

4.3

## El paciente y los ensayos clínicos

Reflexiones desde una asociación de pacientes  
con enfermedades raras

JORDI CRUZ VILLALBA

## SUMARIO

1. Introducción .....	130
2. Diagnóstico de una enfermedad rara .....	130
3. Investigación en una enfermedad rara .....	132
4. El papel de las familias y de las asociaciones de pacientes en la investigación clínica de las enfermedades raras .....	133
5. Promoción de la investigación clínica y acceso a los resultados .....	134
6. Los pacientes y su participación en un ensayo clínico .....	135
7. Acceso de los pacientes a los tratamientos autorizados .....	137

LO QUE VD. APRENDERÁ EN ESTE CAPÍTULO

1. En la investigación clínica, la voz del paciente es muy importante: debemos contar con su sabiduría.
2. Las asociaciones de pacientes deben ser profesionales. En ellas se hace un gran trabajo que no puede decaer nunca. Muchas personas necesitan de su buen funcionamiento y apoyo.
3. Si investigadores y asociaciones de pacientes trabajamos más unidos, unificando esfuerzos y conocimiento, podremos conseguir más y mejores resultados.
4. Es necesario contar con un registro único de pacientes de cada enfermedad rara.
5. Es necesario un único registro de ensayos clínicos que incluya los que obtengan resultados positivos y negativos. Es una buena noticia que España disponga desde 2013 del Registro Español de Estudios Clínicos.
6. Mejoras en la sintomatología y calidad de vida del paciente, aunque sean tan reducidas como del 1%, son un gran paso que debe estimular a los investigadores a continuar su labor.
7. Cuando de enfermedades raras se trata, la salud del paciente es la de toda la familia.
8. Los Presupuestos Generales del Estado deberían ser más generosos y dar mayor apoyo a la investigación clínica. La financiación pública no debería disminuir en circunstancia alguna.
9. Los fármacos se aprueban para su prescripción y uso clínico en los pacientes. La Administración sanitaria debe eliminar las trabas que actualmente tienen los pacientes para el acceso a los medicamentos autorizados.

## 1. INTRODUCCIÓN

Como miembro de una asociación de pacientes, a lo largo de este capítulo trataré cuestiones que para mí son muy importantes desde la situación que he vivido y estoy viviendo. Estoy seguro, sin embargo, que habrá personas que discrepen de mi opinión y otros que compartan algunas cuestiones, y habrá quienes estarán bastante de acuerdo con lo que comento.

Se me ha brindado esta oportunidad y me halaga poder aportar algo de mi conocimiento o mi experiencia pero *no soy médico*, aunque me he pasado mucho tiempo leyendo artículos médicos, asistiendo a congresos médicos, presenciando tesis doctorales, escuchando conocimiento, visitando hospitales y viendo las diferentes situaciones. *Tampoco soy investigador*, aunque llevo tiempo buscando opciones terapéuticas, caminos que podrían ser factibles en la búsqueda de tratamientos. He conocido bastantes laboratorios farmacéuticos y grupos de investigación, muchos investigadores de universidades y otros independientes, he colaborado en la creación de empresas de este mundo aportando mi granito de arena y asesorando a profesionales en la búsqueda de un camino en la investigación dirigida hacia alguna enfermedad. Pero sí soy *paciente o mejor dicho impaciente*, como padre de una niña con un síndrome raro, como es la mucopolisacaridosis tipo III-A, o síndrome de Sanfilippo A.

Hace 10 años que constituimos la asociación de pacientes, Sanfilippo España. El objetivo primordial, después

de una búsqueda de las principales necesidades, era conocer qué asociaciones existían que se ocupasen de esta enfermedad, qué médicos la estudiaban y trataban, qué investigaciones había abiertas... No encontramos casi nada, un gran vacío, o sea, debíamos comenzar desde cero prácticamente. Después, en 2005, creamos la Asociación MPS España con el objetivo de ayudar a familias con síndromes similares.

También quiero destacar que todos jugamos un papel importante y que somos muy necesarios en esta puesta en escena, tanto todas las especialidades médicas, como enfermeros, investigadores y familias afectadas. Además, cualquier familiar, amigo o vecino nos puede aportar algo positivo en la consecución de nuestro objetivo.

## 2. DIAGNÓSTICO DE UNA ENFERMEDAD RARA

Cuando uno tiene el diagnóstico de una enfermedad rara, la misma palabra ya le suena a algo aislado, a soledad, a abandono, a falta de interés, a incompreensión, a desconocimiento, a negación... Las familias deben luchar contra todo esto.

En nuestro sistema nacional de salud (SNS), no encontramos a casi nadie —por no decir a nadie— que agrupe conocimiento, que tenga interés, dependiendo de la enfermedad que se trate, y tampoco se facilitan ciertas cuestiones. Los pacientes tenemos, por un lado, dificultades en el reconocimiento de nuestra discapacidad y de nuestros derechos —acompañamiento a la familia, dirigir a la familia o afectado hacia

un experto o un centro de referencia que haya visto algún caso o se documente sobre qué ocurre, qué ocurrirá y qué puede hacer ante esa situación—. Nos encontramos muchas veces con un encogimiento de hombros, o un «esto es lo que hay». Aunque muchos dirían que tenemos un gran SNS, algo que en cierta medida es cierto, no lo es tanto cuando de la creación de grupos profesionales que nos brinden la ayuda requerida se trata. Sé que estamos cerca de ello pero si tuviéramos los tan ansiados centros de expertos, de referencia o unidades a los que una familia con un nuevo diagnóstico de enfermedad rara pudiera acudir, ganaríamos mucho tiempo y ahorraríamos muchos esfuerzos innecesarios tanto a las personas e instituciones involucradas, como a las arcas del SNS.

Cuando un paciente llega a una consulta, si el profesional médico no ha visto nunca esa sintomatología, ese fenotipo en un paciente, seguramente va a solicitar pruebas que cuestan dinero, tiempo y esfuerzo. El punto clave radica en que, en muchos casos, no se solicitan esas pruebas hasta que ya están presentes síntomas más avanzados: se produce, por tanto, un diagnóstico tardío de la enfermedad. Esto tiene consecuencias nefastas en los casos en los que se dispone de tratamiento para la enfermedad, ya que el diagnóstico tardío puede conllevar un daño irreversible. Es importantísimo trabajar hacia un diagnóstico temprano, desde la aparición de los primeros síntomas.

A veces, me encuentro con un gran temor en el mundo sanitario hacia el diagnóstico de un creciente número

de enfermedades, a pesar de que hoy en día se produce con más frecuencia, entre otras cosas, porque, además de que hay más conocimiento, compartimos sinergias entre investigadores y asociaciones de pacientes. Ese temor procede de que el profesional médico solo puede ofrecer tratamiento para un número reducido de enfermedades, y con terapias que, además, son muy caras. Esto llega a producir *pánico* entre los profesionales. Si se centralizase el manejo y tratamiento de los pacientes de cada enfermedad rara en unidades de expertos, todo iría mucho mejor. Además, estas unidades deberían contar con una financiación específica, para que se pensase antes en la salud de los pacientes que en el coste del tratamiento.

No hay que olvidar que un paciente que padece una enfermedad rara está muy condicionado. Debe hacer grandes esfuerzos. Nadie se acercará a él para proponerle algo si él no lo ha propuesto antes. Esto no ocurre con una enfermedad más frecuente o no minoritaria. Es cierto que, a día de hoy, se está produciendo un cambio de tal forma que cuanto más raro es el síndrome, más interés hay en investigarlo. La novedad atrae: a los médicos les gusta trabajar en algo en lo que nadie ha investigado antes, y, sobre todo, poder exponerlo al mundo médico como «A propósito de un caso...». Hay enfermedades ultrararas que afectan a uno o dos casos en España, o a 40 en todo el mundo, y producen una gran desolación en la familia afectada que, además, no encuentra otra familia con la que tratar las cuestiones que le preocupan.

### 3. INVESTIGACIÓN EN UNA ENFERMEDAD RARA

Dependiendo de la enfermedad de que se trate, en ocasiones es muy difícil encontrar investigadores que estén interesados en trabajar en una enfermedad rara. Puede haber alguno en España o en el mundo pero normalmente es difícil encontrarlo. Una vez identificado, debemos saber qué vías de investigación está desarrollando, si tienen interés para el paciente en el momento presente, e intentar conocer de qué financiación dispone o pudiera contar en el futuro. Debemos pensar que cualquier avance en la búsqueda de respuestas a una enfermedad rara, también puede ser una vía para encontrar solución a una enfermedad más frecuente.

Quiero destacar aquí la importancia de que los investigadores trabajen juntos hacia la consecución de este objetivo y que colaboren con las asociaciones de pacientes y con médicos expertos, si los hubiera. Formar un gran equipo genera conocimiento y ayuda a avanzar. En España, por ejemplo, vemos que hay dificultades para que los investigadores trabajen juntos en el mismo proyecto: debería haber mayor transparencia para avanzar mucho mejor y más rápido. Los egos de los médicos e investigadores, en ocasiones, se priorizan sobre las necesidades del paciente. Así, encontramos médicos que en un mismo hospital no se tratan o tienen dificultades para mantener una conversación sobre un caso y buscar un camino consensuado. Esto no debería ocurrir nunca. En otras ocasiones, encontramos que investigadores de algún centro no son capaces

de tratar algún tema con un *colega* de otro centro, de intentar buscar alternativas, pues quizás piensan que les pueden *robar* alguna idea. Y esto lo he vivido yo y lo sigo viviendo. Todas estas cuestiones hacen mucho daño a los afectados y a sus familiares, pues tenemos ya muchas dificultades y obstáculos que superar, como para añadir las derivadas del prurito profesional mal entendido de los profesionales sanitarios —esta es mi experiencia, aunque hay familias y afectados por una enfermedad rara que nunca llegan a conocer la total realidad, se mantienen al margen por muchos motivos—. Pero en otras ocasiones esto no ocurre: son médicos que anteponen el cuidado y el bienestar del paciente a su ego científico, que colaboran entre sí sin límites. Debemos ir hacia un futuro mucho mejor, de transparencia, de colaboración y de unión de esfuerzos.

Recuerdo que una madre con un hijo afectado por una enfermedad rara, viendo que no había nada que hacer, que no había respuestas, que no encontraba a otras familias con el mismo síndrome, se aventuró a recaudar fondos, a pedir ayuda, a salir en televisión, a generar movimiento e intentar conseguir financiación para cubrir algún proyecto de investigación que le pudiera dar alguna esperanza —algo que no existía en esos momentos—. Creó una asociación y poco después me entrevisté con ella y me pidió que le ayudara a dar más pasos. Lo curioso es que en tres meses de esfuerzo inexplicable de trabajo consiguió 50.000 euros de recaudación, pero no sabía qué hacer con ellos. Yo me preguntaba por qué en primer lugar no había estudiado más sobre la enfermedad,

sobre la búsqueda de especialistas que pudieran ayudarle. Alguna vía, como le dije, debía existir. Conseguí dirigirla hacia grupos de investigación que investigaban otro tipo de enfermedades que podían ayudarle, y así fue, ella dio con un grupo en EEUU que trabajaba sobre ello. También ha conseguido otros interesados en el proyecto. Esta persona consiguió dirigir sus esfuerzos y la aportación económica hacia algo concreto, algo que le provoca una esperanza y una satisfacción personal. Este ejemplo pone de manifiesto un dilema: qué hago primero, recaudo fondos, doy a conocer la enfermedad, busco expertos, busco asociaciones de pacientes que puedan orientarme, participo en conferencias, participo en programas de televisión, radio o prensa. Debemos pensar cómo ordenamos todo esto y por dónde debemos empezar.

#### 4. EL PAPEL DE LAS FAMILIAS Y DE LAS ASOCIACIONES DE PACIENTES EN LA INVESTIGACIÓN CLÍNICA DE LAS ENFERMEDADES RARAS

Los familiares se han convertido en grandes expertos en la materia. Son personas que constantemente revisan y leen noticias relacionadas con la enfermedad: son lo que llamamos hoy día «pacientes expertos». Realizan un gran trabajo que seguramente cualquier profesional sanitario no puede hacer debido al tiempo que le ocuparía. En ocasiones, estas familias, con la ayuda de Internet, han conseguido encontrar respuestas. Han conseguido poner en marcha estudios, reuniones, conferencias y un largo etcétera gracias a su esfuerzo personal.

Todo ello, porque el sentido de la vida de estas personas es su familiar afectado por la enfermedad. Apartando y dejando de lado muchas cosas. En mi caso y en el de mi familia, dejamos de lado todas nuestras aficiones, lo que permitió que concentráramos nuestro tiempo e interés sobre lo que realmente en aquel momento nos interesaba y nos interesa: la enfermedad de nuestra hija.

Las asociaciones de pacientes deberíamos debatir ciertas cuestiones y ayudarnos entre todos. Si uno empieza de cero y no tiene ayuda, va a tardar mucho más tiempo en abrirse camino. Si se empieza con consejos fundamentados en la experiencia de personas que han vivido un problema similar y con su colaboración, el camino se hace más deprisa y sin tener que retroceder para rectificar. Las familias muchas veces piensan en el «qué hay de lo mío», solo se interesan en su problema, solo les importa lo suyo. Esto es debido, en gran parte, a que sufren una gran desesperación, a que el reloj de arena va avanzando, el tiempo se va agotando. Pero debemos abrirnos más, conocer muchas cuestiones que después ayudarán a resolver las dudas, si colaboramos con otros nos vamos a ayudar a nosotros mismos. Es mi pensamiento.

Para los familiares y los propios afectados es muy importante saber que algo se está haciendo, que se van dando pasitos y que posiblemente en un futuro pueda haber alguna respuesta. Una respuesta en la búsqueda de soluciones pequeñas, en la mejora de la calidad de vida del paciente. Esto podría ser, por ejemplo, el estudio de sustancias que mejoren la sintomatología del paciente

o que frenen, aunque solo sea un 1%, la evolución de la enfermedad. Para algunos expertos esta forma de pensar es un gran error. Las familias, por el contrario, consideramos que con un uno de aquí, otro de allá y otro del otro sitio, podemos conseguir una pequeña mejora para el paciente. Lo más importante es saber que lo que estamos consiguiendo poco a poco para el enfermo hace que el familiar se sienta mejor y que nosotros, desde la asociación, nos encontremos con más fuerzas para seguir luchando. Para algunos profesionales una mejora tan pequeña no vale la pena, bien porque es un coste para la familia o el SNS, o bien porque no está documentado o publicado científicamente. Pero para la asociación de pacientes, un enfermo con mejor calidad de vida generará menos gasto familiar y sanitario y, lo que tiene más valor, generará menos desgaste familiar. Si no es así, no solo el paciente está enfermo sino que toda la familia y su entorno se encuentran en un estado de enfermedad, bien por ansiedad o por depresión, el estado emocional de la familia y el entorno es un gran factor a tener en cuenta.

Las asociaciones de pacientes deberíamos ser capaces de organizar reuniones con los máximos expertos en una enfermedad o conjunto de ellas, y abrir debates sobre qué podemos hacer, qué soluciones podríamos buscar. He de confesar que lo he hecho en más de una ocasión y el resultado ha sido para mí negativo. Esperas que algún experto abra el camino, pero ves que cuesta pronunciar alguna palabra que estimule una discusión abierta y franca, por miedo, creo yo, a que *copien* o *roben* esa idea.

Estamos en un país en el que aún cuesta mucho unificar esfuerzos, ya que existe un gran egoísmo entre algunos profesionales. Deberíamos trabajar mucho más unidos, pero en mi experiencia no he visto demasiado trabajo en equipo. Esto se puede mejorar a través de la utilización de las redes sociales que a día de hoy están tan de moda. Así, se observa como una persona, un investigador, médicos de diferentes partes del mundo, se ponen a discutir los temas que interesan con tal de buscar caminos hacia la generación de conocimiento. Enhorabuena por ello, es excelente.

##### 5. PROMOCIÓN DE LA INVESTIGACIÓN CLÍNICA Y ACCESO A LOS RESULTADOS

Un problema de enorme importancia es el relativo a que no toda la investigación clínica que se realiza acaba siendo de dominio público. Como es sabido, los médicos publican los resultados de sus investigaciones en revistas científicas. Sin embargo, en ocasiones, hay estudios que no se acaban por falta de financiación u otra razón, pero que han producido ciertos resultados que no se hacen públicos. En otras ocasiones, el estudio se concluye pero, al no obtener resultados positivos, no se publica. Todo esto debe cambiar ya. Sería importante que los resultados de todos los estudios estuviesen disponibles en algún sitio, pues esto ayudaría a ahorrar mucho tiempo y dinero. Hay estudios de medicamentos que realiza la industria farmacéutica y que, en un momento dado, suspende. Los pacientes deberíamos saber por qué se suspendió la investigación clínica de esos medicamentos, qué falló. Ese

conocimiento podría ser de utilidad un tiempo más tarde para poner en marcha otros estudios. En los últimos años, tanto en Europa como en los EEUU se han implementado normativas que exigen que los ensayos clínicos con medicamentos se registren en registros públicos y se hagan públicos sus resultados. Doy mi más sincera bienvenida a estas regulaciones, y al Registro Español de Estudios Clínicos recientemente puesto en marcha por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Sin embargo, como creo que registrar los ensayos clínicos es una obligación de los investigadores, al igual que lo es realizar la declaración anual de IRPF, el registro de los ensayos debería abarcar no solo a los que estudian los efectos de los medicamentos, sino también a los que se ocupan de evaluar el efecto de la radioterapia o la cirugía, por poner dos ejemplos.

Vemos también que en España se realiza alguna investigación que ya se hizo o se está haciendo en otro país. He llegado a encontrar tres proyectos iguales en diferentes países del mundo, ¿por qué debemos gastar tiempo y dinero en todo esto? ¿Por qué no se unifican esfuerzos o se realiza una investigación pactada entre los diferentes grupos para llegar a un consenso? Todo esto no debería ocurrir, pero ocurre y sigue ocurriendo. De la misma forma, hay fármacos que se han aprobado para un uso, y que en la actualidad sería posible ensayar en otro tipo de enfermedades: esto se está realizando a día de hoy y está dando buenos resultados.

Por otra parte, en nuestro país, el Gobierno debería promover muchísimo

más la investigación en enfermedades, en general, frecuentes y minoritarias. Debemos sembrar para recoger resultados en un futuro, no podemos reducir recursos en esto.

## 6. LOS PACIENTES Y SU PARTICIPACIÓN EN UN ENSAYO CLÍNICO

«Ensayo clínico», palabra clave para los pacientes y más para los que padecen una enfermedad rara. Para ellos significa mucho que exista la posibilidad de participar en un ensayo clínico y, en nuestro caso, como asociación de pacientes, significa mucho poder incluirlos dentro de un estudio. Ya que quiere decir que puede existir la posibilidad de un tratamiento más cercano y que, por lo menos, pudiera existir alguna posibilidad de mejora en los pacientes que participan en el ensayo. Significa también que ya se realizó un gran recorrido y esfuerzo para llegar a este momento.

Nuestra asociación tiene la gran ventaja de tener una gran relación internacional, y esto nos facilita estar al día de lo que acontece y conocer de primera mano cuándo empezará un ensayo y qué tipo de pacientes se requerirán para él.

En muchos ensayos los criterios de selección son muy exclusivos y están cerrados a unos pacientes con unas características muy determinadas, con lo cual se excluye a algunos enfermos que podrían participar. El promotor busca no fallar en el intento por razones puramente económicas, por lo que se busca que estos pacientes sean de la más corta edad posible y que no tengan casi afectación (ensayo de tratamiento), o ninguna afectación (ensayo de prevención). Esto

es normalmente complicado en algún tipo de enfermedad minoritaria ya que el diagnóstico es muy tardío y generalmente se realiza cuando el paciente ya tiene alguna o varias afectaciones. Estos ensayos deberían estar obligados a incluir un número de pacientes de corta edad sin apenas afectación y a otros en los que la enfermedad haya evolucionado durante bastante tiempo, para observar si se produce mejoría en este tipo de casos. Esto sería importante, sobre todo, en la terapia génica en la que se podría demostrar qué se ha revertido y qué no.

Nos falta mucho para que España sea un país de referencia en la puesta en marcha de ensayos clínicos en enfermedades raras. Debería haber mayor agilidad en los trámites necesarios para ofrecer a las compañías que desarrollan la investigación clínica un lugar idóneo para llevarla a cabo; esto, por mi experiencia, es mucho más rápido en otros países como Holanda, Reino Unido y los EEUU. Siempre que hemos tenido alguna oportunidad de ofrecer España para participar en un ensayo internacional, hemos tenido grandes dificultades. España, como Portugal, son países en donde ciertas enfermedades raras son más prevalentes que en el resto de Europa. Algo a tener muy en cuenta a la hora de ofrecer la puesta en marcha de algún ensayo o la colaboración en ensayos multicéntricos internacionales.

Aunque muchos pacientes españoles con enfermedades raras han participado en ensayos clínicos, lo cierto es que participan más en estudios de fases tardías (fase III) de la investigación de los nuevos tratamientos que en las fases precoces (fases I y II). Los ensa-

yos de las fases precoces no se suelen realizar en España. Ahora bien, he de señalar que, en ocasiones, algunos pacientes españoles han viajado a centros de Reino Unido, Holanda o Alemania para participar en ensayos precoces que se llevaban a cabo en estos países. Una de las grandes dificultades para esos pacientes, y una de las grandes barreras para que sean aceptados para entrar en un ensayo, ha sido y es la diferencia de cultura e idioma. Aunque hay que destacar la gran preparación que ofrecen estos centros, con áreas específicas en el grupo de trabajo que ayudan en todo momento a la familia y al afectado, que hablan su idioma y que están siempre al lado de la familia. Por todo esto, los pacientes que han entrado en uno de estos ensayos han quedado, ellos y su familia, muy satisfechos del trato, la amabilidad y ayuda ofrecidas. En algunos casos les han ofrecido vivienda para quedarse durante un tiempo y, en otras ocasiones, se les han gestionado y financiado los viajes cada semana, para intentar que el ensayo no afecte o rompa el día a día de la familia. Pero claro, muchas veces esto resulta más caro a la compañía farmacéutica que promueve el ensayo. En general, el ensayo clínico ha sido una gran oportunidad y una esperanza para las familias.

Cuando el ensayo es controlado con placebo y a doble ciego, aparece uno de los miedos que tienen los afectados y sus familias, y que a veces se torna un obstáculo para que el enfermo acepte participar. El miedo es que al participante le toque recibir placebo. Pensar que debe viajar repetidas veces a un país extranjero para recibir un tratamiento

que puede ser placebo, es considerado por muchos como un esfuerzo realizado en vano. Se entiende que el uso de placebo deba ser necesario para que el resultado del ensayo sea valorable y el medicamento pueda ser eventualmente autorizado con todas las garantías, pero muchos pacientes tienen el sentimiento de que, a lo peor, el esfuerzo realizado ha sido inútil para ellos mismos. El problema que plantea el uso de placebo en los ensayos clínicos (el miedo a que «me toque») aparece también en los estudios que se realizan en la región de residencia del paciente: la sensación de *inutilidad*. Sin embargo, es más frecuente y mayor si el esfuerzo que se solicita al enfermo es mayor, y esto ocurre cuando debe viajar a un país extranjero.

Algo que yo cambiaría en estos casos es que debería plantearse la posibilidad de que el paciente reciba el tratamiento en su lugar de residencia, pero eso sí, supervisado por el experto del ensayo en colaboración con el médico de la zona a la que pertenece el paciente. Los médicos responsables de los pacientes con estas enfermedades deberían estar siempre informados con detalle de todo lo que se está llevando a cabo. Además, se deberían acortar los plazos de los ensayos, aunque en algunas enfermedades esto ya ocurre —las fases de los ensayos duran un año con extensión a dos en algunos casos, y en otras se han reducido a seis meses—. Pero estas enfermedades no tienen ninguna otra posibilidad y algunas son muy invalidantes y con corta esperanza de vida. Necesitamos que la investigación de los nuevos medicamentos se produzca lo más rápido posible, con toda la seguridad posible.

Dentro de la investigación de los nuevos medicamentos para enfermedades raras, entiendo que las compañías farmacéuticas deberían estar obligadas a poner a disposición de los pacientes el uso compasivo de ese medicamento. Esto debería ser un requisito imprescindible para la posterior autorización de comercialización del producto, sobre todo en los casos en los que los pacientes ya no disponen de otra posibilidad terapéutica. Personalmente, pienso que esta posibilidad debería estar disponible desde el mismo momento en que se inicia la fase clínica de investigación del nuevo medicamento. Mi experiencia me dice que muchas familias estarían dispuestas a aprovechar esa oportunidad con tal de sentir que, como padres, han hecho todo lo que podían hacer por su hijo afectado. Otros no lo consiguieron y fallecieron sin ninguna posibilidad.

## 7. ACCESO DE LOS PACIENTES A LOS TRATAMIENTOS AUTORIZADOS

La investigación clínica de nuevos fármacos tiene como último objetivo que acaben estando disponibles para el tratamiento de los pacientes en la práctica clínica. Como es bien sabido, la mayoría de los tratamientos aprobados para su uso en los pacientes con enfermedades raras y ultra-raras son de un elevado coste. Se observa como en el proceso de aprobación de un tratamiento para un paciente, se buscan mil y una cuestiones para conseguir no administrárselo debido al coste del fármaco. Desde mi punto de vista, prima el dinero por encima de la salud. Vemos como hay diferentes comités

de expertos o comisiones de evaluación de fármacos de alta complejidad, o fármacos para enfermedades raras que deben pasar unos criterios que normalmente ningún paciente cumple. Si estos medicamentos se han ensayado en pacientes, han dado unos resultados positivos y han sido aprobados por todas las agencias de medicamentos en todo el mundo, incluso por la AEMPS, por qué a la hora de ponerlo en práctica en el hospital y en el paciente, llega la negación o la búsqueda de excusas para no usar dicho fármaco. Considero que todo paciente tiene derecho al tratamiento disponible, y que este debería ser evaluado por unos expertos en la materia, no en economía, sino en medicina, y poder seguir al paciente durante un tiempo de tratamiento para sacar las conclusiones que sean necesarias.

Tenemos en este país 17 Comunidades autónomas, es decir, 17 *países* diferentes dentro de España, un problema grandísimo para nuestras enfermedades. El Gobierno debería poner herramientas para buscar la unidad de criterio, tratar a todos estos pacientes, estén en el hospital que estén, residan en la Comunidad Autónoma que residan y que no haya impedimento alguno para financiar estos tratamientos. Un paciente con una enfermedad rara no es un paciente diferente a los demás, tiene todos los derechos como cualquier otro: no deben existir fronteras ni barreras a la hora de tratar y seguir a estos pacientes. Todavía nos queda mucho por recorrer, aunque hemos ido avanzando mucho en los últimos años.