

## Mejorar el acceso a la atención y el tratamiento para los pacientes de la enfermedad de Huntington y sus familias

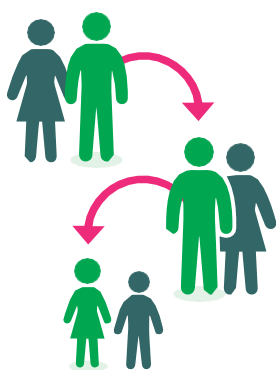
Tras una mesa redonda política virtual celebrada el 3 de diciembre de 2020, organizada por la Asociación Europea de Huntington (EHA) y la Federación Europea de Asociaciones Neurológicas (EFNA) con el apoyo financiero de Roche, las siguientes organizaciones y partes interesadas piden más acciones de la UE y nacionales para mejorar la calidad de la atención y el tratamiento de las personas que viven con la enfermedad de Huntington.

El apoyo de los responsables políticos a nivel nacional e internacional es crucial para que se puedan tomar las medidas necesarias para mejorar la calidad de vida de los afectados por la enfermedad de Huntington.

Esta Declaración de Consenso establece una serie de recomendaciones en las que la acción de las múltiples partes interesadas podría ayudar a superar algunos de los principales retos a los que se enfrentan los afectados por la enfermedad de Huntington.



### Sobre la Enfermedad de Huntington



La enfermedad de Huntington es una enfermedad rara, genética, neurodegenerativa y, en última instancia, mortal, que tiene un impacto devastador en las familias de varias generaciones. Vivir con la enfermedad de Huntington conlleva una serie de retos sanitarios y sociales, como síntomas graves y multifacéticos, discapacidades a largo plazo, lucha contra el estigma, aislamiento social, pérdida de ingresos y apoyo social y aumento de la carga de cuidados para las familias, por nombrar algunos.

Existe una falta de conocimiento de la enfermedad de Huntington entre los profesionales sanitarios, por lo que muchos pacientes tienen dificultades para recibir la atención que necesitan y, en ocasiones, reciben información incorrecta de los profesionales sanitarios. Además, las opiniones varían en cuanto a las mejores prácticas en la enfermedad de Huntington, debido a los diferentes enfoques de atención y tratamiento en los distintos países, tanto en Europa como en el resto del mundo.

Está claro que es necesario un cambio en los sistemas sanitarios para apoyar un mejor acceso a la atención y el tratamiento de los pacientes con la enfermedad de Huntington. Un mayor conocimiento entre los profesionales sanitarios y los servicios sociales, así como un enfoque multidisciplinar y holístico de la atención y el tratamiento, son fundamentales para cerrar las brechas que existen actualmente. Para abordar estas lagunas, necesitamos pacientes y cuidadores bien informados y activados; una comprensión de dónde acceder al apoyo para los pacientes y las familias; oportunidades para la participación de los usuarios; apoyo conjunto para la salud física, el bienestar mental y la atención social; y, lo que es más importante, tenemos que luchar contra el estigma que rodea a esta comunidad de pacientes.





Es primordial acelerar la investigación de tratamientos para la enfermedad de Huntington y otras enfermedades neurodegenerativas. Además, es necesario mejorar los métodos para medir las funciones cognitivas y los síntomas no motrices, como el control emocional. Otro factor que tiene un impacto significativo en la calidad de vida de los pacientes de la Enfermedad de Huntington y sus familias es la salud mental, un área en la que la investigación es actualmente muy mínima. Los programas de investigación e innovación de la UE, como Horizonte Europa, pueden aprovecharse para apoyar este tipo de investigación reuniendo la experiencia de todos los Estados miembros de la UE para mejorar la forma en que se presta la asistencia y se lleva a cabo la investigación para las enfermedades raras.

Además, siguen existiendo desafíos en torno al acceso de los pacientes a los medicamentos para las enfermedades raras, con grandes desigualdades en el acceso entre el Este/Oeste y el Norte/Sur de Europa. El mercado europeo está fragmentado con múltiples procesos de evaluación de la tecnología sanitaria (HTA), fijación de precios y reembolso. En general, ningún país individual tiene suficiente conocimiento de las enfermedades raras para evaluarlas por sí mismo. Necesitamos coordinar los esfuerzos para asegurar un mayor enfoque en la investigación, mejores ensayos clínicos, un diálogo temprano sobre el valor de las terapias y un debate conjunto sobre HTA a nivel europeo.

El renovado impulso de la UE en política sanitaria como resultado de COVID-19, y las recientes propuestas para construir una Unión Europea de la Salud, son señales alentadoras para la comunidad de enfermedades raras. Debemos aprovechar este impulso como una oportunidad para asegurar que mejoramos la provisión de servicios sanitarios a los pacientes de la enfermedad de Huntington, y a los pacientes de enfermedades raras en general, en toda la UE. Fuerte colaboración entre los responsables políticos y otras partes interesadas será esencial para conseguirlo.

La Estrategia Farmacéutica para Europa, publicada en noviembre de 2020, aborda muchos ámbitos en los que es necesaria una mayor cooperación, como los datos, la transparencia de los costes y los precios, y la adquisición conjunta de terapias de alto coste. La Estrategia tiene un gran potencial, pero será importante que las iniciativas que incluye se vinculen realmente para lograr un tratamiento mejor y más asequible, al tiempo que se garantiza que Europa siga estando a la vanguardia de la innovación en la asistencia sanitaria.

En la fase de recuperación posterior a la COVID-19, tenemos que dar voz a aquellas enfermedades que no han recibido la atención que merecen en los últimos años y asegurarnos de que no queden eclipsadas por la pandemia, sino que los pacientes de enfermedades raras sean el centro de atención en la fase de recuperación y más allá.

Algunas de las lecciones aprendidas de la pandemia de COVID-19 son aplicables a la gestión de las enfermedades raras, incluyendo la lucha contra las desigualdades sanitarias que persisten en la UE. Esta crisis sanitaria ha puesto de manifiesto lo esenciales que son los sistemas sanitarios y ha abierto el campo de posibilidades con la telemedicina, el aumento de la inversión en asistencia sanitaria y la aceleración de los ensayos clínicos, entre otros. Esto debería ser ahora una realidad en otros ámbitos de la asistencia sanitaria, incluidas las enfermedades raras.



# Llamada a la acción



## 1

### ABORDAR LAS LAGUNAS EN LA ATENCIÓN Y EL TRATAMIENTO PARA PACIENTES QUE VIVEN CON LA ENFERMEDAD DE HUNTINGTON

#### Acción a nivel nacional:

#### Integración de las redes europeas de referencia en los sistemas sanitarios nacionales

Para implementar los cambios necesarios para apoyar a las personas que viven con la enfermedad de Huntington, necesitamos que los Estados miembros de la UE integren las Redes Europeas de Referencia (RER) dentro de sus estrategias de enfermedades raras. Esto asegurará que las RER se conviertan en un punto centralizado para los pacientes y garanticen la armonización de la información y las normas de atención en todos los Estados miembros.

#### Intercambio de conocimientos sobre enfermedades específicas a través de las Redes Europeas de Referencia (RER)

Los Estados miembros de la UE deben ser más proactivos, aumentar los recursos para sus miembros de la RER, así como organizar las redes nacionales para permitir que la experiencia fluya de la RER al paciente y viceversa. Los Estados miembros deben compartir las mejores prácticas para garantizar que las soluciones se apliquen eficazmente en toda Europa.

#### Adopción de directrices internacionales sobre la enfermedad de Huntington.

La Red Europea de Referencia para Enfermedades Neurológicas Raras (ERN-RND) ha publicado unas Directrices Internacionales para el Tratamiento de la Enfermedad de Huntington. Estas directrices internacionales deberían ser aprobadas y adoptadas por todas las autoridades sanitarias nacionales y deberían servir de guía para el desarrollo de los servicios. Esto ayudaría a garantizar la coherencia y el acceso a una atención y un apoyo multidisciplinarios de alta calidad para todos los afectados por la enfermedad de Huntington.

**Garantizar un enfoque multidisciplinar de la atención.** Dado que aún no se dispone de ningún tratamiento modificador o curativo de la enfermedad de Huntington, es fundamental centrarse en el manejo de los síntomas y en la mejora de la calidad de vida. Esto incluye el tratamiento de los síntomas psiquiátricos, la fisioterapia, el manejo nutricional, el apoyo psicológico y la terapia ocupacional, entre otros. El acceso a estas opciones es muy variable en los distintos países y muchos pacientes tienen un acceso limitado o nulo. El apoyo de los equipos multidisciplinarios también es esencial y las directrices internacionales de la ERN-RND sobre la enfermedad de Huntington que reflejan esto deberían adoptarse en todos los países europeos para garantizar que los pacientes tengan acceso a la atención de alta calidad que necesitan.



#### Acción a nivel de la UE:

**Optimizar los programas de formación de profesionales sanitarios y los programas de becas/intercambio.** Las RER van más allá de la cooperación clínica; también pueden ofrecer actividades de formación profesional para compartir los conocimientos de los expertos y proporcionar a los jóvenes profesionales una formación en profundidad. Hay que tomar medidas para garantizar que estas oportunidades de formación lleguen al mayor número posible de profesionales sanitarios. Las RER también deberían ser puntos de encuentro para la investigación y los intercambios con los pacientes y los representantes de los pacientes.

**Implementar marcos legales para los servicios prestados por las Redes Europeas de Referencia.** El COVID-19 ha puesto de manifiesto la importancia de los marcos legales para las amenazas transfronterizas graves para la salud, y la importancia de reforzar la posición del ECDC y la EMA. Para los pacientes de la enfermedad de Huntington, también necesitamos marcos legales para los servicios prestados, por ejemplo, desarrollando un programa de educación para atraer a un mayor número de expertos en enfermedades raras.



## 2

### **GARANTIZAR QUE LAS PRIORIDADES DE INVESTIGACIÓN TENGAN EN CUENTA A LOS PACIENTES**



*Acción a nivel de la UE:*

#### **Mejorar la participación de los pacientes en la I+D.**

Los pacientes de la enfermedad de Huntington y sus cuidadores deben participar activamente en la investigación para garantizar que se incluya su voz. Por lo general, la investigación se lleva a cabo en poblaciones de fácil acceso antes de observar cómo reaccionan las poblaciones reales a los tratamientos. Al mejorar la participación de una variedad de los pacientes de la enfermedad de Huntington en la investigación, se pueden garantizar los mejores resultados posibles de la investigación. Los programas europeos de investigación e innovación, incluidos Horizonte Europa y la Iniciativa de Salud Innovadora, deberían garantizar la participación significativa de los pacientes.

#### **Aprovechar los programas europeos de investigación e innovación.**

Tenemos que aprovechar las oportunidades para la investigación de la enfermedad de Huntington en las convocatorias de los programas europeos de investigación e innovación, como Horizonte Europa. Estos programas deberían incluir convocatorias de investigación que ofrezcan oportunidades para la investigación de la enfermedad de Huntington, incluyendo convocatorias en torno a las enfermedades raras y la neurología, así como en torno a las necesidades no cubiertas de los pacientes.

## 3

### **MEJORAR EL ACCESO DE LOS PACIENTES DE ENFERMEDADES RARAS AL TRATAMIENTO FOMENTANDO LA COOPERACIÓN A ESCALA DE LA UE EN MATERIA DE EVALUACIÓN DE LA TECNOLOGÍA SANITARIA (HTA) Y PRECIOS Y REEMBOLSOS**

*Acción a nivel de la UE y nacional:*

Mejora de los procesos de HTA, fijación de precios y reembolso en toda la UE para un acceso mejor y más equitativo a los tratamientos de las enfermedades raras.

Para abordar las desigualdades en el acceso a los tratamientos de enfermedades raras en la UE, necesitamos una mejor cooperación. Los Estados miembros de la UE deberían trabajar para alcanzar un acuerdo sobre la evaluación conjunta europea de HTA. La UE debería proporcionar una plataforma para un diálogo temprano sobre el valor de las terapias en el que participen todos los Estados miembros.

## 4

### APROVECHAR EL RENOVADO IMPULSO DE LA UE EN MATERIA DE POLÍTICA SANITARIA

*Acción a nivel de la UE:*

**Garantizar que la Estrategia Farmacéutica para Europa conduzca concretamente a un acceso mejor y más equitativo al tratamiento para los pacientes de enfermedades raras en toda la UE**

La UE debe garantizar la ejecución efectiva de las iniciativas establecidas en la Estrategia Farmacéutica para mejorar la cooperación de la UE, incluyendo, entre otras, una propuesta legislativa sobre un Espacio Europeo de Datos Sanitarios y medidas no legislativas, como directrices, para mejorar la transparencia de los costes.

*Acción a nivel nacional y de la UE:*

Abogar por que los gobiernos de los Estados miembros apoyen el desarrollo de una Unión Europea de la Salud fuerte,

Para que las propuestas de construcción de una Unión Europea de la Salud tengan éxito, es necesario que todos los Estados miembros estén de acuerdo. Todas las asociaciones interesadas en una Unión Europea de la Salud fuerte, en la que todos los países de la UE trabajen juntos para proteger mejor la salud de los ciudadanos y mejorar el tratamiento, deben garantizar que sus voces sean escuchadas a nivel nacional y abogar por que los gobiernos de los Estados miembros acepten formar parte de la Unión Europea de la Salud.



Participación activa de los grupos de pacientes y compromiso con los responsables políticos para asegurar que la Enfermedad de Huntington tiene un perfil más alto en la agenda política a nivel regional y nacional. Los responsables políticos necesitan las aportaciones y la información de los representantes de los pacientes para asegurar que luchan por las políticas que abordan las necesidades de todas las personas. Los grupos de pacientes deben asegurar una fuerte presencia entre los responsables políticos, tanto a nivel europeo como nacional, para aumentar la concienciación sobre la Enfermedad de Huntington y asegurar que la perspectiva del paciente de la Enfermedad de Huntington se integre en las políticas e iniciativas relevantes.

## 5

# SITUAR A LOS PACIENTES DE ENFERMEDADES RARAS EN EL CENTRO DE LA RECUPERACIÓN TRAS LA CRISIS DEL 19



**Acción a nivel nacional:** Poner en marcha estrategias nacionales de enfermedades raras que incluyan medidas específicas para mejorar el tratamiento, la atención y el apoyo a todos los afectados por la enfermedad de Huntington, incluidos los pacientes, las familias y los cuidadores



Las estrategias nacionales de enfermedades raras actualizadas son un paso importante para mejorar la atención a las enfermedades raras en cada país. Todos los Estados miembros de la UE deberían adoptar y aplicar una estrategia nacional de enfermedades raras que incluya medidas y objetivos específicos sobre la enfermedad de Huntington. Las estrategias nacionales son necesarias para tener una estrategia europea.

**Aumentar la inversión en los sistemas sanitarios nacionales para aumentar la capacidad y la resistencia y garantizar que todos los pacientes de enfermedades raras puedan acceder a la atención que necesitan**

Los Estados miembros de la UE tienen que aprender la lección de la pandemia de COVID-19 y seguir aumentando la inversión en sus sistemas sanitarios para garantizar que sean robustos y con capacidad suficiente para proporcionar una atención y un apoyo excelentes a todos los afectados por una enfermedad rara, incluso en caso de futuras pandemias.

**Acción a nivel de la UE:** **Ampliación de las redes europeas de referencia**  
El nuevo programa EU4Health debería utilizarse para ampliar las Redes Europeas de Referencia, incluso mediante una financiación más sostenible y la integración en las vías de atención estándar, y para apoyar los registros de enfermedades a nivel europeo, o las alianzas de registros nacionales con conjuntos de datos básicos comunes. El marco jurídico de la UE sobre la asistencia sanitaria transfronteriza debería reforzarse para apoyar el desarrollo de las RER.

# Llamamiento a la acción

## 1 ABORDAR LAS LAGUNAS EN LA ATENCIÓN Y EL TRATAMIENTO PARA PACIENTES QUE VIVEN CON LA ENFERMEDAD DE HUNTINGTON

- Integración de las redes europeas de referencia en los sistemas sanitarios nacionales
- Intercambio de conocimientos sobre enfermedades específicas a través de las redes europeas de referencia
- Adopción de directrices internacionales sobre la enfermedad de Huntington
- Garantizar un enfoque multidisciplinar en la atención a los pacientes con enfermedad de Huntington
- Optimizar los programas de formación de profesionales sanitarios y los programas de becas/intercambio
- Aplicación de marcos jurídicos para los servicios prestados por las redes europeas de referencia

## 2 GARANTIZAR QUE LAS PRIORIDADES DE INVESTIGACIÓN TENGAN EN CUENTA A LOS PACIENTES

- Mejorar la participación de los pacientes en la I+D
- Aprovechar los programas europeos de investigación e innovación

## 3 MEJORAR EL ACCESO DE LOS PACIENTES DE ENFERMEDADES RARAS A LOS TRATAMIENTOS FOMENTANDO LA COOPERACIÓN A ESCALA DE LA UE EN MATERIA DE HTA Y DE FIJACIÓN DE PRECIOS Y REEMBOLSOS

- Mejora de los procesos de HTA, fijación de precios y reembolso en toda la UE para un acceso mejor y más equitativo a los tratamientos de las enfermedades raras

## 4 APROVECHAR EL RENOVADO IMPULSO DE LA UE EN MATERIA DE POLÍTICA SANITARIA

- Garantizar que la Estrategia Farmacéutica para Europa conduzca concretamente a un acceso mejor y más equitativo al tratamiento para los pacientes de enfermedades raras en toda la UE
- Abogar por que los gobiernos de los Estados miembros apoyen el desarrollo de una Unión Europea de la Salud fuerte
- Participación activa de los grupos de pacientes y compromiso con los responsables políticos para garantizar que la enfermedad de Huntington tenga una mayor presencia en la agenda política a nivel regional y nacional

## 5 SITUAR A LOS PACIENTES DE ENFERMEDADES RARAS EN EL CENTRO DE LA RECUPERACIÓN TRAS LA CRISIS DEL 19

- Poner en marcha estrategias nacionales de enfermedades raras que incluyan medidas específicas para mejorar el tratamiento, la atención y el apoyo a todos los afectados por la enfermedad de Huntington, incluidos los pacientes, las familias y los cuidadores
- Aumentar la inversión en los sistemas sanitarios nacionales para aumentar la capacidad y la resistencia y garantizar que todos los pacientes de enfermedades raras puedan acceder a la atención que necesitan
- Ampliación de las redes europeas de referencia

### APOYADO POR:

SIRPA PIETIKÄINEN  
Miembro del Parlamento  
Europeo PPE (Finlandia)

MARISA MATIAS  
Diputado del Parlamento Europeo  
GUE/NGL (Portugal)



CON EL APOYO DE EURORDIS

