

**GRUPO PARLAMENTARIO POPULAR  
EN EL CONGRESO**

**A LA MESA DEL CONGRESO DE LOS DIPUTADOS**

El Grupo Parlamentario Popular en el Congreso, al amparo de lo establecido en el artículo 193 y siguientes del vigente Reglamento del Congreso de los Diputados, presenta la siguiente **Proposición no de Ley** relativa a dar una mejor respuesta a las enfermedades raras, para su debate en Pleno.

Madrid, 13 de abril de 2011



Fdo.: Soraya SAENZ DE SANTAMARÍA  
PORTAVOZ

Fdo.: Santiago CERVERA SOTO  
DIPUTADO

## **GRUPO PARLAMENTARIO POPULAR EN EL CONGRESO**

### **EXPOSICIÓN DE MOTIVOS**

Las enfermedades raras, minoritarias o huérfanas, incluidas las de origen genético, son aquellas enfermedades con peligro de muerte o de invalidez crónica, que tienen una frecuencia (prevalencia) baja, menor de 5 casos por cada 10.000 habitantes en la comunidad, según la definición de la Unión Europea. Entre 5.000 y 8.000 enfermedades raras diferentes afectan o afectarán a alrededor de 30 millones de personas en la Unión Europea, de los que, según la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), 3 millones son españoles.

La mayoría de las enfermedades raras son enfermedades genéticas; otras son cánceres poco frecuentes, enfermedades autoinmunitarias, malformaciones congénitas o enfermedades tóxicas e infecciosas, entre otras categorías. La investigación de las enfermedades raras ha sido muy útil, pero sin embargo, es escasa y dispersa.

Uno de los principales problemas a los que debe enfrentarse un paciente ante una enfermedad rara es la falta de desarrollo de los denominados medicamentos "huérfanos", aquellos que por estar destinados a poblaciones tan minoritarias, son poco o nada rentables para la industria farmacéutica. Es fundamental, por tanto, que desde las Administraciones Públicas, se doten recursos para incentivar la producción de este tipo de medicamentos, de los cuales, sólo un 49% están realmente disponibles en España, frente al 93% de Francia.

El Reglamento europeo 141/2000 relativo a las enfermedades huérfanas estableció algunas condiciones favorables para aquellas industrias farmacéuticas que registren fármacos para enfermedades huérfanas, pero no ha sido suficiente para incentivar a la industria farmacéutica.

En EEUU se ha introducido el "vale de registro prioritario" (VRP). Un incentivo dirigido fundamentalmente a enfermedades olvidadas, pero que también podría plantearse para enfermedades huérfanas, que no requiere subvenciones ni retrasa la entrada de los medicamentos genéricos.

A través de este incentivo, las empresas, universidades y centros de investigación, cada vez que desarrollan y registran un medicamento destinado a una enfermedad desatendida ante la Agencia del Medicamento de EEUU (la FDA), reciben un vale o derecho de registro prioritario para otro medicamento diferente. Dicho vale puede ser traspasado por un elevado precio a una empresa farmacéutica.

## **GRUPO PARLAMENTARIO POPULAR EN EL CONGRESO**

El elevado incentivo financiero del PRV consiste en que el titular del mismo tiene el derecho a registrar de forma acelerada uno de sus nuevos medicamentos comerciales ante la FDA (este organismo acelera únicamente los trámites burocráticos y nunca los ensayos clínicos). Este registro acelerado permite al titular del vale llevar antes al mercado su medicamento comercial obteniendo unas ventas adicionales de elevado volumen.

El Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud aprobó en junio de 2009 la Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema nacional de Salud. Sin embargo, la falta de un calendario concreto y la escasa asignación de recursos económicos ha supuesto que muchos de los objetivos y recomendaciones de la Estrategia todavía no se hayan puesto en marcha.

Por otro lado, la falta de políticas sanitarias específicas para las enfermedades raras y la escasez de conocimientos especializados generan retrasos del diagnóstico y dificultades de acceso a la asistencia.

Por último, una de las principales denuncias de las asociaciones de pacientes es la falta de equidad en el acceso al diagnóstico, tratamiento y rehabilitación de enfermedades raras en las distintas comunidades autónomas.

Por todo lo expuesto, el Grupo Parlamentario Popular en el Congreso presenta la siguiente **Proposición no de Ley**:

“El Congreso de los Diputados insta al Gobierno a:

- 1) Impulsar, dentro del Sistema Nacional de Salud, la designación y acreditación de nuevos Centros, Servicios y Unidades de Referencia para las enfermedades raras, por grupos de enfermedades, incorporando a representantes de los afectados por este tipo de enfermedades como miembros de pleno derecho en el Comité de Designación de los Centros, Servicios y Unidades de Referencia, dentro del Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud.
- 2) Difundir, mediante la página web del Ministerio de Sanidad, toda la información referente a los Centros, Servicios y Unidades de Referencia reconocidos, que pueda ser consultada tanto por profesionales como por pacientes afectados.

**GRUPO PARLAMENTARIO POPULAR**  
**EN EL CONGRESO**

- 3) Fomentar la formación específica en enfermedades raras del personal sanitario los ámbitos de medicina de familia, pediatría, obstetricia, matrona y atención primaria, con el fin de detectar a tiempo este tipo de enfermedades y evitar el retraso en la derivación del paciente al especialista adecuado para su diagnóstico.
- 4) Poner a disposición de los familiares un equipo de psicólogos y trabajadores sociales para transmitir el diagnóstico a los familiares.
- 5) Agilizar el procedimiento de fijación del precio de aquellos medicamentos huérfanos que ya han obtenido autorización para su comercialización.
- 6) Apoyar la introducción del vale de registro prioritario y su aplicación tanto para enfermedades raras como para olvidadas.
- 7) Fomentar la investigación conjunta universidad-empresa en el ámbito de las enfermedades raras.
- 8) Garantizar que los planes de investigación científica del Ministerio de Ciencia contemplen más actuaciones y un porcentaje mayor de fondos para la investigación básica sobre estas enfermedades y sobre el desarrollo de medicamentos para las mismas.
- 9) Posibilitar que cuando un laboratorio español adquiriera, para alguna de sus investigaciones farmacéuticas, el estatuto de "candidato a indicación huérfana" que concede la Agencia Europea del Medicamento (EMA), este status le permita acceder a mayores fondos públicos o más puntuación en los concursos públicos.
- 10) Facilitar que las solicitudes de patente resultantes de esa investigación se puedan tramitar ante la Oficina Española de Patentes y Marcas (OEPM) sin pagar tasas, y mediante un procedimiento de concesión acelerado que permita publicar y obtener la patente en un plazo máximo de 18 meses y que la OEPM subvencione también las tasas de la solicitud internacional (PCT) de dichas patentes como se hace en otros ámbitos.

**GRUPO PARLAMENTARIO POPULAR  
EN EL CONGRESO**

- 11) Promover becas para que investigadores en este ámbito puedan desarrollar una estancia de investigación en laboratorios o universidades extranjeras prestigiosas en este campo para posteriormente traer los conocimientos a España.