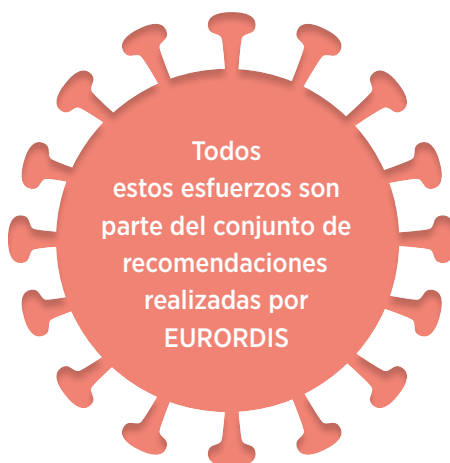
En el ámbito de la investigación, los esfuerzos se deben centrar en ase-

gurar la continuidad de los ensayos, especialmente en enfermedades raras, donde el número de pacientes reclutados puede ser menor, con una mayor dispersión geográfica. Destacan las medidas excepcionales de flexibilización aplicadas a los **ensayos clínicos** para gestionar los problemas derivados de la emergencia por COVID-19³⁷. Entre ellas, se encuentra la reconversión de visitas presenciales de pacientes participantes en visitas telefónicas, cuando era posible. Además, para garantizar la continuidad en el uso de medicación, se dispensaron mayores cantidades de medicamentos por cada visita, con la posibilidad de envío de fármacos a domicilio, y el suministro de terapias alternativas en caso de interrupciones de los ensayos por falta de medicamentos.

Asimismo, se flexibilizaron otros aspectos, posibilitando la realización de análisis clínicos en laboratorios alternativos a los propuestos en protocolo, permitiendo el traslado de los pacientes entre diferentes centros asignados, autorizando la obtención del consentimiento informado de manera no presencial, y disminuyendo la necesidad de ciertas aprobaciones en relación a cambios de protocolo.

Medidas para mitigar el impacto socio-económico

Como hemos señalado, el impacto económico de esta crisis será de proporciones alarmantes, afectando a las economías de todos los países, con un impacto directo en las familias e individuos, sobre todo los más vulnerables. Entre las principales medidas para paliar estos efectos destaca la creación de diversos fondos de **financiación**, como el fondo europeo de recons-



ASPECTOS POSITIVOS REVELADOS POR EL COVID-19

Sin duda, de las crisis también se pueden aprender lecciones positivas, a través del entendimiento de los aciertos y de la identificación de oportunidades de mejora de cara al futuro. Entre los aspectos positivos revelados por esta crisis, y reconocidos por los pacientes con enfermedades raras como fundamentales durante este periodo, destacan la labor de los profesionales sanitarios, la disciplina y cohesión social observada en las personas en todo el país, el gran apoyo del tejido asociativo y el mayor uso de la tecnología.

Los profesionales sanitarios han estado en la primera línea, demostrando un espíritu altamente colaborativo, altruista y versátil, con gran responsabilidad y capacidad de trabajo colaborativo. Adicionalmente, se ha de reconocer el gran esfuerzo de coordinación exigido por la necesidad de implementación de medidas altamente complejas y costosas en un corto espacio de tiempo, que han permitido contar con una infraestructura mejorada. Una lección que quedará en el sistema sanitario es la elaboración rápida de protocolos y la agilización de procedimientos, que permitirán una mejor adaptación a una posible futura pandemia. A esto se suma la mayor concienciación ciudadana y política hacia la salud, la sanidad y la ciencia, lo que puede redundar indirectamente en las personas con EERR.

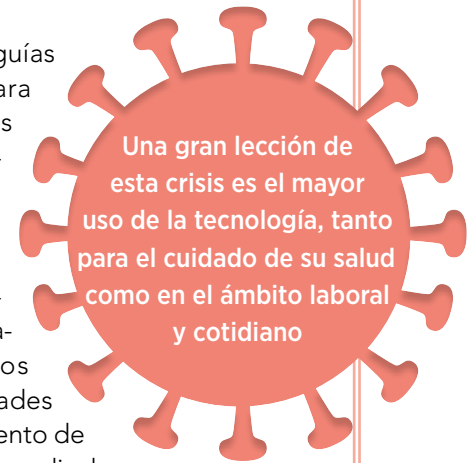
Igualmente, la disciplina y cohesión social han sido fundamentales para salvar miles de vidas, especialmente en los colectivos con mayor riesgo de muerte en caso de infección por la enfermedad, como son las personas con enfermedades raras⁹. Las asociaciones de pacientes se han posicionado históricamente como referentes a la hora de prestar servicios especializados a estas personas con EERR, aportando información, orientación y apoyo, entre otros. Durante este periodo de crisis, el tejido asociativo ha sido fundamental para estos pacientes a distintos niveles, con un apoyo online las 24 horas del

día, la elaboración de guías y recomendaciones para profesionales, pacientes y cuidadores, la contribución con datos clínicos para el avance de investigaciones, la realización de publicaciones científicas, la organización de seminarios online sobre enfermedades específicas, y el lanzamiento de encuestas para identificar y divulgar la experiencia vivida por los pacientes^{26,39-41}.

Esta experiencia ha empoderado a muchas organizaciones, y ha posibilitado el contacto con un mayor número de pacientes, lo que perdurará en el futuro.

Otra gran lección de esta crisis es el mayor uso de la tecnología, tanto para el cuidado de su salud como en el ámbito laboral y cotidiano, que perdurará más allá de la época de pandemia. Al igual que para el conjunto de la población, la telemedicina, el teletrabajo y la compra online han aumentado de manera natural durante la pandemia, destacándose como un factor de creciente apoyo. Durante estos meses, la mitad de los pacientes con EERR declara haber recibido cuidados a través de teleconsultas (un 20% por primera vez en su vida). Nueve de cada 10 personas que hicieron uso de esta forma alternativa de atención reconocen que les ha ayudado mucho durante este periodo de restricciones sanitarias²⁷.

Finalmente, en el ámbito de la investigación, el confinamiento ha obligado a modificar o flexibilizar la recogida de información de algunos ensayos en marcha, revelando la posibilidad de utilizar indicadores reportados por los pacientes que pueden ser más adecuados para medir el impacto real del tratamiento en su calidad de vida relacionada con su salud.

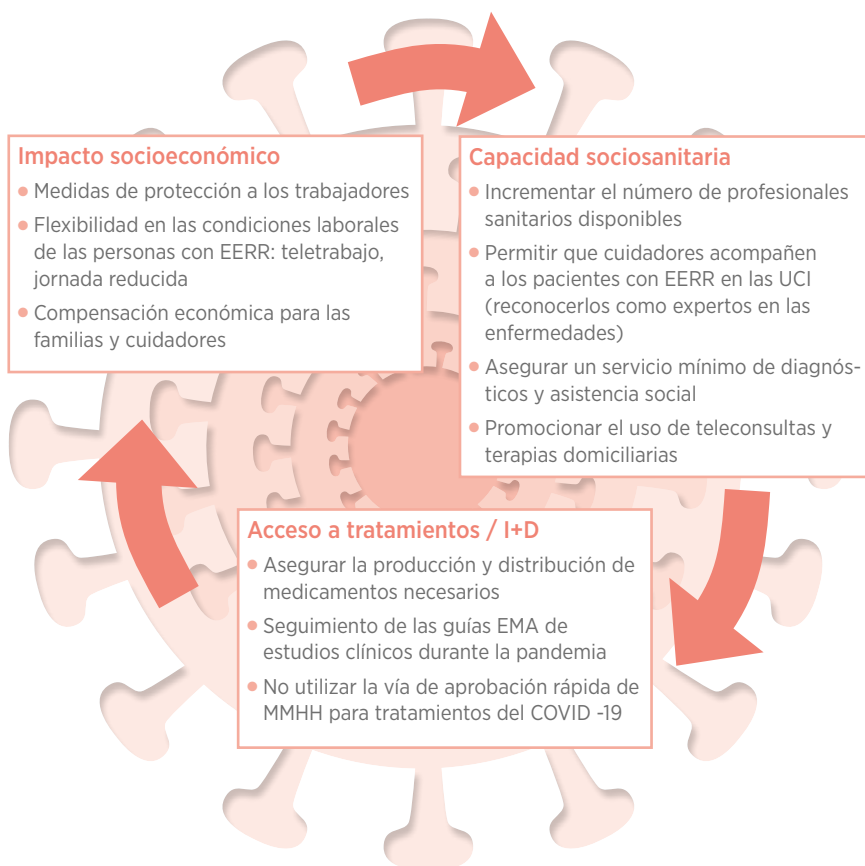


trucción propuesto, dotado con 500.000 millones de euros en forma de subvenciones no reembolsables para la reactivación de la economía

tras la crisis del coronavirus³⁸, que se une a los 540.000 millones de euros en préstamos aprobado por la UE, la flexibilización del marco de

ayudas de estado y la liquidez aportada por el Banco Central Europeo. En España, el impacto de las medidas para combatir el COVID-19 se

FIGURA 6. MEDIDAS PARA PALIAR LA SITUACIÓN DE LA CRISIS POR EL COVID-19 EN LAS PERSONAS CON ENFERMEDADES RARAS

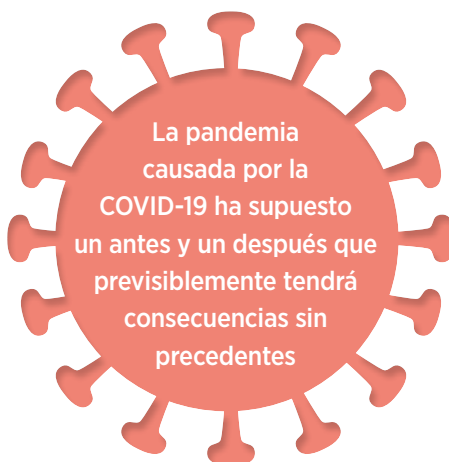


Fuente: EURORDIS (2020)²⁷

cifra en 139.000 millones de euros, teniendo en cuenta los gastos, las medidas de liquidez y la minoración de ingresos.

Se han implementado diversas medidas para reducir el impacto sobre los **ingresos** y los **empleos** de las familias, tales como la creación de los Expedientes de Regulación Temporal de Empleo, el acceso a seguros de desempleo para personas que no lo recibirían en situaciones normales (como los autónomos) o la renta mínima

vital³⁴. Además, la posibilidad de flexibilización de las jornadas de los trabajadores y el fomento del teletrabajo favorecerán una amortiguación del impacto económico de la pandemia, al tiempo que reducirán el ritmo de contagios.



PERSPECTIVAS DE FUTURO

La pandemia causada por el COVID-19 ha supuesto un antes y un después que previsiblemente tendrá consecuencias sin precedentes en la historia reciente en términos no solo económicos sino también sanitarios, sociales, políticos y culturales. Ni el COVID-19 se erradicará en unos pocos meses ni la actividad económica recuperará su nivel habitual a corto plazo, incluso aunque se apruebe una vacuna en 2021. Muy probablemente, los cambios que ha forzado en la forma de relacionarnos, trabajar, planificar recursos y comportarnos serán la nueva realidad, y tendremos que adaptarnos o reinventarnos para subsistir.

El colectivo de personas con enfermedades raras, especialmente vulnerable y con mayor necesidad de atención sociosanitaria y de investigación, se ha visto más afectado que la población general por la pandemia. La continuidad del desarrollo de medicamentos huérfanos es de extrema importancia en la vida de estas personas, así como las medidas para reducir el fuerte impacto socio-económico de esta crisis.

Las lecciones de esta crisis servirán para que el sistema sanitario y la población estén mejor preparados para afrontar situaciones similares en el futuro. El esfuerzo de reconstrucción debe ser alto, y enfocado en el fortalecimiento de la prevención, el uso decidido de las nuevas tecnologías, un rediseño de los sistemas de colaboración público-privada y la humanización de la atención sanitaria⁴².



1. Hays JN. Epidemics and Pandemics: Their Impacts on Human History. ABC-CLIO; 2005.
2. World Health Organization. COVID-19 - Situation report 164. 2020.
3. Instituto Nacional de Estadística. Defunciones por causas: neumonía, asma, enfermedades crónicas de las vías respiratorias, VIH (2000-2018). INE. [accedido 14 mayo 2020]. Disponible en: <https://www.ine.es/jaxiT3/Tabla.htm?t=7947>.
4. Valenzuela A. El año de nacimiento determina la resistencia a la gripe. El Independiente. [accedido 22 mayo 2020]. Disponible en: <https://www.elindependiente.com/futuro/2016/11/10/ano-nacimiento-determina-la-resistencia-la-gripe/>.
5. Mediavilla D. 1918, la otra gran epidemia que no nos tomamos en serio. EL PAÍS. [accedido 22 mayo 2020]. Disponible en: <https://elpais.com/ciencia/2020-03-21/1918-la-otra-gran-epidemia-que-no-nos-tomamos-en-serio.html>.
6. Cervera C. La olvidada Gripe Asiática de 1957 que puso a prueba el sistema sanitario mundial con un millón de muertos. ABC Historia. [accedido 22 mayo 2020]. Disponible en: https://www.abc.es/historia/abci-olvidada-gripe-asiatica-1957-puso-prueba-sistema-sanitario-mundial-millon-muertos-202003050111_noticia.html.
7. Ordiz E. ¿Cómo evolucionó y se combatió la gripe A en 2009? La última pandemia de la que se puede aprender para el coronavirus. 20 minutos. [accedido 22 mayo 2020]. Disponible en: <https://www.20minutos.es/noticia/4185150/0/como-enfrento-gripe-a-pasado-coronavirus/>.
8. World Health Organization. COVID-19 Health System Response Monitor. [accedido 29 abril 2020]. Disponible en: <https://www.covid19healthsystem.org/mainpage.aspx>.
9. Orea L, Álvarez IC. How effective has the Spanish lockdown been to battle COVID-19? A spatial analysis of the coronavirus propagation across provinces. FEDEA; 2020.
10. Flaxman S, Mishra S, Gandy A, Unwin HJT, Mellan TA, Coupland H, et al. Estimating the effects of non-pharmaceutical interventions on COVID-19 in Europe. Nature. 2020;1-8, doi: 10.1038/s41586-020-2405-7.
11. Delgado A. Incidencia de la COVID-19 en las camas UCI en España. Datadista. [accedido 5 mayo 2020]. Disponible en: <https://datadista.com/coronavirus/camas-uci/>.
12. Instituto Coordinadas de Gobernanza y Economía Aplicada. Alerta del riesgo de un nuevo colapso sanitario si no se reactiva de manera inmediata la actividad asistencial no COVID-19. [accedido 5 mayo 2020]. Disponible en: http://www.institutocoordenadas.com/es/analisis/alerta-riesgo-nuevo-colapso-sanitario-en-actividad-asistencial-no-COVID-19_20059_102.html.
13. Organización Nacional de Trasplantes. COVID-19: Impacto en la actividad de donación y trasplantes. [accedido 5 mayo 2020]. Disponible en: http://www.ont.es/infesp/Paginas/Impacto_tx.aspx.
14. Delgado A, Tudela A. Las CCAA deberán disponer de un mínimo de 7.065 camas UCI, el doble de las que tenían antes de la COVID-19. [accedido 7 mayo 2020]. Disponible en: <https://datadista.com/coronavirus/camas-uci-disponibles-desescalada/>.
15. Ministerio de Sanidad. Situación y evolución de la pandemia de COVID-19 en España. [accedido 18 mayo 2020]. Disponible en: <https://cnecovid.isciii.es/>.
16. Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER). Posicionamiento: ER y sin diagnóstico, especialmente vulnerables frente al coronavirus. [accedido 30 abril 2020]. Disponible en: <https://enfermedades-raras.org/index.php/slider-home/13794-posicionamiento-er-y-sin-diagnostico,-especialmente-vulnerables-frente-al-coronavirus>.
17. Banco de España. Escenarios macroeconómicos de referencia para la economía española tras la COVID-19. Artículo Analítico 02/2020; Boletín Económico; 2020.
18. Prados de la Escosura L. Spanish Economic Growth 1850-2015. Palgrave Studies in Economic History. Palgrave Mcmillan; 2017.
19. International Monetary Fund. COVID-19—Impact and Policy Considerations. Virtual Meeting: G-20 Finance Ministers and Central Bank Governors' Meetings; 2020.
20. McKinsey & Company. COVID-19: Briefing materials. Global health and crisis response. 2020.
21. Felgueroso F, de la Fuente A, Boscá JE, Doménech R, Ferri J, Rodríguez D. Aspectos económicos de la crisis de la COVID-19. Boletín de seguimiento no. 1. FEDEA; 2020.



22. Ministerio de Trabajo y Economía Social. Resumen datos estadísticos. Evolución mensual del paro 2019-2020. Servicio Público de Empleo Estatal (SEPE). [accedido 7 mayo 2020]. Disponible en: <https://www.sepe.es/HomeSepe/que-es-el-sepe/estadisticas/datos-avance/grafico-paro-registrado.html>
23. Carvalho VM, Garcia JR, Hansen S, Ortiz A. Tracking the COVID-19 Crisis with High-Resolution Transaction Data. BBVA Research Working Paper 20/06. 2020.
24. Felgueroso F, García Pérez JI, Jiménez S. Guía práctica para evaluar los efectos sobre el empleo de la crisis de la COVID-19 y el Plan de Choque Económico. FEDEA; 2020.
25. Centro de Investigaciones Sociológicas (CIS). Barómetro especial de abril de 2020. Avance de resultados. Estudio no 3279. 2020.
26. European Organisation for Rare Diseases (EURORDIS). Open letter to policy makers: Recommendations to protect people living with a rare disease during the COVID-19 pandemic. 2020. Disponible en: <https://www.eurordis.org/covid19openletter>
27. European Organisation for Rare Diseases (EURORDIS). Rare Barometer survey on COVID-19. 2020.
28. Global Commission. Ending the Diagnostic Odyssey for Children with a Rare Disease. Takeda, Microsoft, EURORDIS; 2018.
29. Infectious Disease Data Observatory (IDDO). Living systematic review COVID-19. [accedido 16 abril 2020]. Disponible en: <https://www.iddo.org/research-themes/COVID-19/live-systematic-clinical-trial-review>.
30. Food and Drug Administration. U.S: Department of Health and Human Services. FDA track: Office of Orphan Products Development (OOPD). FDA. [accedido 22 abril 2020]. Disponible en: <https://www.fda.gov/about-fda/fda-track-agency-wide-program-performance/fda-track-office-special-medical-programs-dashboard>.
31. López Rodríguez, Mónica. Avances en diagnóstico y terapia en enfermedades raras. Libro blanco de las enfermedades raras en España. Madrid: Fundación Gaspar Casal; 2018.
32. Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER). Observatorio sobre enfermedades raras. Situación laboral de las personas con enfermedades raras. 2018.
33. European Organisation for Rare Diseases (EURORDIS). Juggling care and daily life. The balancing act of the rare disease community. A Rare Barometer survey. 2017.
34. World Health Organization. Health system response monitor, Spain. 2020.
35. European Medicines Agency (EMA). EU authorities agree new measures to support availability of medicines used in the COVID-19 pandemic. 2020.
36. European Commission. Coronavirus: Commission presents practical guidance to ensure continuous flow of goods across EU via green lanes. 2020.
37. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Medidas excepcionales aplicables a los ensayos clínicos para gestionar los problemas derivados de la emergencia por COVID-19. 2020.
38. Alarcón N. Macron y Merkel proponen un fondo contra el covid de 500.000 millones. El Confidencial. [accedido 22 mayo 2020]. Disponible en: https://www.elconfidencial.com/economia/2020-05-18/macron-merkel-fondo-contra-covid-500-000-millones_2599724/.
39. Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER). Informe #vulnERables. 2020.
40. European Commission. What are the ERNs doing to help patients affected by rare diseases and COVID-19? 2020.
41. Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER). Iniciativas asociativas frente al COVID-19. [accedido 7 mayo 2020]. Disponible en: <https://enfermedades-raras.org/index.php/asociaciones-COVID-19>.
42. Hidalgo-Vega A. Impacto económico de COVID-19 sobre el Sistema Sanitario Español: reflexiones de urgencia. EDS. 2020, Disponible en: <https://economiadelasalud.com/opinion/tribunas/impacto-economico-de-COVID-19-sobre-el-sistema-sanitario-espanol-reflexiones-de-urgencia/>.

LOS EFECTOS DEL COVID-19 EN LOS PACIENTES CON ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA

Consejo de redacción de newsRARE

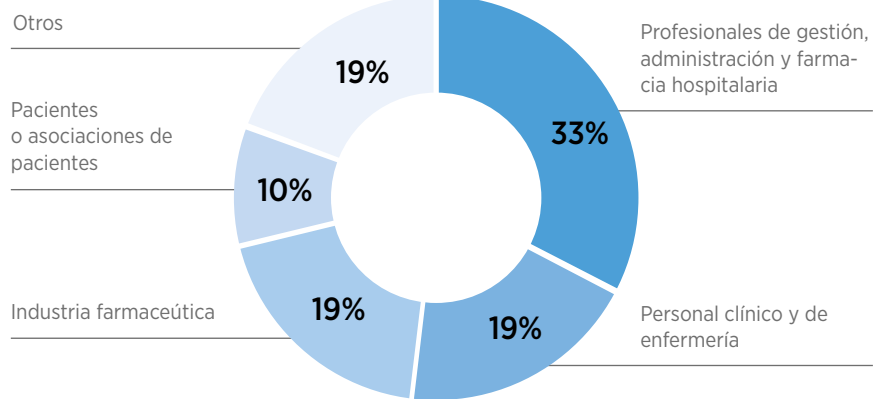
Este barómetro pretende recoger la percepción que tienen los distintos agentes del sistema sanitario sobre el impacto de la pandemia del COVID-19 en las personas con enfermedades raras (EERR) en España, diferenciando el corto del largo plazo. Con este objetivo, el consejo de redacción de newsRARE diseñó una encuesta electrónica ad hoc. El cuestionario fue enviado vía email a la base de datos de newsRARE el pasado 20 de mayo, y estuvo disponible en-línea hasta el 1 de junio.

Se obtuvieron 52 respuestas, de las cuales 17 (33%) provinieron de profesionales relacionados con actividades de gestión, administración y farmacia hospitalaria, 10 (19%) de personal clínico y de enfermería, 10 (19%) de miembros de la industria farmacéutica, 5 (10%) de pacientes o sus representantes (asociaciones) y las 10 restantes (19%) de otros ámbitos.

Se analizaron las siguientes cinco áreas diferenciadas para el posible impacto del COVID-19, solicitando a los encuestados posibles medidas para paliar la situación.

1. Acceso a la atención sanitaria

Según los encuestados, el acceso a la atención sanitaria ha sido el área más afectada por el COVID-19 en el corto plazo. Para el 75%, el efecto



del COVID-19 sobre la atención programada de las personas con EERR ha sido alto, seguido del acceso a pruebas diagnósticas (69%) (Figura 1). La proporción para la que el impacto ha sido alto sobre la atención urgente o no programada fue del 54% de los encuestados.

Las expectativas a largo plazo son de una mejoría significativa en el acceso a estos servicios. Un 64% opina que la atención sanitaria apenas sufrirá un impacto medio o bajo tras la pandemia. Los servicios programados seguirán siendo los más afectados (Figura 1).

Analizando los resultados por subgrupos de encuestados, los pacientes son los que mayor impacto achacan a la pandemia, mientras que los gestores/farmacéuticos hospitalarios se sitúan en el extremo contrario. Por su parte, los representantes de la industria son los

que más confían en que el impacto del COVID-19 sobre el acceso a la atención sanitaria se verá reducido en el largo plazo (Figura 2).

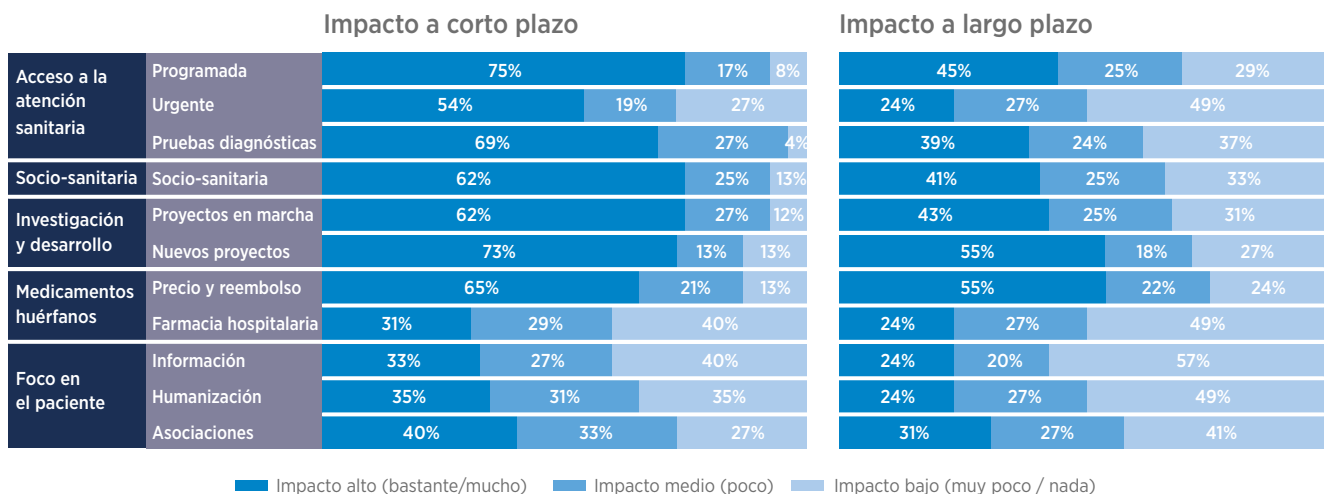
2. Acceso a la asistencia socio-sanitaria

Según el 62% de los encuestados, el COVID-19 tuvo un impacto alto sobre el acceso a corto plazo a la asistencia socio-sanitaria de las personas con EERR, que incluye, entre otros, la atención domiciliaria, la asistencia a centros de día o los servicios de rehabilitación. En el largo plazo, esta proporción se reduce hasta el 41%.

3. Investigación y desarrollo

Según la opinión de los encuestados, el área de I+D en EERR también se habría visto fuertemente afectada por el COVID-19 a corto plazo, con un impacto

FIGURA 1. VALORACIÓN DEL IMPACTO DEL COVID-19 SOBRE LOS PACIENTES CON ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA A CORTO Y LARGO PLAZO (N=52)



mayor, tanto a corto como a largo plazo, sobre la realización de nuevos proyectos de investigación, y menor en lo que concierne al desarrollo de proyectos que ya se encuentran en marcha. En el largo plazo, el efecto de la pandemia se amortiguaría, pero seguirá siendo relevante para el 40% de los encuestados (Figura 1).

Los pacientes son el colectivo que mayor impacto prevén en I+D, y con peores expectativas de futuro (Figura 2). En cambio, los profesionales de gestión, administración y farmacia hospitalaria son los más optimistas en relación al largo plazo. Un 70% opina que el efecto de la pandemia sobre esta área en el futuro será media o baja.

4. Acceso y financiación de medicamentos huérfanos

Un 65% de los encuestados opina que el impacto del COVID-19 sobre la operativa de procesos de obtención de precio y reembolso de los medicamentos huérfanos (MMHH) ha sido sustancial en el corto plazo. Para un 55%, este impacto seguirá siendo importante a largo plazo.

En cambio, el acceso de los pacientes a los MMHH en las farmacias de los hospitales se habría visto afectado en menor medida: para un 40%, la pandemia no habría tenido efecto (o ha sido muy bajo) en el corto plazo, y lo tendrá aún menos en el futuro (Figura 1).

Por subgrupos de encuestados, los profesionales de la industria farmacéutica y los pacientes son los colectivos que han mostrado mayor preocupación en cuanto al impacto de la pandemia sobre los procesos de financiación y acceso a MMHH, si bien su percepción a futuro mejora en mayor medida que

la del resto de colectivos encuestados (Figura 2).

5. Foco en el paciente

Para los encuestados, esta es el área menos afectada por el COVID-19 en comparación con las demás. En promedio, 2 de cada 3 personas opina que el impacto en el foco en el paciente ha sido medio o bajo en el corto plazo, proporción que alcanza 3 de cada 4 personas cuando se trata del largo plazo (Figura 1). El aspecto que supone una mayor preocupación, especialmente entre los representantes de los pacientes, es el de la operativa de las asocia-

MENSAJES CLAVE

- El impacto del COVID-19 sobre las personas con EERR será mayor a corto que a largo plazo
- El mayor impacto a corto plazo se produce sobre las visitas médicas programadas y los nuevos proyectos de investigación
- Los ámbitos menos afectados por el COVID-19 son el acceso a fármacos en los hospitales y el acceso a información
- A largo plazo, los mayores efectos del COVID-19 se producirán sobre los nuevos proyectos de investigación y los procesos de precio y reembolso de medicamentos huérfanos

FIGURA 2. VALORACIÓN DEL IMPACTO DEL COVID-19 SOBRE LOS PACIENTES CON ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA A CORTO Y LARGO PLAZO, POR SUBGRUPOS (RESULTADOS PROMEDIO)



Notas (Figura 1 y Figura 2): **Programada:** Acceso de los pacientes con EERR a la atención sanitaria programada. **Urgente:** Acceso de los pacientes con EERR a la atención sanitaria urgente o no programada. **Pruebas diagnósticas:** Acceso de los pacientes con EERR a pruebas diagnósticas. **Sociosanitaria:** Acceso de los pacientes con EERR a asistencia socio-sanitaria. **Proyectos en marcha:** Proyectos de investigación clínica en marcha. **Nuevos proyectos:** Impulso de nuevos proyectos de investigación clínica. **Precio y reembolso:** Operativa de los procesos de fijación de precio, reembolso y acceso a medicamentos huérfanos. **Farmacia hospitalaria:** Acceso de los pacientes con EERR a medicamentos en las farmacias de los hospitales. **Información:** Acceso de los pacientes con EERR a la información sobre la enfermedad y el tratamiento. **Humanización:** Humanización de la atención que reciben los pacientes con EERR. **Asociaciones:** Operativa de las asociaciones de pacientes con EERR.

ciones de pacientes. Para un 40%, la pandemia ha tenido un impacto alto en este sentido, y para un 31% continuará siendo elevado en el futuro. Un 35% opina que la humanización de la atención recibida por los pacientes se ha visto altamente afectada, mientras que un 33% cree que tal efecto se ha producido sobre el acceso a información y tratamiento.

Medidas para paliar los impactos

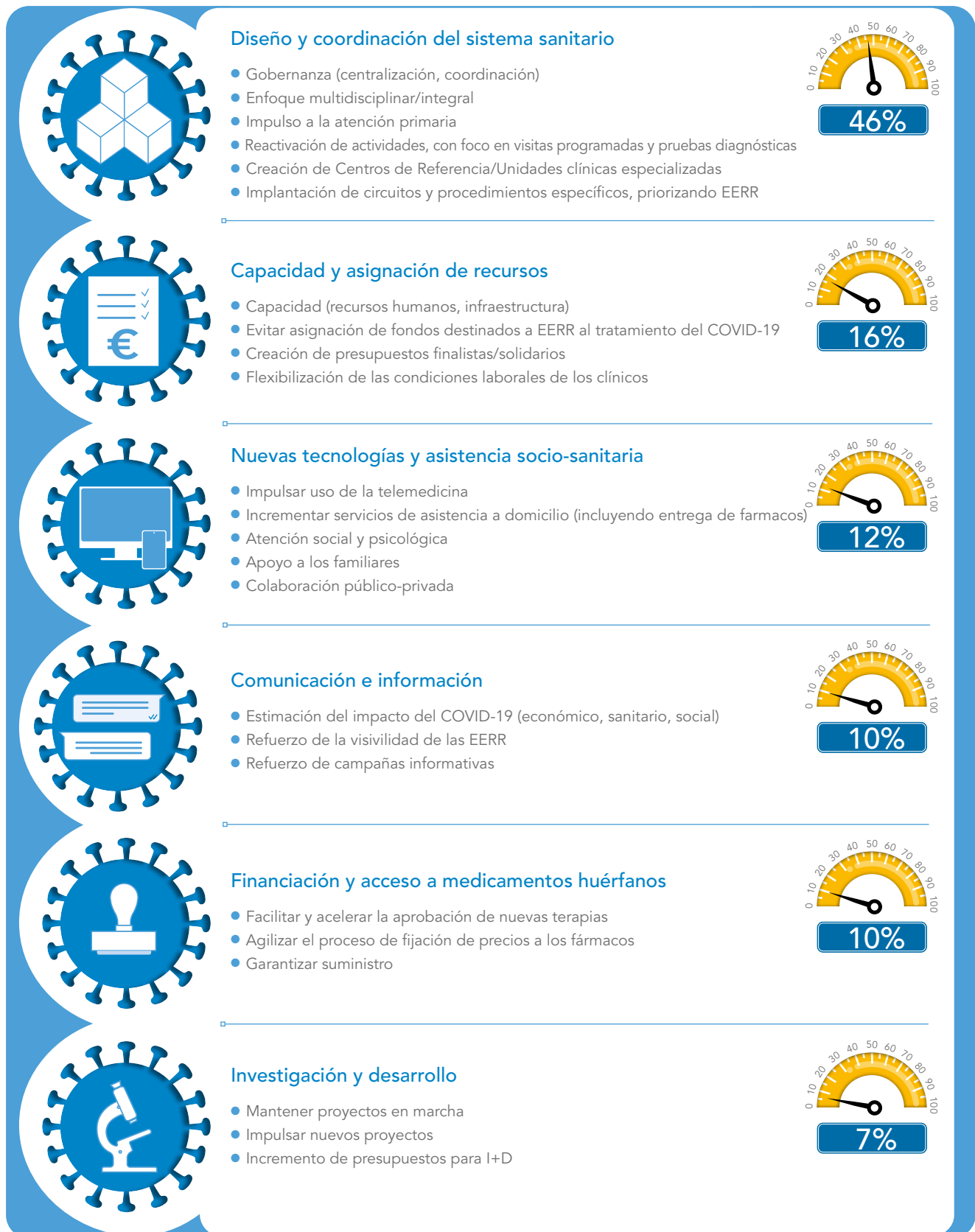
Se han agrupado en seis las áreas que, según los encuestados, requieren medidas para paliar el impacto del COVID-19 en los pacientes con EERR (Figura 3). Casi dos terceras partes de

las medidas propuestas están relacionadas con dos ámbitos: 1) la mejora del diseño y la coordinación del sistema sanitario (donde se propone, por ejemplo, el impulso de la atención primaria o la reactivación de las actividades, con circuitos específicos para personas con y sin COVID-19); y 2) el aumento de la capacidad y recursos asignados (por ejemplo, potenciando las infraestructuras y los recursos humanos, y flexibilizando las condiciones laborales).

La preocupación en relación a la financiación y acceso a los MMHH, así como el desarrollo de nuevos medicamentos se ha traducido en

dos áreas importantes de medidas sugeridas por los profesionales y pacientes que participaron en este barómetro. Entre las medidas propuestas, se incluyen el impulso a la investigación (también asociado a un mayor presupuesto para esta actividad), la facilitación y aceleración de las aprobaciones de medicamentos, así como medidas relacionadas con la regulación de los precios de los MMHH. Igualmente, destacan medidas relacionadas con el impulso de la telemedicina y la telefarmacia, el refuerzo del apoyo social y psicológico a pacientes y sus familiares, o el impulso de la comunicación e información.

FIGURA 3. MEDIDAS PROPUESTAS POR LOS ENCUESTADOS PARA PALIAR EL IMPACTO DEL COVID-19 SOBRE LAS PERSONAS CON ENFERMEDADES RARAS POR ÁREAS



LA RECOMENDACIÓN DE EURORDIS: CÓMO PROTEGER A LOS PACIENTES CON ENFERMEDADES RARAS DURANTE LA PANDEMIA DE COVID-19

ANTONI MONTSERRAT MOLINER

Consultor en temas de salud pública para la Comisión Europea

Miembro del Comité Nacional del Plan de Enfermedades Raras de Luxemburgo

Miembro del Consejo de Administración de ALAN Maladies Rares en Luxemburgo.

Miembro del Comité Científico de FEDER España



El nuevo coronavirus está afectando a personas en todo el planeta, pero hay comunidades que son especialmente vulnerables a esta situación. El virus es particularmente peligroso para las personas afectadas por enfermedades crónicas, como patologías respiratorias, enfermedades cardíacas o diabetes, y también puede serlo para pacientes inmunodeprimidos, ya sea porque padecen patologías del sistema inmunitario (SIDA, lupus, esclerosis múltiple), porque están recibiendo un tratamiento de quimioterapia o porque están tomando/han tomado medicamentos inmunosupresores.

Como norma general, los pacientes con enfermedades raras también deben considerarse población de riesgo, por lo que deben adoptarse precauciones adicionales hasta que la pandemia global esté bajo control. Esta fue la finalidad principal de la carta abierta que EURORDIS (Rare Diseases Europe) dirigió el 8 de abril de 2020 a las autoridades políticas de los Estados Miembros, exponiendo cómo el COVID-19 impacta la vida de las personas que viven con una enfermedad rara en

siete áreas concretas y emitiendo, al mismo tiempo, recomendaciones en cada una de esas áreas sobre lo que podían hacer los responsables políticos para apoyar a los pacientes con enfermedades raras en los difíciles meses que se avecinaban.

RESUMEN

La Recomendación de EURORDISⁱ se centraba en siete áreas muy precisas que sintetizamos aquí:

1. Acceso a la atención médica

El aumento de pacientes que buscan atención médica debido al COVID-19 estaba desbordando la capacidad de los sistemas de salud en términos de recursos humanos, equipos médicos y camas hospitalarias. Las personas que viven con una enfermedad rara (ER) empezaban a encontrar barreras para recibir atención médica hospitalaria, al no existir protocolos establecidos para su atención. Las personas con una ER no se consideran como población vulnerable objetivo de las pruebas diagnósticas tipo PCR y, en general, se excluía a los niños, ya que se consideraban población de bajo riesgo o asintomática, sin

ⁱ <https://www.eurordis.org/covid19openletter>

tener en cuenta que el 70% de las enfermedades genéticas raras empiezan en la infancia. Durante el confinamiento, los cuidadores de pacientes con EERR más vulnerables a COVID-19 deberían poder someterse a pruebas sistemáticas, moleculares y serológicas, así como recibir mascarillas y EPIs cuando las disponibilidades lo permitieran.

2. Detección y diagnóstico de enfermedades raras

Las técnicas de detección, las imágenes médicas y las pruebas de laboratorio, pueden servir para el diagnóstico de una ER. El no realizarlos podía ser perjudicial para aquellos que aún no hubieran sido diagnosticados o que estuvieran afectados por una enfermedad degenerativa, al correrse el riesgo de una progresión de su enfermedad en ausencia de supervisión.

3. Atención integral, incluidos servicios sociales y apoyo social

La atención holística cubre un espectro de 360° en las necesidades médicas, sociales y cotidianas de las personas con una ER y sus familias. Se recomendaba garantizar un apoyo mínimo y un servicio de asistencia personal para las poblaciones vulnerables y tomar medidas para promover la priorización del EPIs para profesionales que trabajan en servicios sociales. Asegurar que la financiación de los servicios sociales en toda Europa y de los centros de recursos para ER estuviera garantizada y que las autoridades nacionales y regionales aprovecharan los recursos disponibles en la *Coronavirus Response Investment Initiative Plus* (CRI-I+)ⁱⁱ para financiar a proveedores

de asistencia social y apoyo para personas con discapacidades, a fin de garantizar la continuidad de la atención y el apoyo durante el período de pandemia.

4. Vida cotidiana y condiciones laborales

Las personas que viven con una ER son particularmente vulnerables a las consecuencias económicas negativas (despidos y reducción de ingresos) resultantes del impacto de la crisis en el mercado laboral. La precariedad ya es una realidad en circunstancias normales para el 73% de los encuestados según una encuesta de 2017ⁱⁱⁱ. Se recomendaba establecer medidas para la protección de todos los trabajadores, con especial prioridad para aquellos en situaciones vulnerables, como las personas que viven con una enfermedad rara. Asegurar que las personas que viven con una ER pudieran trabajar desde casa y, si esto no era posible por la naturaleza de su trabajo o por cualquier otro motivo, garantizar sus ingresos y garantizar una compensación financiera para las familias y cuidadores.

5. Uso seguro de medicamentos

Una serie de medicamentos que tienen indicaciones para otras enfermedades (como el lupus y la artritis reumatoide) se están probando actualmente para verificar su eficacia contra el COVID-19. Sin embargo, esos medicamentos en combinación con otros, o fuera de las indicaciones de la prescripción pueden poner en riesgo la vida del paciente. Se recomendaba asegurar que las autoridades sanitarias nacionales supervisarían y aplicarían protocolos

correctos durante la pandemia para garantizar la distribución, entrega y uso seguro de los medicamentos en pacientes con ER.

6. Desarrollo y acceso a medicamentos

La fabricación y el acceso a los medicamentos se ha visto afectada durante la pandemia. Por un lado, por la mayor demanda mundial de todos los medicamentos utilizados para tratar el COVID-19 y, por otro lado, hay una carrera para desarrollar tratamientos nuevos y para obtener una vacuna para COVID-19. Se recomendaba establecer medidas para garantizar la fabricación y distribución de medicamentos y evitar problemas de suministro. Las autoridades debían seguir las orientaciones de la Comisión Europea para garantizar el flujo continuo de bienes a través de la UE y utilizar medidas coordinadas por la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) para asegurar la disponibilidad de medicamentos durante la pandemia. Establecer un mecanismo europeo para coordinar el acceso y la distribución equitativa entre los Estados miembros si el suministro es limitado. Los Estados miembros debían asegurar que los criterios y condiciones del programa de Uso Compasivo fueran comunes en los Estados Miembros de la UE (por ejemplo, en el caso del Remdesivir).

7. Investigación sobre enfermedades raras

La mayoría de las enfermedades raras carecen de tratamientos efectivos y existe la necesidad de continuar fomentando la investigación y la innovación. La pandemia representa una amenaza para la conti-

ii https://ec.europa.eu/regional_policy/en/newsroom/news/2020/04/04-02-2020-coronavirus-response-investment-initiative-plus-new-actions-to-mobilise-essential-investments-and-resources

iii http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/rbv/PR_INNOVCare_Final.pdf

nuación de ensayos clínicos vitales que se cancelan debido a que no se puede garantizar la seguridad de los pacientes. La crisis podía requerir el uso de ensayos descentralizados o híbridos utilizando herramientas o aplicaciones digitales en el caso de ensayos clínicos ya planificados o en curso que requerían modificaciones significativas de los protocolos del ensayo. Se recomendaba garantizar la difusión y el seguimiento de las orientaciones de la EMA a los gestores de los ensayos clínicos durante la pandemia, especialmente en el campo de las enfermedades raras.

COMENTARIO

Es obvio que una Recomendación de este tipo dirigida a los Gobiernos de 27 estados con sistemas de salud muy diversos y con políticas de contención frente al COVID-19 muy heterogéneas tenía muchos matices y formas de ser aplicada muy variables. Pese a eso, su contenido y las áreas identificadas tenían suficientes elementos comunes como para permitir un cierto análisis a posteriori sobre su aplicación.

EURORDIS lanzó en paralelo a la Recomendación la encuesta europea *Rare Barometer Voices*^{iv}, dentro de su programa habitual de barómetros sobre la situación de los pacientes con EERR en Europa, específicamente sobre el impacto del COVID-19. La encuesta, realizada en abril con unos 5.000 participantes representando 993 enfermedades raras a escala europea, permitió identificar rápidamente los claroscuros de la situación. De acuerdo con los resultados de la encuesta:

- En Europa, casi 6 de cada 10 no tenían acceso a terapias médicas en el hogar o en el hospital, como infusiones, quimioterapia y necesitaban tratamiento hormonal.
- Más de la mitad de los que necesitaban cirugía o trasplante vieron sus intervenciones canceladas o pospuestas.
- Más de 6 de cada 10 no tenían acceso a pruebas de diagnóstico tales como análisis de sangre o cardíacos e imágenes médicas.
- Cerca de 7 de cada 10 vieron cancelarse sus citas con los médicos generalistas o especialistas que prestan atención a la enfermedad rara.
- Casi 6 de cada 10 vieron su seguimiento de la psiquiatría interrumpido.
- Casi 3 de cada 10 informaron que el hospital o unidad que prestaba atención a su enfermedad rara estaba cerrado.
- Más de uno en ese momento declaraba que faltaba el material necesario para la atención de la enfermedad rara porque se utilizaba para los pacientes afectados por COVID-19.
- Y por último, a más de 3 de cada 10 se les dijo explícitamente que no fueran al hospital si ellos o la persona a la que cuidaban se encontraban enfermos por otras razones distintas al COVID-19.

En el caso español, FEDER (Federación Española de Enfermedades Raras) desarrolló la Recomendación europea y analizó las áreas fundamentales en las que se producían situaciones de dificultad para los

pacientes con EERR. Las conclusiones para España^v no presentan grandes diferencias con la situación en el resto de países europeos.

- En España, el 33% de las personas con enfermedades raras han visto canceladas sus pruebas de diagnóstico, el 32% el acceso a tratamiento y un 31% sus intervenciones quirúrgicas o trasplantes.
- El 70% de las familias españolas han visto canceladas por completo sus terapias de rehabilitación, siendo éste el principal problema del colectivo.
- Con la desescalada, los centros de servicios sociales retomaron su actividad en las provincias en Fase 1, posibilitando la reactivación de servicios esenciales para las familias con enfermedades raras.
- Según los datos del área de inclusión de FEDER, el 40% de las familias trasladaron dificultades sobre la continuidad socioeducativa durante el confinamiento. A ello se unen retrasos y falta de especialización metodológica en el desarrollo integral de estos menores, además de la pérdida de socialización e interacción con otros menores, una circunstancia que forma asimismo parte de su terapia multidisciplinar. Todo ello con la incertidumbre de qué ocurrirá ante la vuelta a las aulas y las medidas que se tomarán con los colectivos más vulnerables.

Desgraciadamente la invisibilización mediática y política de los pacientes con EERR en el contexto europeo ha sido una consecuen-

iv https://download2.eurordis.org/documents/pdf/PressRelease_COVID19surveyresults.pdf

v <https://enfermedades-raras.org/index.php/actualidad/13944-el-94-de-familias-con-er-en-espa%C3%B1a-han-visto-interrumpida-la-atenci%C3%B3n-de-su-patolog%C3%ADa-con-motivo-de-la-pandemia>

cia inevitable de la ausencia de una estrategia de salud a escala europea capaz de afrontar retos comunes, como la respuesta coordinada a una pandemia con todo lo que ello comporta para grupos vulnerables, sean las EERR u otras enfermedades crónicas fuertemente impactadas por el COVID-19 (cáncer, diabetes, cardiovasculares, neurológicas, etc.).

La historia de la política de salud en las instituciones europeas es un ejemplo de como la construcción europea avanza a base de crisis. Una política de salud común no existió en la UE hasta el año 1996 cuando el Tratado de Maastricht mencionó, por primera vez, la salud de los europeos como un objetivo a compartir. Todo ello como resultado de la crisis llamada de 'las vacas locas' que se produjo ese año. A posteriori las reformas de los Tratados europeos nunca abordaron ir más allá de los límites del artículo 168 del mismo en que se fija que la salud es una

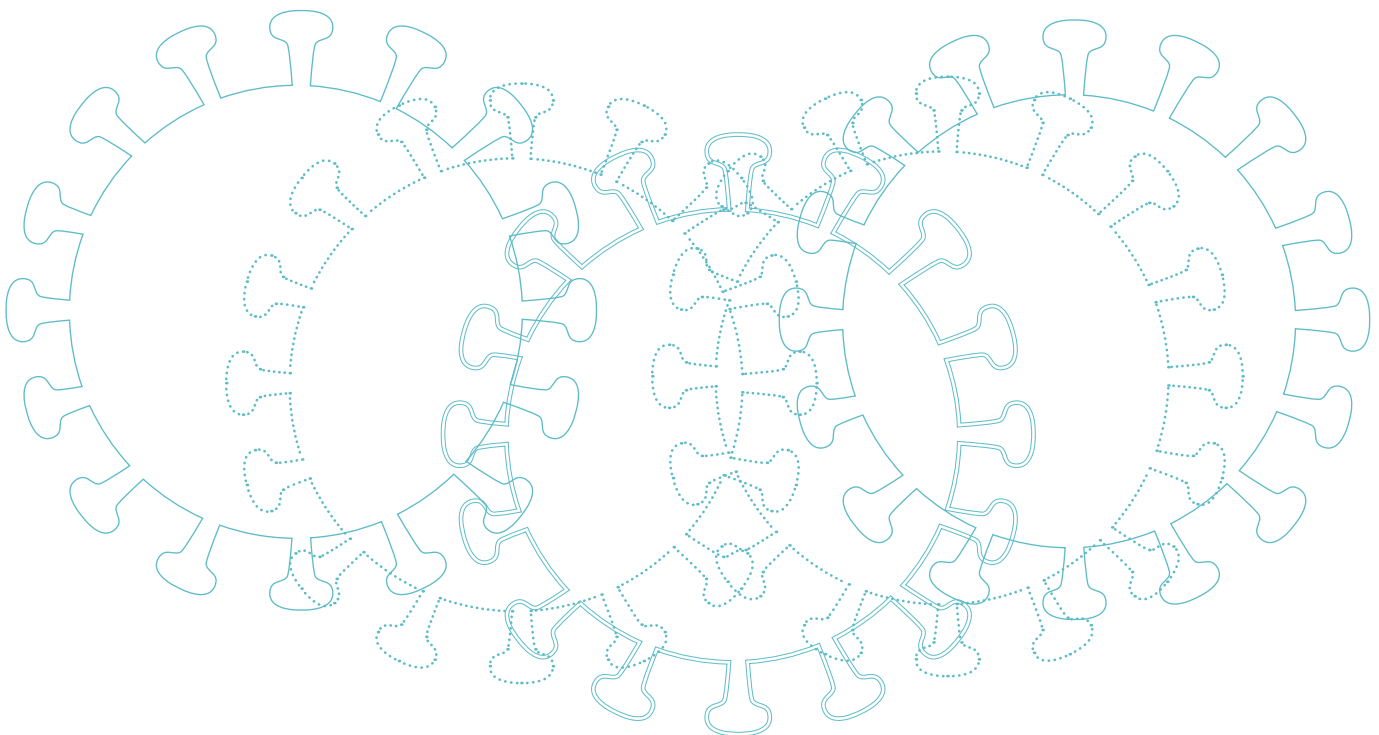
competencia nacional y que la UE solamente actúa cuando así lo deciden los Estados Miembros. Era pues lógico que una UE con muy limitadas competencias en la materia no haya podido jugar ningún papel motor ni en la protección frente a la pandemia ni en atender las necesidades específicas de grupos vulnerables como las EERR.

Una vez más, una crisis introduce cambios fundamentales en la política de la UE y así el muy limitado Programa Europeo de Salud Pública que, en diversos formatos, existe desde 2003 con un presupuesto de entre 300 y 400 millones de euros se convierte en el Marco Financiero Plurianual 2021-2027, actualmente en discusión, en un nuevo programa de salud EU4HEALTH^{vi} con una dotación propuesta de 9.400 millones de euros y un conjunto de ambiciosos objetivos que, sin desbordar los límites del artículo 168, permitirían hacer muchas de las cosas que no han podido hacerse ahora. Por ejemplo: ase-

gurar la disponibilidad de medicamentos, dispositivos médicos y otros productos relevantes para la crisis; combatir las desigualdades en el estado de salud entre grupos de población, países y regiones; garantizar el acceso a atención de salud asequible, preventiva y curativa de buena calidad; disminuir la carga para los sistemas sanitarios de enfermedades no transmisibles, en particular cáncer, salud mental, enfermedades raras y riesgos de determinantes de salud; fortalecer los sistemas de salud y la fuerza laboral de atención médica, incluso mediante la inversión en salud pública, por ejemplo, a través de programas de promoción de la salud y prevención de enfermedades y mejorando el acceso a la atención médica.

La UE es así. A golpe de crisis construye su futuro. Parece que en este caso será para bien en lo que se refiere a los pacientes con enfermedades raras.

vi <https://elglobal.es/politica/la-ce-propone-un-nuevo-programa-de-salud-independiente-dotado-con-9-400-millones-de-euros/>



THE SARS, MERS AND NOVEL CORONAVIRUS (COVID-19) EPIDEMICS, THE NEWEST AND BIGGEST GLOBAL HEALTH THREATS: WHAT LESSONS HAVE WE LEARNED?

Noah C Peeri et al. *International Journal of Epidemiology*, 2020, 1-10.

**JUAN E.
DEL LLANO SEÑARÍS**

Presidente de la Asociación Española de Evaluación de Tecnologías Sanitarias



RESUMEN

Estamos ante un artículo coral de opinión que identifica planes de mejora para la preparación de futuras pandemias a partir de las lecciones aprendidas en el manejo de la familia de beta coronavirus que nos han asolado los últimos años. Lo hacen a través de una revisión de la Web del CDC y de PubMed. Valoran la inadecuada valoración del riesgo ante la urgencia de las situaciones vividas, concluyendo que, desafortunadamente, en esta última (COVID-19), no habíamos aprendido gran cosa de las dos anteriores.

COMENTARIO

El artículo es descriptivo, se lee como un relato, razón por la que se ha ubicado en la sección de opinión.

La OMS no recibió una puesta el día del gobierno chino sobre la COVID-19 hasta finales de marzo, cuando ya había 792 casos y 31 muertes reportadas. Este hecho, sin duda, ha contribuido a una extensión global del virus mucho más rápida. El foco de transmisión

de huésped a humano se señala en los mercados abiertos de Wuhan. El objetivo de los autores del artículo era revisar a los tres coronavirus más letales e identificar áreas de mejora en la preparación de futuros planes de contingencia. También identificar factores de riesgo y acciones para aminorar la diseminación. Y, todo ello, a partir de la información revisada de los primeros brotes de coronavirus: SARS y MERS, y también de los tardíos informes de la COVID-19 en Wuhan. Lo cubren razonablemente.

Además del CDC y PubMed señalan que para ¿la revisión sistemática? (no se enuncian ni *headings* ni *subheadings*, ni estrategia de búsqueda alguna...), han visitado la página Web de la Universidad John Hopkins y los datos compilados de la OMS para SARS y MERS.

Con respecto a la COVID-19, algunos de los que la vivimos en primera persona sabemos que el diagnóstico inicial se hacía valorando características clínicas, muchas de ellas típicas de una neumonía. Seguramente hubo casos ya en diciembre

de 2019 confundidos con la gripe. Después, una vez conocida la estructura del virus, llegó la RT-PCR para diagnóstico. Desafortunadamente, ningún fármaco antiviral ha mostrado efectividad probada para hacer frente a la enfermedad. La evolución fue severa en casi 1 de cada 4 enfermos, y sólo los corticoides redujeron la inflamación pulmonar debido a los altos niveles de citoquinas causadas por el virus. La definición de caso la hace por primera vez la OMS el 2 de febrero del 2020. La mayor diferencia clínica entre COVID-19 y sus predecesores de la familia de los beta-coronavirus es que, raramente, hay goteo nasal y síntomas gastrointestinales.

Todavía hay un limitado conocimiento acerca de la transmisión de la COVID-19. Nos falta conocimiento de la historia natural de la enfermedad, si bien los avances en el mismo han sido espectaculares gracias a una cooperación científica global nunca vivida. Se ha confirmado la vía humano-humano, a través de las gotitas respiratorias por tos

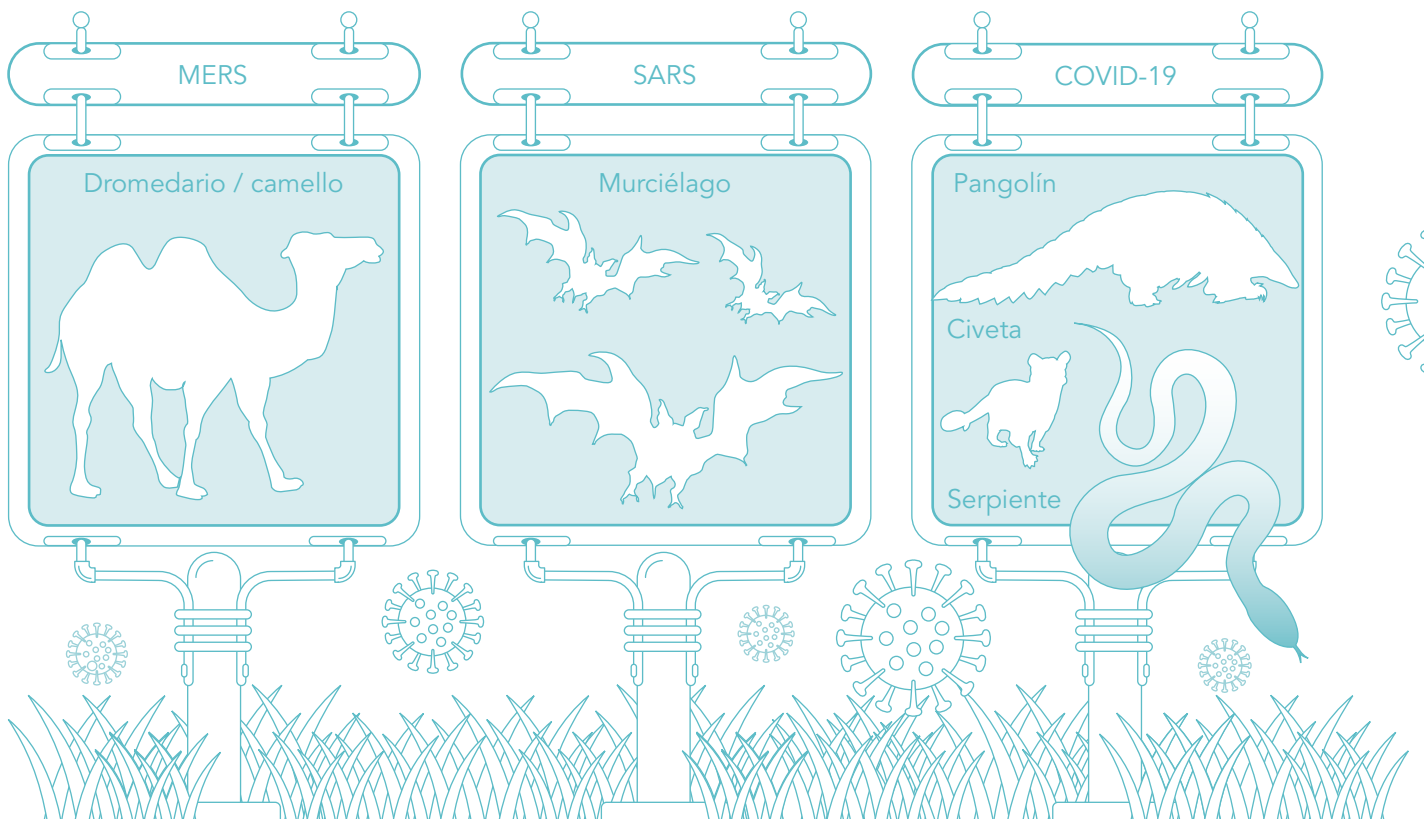
y estornudo. Los mercados al aire libre (pangolines y civetas como reservorio) se han señalado como foco de los casos primarios, pero también hay casos sin contacto directo con ellos. Los casos secundarios han ocurrido en hospitales y residencias, a través de los propios sanitarios que han estado en contacto con pacientes con la COVID-19, que a veces eran asintomáticos (lo que junto a la alta contagiosidad del virus, ha hecho muy difícil contener su rápida extensión). En España podemos afirmar que hemos tenido sobre todo una epidemia nosocomial más que comunitaria.

El MERS también se transmite de persona a persona, sobre todo, en la fase sintomática de la enfermedad, también por vía respiratoria, y a través de personas que han estado en contacto con dromedarios (reservorio). En el SARS la transmisión es similar a los dos anteriores, pero también fómites y vía fecal junto al manipulado de animales. La transmisión de la COVID-19 ha sido más rápida que la de SARS y a

su vez, mucho más que la de MERS, que tuvo una *Case Fatality Ratio* más alta (35%), frente a un 9% para MERS, y un 2% para la COVID-19. Más varones, de edades avanzadas, y con comorbilidades, es el perfil más prevalente de la COVID-19. También del MERS y del SARS.

Los tres beta-coronavirus son zoonosis. El deterioro global del medio ambiente nos ha llevado a la ruptura de ecosistemas que nos protegían de la transmisión animal humano, así el contacto directo en estas tres epidemias tuvo su origen en animales. MERS, dromedarios/camellos. SARS, murciélagos. COVID-19, pangolines, civetas, serpientes y otros animales vendidos en los mercados abiertos de Huanan.

En la COVID-19, tenemos que destacar como apuntan los autores, que su rápida transmisión fue debida a la limitada y débil coordinación entre países y dentro de los propios países y sectores, a la falta de suministros de protección (mascarillas, guantes, EPIs,...), y de test diagnós-



ticos. Empeorado porque los asintomáticos contagiaban. Todo ello nos ha llevado a que se tomaran medidas drásticas en muchos países para evitar la saturación de los sistemas sanitarios, como el confinamiento obligatorio.

El SARS también se extendió globalmente pero por la temprana intervención se quedó en países del sudeste asiático. El MERS no se extendió globalmente, en parte por el bajo riesgo de la transmisión humano humano quedando circunscrito a países árabes de medioeste. Para ninguna de las tres enfermedades ha habido vacuna o tratamiento específico recomendado.

En el caso de la COVID-19, Hubei es un *hub* en el centro de China, región sobrepoblada, con mala infraestructura sanitaria, que unido a la falta de transparencia del gobierno llevó a una notificación de alerta tardía que hizo que miles y miles de personas contagiadas viajaran para el Año Nuevo dentro de China, y hacía otros países, y de

otros países hacía China. La curva de extensión del virus se disparó a una gran velocidad.

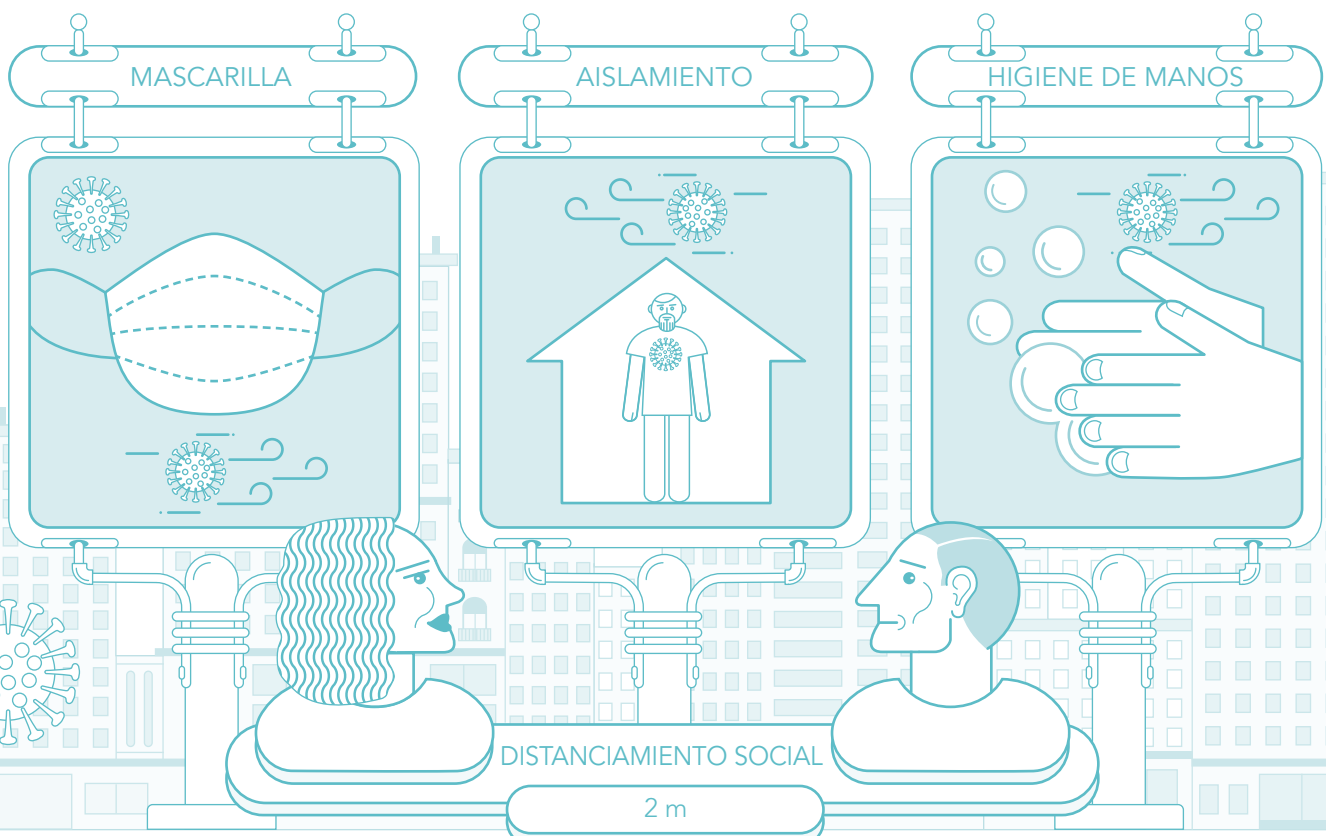
Apuntan que algo aprendieron los países más afectados por las epidemias anteriores, que estaban más preparados, y contaban con sistemas de vigilancia epidemiológica fuertes.

En síntesis, la valoración inadecuada del riesgo por parte del gobierno chino obstaculizó los esfuerzos de contener el virus que hubiera sido más fácil en estadios tempranos.

Podemos sacar algunas lecciones aprendidas: higiene de manos, aislamiento de individuos sospechosos, y prevenir el contacto directo con reservorios. La COVID-19, y el virus que la ocasiona, siguen siendo un paradigma en cuanto a su comportamiento. Sigue habiendo muchas sombras e incertidumbres por resolver. Preocupa, mucho, el daño global ya causado en términos de vidas perdidas, secuelas, y destrucción social y económica.

La COVID-19 ya ha provocado más casos y más muertes que el SARS. El cierre efectivo de los mercados de animales vivos en China, ya prometido tras el SARS, hubiera disminuido la probabilidad de este brote zoonótico. La transmisión humano-humano ha sido confirmada, y las medidas tomadas para mitigar la extensión llegaron tarde.

En nuestro país si hubiéramos mirado a la izquierda (Portugal) y a la derecha (Italia) con más interés se podía, seguramente, haber actuado con mayor diligencia, se podía haber hecho acopio de suministros antes, centralizadamente, y por expertos en compras sobre el terreno. La comunicación y la coordinación, entre administraciones, han sido manifiestamente mejorables; el comportamiento de los profesionales y de las organizaciones socio-sanitarias en primera línea de fuego, ejemplar. Nos queda comportarnos durante la nueva normalidad, como ciudadanos, tan responsablemente como lo hemos hecho durante el confinamiento. Veremos.





DR. CRISTOBAL BELDA INIESTA

*Subdirector de Evaluación y
Fomento de la Investigación del
Instituto de Salud Carlos III (ISCIII)*

ENTREVISTA

INVESTIGACIÓN EN TIEMPOS DEL COVID-19

1. *¿Cómo ha vivido la pandemia el ISCIII? ¿Ha habido algún momento crítico?*

CB: El ISCIII es responsable de recoger las alertas epidemiológicas enviadas por las Comunidades Autónomas y transferirlas al Ministerio de Sanidad. Uno de nuestros centros, el Centro Nacional de Microbiología, realiza los diagnósticos, mientras que el Fondo de Investigaciones Sanitarias, la estructura que dirijo dentro del ISCIII, financia la ciencia. Por tanto, hemos vivido la pandemia como infraestructuras del Estado encargadas del recuento de casos, de diagnósticos, y de la financiación de la ciencia que tiene que dar respuesta a las preguntas generadas durante la epidemia. Todos los días en los que ha habido fallecidos han sido críticos, porque los fallecimientos diarios eran consecuencia de personas diagnosticadas, en buena medida por nosotros, hacía semanas. Por lo tanto, no ha habido un día más difícil que otro, han sido todos muy duros.

2. *¿Ha afectado la pandemia a la investigación clínica?*

CB: El confinamiento no distinguió a los científicos que se dedicaban a investigar en enfermedades raras de los que investigaban en cáncer o enfermedades reumatológicas. En las semanas en que se produjo el cierre completo de país, el objetivo prioritario era salvar vidas, y tan importante era la vida de los pacientes que tenían mayor vulnerabilidad, como la de los científicos y la de todas aquellas personas que en aquellas semanas tenían que permanecer en casa. Como consecuencia, las investigaciones se retrasaron. Pero la financiación se mantuvo siempre, y tras esas semanas de paréntesis en que hubo que pararlo todo, la investigación ha continuado con la misma financiación.

3. *¿Nos puede comentar algo sobre esto?*

CB: En pocos meses se han puesto en marcha cientos de ensayos relacionados con el COVID-19. El 19 de marzo publicamos la convocatoria para financiar proyectos que ayudaran en la lucha contra el COVID-19. Fue una acción muy urgente, de 24 millones de euros,

bajo un modelo de subvención directa que hasta ahora no se había utilizado con mucha frecuencia. El Comité Científico del ISCIII, que me tocó presidir, se encontró con más de 1.600 proyectos. Elegir en esa segunda quincena del mes de marzo qué proyecto financiar y qué proyecto no, fue un ejercicio muy complicado. Fuimos eligiendo poco a poco, primero ensayos clínicos, porque había que ordenar los distintos tratamientos que se estaban utilizando, y después test diagnósticos, porque teníamos que ser capaces de diagnosticar a los pacientes en menos de 15 minutos para que no se acumulasen en las puertas de urgencias donde estaban en contacto unos con otros durante horas.

4. *¿Cree que los avances en I+D+i beneficiarán a los pacientes con enfermedades raras (EERR)?*

CB: El COVID-19 nos ha dado un empujón para invertir en infraestructuras para mejorar nuestra capacidad diagnóstica de alto rendimiento sobre enfermedades que no comprendíamos. Por ejemplo, el despliegue en medicina de precisión que hemos tenido que poner en marcha de forma muy acelerada, seguramente tendrá consecuencias inesperadamente favorables para los pacientes con EERR. También el uso de la telemedicina va a facilitar la vida de los pacientes. Aunque la tecnología ya estaba desarrollada, todavía estaba pendiente de desplegar. Estos avances van a facilitar significativamente la comunicación entre los profesionales y los pacientes.

5. *¿Cómo valora la innovación organizativa durante la pandemia?*

CB: Las innovaciones organizativas en los hospitales y la coordinación con la atención primaria se pusieron en marcha antes de que nosotros ofreciéramos financiación. Esto nos obliga a reflexionar acerca de si necesitamos financiación para generar innovación

organizativa, o lo que necesitamos realmente es voluntad, y la voluntad probablemente no necesite financiación de ningún tipo, sino un estímulo. Es una pena que el estímulo haya sido de este tipo. El sistema sanitario ha sufrido muchísimo. Si esto volviese a suceder, creo que es obligación de todos tener una estructura organizativa que permita dar una respuesta de forma inmediata a las necesidades de los pacientes. Aunque puedan surgir resistencias, estas innovaciones organizativas han llegado, sin ningún tipo de duda, para quedarse.

6. *¿Cómo podemos aprovechar esta crisis para mejorar el sistema sanitario?*

CB: Una lección aprendida es que la relación entre el sistema sanitario público y el sector sanitario privado, que atiende a más de 11 millones de ciudadanos, tiene que cambiar. Frente al COVID-19 hemos estado juntos, y eso nos ha permitido salir adelante en ciudades como Madrid y Barcelona. De otra manera también se habría salido, pero con un sufrimiento muy superior. Tenemos que trabajar juntos, sector sanitario público y privado, y eso nos obliga a cambiar el modelo de relación que tenemos. En segundo lugar, a pesar de tener un sistema sanitario maravilloso, porque es universal y gratuito, no hemos tenido capacidad industrial para proveer a nuestros hospitales. Si esto se vuelve a repetir, tendremos que tenerla. Por último, es mandatorio conectar los sistemas, de tal manera que nos permita saber qué está ocurriendo en las urgencias, en las camas de hospitalización, y en las UVIs de toda España, de forma simultánea y en tiempo real, y generar modelos que nos avisen si sucede algo fuera de lo normal, para evitar enfrentarlo con un mes de retraso. Esas son las tres grandes lecciones para poder avanzar a lo largo de los próximos meses. Para octubre tenemos que estar preparados, por si ocurre de nuevo.



DR. JORDI ESTEVE REYNER

*Servicio de Hematología, Instituto
Clínic de Enfermedades Hemato-
lógicas y Oncológicas, Hospital
Clínic de Barcelona*

ENTREVISTA

LEUCEMIA MIELOIDE AGUDA EN TIEMPOS DEL COVID-19

1. *¿Cómo se ha vivido en el Hospital Clínic la pandemia del COVID-19?*

JE: Ha sido algo único que no hemos vivido anteriormente y que ha exigido un esfuerzo de adaptación enorme, de cambios diarios de estrategias para intentar adaptarnos a la situación. Eso, junto con la incertidumbre del futuro, es lo que define mejor cómo vivimos la pandemia. Hemos tenido momentos críticos en los que, día a día, aumentaba el número de ingresos y el número de pacientes que necesitaba unidades de cuidados intensivos, y veíamos que nuestra capacidad no daba abasto. Recuerdo un fin de semana que hicimos una reunión de Gabinete de Crisis, en la que veíamos que con esa curva de crecimiento no íbamos a poder atender todos los casos. Por suerte, en ese momento se estabilizó un poco la situación por el efecto del confinamiento. Ha sido casi un colapso pero, afortunadamente, la capacidad de adaptación del hospital a las necesidades permitió atender esa gran demanda de atención.

2. *¿Existe mayor riesgo de infección para un paciente con Leucemia Mieloide Aguda (LMA)?*

JE: Los riesgos de infección por COVID-19 en los pacientes con LMA son seguramente algo mayores que en población normal, aunque no es una pregunta fácil de contestar si queremos ser estrictamente rigurosos. Necesitaremos un poco más de tiempo de análisis. Lo que es seguro es que pacientes con LMA en tratamiento quimioterápico, con defensas bajas, sometidos a un trasplante alogénico, que adquieran una infección por COVID-19, son obviamente pacientes de mayor riesgo.

3. *¿Qué medidas han tenido que implementar en su hospital para paliar los efectos de la pandemia sobre estos pacientes?*

JE: Aunque en un momento dado prácticamente el 80% del hospital estaba dedicado a enfermos por COVID-19, nosotros mantuvimos nuestra sala de hospitalización para tratamientos intensivos, que incluía a los pacientes con LMA. Eso quiere decir que todo paciente con LMA de nuevo diagnóstico que necesitaba atención urgente la

tuvo. No obstante, durante las semanas más críticas, se pospusieron los tratamientos que se podían aplazar, como el de los enfermos que ya estaban en respuesta tras un trasplante, o el de los pacientes en tratamiento de mantenimiento. Esto se hizo tanto para evitar el riesgo a que enfrentaban estos pacientes de enfermar por frecuentar el hospital, como para enfriar, en la medida de lo posible, la demanda de recursos médicos. Pero nunca llegamos a tener una parada total de los tratamientos que eran urgentes.

4. *¿Cuál ha sido el impacto en los trasplantes durante la pandemia?*

JE: En el pico de la epidemia llegamos a detener todos los procedimientos de trasplante. En general se tiene cierto margen para ello, además de que la logística de los trasplantes es especialmente compleja: no solamente depende del receptor, sino de un donante no relacionado que puede o no estar en España, cuyas células tienen que venir al centro. Por lo tanto, en los momentos críticos de la pandemia el trasplante era prácticamente imposible. De hecho, exigíamos que el producto estuviera en nuestro centro antes de embarcarnos en el trasplante, porque había riesgo de que hubiera dificultad en el transporte. En cuanto pudimos relajar un poco las restricciones intentamos retomar los trasplantes porque sólo se pueden retrasar hasta cierto punto. Además, no queríamos tener un colapso a posteriori, es decir, una especie de rebrote que impidiera o dificultara que los pacientes recibieran el tratamiento en su debido momento.

5. *¿Y el impacto en el diagnóstico?*

JE: El diagnóstico de una LMA se ha retrasado en algún caso, pero no en nuestro centro, porque mantuvimos las estructuras de diagnóstico básico y no dejamos de hacer ningún procedimiento diagnóstico. Pero, debido a la situación del entorno, hemos tenido un par de casos de pacientes que han llegado a nuestro centro en una situación extrema, con una cifra de leucocitos extremadamente elevada, con hemorragia cerebral y un cuadro de leucostasis, que es irreversible. En esos días leí un artículo con el título "El peaje no explicado", sobre el impacto del COVID-19 sobre otras enfermedades que necesitan atención urgente. Eso lo hemos vivido en LMA y sabemos que ha ocurrido en otras enfermedades.

6. *¿Cree que la pandemia ha afectado a los ensayos clínicos en pacientes con LMA?*

JE: Los ensayos clínicos en pacientes con LMA son esenciales, sobre todo si están en fases iniciales, pero hay que tener en cuenta que el espónsor (la compañía farmacéutica) necesita contar con recursos mínimos para poder enviar el material necesario y realizar las labores esenciales de monitorización. Los monitores de los ensayos clínicos no podían acudir al centro, por lo que muchos ensayos, en especial aquellos más delicados que se encontraban en Fase I, se han visto interrumpidos. Ahora los estamos reabriendo. Eso lógicamente ha cerrado un poco el abanico de posibilidades para aquellos enfermos que no han respondido a los tratamientos convencionales y que se pueden beneficiar de un tratamiento experimental.

7. ¿Qué medidas de organización se han llevado a cabo durante la pandemia?

JE: La flexibilidad ha sido una necesidad imperiosa. Tuvimos que replantearnos algunas rutinas y adaptarnos a las nuevas necesidades. Eso siempre es bueno, sobre todo para quienes tenemos cierta responsabilidad de gestión. A nivel de disposición del personal, es realmente agradable ver cómo la gente se ofrece a todo, a hacer tareas a las que no están acostumbrados, y si tienen que reconvertirse a médicos que atienden a una enfermedad infecciosa como COVID-19 lo han hecho, y eso se agradece enormemente.

A nivel de medidas organizativas ha habido cosas esenciales. Por ejemplo, las reuniones en su mayoría han dejado de ser presenciales. La actividad médica requiere sesiones clínicas prácticamente diarias en las que tomamos decisiones, pero hemos convertido en virtuales estas sesiones y estamos encantados, ya que podemos acudir a distintas sesiones. Otras medidas han sido dejar un equipo de reserva por si había compañeros enfermos o con contactos infectados, y teletrabajar para evitar que todos coincidiéramos en determinados espacios físicos. Parte del equipo médico, de enfermería y administrativo ha hecho su trabajo desde casa, y hemos visto que es posible. Se pueden hacer muchas cosas muy bien y atender parte de las labores tan bien como en el hospital. Eso es algo que seguramente mantendremos, aunque habrá que estructurarlo.

8. ¿Cómo se han realizado las consultas durante la pandemia?

JE: En la mayoría de los casos hemos convertido a

visitas telefónicas las consultas que teníamos programadas. Esto ha sido muy bien acogido por los pacientes, a los cuales ir al hospital les ocasionaba un temor justificado. Además, las visitas telefónicas tienen muchas ventajas porque el paciente pierde menos tiempo en el hospital y esto interfiere menos con su actividad laboral, cotidiana, o de atención a una persona mayor que sea dependiente. Sin embargo, cuando era necesario explorar físicamente al paciente las visitas han seguido siendo presenciales, por ejemplo, para monitorizar la medicación, o en el caso de los nuevos diagnósticos ya que requieren de contacto visual cercano, tranquilidad y tiempo.

9. ¿Qué lección podemos sacar de todo esto?

JE: Hemos aprendido que el futuro es impredecible y que hay que tener la flexibilidad mental para adaptarnos a la realidad y responder de forma adecuada a nivel organizativo, con capacidad de polivalencia. Un aprendizaje concreto ha sido la importancia de los test diagnósticos, porque una de las limitaciones más grandes fue nuestra incapacidad de tener test y resultados con suficiente agilidad para atender toda la demanda social. A raíz de esto, algunos procedimientos se han automatizado, y se han adquirido robots que permiten hacer muchos más test.

A nivel de hospital las cosas no son estancas, hay recursos que habitualmente distribuimos entre los servicios, pero hemos aprendido que, frente a una necesidad con importancia jerárquica, como es el COVID-19, todos tenemos que contribuir para atenderla.



DRA. MARÍA JOSEP CABAÑAS POY

*Jefa de Sección del Área
Materno-Infantil del Servicio de
Farmacia, Hospital Universitario
Vall d'Hebron*

ENTREVISTA

LA FARMACIA HOSPITALARIA EN TIEMPOS DEL COVID-19

1. *¿Puede describir las tareas clave del Área Materno-Infantil del Servicio de Farmacia Hospitalaria del Hospital Vall d'Hebron?*

MJC: El Hospital Vall D'Hebron es el hospital más grande de Cataluña. El Servicio de Farmacia está separado físicamente en tres edificios. Nosotros damos soporte a la asistencia del paciente pediátrico y de las mujeres del área de obstetricia y ginecología. En cuanto a trabajo asistencial, es un área muy potenciada y necesaria por el tipo de pacientes que atendemos. El paciente pediátrico no cuenta con especialidades farmacéuticas adecuadas para su edad y peso, por lo que el área de preparación de fórmulas magistrales estériles es una de las más desarrolladas. También en la dispensación ambulatoria de medicación, los pacientes necesitan una atención un poco diferente a la de la población adulta.

2. *¿Qué actividades o servicios ofrecen a pacientes con EERR?*

MJC: El Hospital Vall D'Hebron es un hospital de referencia en Cataluña y por tanto aglutina una serie de pacientes que no se pueden tratar en otros hospitales. Para algunas patologías, de las cuales somos referencia, dispensamos medicamentos huérfanos o ultra huérfanos, tanto en atención ambulatoria, es decir, pacientes que están en sus domicilios y que los vienen a recoger al hospital, como en hospitales de día y, en algún caso, para pacientes que están ingresados.

3. *¿Cómo ha afectado el COVID-19 a sus tareas?*

MJC: El COVID-19 nos ha afectado a todos en una dimensión inimaginable. En el área materno-infantil ha supuesto una revolución cumplir con la normativa de confinamiento marcada por las autoridades sanitarias, y evitar que vinieran los pacientes y las familias al hospital, tanto a administrarse medicación como a recogerla. Ha habido momentos muy críticos, en los que hemos tenido que demostrar una gran agilidad para adaptarnos a una situación muy desfavorable. Hemos invertido muchos esfuerzos en el envío de medicación a domicilio de muchos pacientes. Era un área para la que teníamos mejoras en mente para el

futuro, pero el COVID-19 nos ha dado un empujón para que, de la noche a la mañana, nos lanzáramos a ponerlas en marcha.

4. *¿Cree que las innovaciones en los modelos de gestión han venido para quedarse?*

MJC: Creo que alguno de los cambios que nos ha aportado el COVID-19 se va a quedar. Nos hemos tenido que adaptar a la telefarmacia, comunicándonos con los pacientes a través de llamadas y videoconferencias, hemos tenido que enviar medicación de manera ágil, preservando la trazabilidad, las condiciones de conservación y la confidencialidad de datos en un tiempo récord. Esto ha sido un gran ejercicio de agilidad y de adaptación a la nueva situación. Ese esfuerzo tan grande, centrado en conseguir unos objetivos concretos, no se puede mantener en el tiempo con la misma intensidad, pero sí que ha venido para quedarse.

5. *¿Ha afectado el COVID-19 al acceso a la medicación de EERR?*

MJC: No. Desde luego solo puedo hablar por nosotros, que hemos hecho un esfuerzo enorme para que todos los pacientes tuvieran su tratamiento adecuado y que no tuvieran que sufrir por conseguirlo. En hospital de día, por ejemplo, para que los pacientes con medicación de administración intravenosa no tuvieran que venir al hospital, hemos tenido que darles formación para poder cambiar esa medicación a la vía subcutánea, cuando se daba el caso de la existencia de dos especialidades diferentes de igual eficacia, dosis, efecto terapéutico y efectos secundarios. Es decir, tuvimos que buscar equivalentes para facilitarles la autoadministración en todos los casos que hemos podido. En algún caso, cuando la medicación necesariamente se tenía

que administrar por vía intravenosa, hemos incrementado, si era posible, un porcentaje de la dosis para ampliar el intervalo de administración y que el paciente no tuviera que acudir al hospital con tanta frecuencia.

6. *¿Podía nombrar alguna lección aprendida tras el COVID-19 que tenga que ver con la dispensación a pacientes con EERR?*

MJC: Primero de todo, la buena comunicación, tanto dentro del servicio de farmacia, entre todos los profesionales, como a nivel externo, ha sido fundamental para conseguir el éxito. También el COVID-19 nos ha dado una lección de humanidad. Ha hecho que tengamos más en cuenta a los profesionales, porque los tenemos que proteger, y que entendamos la importancia de la conciliación familiar. A nivel externo, nos hemos puesto en la piel del paciente. Hemos hecho todos los esfuerzos para que, aunque la atención no haya sido presencial, se haya mantenido el vínculo entre el paciente y el farmacéutico y que haya sido una atención humana, ofrecida de otra manera, pero humana y cercana.



FEDER, LA ÚNICA RESPUESTA EFECTIVA Y ESPECIALIZADA DE LAS FAMILIAS CON ENFERMEDADES RARAS FRENTE A COVID-19

JUAN CARRIÓN

Presidente de FEDER y su Fundación

El **94%** de las familias con enfermedades raras o sin diagnóstico en España han visto **interrumpida la atención social y sanitaria** de su patología con motivo de la crisis generada por COVID-19. Una consecuencia que ha situado a este colectivo, que suma alrededor de 3 millones de personas, en una situación de doble vulnerabilidad.

Esta situación se debe, en primer lugar, a que las personas con enfermedades raras han constituido **siempre un colectivo de alto riesgo** al convivir con patologías genéticas, crónicas, multisistémicas y degenerativas en gran parte de los casos. Se trata de enfermedades que aparecen en su mayoría durante la infancia y que ponen en juego la vida del paciente.

Todo ello, lleva a las familias a pasar por sentimientos de desesperanza y soledad producidos por la incertidumbre, la ausencia de tratamiento y la falta de información sobre una enfermedad desconocida para ellas

y para los profesionales sociosanitarios. Es decir, el propio paradigma de COVID-19, una incertidumbre que las familias con enfermedades raras viven los 365 días del año.

En segundo lugar, hemos de tener en cuenta que a esta realidad se suman ahora las **consecuencias de la pandemia**, lo cual ha agravado aún más su situación. De hecho, si las familias ya se sentían aisladas, la actual situación ha agudizado aún más esta incertidumbre al ver paralizado su abordaje.

Pero también por el **miedo** al posible contagio. Miedo al desconocimiento de las posibles interacciones del virus con la patología con la que conviven, a los efectos adversos que pudiera tener el tratamiento de COVID-19

con el de la propia enfermedad o al posible aislamiento de menores ante su contagio o al de su figura de cuidados.

IMPACTO SANITARIO: PARALIZACIÓN DE PRUEBAS Y TRATAMIENTO PARA MÁS DEL 30 % DE LAS FAMILIAS

Todo ello ha afectado de forma directa en ámbitos como la atención sanitaria, una realidad que ya habíamos identificado desde nuestros servicios de atención directa y que hoy podemos cuantificar gracias a proyectos como Rare Barometer Voices, un proyecto de la Alianza Europea de Enfermedades Raras (EURORDIS) en el que han tomado parte alrededor de 700 familias españolas. En concreto, el 33% de ellas han visto canceladas sus pruebas de **diagnóstico**, el 32% el acceso a **tratamiento** y un 31% sus **intervenciones** quirúrgicas o trasplantes.

A ello se une que los menores, al no constituir un sector de riesgo, no tienen acceso a las pruebas de diagnóstico, salvo cuando presentan cuadros avanzado de síntomas, siendo tarde para la prevención. Esta falta de acceso puede ocasionar graves consecuencias, siendo vital un diagnóstico rápido que evite complicaciones y el contagio de sus cuidadores y familiares, imprescindibles para su cuidado.



IMPACTO SOCIAL: EL 70% DE LAS PERSONAS SIN TERAPIAS

Las consecuencias sanitarias han sido devastadoras, pero también en el ámbito social: el 70% de las familias españolas han visto **canceladas** por completo sus **terapias** de rehabilitación, siendo éste el principal problema del colectivo. Más aún teniendo en cuenta que sólo el 5% de las enfermedades raras cuentan con medicamentos y que, para el resto de ellas, el abordaje terapéutico es el **único tratamiento** posible.

La principal causa de esta situación ha sido el **cierre de los centros de atención y educativos**, que ha derivado en que muchos menores no puedan continuar con el abordaje terapéutico y socioeducativo, así como con el proceso de educación integral con el que contaban en estos centros. De hecho, según los datos del área de inclusión de

FEDER, el 40% de las familias han trasladado dificultades sobre la continuidad socioeducativa durante el confinamiento. Muchos centros han innovado y han continuado ofreciendo estos recursos vía online, pero la realidad ha sido heterogénea y muchas familias no han tenido acceso.

Todo ello en un momento en que muchas familias y cuidadores se han visto afectadas por un **ERTE**, con la consecuente reducción de salario y afrontando el alto impacto económico de abordar una enfermedad poco frecuente. Una realidad que también a afectado a otros casos donde no han contado con posibilidades de teletrabajo o han carecido de equipos de protección, exponiéndose diariamente a contagiarse y con ello

a sus familiares sin un marco legal que pueda reconocerles como colectivo de muy alto riesgo.

MEDIDAS DE EMERGENCIA PARA PERSONAS Y ASOCIACIONES

En consecuencia, muchas **familias** se han sentido **abandonadas** en todo este proceso en el que los esfuerzos se han dedicado a frenar la pandemia. Precisamente por eso, ahora más que nunca, desde FEDER y las más de 375 organizaciones de pacientes que representamos, hemos seguido al lado de las familias prestando nuestros servicios vía telefónica y online para que ninguna familia se sienta sola en estos momentos.

Ahora, más que nunca, desde el colectivo de pacientes hemos vuelto a posicionarnos como un referente en la ayuda para las familias. Desde

el inicio del Estado de Alarma, hemos volcado nuestros esfuerzos en apoyar a las familias frente a COVID-19 a través de su atención directa, ayudado a las familias a través de más de 300 consultas vinculadas al virus. Además, hemos dado un paso más allá para ayudar a los más vulnerables entre los vulnerables, contactando con **más de 500 personas de alto riesgo**, como aquellas que viven sin diagnóstico, que no cuentan con asociación de referencia al ser casos únicos en España o bien que están aisladas con un alto grado de dependencia.

En este periodo, hemos ayudado a los casos más vulnerables, pero también hemos atendido las **necesidades más urgentes** de todo el colectivo. Uno de ellos, vinculado al hecho de que muchas familias en situación de ERTE veían cómo perdían la prestación por hijo a cargo con enfermedad grave. Una situación que nos llevó a liderar, junto al Comité Español de Representantes de Personas con Discapacidad (CERMI), la incorporación de esta prestación en la actualización del Real Decreto-ley 11/2020, de 31 de marzo, por el que se adoptan medidas urgentes complementarias en el ámbito social y económico para hacer frente al COVID-19.

Todo ello se completa ahora, con motivo de la desescalada, cuando los centros de servicios sociales

retoman su actividad, posibilitando la reactivación de servicios esenciales para las familias con enfermedades raras. Ante ello, desde FEDER hemos contribuido a la distribución de equipos de protección, pero también destinaremos **ayudas específicas** a aquellas asociaciones federadas que reabran sus **centros de servicios terapéuticos** y de atención temprana para fisioterapia, logopedia, terapia ocupacional o enfermería y hayan proporcionado terapias durante el periodo de crisis.

A estas ayudas se unen otras concretas para **facilitar recursos y medios telemáticos** que permitan el acceso a la educación a distancia, instar a posibilitar la atención educativa domiciliaria, así como generar un servicio de mediación entre familias y centros escolares que permitirá, además, apoyar al profesorado a la hora de generar espacios de encuentro y recursos de ocio inclusivo online.

Todo ello teniendo en cuenta que, en la nueva realidad que se abre paso, las enfermedades raras y su especificidad continúan existiendo, por lo que **los esfuerzos en investigación y sanidad alcanzados durante este periodo han de repercutir y enriquecer** también el abordaje de estas patologías en el futuro.

QUEREMOS FORMAR PARTE DE LA SOLUCIÓN

Éstos son sólo algunos de los hitos más significativos que hemos recogido en los últimos meses; meses que nos han llevado a adaptarnos a una nueva realidad en la que ha quedado patente que nuestro colectivo es uno de los más vulnerables entre los vulnerables, pero también que es **uno de los más fuertes y especializados para formar parte de una solución integral** que repercute, además, en toda la sociedad.

Por eso, desde FEDER queremos formar parte de la solución, a disposición de la Administración, profesionales sanitarios y sociales, investigadores e industria. Porque, históricamente, ha sido el tejido asociativo el que se ha posicionado como un referente a la hora de dar respuesta a las familias que no tenían respuesta, prestando servicios especializados a los que no tendrían tan fácil acceso.

Ahora, más que nunca, la situación que estamos viviendo es algo excepcional que requiere de la unión de todos para salir adelante. Y en eso, nosotros, quienes convivimos con enfermedades raras, somos expertos; **expertos en estar unidos**.



#invulnERables

RAQUITISMOS Y OSTEOMALACIA HEREDADOS EN TIEMPOS DEL COVID-19

SONIA FERNÁNDEZ SERRANO

Presidenta de la Asociación
Española de Raquitismos y
Osteomalacia Heredados
(AERyOH)



1. ¿Podría describir brevemente el perfil de los pacientes con raquitismos y osteomalacia heredados?

SF: El raquitismo y la osteomalacia son enfermedades debidas a un déficit de vitamina D. Existen varios tipos de raquitismos. El hipofosfático, por ejemplo, es debido a la falta de fósforo: nuestros riñones desechan el fósforo por la orina. Nuestros huesos son muy débiles, llegan a romperse por fracturas de estrés y no crecen ni se desarrollan adecuadamente. Eso crea una debilidad general en el cuerpo.

Durante la fase de la niñez el padecimiento se llama raquitismo, mientras que en la fase adulta se denomina osteomalacia. No se trata de un raquitismo carencial, por falta de alimentos, sino de un raquitismo heredado. Es importante tratar esta enfermedad lo antes posible en la infancia, diagnosticar-

la pronto para llegar a la fase adulta con un hueso lo más resistente posible.

2. ¿Podría contarnos algo sobre AERyOH y su labor como Asociación?

SF: La asociación nació en España a finales del 2016. La creamos un grupo de madres afectadas de esta patología y con hijos afectados también por esta patología. En España había muy poca información, porque se trata de enfermedades raras o poco frecuentes, con un número muy limitado de pacientes. Decidimos crear esta asociación para dar información y apoyo a los afectados por estas patologías. Nos juntamos, empezamos a conseguir información de varios sitios y conseguimos fundarla después de bastante tiempo. Ahora, AERyOH ayuda dando información, representa y asesora a los pacientes con raquitismos heredados, defiende sus derechos y ofrece apoyo a sus familiares. Muchas familias llegan con un desconocimiento total de estas patologías. Sobre todo, cuando

se trata de casos nuevos que no han tenido anteriormente ningún otro familiar afectado. Los padres llegan desorientados y buscando respuestas a muchas preguntas que se hacen y que nadie ha sabido contestarles. Representamos a los pacientes tanto legalmente como en instituciones públicas o en medios de comunicación, para darles voz, y contamos con asesores legales tanto a nivel médico como a nivel jurídico para defender sus derechos.

3. *¿Cómo ha afectado la pandemia el seguimiento médico y la supervisión del tratamiento de los niños con raquitismos y de los adultos con osteomalacia?*

SF: La pandemia nos ha afectado sobre todo en el acceso a nuestros especialistas, a las consultas habituales de seguimiento clínico. Supongo que ha sido también el caso de muchos otros pacientes con otras patologías, porque nuestros sanitarios se han centrado en salvar vidas, que era el objetivo primordial en ese momento. Sabemos que han hecho un enorme

esfuerzo y que han tenido recursos limitados para poder atenderlos.

La falta de seguimiento oportuno de nuestro estado ha hecho que nos encontremos anímicamente peor, porque no hemos encontrado remedio a nuestros dolores, no hemos podido saber si nuestros niveles eran adecuados. En algunas ocasiones no hemos podido acceder a los hospitales para la toma de medicamentos de administración hospitalaria.

4. *¿Se ha visto afectada la labor que realiza AERYOH?*

SF: La gestión de la asociación durante la pandemia se ha visto muy afectada. El no poder salir de casa nos ha limitado muchísimo el acceso a trámites que son muy importantes para nosotros. No hemos podido acudir a administraciones públicas a presentar nuestras necesidades de acceso a fármacos innovadores, o a solicitar una minusvalía o una incapacidad. También nos hemos visto afectados a la hora de buscar patrocinadores que nos ayuden para todas estas

cuestiones. Además, el no poder ejercitarnos nos ha creado una rigidez aún mayor en nuestras articulaciones, lo que ha provocado aún más limitaciones en nuestro movimiento.

5. *De toda experiencia se pueden extraer lecciones positivas. ¿Cuáles cree que son las más relevantes en el caso de los pacientes con raquitismos y osteomalacias, y sus familias?*

SF: La pandemia nos ha llevado a valorar aún más nuestro sistema sanitario, a apoyarnos en instituciones como FEDER que ha estado en todo momento a nuestro lado, a valorar más la familia que, muchas veces, por el ritmo de vida que llevamos, dejamos apartada y, por supuesto, a valorar la vida. Porque sea como sea estamos vivos, y debemos seguir adelante buscando soluciones y luchando contra todo lo que se nos venga encima.



**LETICIA
BELETA**

*Directora General de Alexion
para España y Portugal*

EL COMPROMISO DE LA INDUSTRIA FARMACÉUTICA CON EL CUIDADO DE LOS PACIENTES DURANTE LA PANDEMIA DEL COVID-19

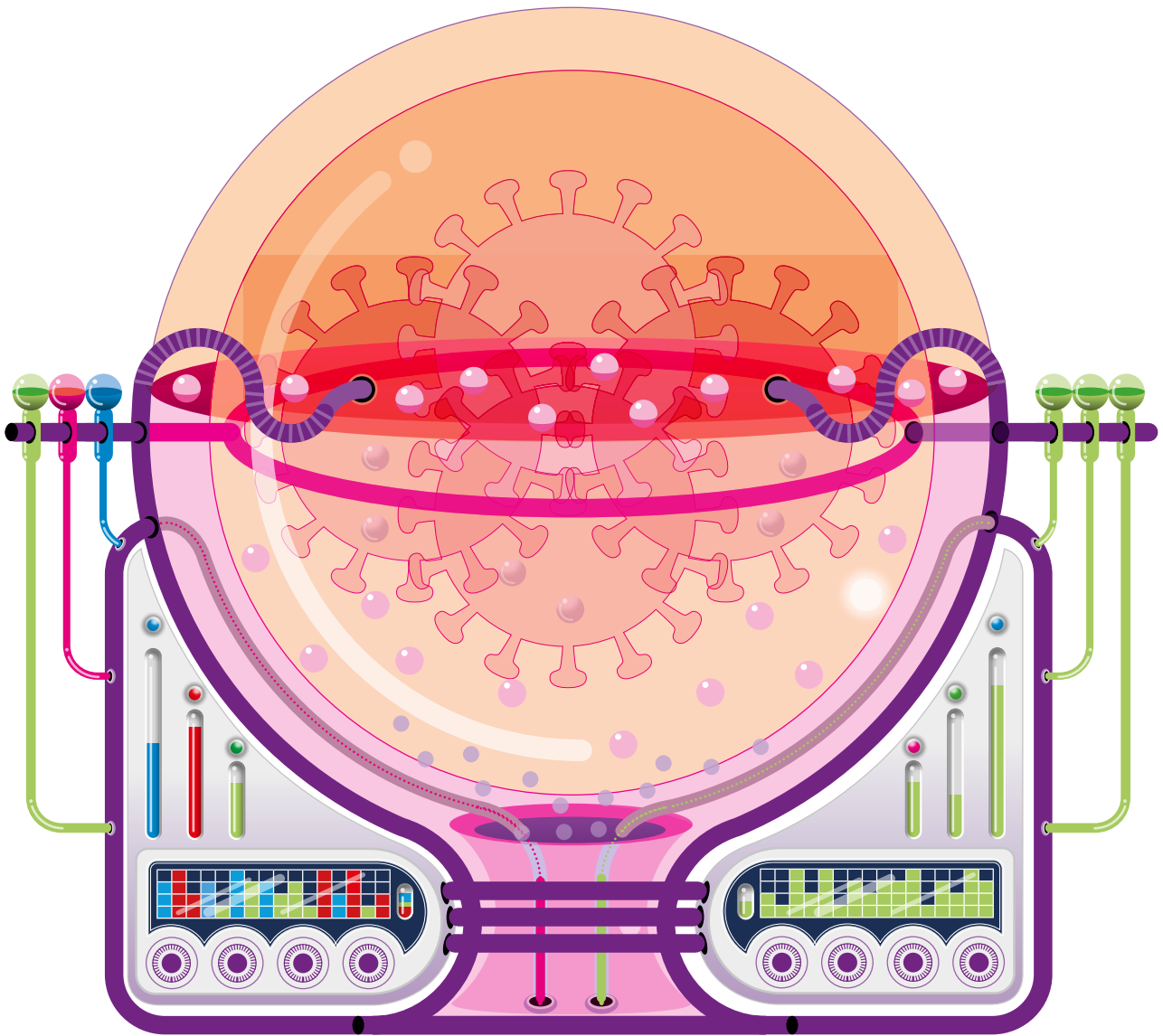
Durante la crisis sanitaria de la COVID-19, la industria farmacéutica ha centrado sus esfuerzos en asegurar la continuidad y la calidad en cada una de sus áreas clave de atención: la investigación, el desarrollo y la oferta de opciones terapéuticas a los pacientes y médicos.

Desde Alexion tenemos el compromiso de cumplir con nuestra misión de servir a los pacientes con enfermedades raras y a sus familias. Este es el objetivo principal de la compañía y muy especialmente lo ha sido durante el COVID-19. En estos meses desde que se decretó la pandemia, Alexion ha seguido focalizado en mantener el servicio a los pacientes, así como la protección de la salud y la seguridad de nuestros empleados y las comunidades en las que vivimos y trabajamos.

En relación con áreas claves de investigación, la mayoría de los programas clínicos han avanzado durante esta época, así como el inicio de nuevos ensayos centrados en la investigación de soluciones de tratamiento para la COVID-19. En concreto, Alexion ha puesto en marcha un ensayo clínico con uno de nuestros fármacos para evaluar su eficacia y seguridad en pacientes graves de COVID-19.

En cuanto al desarrollo y la entrega de medicamentos, la industria farmacéutica ha centrado sus esfuerzos en asegurar la continuidad del suministro adoptando medidas proactivas para mitigar el riesgo de posibles interrupciones del suministro y cualquier problema logístico de distribución que pudiera surgir. En Alexion, debido a la naturaleza vital de nuestros medicamentos, nuestro objetivo es siempre gestionar una cadena de suministro sólida que proporcione medicamentos seguros, estériles y que cumplan con rigurosas normas de calidad.

La COVID-19 ha afectado directamente al cuidado de pacientes con enfermedades raras. Como se refleja en la encuesta Rare Barometer Voices de FEDER, el 94% de las familias con un miembro con una enfermedad rara vieron su cuidado interrumpido debido al COVID-19. Por lo tanto, son



fundamentales nuevas políticas de salud que apoyen el avance de los servicios para estos pacientes que reduzcan la carga hospitalaria. Durante este tiempo, Alexion ha adaptado los programas de atención domiciliaria para atender las necesidades de los pacientes y el sector sanitario. Siguiendo las directrices marcadas por el gobierno Alexion ha trabajado activamente para ofrecer a las autoridades de las comunidades autónomas las medidas necesarias para administrar los medicamentos (de prescripción para uso hospitalario) fuera del hospital, siempre que el paciente, la enfermedad y/o las condiciones epidemiológicas lo permitieran.

Otro hecho que ha quedado de manifiesto por el impacto a nivel global de la pandemia es la importancia, más que nunca, de la solidaridad. Alexion puso en marcha el pasado mes de febrero la Alexion Charitable

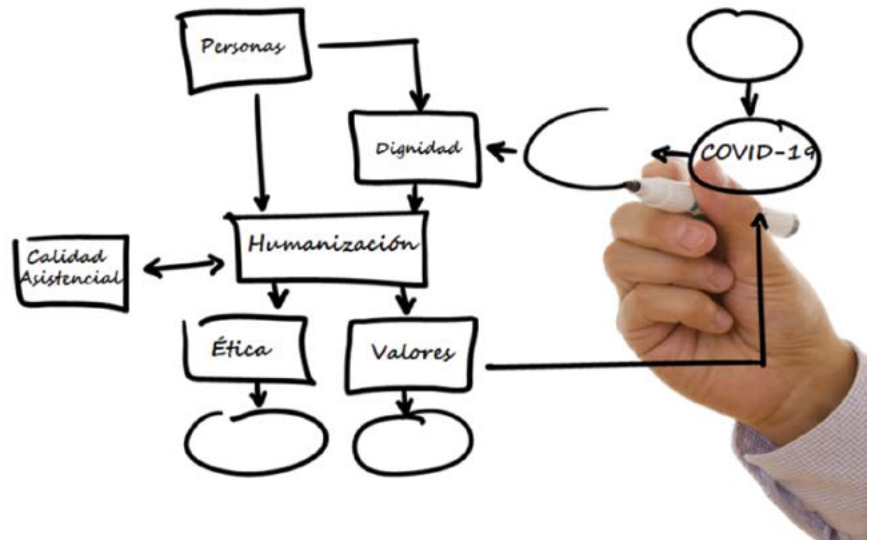
Foundation para proporcionar más apoyo a la comunidad de enfermedades raras y a las comunidades locales a las que la empresa presta servicio. Alexion entiende que el impacto de vivir con una enfermedad rara va mucho más allá de la enfermedad misma, ya que esta afecta a familias, cuidadores y tiene amplias implicaciones en la vida diaria. Atendiendo a esta necesidad global derivada de la pandemia, la Alexion Charitable Foundation donó en abril un total de 500.000 dólares a tres organizaciones sin ánimo de lucro.

A medida que salimos de esta pandemia, los pacientes y las familias a las que servimos, y sus cuidadores, siguen estando en el centro de todo lo que hacemos mientras trabajamos para redefinir lo que significa apoyarlos de manera efectiva en este entorno dinámico y desafiante como resultado de la COVID-19.

HUMANIZACIÓN: ELEMENTO ESENCIAL EN TIEMPOS DE CRISIS SANITARIA

ALEXANDRA IVANOVA

Gerente. WEBER



La crisis sanitaria mundial, provocada por el coronavirus (COVID-19), ha puesto de manifiesto la importancia de disponer de un sistema sanitario solvente y de calidad. Si ya veníamos hablando de Humanización de la Asistencia Sanitaria, el factor de aislamiento de los pacientes con COVID-19 ha hecho que ésta (la humanización) se convierta en un elemento esencial para afrontar la crisis.

Este artículo pretende revisar la situación actual en términos de Humanización de la Asistencia Sani-

taria en España y analizar el efecto del COVID-19 sobre la misma.

INTRODUCCIÓN

Sin lugar a dudas, una persona enferma es una persona vulnerable y por lo tanto requiere de los cuidados de los demás. Bajo esta premisa, hablar de Humanización de la Asistencia Sanitaria resulta muy necesario. Y es así, porque humanizar la sanidad implica cuidar a las personas, y no solamente tratar a los enfermos. En definitiva, humanizar significa reconocer la dignidad de todo ser

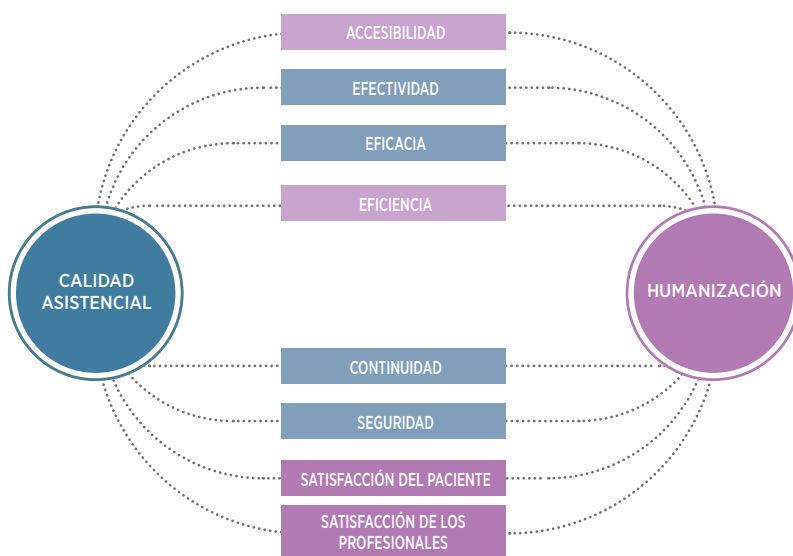
humano y en todas sus dimensiones: física, cognitiva, emocional y social^{1,2}.

Por otra parte, hablar de humanización implica hablar de calidad asistencial, porque la calidad de la atención sanitaria contempla una serie de dimensiones íntimamente relacionadas con el concepto de humanización (Figura 1)³.

En este contexto, surge el marco conceptual de la Humanización de la Asistencia Sanitaria, que sienta sus bases sobre ocho dimensiones, basadas en los valores y características humanas: intimidad, actitud, singularidad, unión, comprensión, experiencia personal, sentido de pertenencia y el cuerpo como un todo⁴. Hay autores que, como punto de partida para la Humanización de los servicios sanitarios, plantean una medicina basada en etiquetas: los médicos deben pedir permiso para entrar, presentarse, etc⁵.

Sin embargo, el gran reto consiste en trasladar la teoría a la práctica. Conseguir una implementación real de la Humanización en el Sistema Nacional de Salud requiere del desarrollo de planes y estrategias a medida, además de invertir recur-

FIGURA 1. DIMENSIONES DE LA CALIDAD ASISTENCIAL

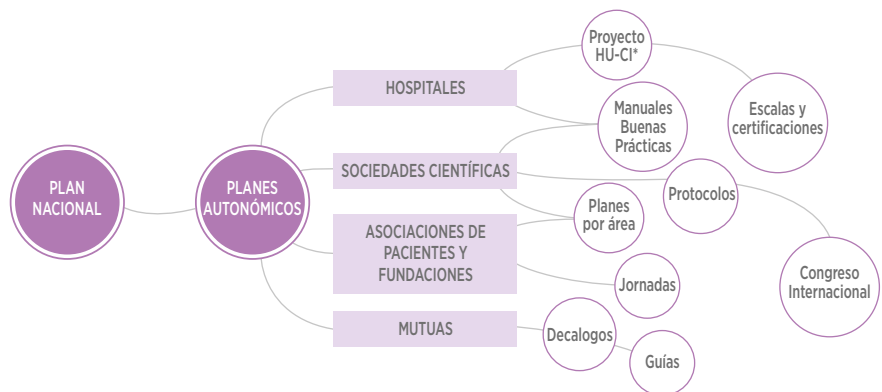


Fuente: Elaboración propia a partir de Donabedian (2001)³

sos, pero sobre todo requiere un cambio de paradigma y de actitud (el paciente como elemento central del sistema)⁶⁻⁸ e incluso cambios en los modelos asistenciales⁹.

La principal dificultad consiste en comprender las necesidades, no solo materiales, sino también emocionales y espirituales de las personas enfermas, para poder atenderlas de forma integral¹⁰. Tales necesidades pueden ser muy diferentes en función de la edad, el tipo de patología, la existencia o no de tratamientos efectivos, etc. y además pueden abarcar desde formas de comunicación hasta medios de dispensación de fármacos. Por ello, es necesario que existan políticas de Humanización en el ámbito político-económico, el de la justicia, de las estructuras, asistencial, ético, cultural, de las competencias profesionales y de los recursos humanos¹¹. Siguiendo en la misma línea, en España las políticas de Humanización se han ido desarrollando a diferentes niveles, por áreas de atención y contemplan distintas acciones (Figura 2).

FIGURA 2. NIVELES DE DESARROLLO Y TIPO DE POLÍTICAS Y ACTUACIONES DE HUMANIZACIÓN EN ESPAÑA



*HU-CI: *Humanizando los Cuidados Intensivos*

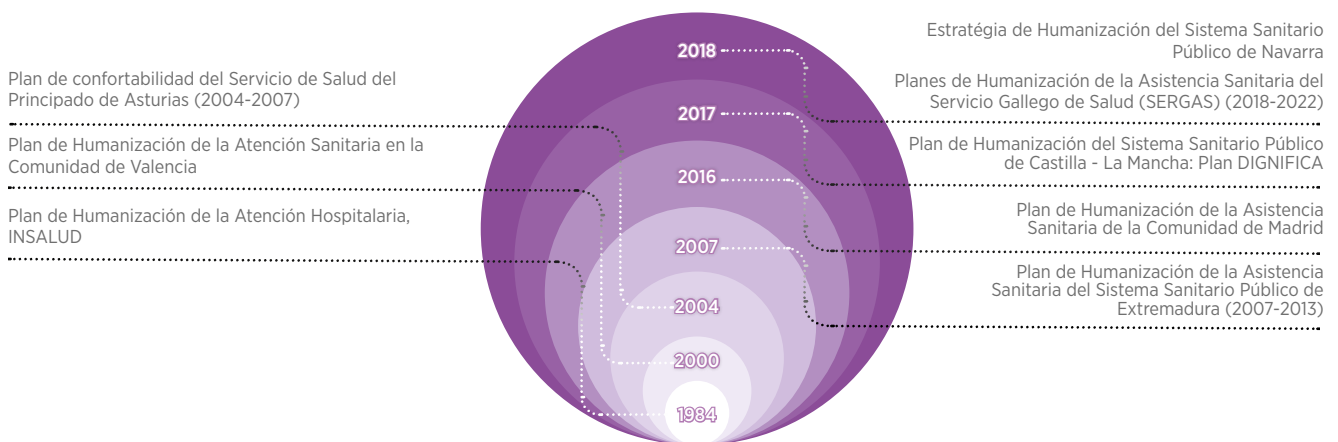
SITUACIÓN ACTUAL DE LA HUMANIZACIÓN DE LA ASISTENCIA SANITARIA EN ESPAÑA

En España, se observa una gran evolución en materia de Humanización. En el año 1984 fue presentado el primer Plan de Humanización de la Asistencia Hospitalaria del INSA-LUD¹². Las aportaciones específicas del Plan del '84 fueron: creación de los servicios de Atención al Paciente, carta de presentación y recepción al paciente, información general y normas de funcionamien-

to, carta de derechos y deberes de los pacientes, comisión de Humanización de la asistencia y encuestas de satisfacción. Posteriormente, se empezaron a suceder los Planes Autonómicos de Humanización de la asistencia (Figura 3)¹³.

En paralelo, se han ido creando organismos centrados en promover planes específicos y dar seguimiento de la incorporación de la Humanización según el nivel de atención sanitaria (atención primaria^{14,15} y atención hospitalaria¹⁶), por áreas

FIGURA 3. EVOLUCIÓN DE LOS PLANES AUTONÓMICOS DE HUMANIZACIÓN EN ESPAÑA



Fuente: *Elaboración propia a partir de Rodríguez (2019)*¹³



terapéuticas (psoriasis,¹⁷ salud mental,¹⁸ etc.) y también por grupos de pacientes (pediátricos¹⁹, crónicos²⁰, terminales²¹, etc.). También han sido desarrolladas diferentes escalas²² y cuestionarios de autoevaluación del grado de implementación de Humanización.

Las Comunidades Autónomas de Madrid y Castilla – La Mancha fueron pioneras en la creación de Direcciones Generales de Humanización, dentro de sus respectivas Consejerías de Sanidad. En el año 2018, la Comunidad de Madrid constituyó el primer Observatorio de Humanización de la Asistencia Sanitaria²³. Entre las principales funciones del Observatorio están las de recopilación, análisis y difusión de la información sobre proyectos, iniciativas y buenas prácticas relacionados con la mejora de la humanización de la asistencia sanitaria en el ámbito de la Comunidad de Madrid. Por su parte, se desarrolla el Plan DIGNIFICA, con el objetivo general de elevar el nivel de Humanización de los centros sanitarios, desarrollar un marco común en todos los centros de SESCAM y avanzar hacia el empoderamiento para aumentar la corresponsabilidad de todas las partes implicadas²⁴.

A día de hoy, el avance más importante en materia de Humanización se ha producido en el área de los cuidados intensivos. Este proceso

arranca con la puesta en marcha del Proyecto HU-CI, que nace en el año 2017 para dar respuesta adecuada a los pacientes críticos y sus familiares²⁵, y que impulsa la creación de una certificación AENOR en Humanización²⁶. Así, en el año 2019, fue certificada la primera Unidad de Cuidados Intensivos en el Hospital Infanta Elena de Madrid²⁷. Siguiendo la estela del Proyecto HU-CI, actualmente están en marcha los Proyectos HURGE²⁸, Proyecto HUGES²⁹ y Proyecto HONCOR³⁰, lo que marca una tendencia muy positiva en materia de Humanización en nuestro país.

En el ámbito de las Enfermedades Raras, cabe destacar la reciente publicación del Manual de Buenas Prácticas de Humanización de los Servicios de Farmacia Hospitalaria en la Atención a pacientes con Enfermedades Raras³¹. Este proyecto está siendo impulsado por el Grupo Orphar-SEFH, coordinado por el Dr. José Luis Poveda, Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario y Politécnico La Fe, Valencia, donde ya se está trabajando en los próximos pasos. Otro avance importante lo constituye la

inclusión de un objetivo específico, dirigido a proyectos para pacientes con enfermedades raras, dentro de la actualización del Plan de Humanización de la Comunidad de Castilla – La Mancha³². Los elementos diferenciales en Humanización, en el ámbito de las Enfermedades Raras, están relacionados con las propias características y problemas de dichas enfermedades, por lo que los esfuerzos en esta materia se centran en la investigación: desde la puesta en marcha de ensayos clínicos y nuevos tratamientos, hasta mejoras en el diagnóstico y la comunicación afectiva – efectiva^{33,34}.

EL IMPACTO DEL COVID-19 EN LA HUMANIZACIÓN DE LA ASISTENCIA SANITARIA

Como se señala en el artículo en profundidad del presente número de la revista, la pandemia por el COVID-19 ha provocado la peor crisis sanitaria y económica de la historia reciente. La saturación del Sistema Nacional de Salud ha obligado a los responsables políticos y sanitarios a adoptar medidas de emergencia. A nivel nacional, ha sido decretado el Estado de Alarma, que implicó el



confinamiento de la población. El aislamiento y el distanciamiento social han representado una amenaza para las personas mayores³⁵.

A nivel asistencial, la mayor parte de consultas presenciales en Atención Primaria se han transformado en teleconsultas o han sido canceladas; muchas personas se han visto imposibilitadas de visitar a sus familiares en las residencias de mayores, además de no tener acceso a información certera sobre su estado de salud y tampoco poder despedirse de ellos. A nivel hospitalario, se han producido importantes reestructuraciones, con el fin de habilitar plantas de aislamiento para pacientes con COVID-19. Esto, a su vez, ha provocado la cancelación de numerosas consultas y cirugías de otras especialidades; muchos pacientes se han visto obligados a interrumpir sus tratamientos por falta de administración o dispensación; han sido suspendidos numerosos estudios de investigación clínica; la falta de respiradores³⁶ y material de protección, así como de un tratamiento específico, ha generado ansiedad y angustia entre los profesionales sanitarios^{37,38} y la ratio de sanitarios por paciente se ha disparado. En definitiva, el COVID-19 parecía un "arma de destrucción masiva" para la Humanización de la Asistencia Sanitaria. Sin embargo, no lo fue tanto gracias a la reacción inmediata por parte de los responsables y profesionales sanitarios, y de los ciudadanos en general.

Es más, el COVID-19 se ha convertido en un "experimento natural" donde el lado más humano de las personas ha jugado un papel principal y se ha reafirmado la necesidad de políticas de Humanización aún más exigentes y detalladas. También se han puesto de mani-

fiesto otros retos en materia de Humanización, como son mejorar la comunicación³⁹⁻⁴¹ y los protocolos de acompañamiento al final de la vida. Muestra de ello son las numerosas iniciativas puestas en marcha en este sentido. Por ejemplo, el Hospital de Fuenlabrada ha ampliado su Plan de Humanización mediante la elaboración de un procedimiento de atención a las familias al final de la vida, que contempla desde la localización de familiares e identificación de necesidades de valoración social, hasta la tramitación de recursos económicos para el enterramiento y apoyo emocional. En la misma línea han trabajado la mayoría de instituciones, desde los ayuntamientos y consejerías de sanidad hasta los hospitales⁴².

Por otra parte, el COVID-19 ha supuesto la aceleración del desarrollo de los Planes de Humanización de Andalucía y Galicia, además de la creación de Planes de Humanización específicos para afrontar crisis sanitarias de este tipo, como es el caso del Hospital de Torrejón de Ardoz y el Hospital Asepeyo de Coslada, donde se recogen acciones orientadas a mejorar el bienestar de los pacientes ingresados con COVID-19^{43,44}.

Además, esta pandemia ha tenido un gran impacto a nivel psicológico para los profesionales sanitarios, lo que invita a reflexionar acerca de la necesidad de desarrollar políticas de humanización orientadas a clínicos, personal de enfermería, etc.⁴⁵ Como medidas excepcionales se han puesto en marcha consultas psicológicas gratuitas⁴⁶ y muestras de cariño espontáneas (aplausos, servicios de catering gratuitos, etc.), pero indudablemente todavía queda trabajo por hacer para reforzar y regularizar estas medidas de cara al futuro.

CONCLUSIONES

Definitivamente, la Humanización de la Asistencia Sanitaria ha venido para quedarse. En momentos de crisis, como la que se está viviendo, este aspecto alcanza una importancia máxima, de forma que se convierte en sinónimo de Humanidad.

Una vez controlada la pandemia, la tarea en materia de Humanización será afianzar los Planes de Humanización ya iniciados, mantener las medidas positivas implementadas (protocolos de acompañamiento y atención al duelo; telemedicina), activar otras medidas para situaciones de emergencia (permisos especiales, etc.) y definitivamente trabajar para la implementación extendida de las políticas de Humanización en el Sistema Nacional de Salud español.

En el ámbito de las Enfermedades Raras, el COVID-19 ha tornado la premura por avanzar en humanización en una urgencia. Uno de los próximos pasos será alcanzar la implementación del Manual de Buenas Prácticas presentado por la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria, además de completar las políticas de humanización, con el fin de mejorar la atención de los pacientes.

A LOS MÉDICOS ENFERMERAS Y CUIDADORES EN PRIMERA LÍNEA
A LOS SERVICIOS PÚBLICOS QUE MANTIENEN EL PAÍS EN MARCHA
AL PERSONAL DE INVESTIGACIÓN Y DOCENTE
A LOS PACIENTES Y SUS FAMILIAS
A TODOS LOS QUE SE QUEDAN EN CASA

GRACIAS



1. Haug S, Goldstein M, Cummins D, Fayard E, Merritt TA. Using Patient-Centered Care After a Prenatal Diagnosis of Trisomy 18 or Trisomy 13: A Review. *JAMA Pediatr.* 2017;171(4):382-387.
2. Pabón IC, Cabrera CM. La humanización en el cuidado de pacientes para lograr una atención de alta calidad. *Rev Unimar.* 2008;45:31-35.
3. Donabedian A. Evaluación de la calidad de la atención médica. *Rev Calidad Asistencial.* 2001;16:11-27.
4. Todres LG, K. The humanization of healthcare: A value framework for qualitative reserach. *International Journal of Qualitative Studies on Health and Well-being.* 2009;4(2):68-77.
5. Kahn MW. Etiquette-based medicine. *N Engl J Med.* 2008;358(19):1988-1989.
6. Simbiotia. Humanización de la Salud: un cambio de paradigma en la sistencia. <https://youtu.be/cpTeG74pfUw>
7. Audet AM, Davis K, Schoenbaum SC. Adoption of patient-centered care practices by physicians: results from a national survey. *Arch Intern Med.* 2006;166(7):754-759.
8. Kerr EA, Hayward RA. Patient-centered performance management: enhancing value for patients and health care systems. *JAMA.* 2013;310(2):137-138.
9. El Global. 25 de febrero 2020. La Humanización demanda nuevos modelos de atención sanitaria. <https://elglobal.es/industria/la-humanizacion-demanda-nuevos-modelos-de-atencion-sanitaria/>
10. Santos AM. Humanización de la Atención Sanitaria: retos y perspectivas. *Cuadernos de Bioética.* 2003;1:39-60.
11. Bermejo JCV, M. El compromiso de la Humanización en las instituciones sociosanitarias. *Fundación Caser para la Dependencia.* 2013:1-23.
12. INSALUD. Plam de Humanización de la Asistencia Hospitalaria. *Madrid.* 1984.
13. Rodríguez L. Cuidados enfermeros y Humanización de la Asistencia Sanitaria. *Revista Enfermería CyL.* 2019;11(1):155-171.
14. Nora CR, Junges JR. [Humanization policy in primary health care: a systematic review]. *Rev Saude Publica.* 2013;47(6):1186-1200.
15. Gutiérrez R. La Humanizaicón de (en) la Atención Primaria. *RevClinMedFam.* 2017;10(1):29-38.
16. Plan de Humanización Hospital Universitario Virgen del Rocío. Sevilla. 2018. Disponible en: <https://hospitaluvroci.es/wp-content/uploads/2019/01/Plan-Humanizacion-HUVR-2018.pdf>
17. Fundación HUMANS. Por una Atención Sanitaria más humanizada de las personas con psoriasis. 2019.
18. Fundación HUMANS. Humanización y Salud Mental. 2020.
19. Bieger CL, L.; Ortiz, B.; Alonso, A. Índice de Humanización de Hospitales Infantiles. 2019.
20. Fundación HUMANS. Informe sobre Indicadores de la Humanización de la cronicidad. 2018.
21. Román B. Para la Humanizaicón de la atención sanitaria: los cuidado paliativos como modelo. *MedPaliat.* 2013;20(1):19-25.
22. Bermejo JC, Lozano B, Villacieros M, Carabias R. [Development and validation of a scale on sense of suffering: the "Humanizar" Scale]. *An Sist Sanit Navar.* 2013;36(1):35-45.
23. CAM. Observatorio de Humanización de la Asistencia Sanitaria. 2018. <https://www.comunidad.madrid/transparencia/unidad-organizativa-responsable/observatorio-humanizacion-asistencia-sanitaria-comunidad-madrid>
24. SESCOAM. Plan de Humanizaicón del Sistema Sanitario Público de Castilla - La Mancha. 2017. Disponible en: <https://sanidad.castillalamancha.es/plan-de-humanizacion/plan-dignifica>

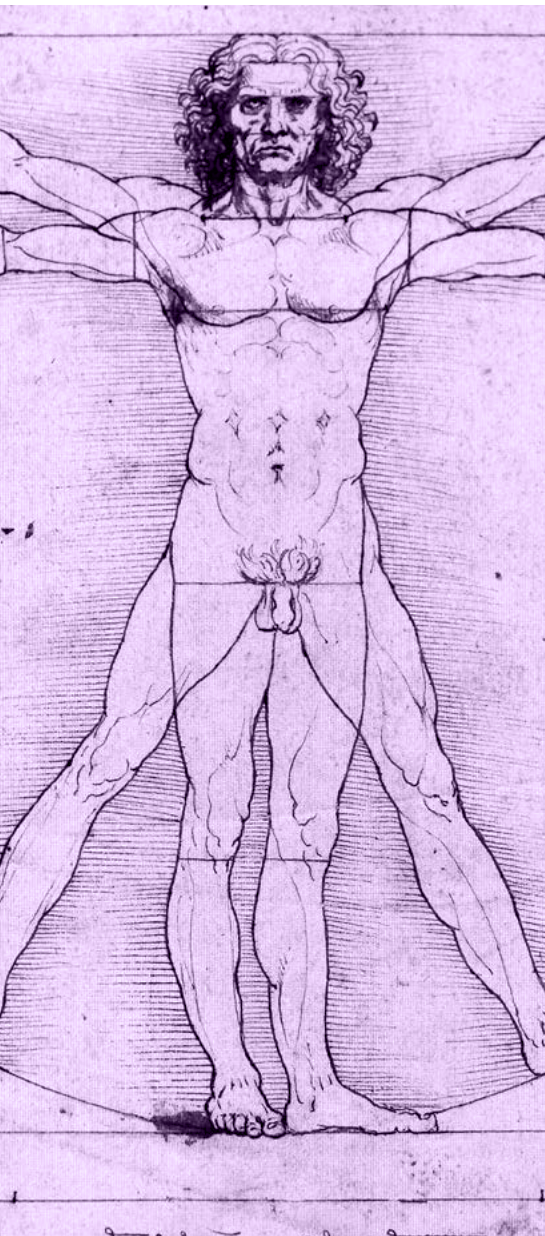


25. Rojas V. Humanización de los cuidados intensivos. *RevMedClinCONDES*. 2019;30(2):120-125.
26. Grupo de trabajo de certificación de Proyecto HU-CI. Manual de buenas prácticas de humanización en Unidades de Cuidados Intensivos. Madrid: Proyecto HU-CI; 2019 Disponible en: <http://humanizandoloscuidadosintensivos.com/es/buenas-practicas>
27. La UCI del Hospital Universitario Infanta Elena, primera del mundo en recibir la Certificación en Buenas Prácticas de Humanización en Cuidados Intensivos. 2019. <https://www.hospitalinfantaelena.es/es/sala-prensa/noticias/uci-hospital-universitario-infanta-elena-primer-mundo-rci>
28. Proyecto HURGE: Humanizando las Urgencias y Emergencias. 2018. <https://forohurge.com>
29. Proyecto HUGES: Humanizando de la Gestión Sanitaria. 2018. <http://www.humanizandolagestionsanitaria.com/>
30. Proyecto HONCOR: Humanizando de la Oncohematología y Radioterapia. 2018. <http://www.proyectohoncor.com>
31. Poveda JL, Company MJ; Edo MD; Arasa E. Manual de Buenas prácticas de Humanización de los servicios de Farmacia Hospitalaria en la atención de pacientes con EE.RR. http://gruposdetrabajo.sefh.es/orpharsefh/images/Manual_Buenas_Pr%C3%A1cticas_Humanizaci%C3%B3n_de_SF_en_EERR_definitivo_28_02_20.pdf
32. Emiliano García-Page. Presidente de la Comunidad de Castilla - La Mancha: Atención Sanitaria "más humanizada" a las personas con EE.RR. 28 de febrero 2020. <https://twitter.com/i/status/1233676582696472576>
33. IV WorkER Meeting: Investigación en Enfermedades Raras. 25 de Noviembre 2019. <https://www.dgenes.es/dgenes-organiza-el-proximo-3-de-diciembre-el-iv-worker-meeting-investigacion-en-enfermedades-raras>
34. III Congreso Nacional de Enfermedades Raras: de la Investigación a la Humanización. 13-15 de Febrero 2020. <https://www.salamanca24horas.com/texto-diario/mostrar/1696150/investigacion-humanizacion-ejes-iii-congreso-nacional-enfermedades-raras-acogera-universidad-pontificia-salamanca>
35. Steinman MA, Perry L, Perissinotto CM. Meeting the Care Needs of Older Adults Isolated at Home During the COVID-19 Pandemic. *JAMA Intern Med*. 2020.
36. White DB, Lo B. A Framework for Rationing Ventilators and Critical Care Beds During the COVID-19 Pandemic. *JAMA*. 2020.
37. DeJong C, Chen AH, Lo B. An Ethical Framework for Allocating Scarce Inpatient Medications for COVID-19 in the US. *JAMA*. 2020.
38. Inchausti F, García-Poveda, N.V., Prado-Abril, J. y Sánchez-Reales, S. La Psicología Clínica ante la Pandemia COVID-19 en España. *Clínica y Salud*. 2020;31(2):105-107.
39. Back A, Tulskey JA, Arnold RM. Communication Skills in the Age of COVID-19. *Ann Intern Med*. 2020;172(11):759-760.
40. Gray NA, Back AL. Covid-19 communication aids. *BMJ*. 2020;370:m2630.
41. Bowman BA, Back AL, Esch AE, Marshall N. Crisis Symptom Management and Patient Communication Protocols Are Important Tools for All Clinicians Responding to COVID-19. *J Pain Symptom Manage*. 2020;60(2):e98-e100.
42. Protocolos para el acompañamiento y la muerte digna. <https://derechoamorrir.org/2020/04/15/covid-19-listado-de-iniciativas-para-facilitar-el-acompanamiento-al-final-de-la-vida>
43. Coronavirus: Torrejón activa un plan de humanización propio para Covid-19. 21 de Abril 2020. <https://www.redaccion-medica.com/autonomias/madrid/coronavirus-torreon-activa-un-plan-de-humanizacion-propio-para-covid-19-3926>
44. Asepeyo. Guía de Actuación: Humanizar en tiempos del Covid-19. 2020. <https://www.asepeyo.es/wp-content/uploads/Guia-actuacion-covid-19-hospital-Coslada-Asepeyo.pdf>
45. Fundación HUMANS. Decálogo de cuidados del ciudadano al profesional sanitario. 2020. http://www.fundacionhumans.com/wp-content/uploads/2020/03/declogo-de-cuidados-del-ciudadano-al-profesional-sanitario_ok.pdf
46. FundacionLaCaixa. Línea de asistencia psicológica para profesionales sanitarios. 2020. <https://fundacionlacaixa.org/es/cuidar-a-quienes-nos-cuidan>

LA HUMANIZACIÓN HA LLEGADO PARA QUEDARSE

RAMÓN FERRER

Consultor, miembro del equipo editorial de newsRARE



Participantes en el evento

Sentados (izq a dcha): Álvaro Hidalgo, editor de newsRARE; Carmen Encinas, directora general de Planificación y Ordenación e Inspección Sanitaria CLM; Miguel Ángel Collado, rector de la UCLM; Teresa Marín, directora general de Humanización y Atención Socio-sanitaria CLM; José Luis Poveda, coordinador del Grupo de Trabajo de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos de la SEFH.

De pie (izq a dcha): Ramón Ferrer, consultor; Fátima Guadamillas, vicerrectora de la Universidad de la UCLM; David Beas, director general de Actelion; Juan Carlos Valenzuela, jefe del Área de Farmacia del SESCAM; María José Company, Especialista FH Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia; Santiago de la Riva, miembro de la Junta Directiva de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER).

Las personas que padecen una enfermedad rara y los familiares que las atienden necesitan de una manera muy especial recibir una asistencia humanizada, una atención que tenga en cuenta que este perfil de paciente sufre en muchos casos desorientación, desesperanza y un sentimiento de soledad derivados del retraso en el diagnóstico y la ausencia de un tratamiento efectivo, además de los síntomas específicos de la enfermedad.

Afortunadamente, la humanización de la atención está cobrando un protagonismo creciente en las agendas de la mayoría de administraciones sanitarias. Situar a los pacientes como eje del sistema de salud es ya un objetivo estratégico muy presente que se traduce en diferentes programas e iniciativas concretas.

El Manual de Buenas Prácticas de Humanización de los Servicios de

Farmacia Hospitalaria en la atención a pacientes con EERR viene a contribuir con fuerza a los objetivos de humanización de los cuidados y la atención de las enfermedades raras. Este proyecto nace de la mano de José Luis Poveda, María José Company y María Dolores Edo del Servicio de Farmacia del Hospital La Fe de Valencia, en colaboración con el Grupo de Trabajo de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (Orphar-SEFH) y con el soporte de Actelion Janssen.

Esta guía se configura como una hoja de ruta al servicio de las farmacias de hospital que han decidido emprender un camino de mejora continua de la calidad asistencial para situar al paciente con enfermedades raras en el eje de sus actuaciones. El documento



Mesa Inaugural del evento

De izquierda a derecha: Álvaro Hidalgo, Carmen Encinas, Miguel Ángel Collado, Teresa Marín y José Luis Poveda.

va a guiar este proceso de manera que cada centro va a poder evaluar su situación y plantearse objetivos, a corto, medio y largo plazo. Además, el Manual permitirá iniciar a medio plazo un proceso de evaluación externa y certificación de las farmacias de hospital en esta área.

Concretamente el Manual incluye 5 líneas estratégicas que definen estándares medibles para poder valorar el grado de humanización aportado:

- **Cultura de humanización:** busca impulsar la humanización como política estratégica en el servicio de farmacia.
- **Empoderamiento del paciente:** no solo afecta al propio paciente sino a su entorno a través de la formación y educación en el autocuidado
- **Profesionales:** se evalúa el fomento de la motivación y el desarrollo de las competencias adquiridas de los profesionales del servicio de farmacia.
- **Evaluación de espacios físicos**

y el confort: para promover una infraestructura humanizada en el servicio de farmacia.

- **Condiciones organizativas:** para apostar por una organización de la actividad humanizada en el Servicio de Farmacia.

El proyecto se ha presentado formalmente durante un encuentro de expertos en enfermedades raras dedicado a la humanización que ha tenido lugar en la Facultad de Ciencias Jurídicas y Sociales de la UCLM en Toledo, coincidiendo con el Día Mundial de las Enfermedades Raras. Los asistentes han acogido muy positivamente la publicación de este Manual. Así, el rector de la UCLM, Miguel Ángel Collado, incidió en la novedad que representa el proyecto en su conjunto, mencionando que se trata de *“una iniciativa pionera que puede contribuir de manera importante a avanzar en la línea de la humanización de la atención, especialmente en el campo de las enfermedades raras”*.

En su intervención, la directora general de Humanización y Aten-

ción Sociosanitaria de la Consejería de Sanidad de Castilla-La Mancha, Teresa Marín, apuntaba a *“la importancia de contar con herramientas que hagan más visibles las dificultades que tienen las personas que padecen una enfermedad poco frecuente”, poniendo en valor y destacando las necesidades de los familiares que conviven con patologías que van a requerir de “enfoques innovadores y multidisciplinares como es el caso del Manual”*.

La directora general de Planificación y Ordenación e Inspección Sanitaria, Carmen Encinas comentó que se trata de *“una iniciativa muy interesante desde el contexto de la prestación farmacéutica, ya que el farmacéutico de hospital, además de aportar valor con el conocimiento técnico del medicamento, va a ampliar su contribución al sistema con actividades que son muy necesarias desde la perspectiva del paciente con enfermedades raras”*

En la reunión se mencionó la importancia estratégica de la telefarmacia. En este sentido Juan Carlos Valenzuela, jefe del Área de Farmacia del SESCAM comentó que *“tarde o temprano vamos a tener que abrir este debate, ya que para los pacientes es importante reducir los desplazamientos a las farmacias de los hospitales, sobre todo cuando viven alejados de los centros asistenciales”*.

Santiago de la Riva, miembro de la Junta Directiva de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) expresaba el valor percibido por el colectivo de pacientes y el agradecimiento a los profesionales que han impulsado esta iniciativa, alertando de que *“la complejidad de la administración y la carga de trabajo y por tanto la falta de tiempo de los profesionales pueden*



De izquierda a derecha: Santiago de la Riva; Juan Carlos Valenzuela; María José Company; Mariló Edo, Especialista FH Hospital Universitari i Politécnic La Fe de Valencia.

“dificultar la implementación de algo que es tan básico como un Manual de buenas prácticas”.

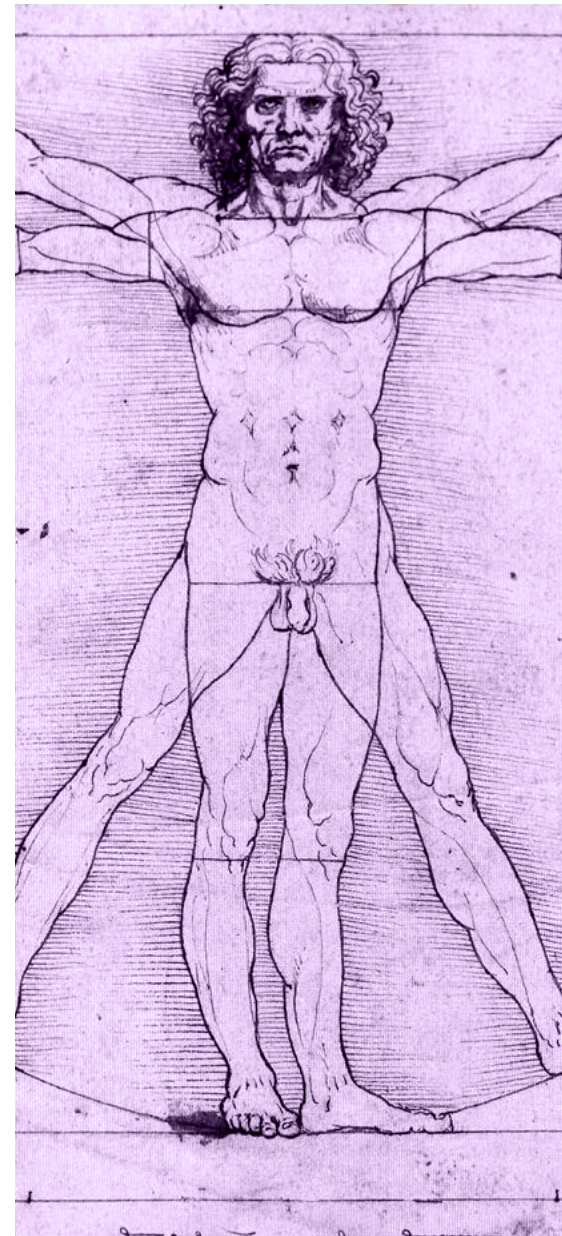
Para Álvaro Hidalgo, editor de newsRARE y director del GIES – UCLM “a pesar de que la humanización de la atención a los pacientes con enfermedades raras no se puede hacer sin dotarse del recurso tiempo de los profesionales sanitarios, hay que resaltar que los beneficios asociados a la humanización son mucho más sustanciales que los costes”.

En opinión de David Beas, Director General de Actelion “las claves de éxito para avanzar en la humanización de las enfermedades raras pasan por una reflexión y una aproximación multidisciplinar -gestores, profesionales, pacientes, industria – que venga acompañada de herramientas concretas como es el caso del Manual que faciliten pasar de las palabras a los hechos”.

Para José Luis Poveda, coordinador del Grupo de Trabajo de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (Orphar-SE-FH), las posibilidades para mejorar

las condiciones de humanización de la asistencia sanitaria requieren de “un fuerte compromiso y esfuerzo político y económico que debe venir acompañado de pequeñas acciones en la actividad profesional diaria que nos acerquen a una atención más humanizada”. En su opinión, el Manual servirá como “un primer paso para establecer un modelo de certificación que permita verificar en qué punto se encuentra cada servicio y qué puede hacer. El proceso de certificación es un instrumento muy potente que contribuirá sin duda a la mejora de la calidad asistencial”.

Es por tanto una buena noticia comprobar que la humanización de la atención a pacientes con enfermedades raras avanza a paso firme en nuestro entorno. No hay duda que este innovador proyecto liderado por el Dr. Poveda va a tener un impacto en la calidad de la atención percibida por los pacientes con enfermedades raras tanto a corto como a medio plazo. Como han comentado los expertos reunidos en Toledo, “la humanización de la atención no es una moda, ha venido para quedarse”.



EUROPA

UN SISTEMA "A PRUEBA DE FUTURO Y DE CRISIS": LAS CLAVES DE LA FUTURA ESTRATEGIA FARMACÉUTICA DE LA UE

A raíz de la pandemia del COVID-19, la Comisión Europea (CE) ha publicado la hoja de ruta de la Estrategia Farmacéutica de la UE. Se trata de un documento que plantea la creación de un marco regulatorio para conseguir un sistema farmacéutico a prueba de crisis, e invita a los ciudadanos europeos y a las partes interesadas a compartir sus puntos de vista. Las aportaciones a esta hoja de ruta irán seguidas de una consulta pública, con la idea de presentar la Estrategia Farmacéutica de la UE a finales de año.

Dicha estrategia tendrá como objetivo general combinar acceso e innovación, sumando esfuerzos con cuatro ejes transversales de la Comisión: la Estrategia Industrial para Europa (evaluando y revisando el marco regulatorio, las políticas existentes, abordando la I+D, la autorización y el acceso), el Pacto Verde Europeo, el Plan Europeo contra el Cáncer y la Estrategia Digital de la UE.

El nuevo marco regulatorio tiene la intención de garantizar el acceso a medicamentos esenciales, el impulso hacia la competitividad, la digitalización y la innovación, y la autonomía estratégica. Su consecución determinará la necesidad de nuevas acciones legislativas que pueden incluir la **revisión de la legislación sobre medicamentos huérfanos y pediátricos**.

Los objetivos específicos que persigue la estrategia farmacéutica de la UE son:

- Mejorar la distribución y abastecimiento de medicamentos y terapias para conseguir un mayor acceso para los pacientes.
- Ayudar a conseguir que los medicamentos sean más asequibles y los sistemas sanitarios más sostenibles.
- Obtener beneficios de la digitalización, innovación y de las tecnologías emergentes, reduciendo la huella ambiental y sin perder de vista la medicina personalizada.
- Armonizar las normas internacionales de competitividad y autonomía estratégica, así como, de calidad y seguridad de los medicamentos en aras de la igualdad.

La consulta pública de la CE estará abierta hasta el próximo 15 de septiembre de 2020. Se puede acceder a ella a través de este enlace: <https://ec.europa.eu/info/law/better-regulation/have-your-say/initiatives/12421-Pharmaceutical-Strategy-Timely-patient-access-to-affordable-medicines/public-consultation>



PUBLICACIÓN DE LA RARE CANCER AGENDA 2030

Tras tres años de trabajo con 34 socios asociados y 18 Estados miembros, en septiembre de 2019, el Proyecto *Joint Action on Rare Cancers (JARC)*, financiado por el Programa de Salud de la Unión Europea (2014-2020), presentó sus recomendaciones finales para la atención de los cánceres raros en los países europeos. Estas recomendaciones han sido publicadas en un informe que lleva por título "*RARE CANCER AGENDA 2030: Ten Recommendations from the EU Joint Action on Rare Cancers*".

La *Rare Cancer Agenda 2030* presenta un análisis del estado del arte en materia de investigación y asistencia sanitaria a personas con cánceres raros en Europa, y concreta 10 bloques de recomendaciones para mejorar la identificación, el proceso de diagnóstico y la organización de servicios de atención a los pacientes que sufren de este tipo de enfermedades raras.

Los cánceres raros son casos muy poco frecuentes de una enfermedad común, y se estima que afectan a uno de cada cinco pacientes nuevos diagnosticados de cáncer en Europa. Estos tumores plantean un conjunto de desafíos específicos dentro de su condición de rareza: desde la investigación básica y clínica, hasta el acceso a nuevos medicamentos, pasando por dificultades en la práctica clínica y la toma de decisiones.

Según este informe de la JARC, el desarrollo de redes de atención y la investigación clínica son las áreas clave en las que los países deben intervenir para reducir la discriminación contra pacientes con cánceres raros. Las recomendaciones constituyen una base para definir las líneas estratégicas de intervención sobre las cuales cada país miembro debe desarrollar sus políticas de salud en los próximos años.

Entre las recomendaciones destaca la garantía de la calidad de la atención, que requiere de centros especializados de referencia, de un enfoque multidisciplinar de atención al paciente, y del desarrollo de cursos de capacitación médica especializada. Otro apartado recomienda estrechar el vínculo entre la asistencia clínica y la investigación, ya que la monitorización epidemiológica y clínica y el desarrollo de nuevas metodologías de investigación adecuadas a las enfermedades con

muy baja prevalencia son esenciales para mejorar el conocimiento de la enfermedad y, por lo tanto, de los tratamientos para los pacientes.

Se agrega también a la lista de recomendaciones el desarrollo de herramientas apropiadas para apoyar las decisiones clínicas en condiciones de mayor incertidumbre, típicas de la rareza y la escasez de los casos tratados, la utilidad de compartir la decisión entre el médico y el paciente, y la importancia de la participación de las organizaciones de pacientes en todas las áreas de intervención, desde la sensibilización hasta la organización de la atención.

El informe completo está disponible en este enlace: <https://www.rarecancerseurope.org/content/download/294217/5832976/1>



ESPAÑA

LA SEFH IDENTIFICA LOS NUEVOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS NO ONCOLÓGICOS EN EVALUACIÓN POR LA EMA

El grupo de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (Orphar-SEFH), coordinado por José Luis Poveda, ha presentado el Informe **Horizon Scanning de Medicamentos Huérfanos no oncológicos**.

Este informe identifica los nuevos medicamentos huérfanos (MMHH) no oncológicos y las nuevas indicaciones de MMHH en evaluación por la Agencia Europea del Medicamento (EMA) hasta febrero de 2020, que podrían ser comercializados a corto y medio plazo en España.

A través del método Horizon Scanning -un sistema que consiste en identificar los riesgos y amenazas emergentes a través del desarrollo de escenarios posibles y el consenso de expertos- los autores han clasificado a los MMHH en cuatro grupos, siguiendo las fases de autorización de la de la Comunidad Europea:

1. MMHH incluidos en el programa PRIME de la EMA, con procedimiento de evaluación acelerado.
2. MMHH en proceso de evaluación centralizado por el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP)
3. Aquellos que ya tienen una opinión positiva del CHMP pendientes de la decisión de la Comunidad Europea (CE)
4. Los que se encuentran autorizados por la CE, pero no están comercializados todavía en España.

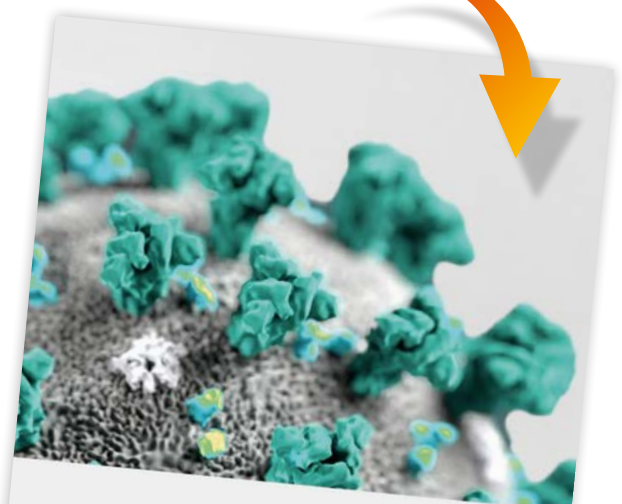
Para cada categoría, el informe describe las indicaciones, las características y los resultados de eficacia y seguridad de los medicamentos que se encuentran en esa fase concreta de autorización.

Los resultados muestran que la EMA está evaluando a través de su programa PRIME un total de 26 MMHH no oncológicos, de los cuales 14 son terapias avanzadas, 9 son sustancias químicas y 3 productos biológicos. En

el caso de los MMHH en evaluación por el CHMP, 4 son terapias avanzadas, 11 son sustancias químicas y 6 son productos biológicos. Hay 2 nuevos medicamentos con opinión positiva del CHMP y una nueva indicación pendientes de decisión CE, todos ellos sustancias químicas. Por último, de los 18 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España en febrero 2020, 2 son terapias avanzadas, 8 son sustancias químicas y 8 biológicos.

Se trata de un informe dinámico que identifica y revisa potenciales tendencias, oportunidades, nuevas tecnologías o amenazas que podrían influir en áreas concretas de interés. Esto permitirá a los profesionales y decisores sanitarios, a quienes está dirigido el informe, anticiparse a la innovación inmediata que pueda introducirse en el Sistema Nacional de Salud (SNS) a corto y medio plazo.

Se puede acceder al informe original a través del siguiente enlace: http://gruposdetrabajo.sefh.es/ethos/images/stories/Publicaciones/Primer_Informe_HorizonScanning_Orphar-SEFH.pdf



Orphar - SEFH
Horizon Scanning
Medicamentos Huérfanos



ACUERDO POR EL QUE SE DECLARA A LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EXONERADOS DE INCORPORARSE AL SISTEMA DE PRECIOS DE REFERENCIA

El Consejo de Ministros, en su reunión del 3 de marzo de 2020, ha adoptado un acuerdo por el que declara a los medicamentos huérfanos (MMHH) exonerados de incorporarse al sistema de precios de referencia, en la forma y de acuerdo con las condiciones que en el mismo se establecen.

Según se recoge en el Boletín Oficial del Estado (BOE-A-2020-6025) del viernes 12 de junio, por el que se establece el régimen económico de los medicamentos huérfanos, este acuerdo contempla los siguientes puntos:

- **Exonerar estos fármacos** de incorporarse al sistema de precios de referencia cuando en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud (SNS) no exista alternativa terapéutica o, en el caso de que

exista, el medicamento huérfano aporte un beneficio clínico relevante.

- La **revisión del precio**, para que sea económicamente viable.
- Un **sistema de incentivos** para los titulares de los medicamentos declarados con el objetivo de fomentar la inversión de la industria farmacéutica en su investigación, desarrollo y posterior comercialización.

Anualmente, el Ministerio de Sanidad elevará a la Comisión Delegada del Gobierno para asuntos económicos un informe sobre los efectos de este acuerdo.

Fuente: <https://www.boe.es/boe/dias/2020/06/12/pdfs/BOE-A-2020-6025.pdf>

INVESTIGACIÓN ACADÉMICA

EL INSTITUTO DE SALUD CARLOS III LIDERA UN PROYECTO SOBRE DETERMINANTES DEL RETRASO DIAGNÓSTICO EN PERSONAS CON ENFERMEDADES RARAS

El Instituto de Investigación de Enfermedades Raras (IIER), perteneciente al Instituto de Salud Carlos III (ISCI-III), dirige y coordina un proyecto de investigación pionero en analizar los factores que determinan el retraso en el diagnóstico en las personas que padecen alguna Enfermedad Rara en España y su impacto sobre la vida del paciente y la de sus familiares.

En este proyecto, que lleva por título *“Determinantes del retraso diagnóstico en las personas afectadas por Enfer-*

medades Raras en España: repercusión social y familiar”, participan la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) en colaboración con la Fundación hna, y el Centro de Referencia Estatal de Atención a Personas con Enfermedades Raras y sus Familias (CREER).

Este proyecto de investigación, que cuenta también con el apoyo del Ministerio de Ciencia e Innovación a través del programa estatal de I+D+i orientado a los retos de la sociedad, pretende conseguir los siguientes objetivos:

- Conocer el tiempo que transcurre desde que una persona acude a recibir atención médica hasta que se confirma el diagnóstico.
- Analizar la variabilidad geográfica de los tiempos para confirmar el diagnóstico.
- Reunir información sobre las posibles causas del retraso en el diagnóstico.
- Disponer de un mayor conocimiento para poder plantear recomendaciones que conlleven a reducir el tiempo para confirmar el diagnóstico.

Se sabe, además, que los retrasos en el proceso de diagnóstico afectan significativamente la calidad de vida de los pacientes y pueden tener consecuencias a diferentes niveles y realidades de la vida de las personas, como puede ser el ámbito laboral, sanitario, educativo, familiar y psicológico. Por lo que, además de perseguir los objetivos arriba mencionados, este estudio pretende arrojar luz sobre la magnitud de los impactos que tiene el retraso diagnóstico sobre la vida social y familiar del paciente con una enfermedad poco frecuente en España.

Este trabajo contará con la participación, por un lado, de pacientes que han sufrido demoras mayores a un año en el diagnóstico y, por otro, de aquellos que han recibido una respuesta en el plazo de un año.

Los datos analizados provendrán, en primer lugar, del registro de pacientes con Enfermedades Raras del propio ISCIII (accesible a través del siguiente enlace: <https://registroraras.isciii.es/Comun/Inicio.aspx>) y se completarán con la información que se recoja de tres cuestionarios para pacientes, diseñados ad hoc para este estudio. El primer cuestionario ya está disponible desde el mes de junio de este año y se centra en la situación de los pacientes durante la búsqueda del diagnóstico. Los otros dos cuestionarios se enfocarán y profundizarán en el impacto del retraso en el diagnóstico, así como en la percepción de los pacientes y en la situación en la que se encuentran una vez reciben la confirmación del diagnóstico de la Enfermedad Rara.

Para más información, puede consultar el siguiente enlace:

<https://www.isciii.es/Noticias/Noticias/Paginas/Noticias/ProyectoRetrasoDiagnosticoEERR.aspx>

castellano english

GOBIERNO DE ESPAÑA MINISTERIO DE CIENCIA E INNOVACIÓN

ISCIII Instituto de Salud Carlos III

ESTE VIRUS LO PARAMOS UNIDOS

Búsqueda...

INICIO QUÉ HACEMOS QUIÉNES SOMOS TRABAJAR EN EL ISCIII INFORMACIÓN CIUDADANOS NOTICIAS

Está usted en: Noticias > Noticias >
El Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del ISCIII lidera un proyecto sobre retraso diagnóstico

Buscador de noticias

El Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del ISCIII lidera un proyecto sobre retraso diagnóstico
| 17/06/2020 |

feder 20 años

creer

iier Instituto de Investigación de Enfermedades Raras

EXPLORAMOS EL DIAGNÓSTICO EN ENFERMEDADES RARAS: ORIGEN, IMPACTO Y CONSECUENCIAS

DETERMINANTES DEL RETRASO DIAGNOSTICO EN LAS PERSONAS AFECTADAS POR ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA: REPERCUSION SOCIAL Y FAMILIAR

FORMACIÓN

LA 6ª EDICIÓN DEL MÁSTER EN EVALUACIÓN ECONÓMICA DE INTERVENCIONES SANITARIAS Y POLÍTICA FARMACÉUTICA INCLUIRÁ UN MÓDULO SOBRE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

El próximo 16 de octubre dará comienzo la 6ª Edición del Máster en Evaluación Económica de Intervenciones Sanitarias y Política Farmacéutica (MEIS), curso 2020/2021. Este título propio está organizado por la Universidad de Castilla – La Mancha y el Grupo de Investigación en Economía y Salud (GIES), en colaboración con la Fundación Weber, el Capítulo español de ISPOR y el Consejo General de Colegios Farmacéuticos.

Por primera vez, esta nueva edición del MEIS incluirá un espacio para la reflexión y el estudio de los medicamentos huérfanos, a través de un módulo titulado: "Evaluación Económica en Enfermedades Raras". Dicha sesión

tiene el objetivo de dar a conocer al alumnado los retos a los que se enfrenta la evaluación económica clásica de tecnologías sanitarias a la hora de evaluar medicamentos huérfanos.

Este módulo abarcará las variantes metodológicas que una evaluación económica puede adoptar para tener en cuenta, de manera explícita, racional y sistemática, las características que diferencian a los medicamentos huérfanos de los fármacos dirigidos a enfermedades prevalentes.

A continuación, encontrará información detallada de esta propuesta formativa:

Modalidades: Semipresencial y a distancia (On-line)

Localización: Madrid y Toledo

Fecha Inicio: Octubre 2020

Fecha Fin: Septiembre 2021

Horario sesiones presenciales: Viernes de 11:00 a 19:30 h

Periodicidad: Una sesión presencial al mes.

Idioma: Español

Para más información: www.mastermeis.es

Máster en Evaluación Económica de Intervenciones Sanitarias y Política Farmacéutica

6ª EDICIÓN

2020 - 2021

MEIS

Secretaría de Alumnos
Marta Méndez
E mail:
marta.mendez@weber.org.es
Teléfono: 91 639 38 24
www.mastermeis.es

COLABORACIÓN CON:

ORGANIZADO POR:

Fundación **weber** | **Farmacéuticos** Consejo General de Colegios Farmacéuticos | **ISPOR** Spanish Chapter | **GIES** Grupo de Investigación en Economía y Salud | **UCLM** Universidad de Castilla-La Mancha

MEDICAMENTOS

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS APROBADOS POR LA AGENCIA EUROPEA DE MEDICAMENTOS (EMA) EN 2020

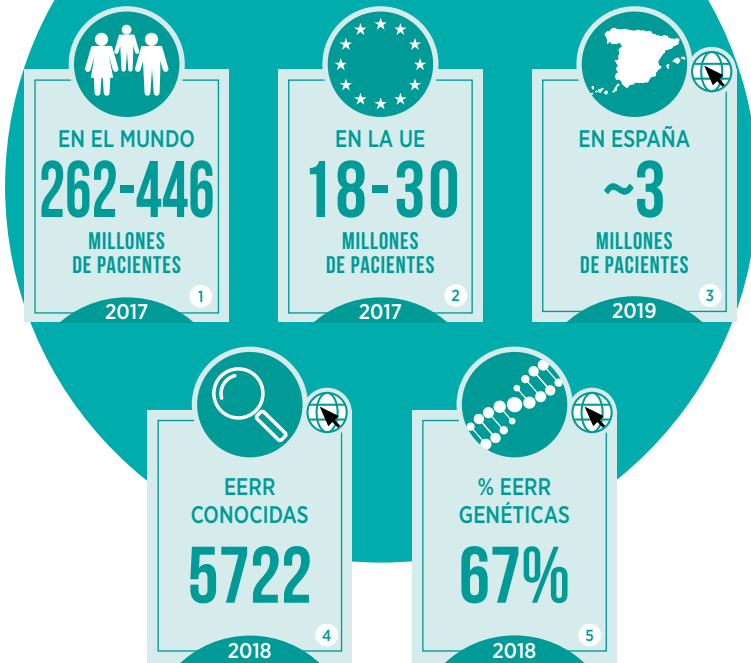
PRINCIPIO ACTIVO	INDICACIÓN	LABORATORIO	FECHA DE COMERCIALIZACIÓN EMA
<i>Osilodrostat</i>	Síndrome de Cushing en adultos	Novartis	09/01/2020
<i>Polatuzumab vedotin</i>	Linfoma difuso de células B grandes	Roche	16/01/2020
<i>Givosiran</i>	Porfiria hepática aguda	Atlas Molecular Pharma	02/03/2020
<i>Treprostinil</i>	Hipertensión pulmonar tromboembólica crónica	LungRx Limited	03/04/2020
<i>Onasemnogene abeparvovec</i>	Atrofia muscular espinal	Novartis	18/05/2020
<i>Isatuximab</i>	Mieloma múltiple refractario o en recaída	Sanofi	30/05/2020

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS CON FINANCIACIÓN APROBADA POR LA COMISIÓN INTERMINISTERIAL DE PRECIOS DE LOS MEDICAMENTOS (CIPM) EN 2020

PRINCIPIO ACTIVO	INDICACIÓN	LABORATORIO	FECHA DE FINANCIACIÓN CIPM
<i>Albutrepenonacog alfa</i>	Hemofilia B	CSL Behring	04/02/2020
<i>Eftrenonacog alfa</i>	Hemofilia B	Biogen Idec Ltd	04/02/2020
<i>Inotersén</i>	Amiloidosis familiar	Akcea Therapeutics Spain	05/03/2020
<i>Patisiran</i>	Amiloidosis familiar	Alnylam	04/03/2020



ENFERMEDADES RARAS



Este observatorio recopila algunos de los principales indicadores relevantes en el ámbito de las enfermedades raras, agrupados en seis áreas.

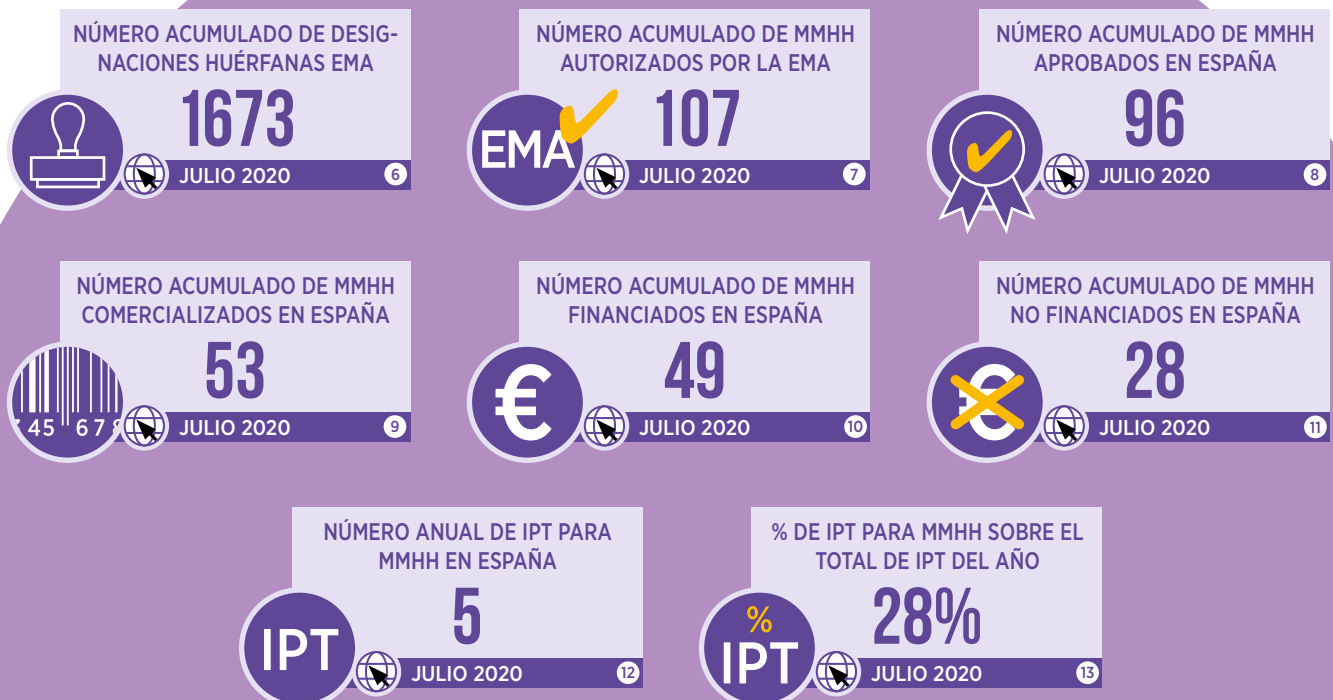
Pulsando en el símbolo se puede observar la evolución en el tiempo de algunos de ellos.

El símbolo le permite acceder a la fuente de origen de los datos.

TIEMPOS



MEDICAMENTOS HUÉRFANOS



INVESTIGACIÓN



GOBERNANZA



PACIENTES Y CUIDADORES

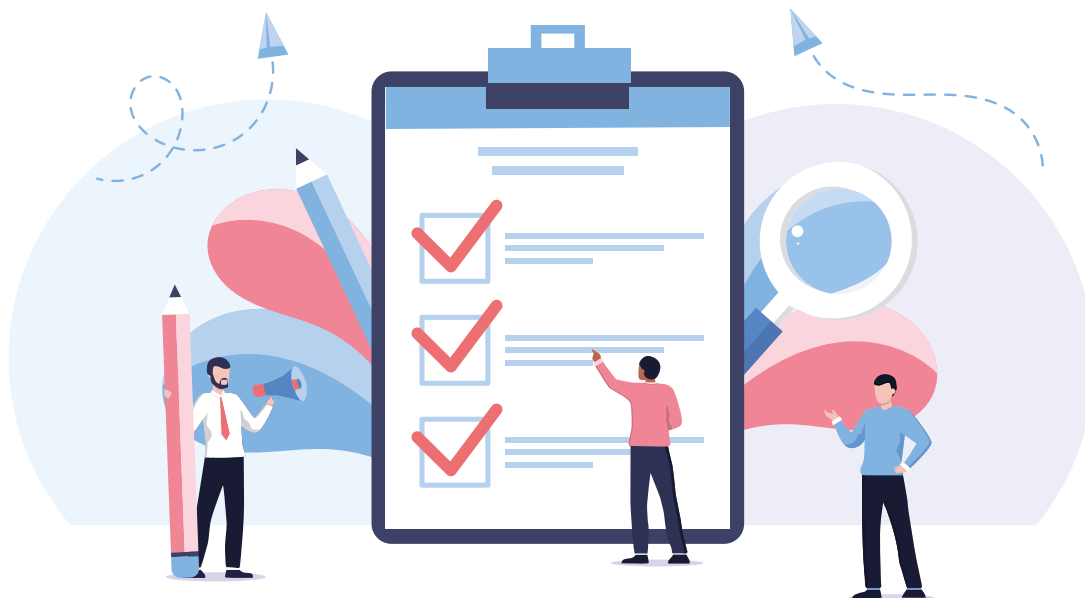


FUENTE DE ORIGEN DE LOS DATOS



newsRARE

Revista de divulgación científica sobre Enfermedades Raras



newsRARE tiene un espacio abierto para la publicación de trabajos empíricos cuantitativos o cualitativos relacionados con las enfermedades raras o los medicamentos huérfanos. Su enfoque podrá ser tanto aplicado como de carácter metodológico, dentro de un espectro temático amplio que incluye cualquier aspecto de la realidad clínica, social, económica, demográfica o política relacionado con las enfermedades raras.

NORMAS DE PUBLICACIÓN:

- Los trabajos pueden ser originales o revisiones de literatura.
- Los artículos deben estar escritos en castellano, y estar estructurados en los siguientes apartados: Introducción; Métodos; Resultados; y Discusión.
- Los artículos deben ir acompañados de un resumen de no más de 250 palabras, e incluir entre tres y cinco palabras clave (key words).
- La extensión del texto del artículo no debe superar las 4.000 palabras, sin incluir gráficos y tablas.
- Se recomienda un máximo de 30 referencias bibliográficas, que deben seguir las Normas de Vancouver.
- Los autores deben reconocer las ayudas económicas y/o materiales que haya podido tener el estudio, indicando el organismo de financiación. También deben declarar los posibles conflictos de intereses de cada una de las personas firmantes.
- Los manuscritos deben ir acompañados de una carta de presentación, donde se especifiquen los objetivos y conclusiones del artículo, y que detalle cual es la aportación y relevancia del trabajo.

PROCESO DE EVALUACIÓN EDITORIAL:

newsRARE cuenta con una convocatoria abierta permanente. Los pasos desde la recepción de un manuscrito hasta su publicación en la revista son los siguientes:

- Recepción del manuscrito y acuse de recibo.
- Evaluación preliminar por parte del Consejo de Redacción de la revista.
- Revisión por pares en forma anónima por parte de miembros del Equipo Editorial o evaluadores externos a la revista.
- Envío al autor de correspondencia de la valoración del director, junto con los comentarios de los evaluadores.
- Envío a uno de los evaluadores de la segunda versión modificada del original.
- Aceptación del manuscrito para su publicación.
- Corrección de pruebas (galeradas) por parte de los autores.

REMISIÓN DE LOS TRABAJOS:

Los trabajos serán enviados, atendiendo a las normas y criterios de publicación de la revista, a la dirección de correo electrónico editorial@newsrare.es

Esta revista podrá ser descargada en formato .PDF
desde: www.newsrare.es

Síguenos en twitter: [@revistanewsRARE](https://twitter.com/revistanewsRARE)



ALIANZAS



PATROCINADORES

