LAS ENFERMEDADES RARAS Y LAS ENFERMEDADES CATASTRÓFICAS: RELACIONES, DIFERENCIAS, VISIÓN DE LA COMUNIDAD Y POSIBILIDADES.

Jornada Enfermedades Catastroficas
Facultad Ciencias Medicas UBA
Bs.As.

Dra. Virginia Llera

Drogas Huérfanas
Enfermedades Raras

- **Surge como entidad de salud publica en agenda de EEUU, en 1983 Acta de medicamentos huérfanos USA.**

Definicion: medicamentos y dispositivos para diagnostico y tratamiento enfermedades raras .

Enfermedades Raras

Concepto:

EEUU: Enfermedades que afectan a menos de 200.000 ciudadanos.

UE: Enfermedades que afectan a menos de 1:2000, o 5:10,000

- **Acuerdo multisectorial**

En Argentina

- **Ley nacional Argentina :**
- **Ley 26689 Enfermedades Poco Frecuentes**
- **Promuévese el cuidado integral de la salud de las personas con Enfermedades PocoFrecuentes.**
- **Sancionada: Junio 29 de 2011, Promulgada de Hecho: Julio 29 de 2011**
- **ANMAT : Resolucion de condiciones especiales**

DEFINICION

- **A los efectos de la presente ley se consideran EPF a aquellas cuya prevalencia en la población es igual o inferior a una en dos mil (1 en 2000) personas, referida a la situación epidemiológica nacional.**

Enfermedades catastroficas

Unas pocas enfermedades que afectan a un número reducido de personas se llevan una parte cada vez mayor de los recursos de los sistemas de salud.

Se las denomina enfermedades

catastróficas por el impacto económico que generan en quienes las padecen y las financian.

CRÉASE SISTEMA UNICO DE REINTEGROS SUPERINTENDENCIA DE SERVICIOS DE SALUD RESOLUCIÓN 1200/2012

- Que las enfermedades de baja incidencia y alto impacto económico representan a las corrientemente denominadas enfermedades catastróficas, así catalogadas por el alto impacto que suponen frente al abordaje diferente del resto de las enfermedades, y por la fuerte erogación que implican para quienes las financian, desde la óptica no solo de los ingresos familiares de quien la padece, sino también de los Agentes de Salud pertenecientes al Sistema Nacional de la Seguridad Social.

Lista E. C.

- Análisis de la situación del cáncer de mama en Argentina
- Incidencia
- La Argentina se encuentra dentro del rango de países con incidencia de cáncer media-alta (172.3-242.9 x 100000 habitantes); de acuerdo a las estimas realizadas por la IARC para el año 2012
- http://www.msal.gov.ar/inc/index.php/acerca-del-cancer/estadisticas

- Cancer colorrectal
- Esta enfermedad se posiciona como el tercer cáncer más frecuente en la población argentina, luego del de mama y próstata, y ocupa el segundo lugar en mortalidad con 7000 casos anuales.

- "En el período 2000-2009, tres cánceres constituyeron el 68% de los diagnósticos para esta patología en niños: las leucemias, con un 36,8%; los tumores del sistema nervioso central, con el 18,8%; y los linfomas, con el 12,7%.

- see more at: http://www.msal.gov.ar/prensa/index.php?option=com_content&view=article&id=1211:argentina-cuenta-por-primera-vez-con-datos-nacionales-de-sobrevida-de-ninos-con-cancer&catid=6:destacados-slide1211#sthash.H7XaEf3q.dpuf

- **Las leucemias constituyen la enfermedad oncológica más frecuente, seguida de los tumores del sistema nervioso central (SNC) y los linfomas. Cabe destacar que esta distribución es similar a la descripta en los países desarrollados de Europa y América del Norte.** - See more at: http://www.msal.gov.ar/prensa/index.php?option=com_content&view=article&id=1211:argentina-cuenta-por-primera-vez-con-datos-nacionales-de-sobrevida-de-ninos-con-cancer&catid=6:destacados-slide1211#sthash.H7XaEf3q.dpuf

- **Mieloma Múltiple**

  El mieloma múltiple es el segundo cáncer hematológico más común (10-15% de todos). Es responsable del 15-20% de las muertes por cáncer hematológico y del 2% de todas las muertes por cáncer.

Conclusiones

- No todas las enfermedades raras son catastroficas
- No todas las enfermedades raras son de alto costo
- las enfermedades raras no son pocas : 6000-8000
- las enfermedades raras implican un desafio que cruza fronteras. Negociaciones en bloque .
- Las soluciones implican la inclusion de I&D en los planes maestros .
- Las nuevas propuestas de la Union Europea, incluyen el trabajo previo entre regulatorios y equipos de HTA.

NUEVO ESCENARIO

- Mas de 440 proyectos aprobados en EMEA como orphans
- Creacion de un consorcio Internacional IRDiRC
- Inversion en salud y no solo gasto en salud
- transformar un desafio en una oportunidad
- ICORD 2014 : El valor social de los tratamientos en enfermedades raras . Holanda, Ede Octubre 7-9.
- 1st Accord with Industry, Univ Karolinska (Suecia) Junio 18 de 2014
- ICORD 2015: Mexico , evento en preparacion.

REFERENCIAS INTERNACIONALES

- Llera V et al. Proceedings from the VIII International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs (ICORD). St. Petersburg (Russia), October 31-November 2, 2013. RARE J 2014 1(Suppl 1):1-48.
- Forman J, Taruscio D, Llera VA et al. The need for worldwide policy and action plans for rare diseases. Acta Pediatr 2012, 101:805-7.