Mi historia

Mi historia

Mi historia

Mi historia

Mi historia

Mi historia

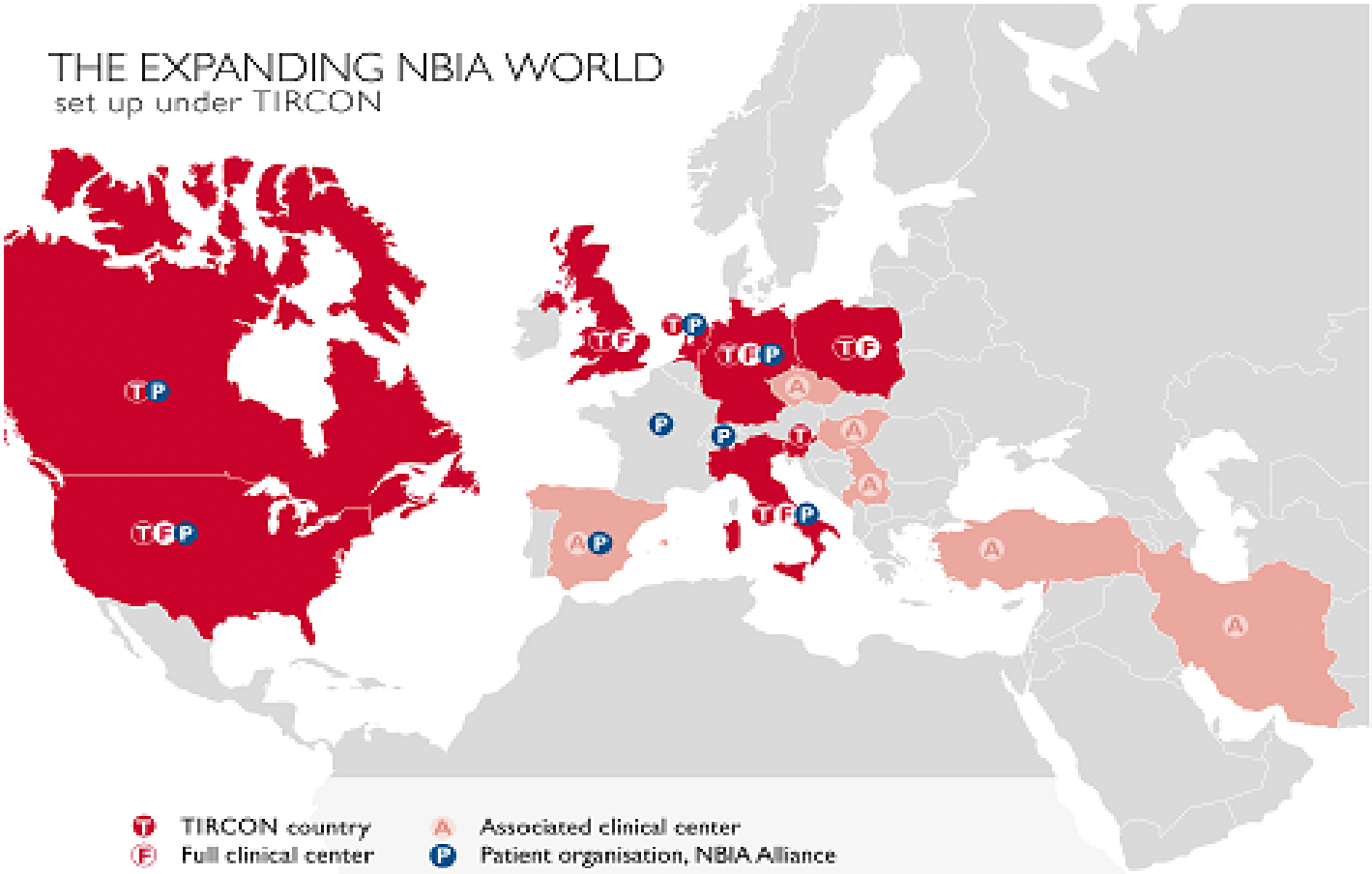
TIRCON

Mi historia

TIRCON

Mi historia

TIRCON



NUESTRA HISTORIA

Promover la cura: Nuestra mejor ayuda.

enachasociacion.blogspot.com

¿Que son las ENACH?

ENACH = **E**nfermedades **N**eurodegenerativas por **A**cumulación **C**erebral de **H**ierro.

¿Que son las ENACH?

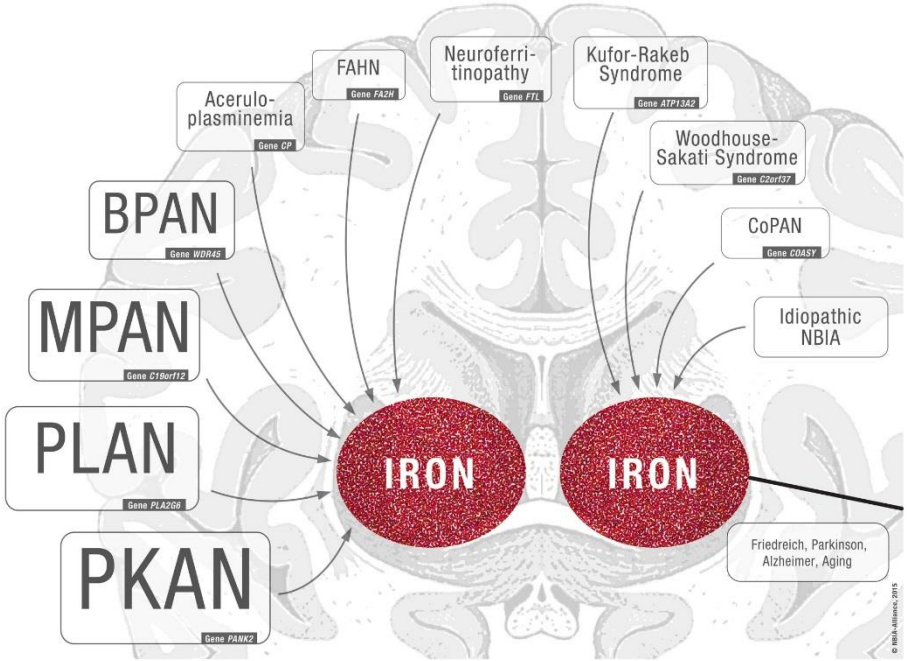
ENACH = **E**nfermedades **N**eurodegenerativas por **A**cumulación **C**erebral de **H**ierro.

ENACH engloba a un grupo de patologías de la que la más frecuente, PKAN (>50%) comienza generalmente antes de los 10 años y presenta la siguiente sintomatología:

- Distonía, disfagia, disartria, rigidez en los miembros, espasticidad, convulsiones y retinosis pigmentaria entre otros.
- Debido a la degeneración neurológica, conduce rápidamente a la inmovilidad.

¿Que son las ENACH?

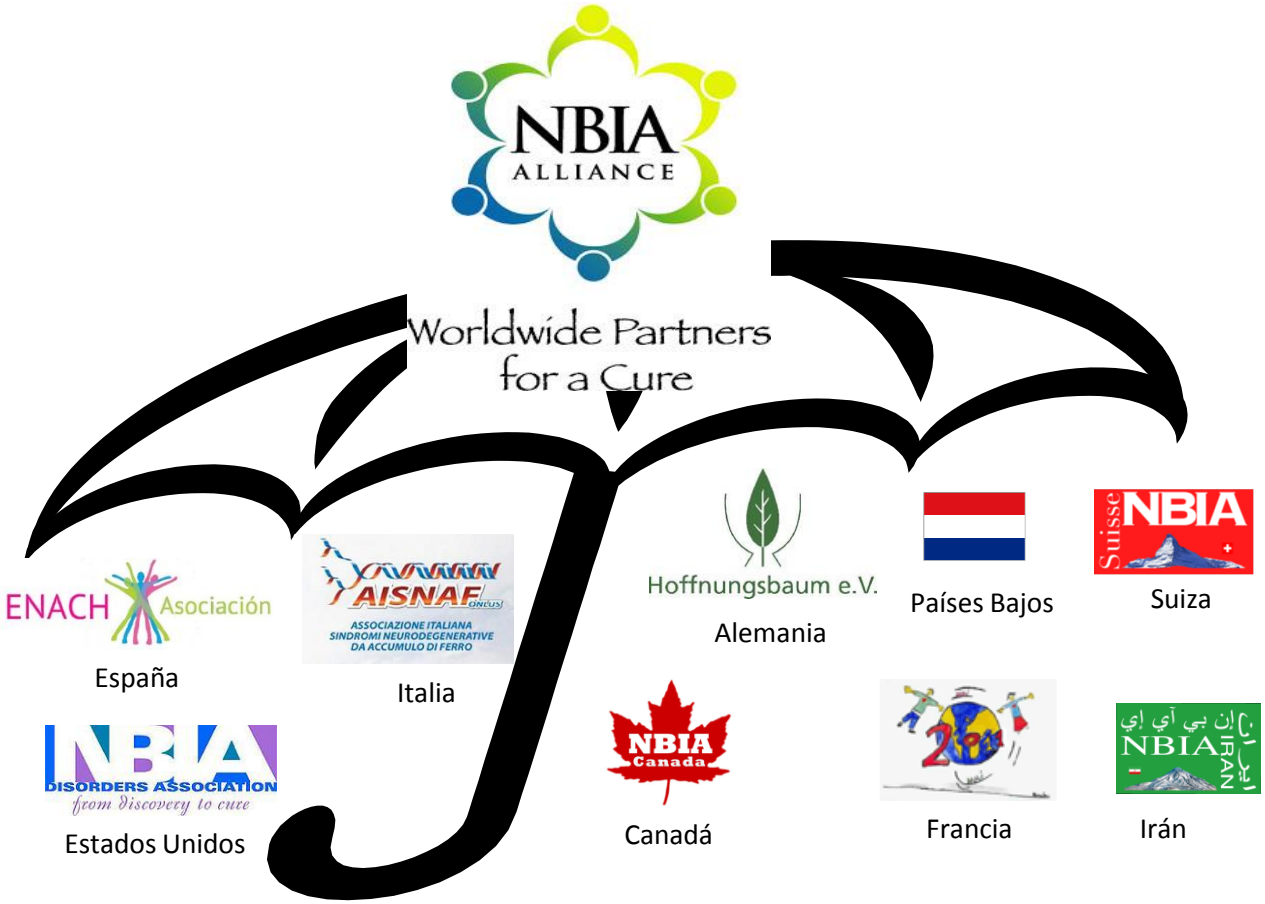
ENACH = **E**nfermedades **N**eurodegenerativas por **A**cumulación **C**erebral de **H**ierro.



¿Que es ENACH Asociación?

- Asociacion de pacientes constituida formalmente en 2013, sin ánimo de lucro
- **Pacientes y sus familias**
- Personas que rodean a las familias (amigos)
- Instituciones
- **Comité medico/científico asesor**

¿Que es ENACH Asociación?



NBIA ALLIANCE es una organización que agrupa a las Asociaciones NACH / NBIA de diversos países y que cuenta con un Comité cientifico/médico asesor formado por los especialistas de referencia a nivel mundial.

Comité médico/científico asesor

Dra. Belén Pérez Dueñas
Neuropediatra e investigadora

Dr. José A. Sanchez Alcázar
Biólogo, Médico y Bioquímico clínico

Dr. Marcos Madruga Garrido
Neuropediatra e investigador

Antonio J. Diaz Quintana
Bioquímico, Biofísico e investigador

Dr. Isidoro Caraballo Rodríguez
Doctor e investigador en Farmacia

Dr. David Cotán Marín
Biotecnólogo investigador

Dr. Mercedes Serrano Guimaré,
Pediatra

¿Como nos definimos?

Somos obsesivos con la

VISIBILIDAD

¿Como nos definimos?

- **VISIBILIDAD** para pacientes/familias = **APOYO**

http://enachasociacion.blogspot.com/

facebook twitter guía metabólica RareConnect.org A EURORDIS INITIATIVE

– **VISIBILIDAD** para médicos/investigadores = **RED**

orphanet LinkedIn SOCIEDAD ESPAÑOLA DE NEUROLOGIA PEDIATRICA S.E.N.P. SOCIEDAD ESPAÑOLA DE NEUROLOGIA ciberer CENTRO DE INVESTIGACIÓN BIOMÉDICA EN RED DE ENFERMEDADES RARAS

Resultado de nuestra „*obsesión*“

Visibilidad para pacientes y familias = **APOYO**

Visibilidad para médicos e investigadores = **RED**

+

- **>50 pacientes detectados en corto periodo de tiempo (1 año)**
- **Gran número de contactos latinoamericanos**
- **15 Hospitales (14 españoles +1 italiano) involucrados**
- **Varios centros de investigación satélites implicados**
- **Creación de un registro de pacientes y un biobanco**
- **Varios proyectos de investigación en marcha**

¿En que estamos?

- **Facilitando información, orientación y apoyo a los afectados por las ENACH.**
- **Promoviendo el contacto e intercambio con otras asociaciones de ER.**
- **Obteniendo y compartiendo información acerca de los últimos avances científicos así como las mejores prácticas que se producen en esta materia para dar trasladarlo a los afectados, familiares cuidadores e incluso equipos médicos.**
- **Buscando vías de financiación tales como patrocinadores, ayudas públicas, donantes, organización de eventos, crowdfunding etc., para programas de investigación.**

ENACH Asociación

Promover la cura: Nuestra mejor ayuda.

enachasociacion.blogspot.com

Nuestro posicionamiento

Apoyar a investigadores, médicos y Cías. farmaceúticas que puedan proponer tratamientos potenciales a corto/medio plazo y en donde el balance beneficio/riesgo sea razonable.

Nuestro posicionamiento

La investigación a medio/largo plazo esta en marcha, desde hace años pero, nuestros pacientes, no tienen tiempo para procesos a largo plazo, porque se nos va la vida en ello, por eso

<u>conscientes de la posible controversia:</u>

Apoyamos a investigadores, médicos y Cías. farmaceúticas que puedan proponer tratamientos potenciales a corto/medio plazo y en donde el balance beneficio/riesgo sea razonable.

Nuestro posicionamiento

Estamos convencidos que el uso de medicamentos en situaciones especiales, como las que nos ocupan, pudiera ayudar a pacientes en situación comprometida y, a la vez, a la ciencia que funciona a medio/largo plazo.

No hablamos de algo extravagante: RD 1015/2009

GOBIERNO DE ESPAÑA · MINISTERIO DE SANIDAD, SERVICIOS SOCIALES E IGUALDAD · agencia española de medicamentos y productos sanitarios

Introducción a medicamentos en situaciones especiales

Última actualización: 26/07/2012

Introducción

La disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales se organiza por el *Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales* pdf.

Con esta norma se facilita el acceso a medicamentos en investigación a pacientes que no disponen de un tratamiento satisfactorio y sufren una enfermedad gravemente debilitante o que pone en peligro su vida.

Uso de medicamentos en investigación

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) puede autorizar el uso de medicamentos en investigación antes de su comercialización en España, para pacientes concretos sin una alternativa terapéutica disponible satisfactoria, que no forman parte de un ensayo clínico y que están en una situación clínica que no permite esperar a que finalice la investigación y los nuevos tratamientos se autoricen.

Con esta norma el acceso a estos medicamentos puede hacerse de forma individualizada para un paciente o acogiéndose a una autorización temporal de uso por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) para un grupo de pacientes.

Uso de medicamentos en condiciones diferentes de las autorizadas

La norma también incluye el uso de medicamentos aprobados cuando existe la necesidad de utilizarlos en condiciones diferentes a las autorizadas. Estas situaciones se están dando especialmente en pediatría y en oncología.

Se elimina la necesidad de autorización previa individual en cada caso por parte de la AEMPS, y se refuerza la responsabilidad de los centros sanitarios, la información a los pacientes, y la vigilancia de su uso. La AEMPS podrá emitir recomendaciones, que se tendrán en cuenta en los protocolos terapéutico-asistenciales elaborados por los centros sanitarios.

Medicamentos extranjeros

Para los medicamentos que no están autorizados en España, que estén comercializados en otros países y que su utilización sea imprescindible, la norma actualiza el procedimiento que no se había revisado desde el año 1988.

En definitiva, el real decreto 1015/2009 pdf de acceso a medicamentos en situaciones especiales aporta ventajas que pueden resumirse en:

- Elimina cargas administrativas, en el contexto del Plan de Reducción de Cargas Administrativas y de Mejora de la Regulación.
- Agiliza los procedimientos existentes, e introduce la tramitación telemática.
- Refuerza las garantías de seguridad en los usos especiales de medicamentos.

Inicial
Agenda de actos
Notas de prensa
Discursos e intervenciones
Campañas informativas
Biografías
Fotografías
Videoteca
Audioteca
Contacto del Gabinete de Prensa
La Reforma de la Sanidad
Nuevo modelo prestación farmacéutica

Notas de Prensa

El Ministerio de Sanidad autoriza la importación del fármaco ZMapp para el tratamiento de la infección por el virus Ebola

- El medicamento ya ha llegado a Hospital Carlos III de Madrid para ser administrado al paciente ingresado con el virus
- Se está utilizando ya en dos pacientes en Estados Unidos

9 de Agosto de 2014.-. La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), dependiente del Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad, ha autorizado la importación excepcional del medicamento ZMapp para el tratamiento de la infección por el virus Ebola.

Este medicamento, que se está utilizando ya en dos pacientes en Estados Unidos, se encuentra en fases iniciales de investigación y se ha importado al amparo de la legislación que permite el uso de medicamentos no autorizados en pacientes que padecen una enfermedad que pone en peligro su vida y que no pueden ser tratados satisfactoriamente con un medicamento autorizado.

Este procedimiento se inicia a solicitud del médico responsable del paciente, contando con su consentimiento informado, a través de su centro hospitalario y con el visto bueno de la Dirección del mismo. Una vez recabada la conformidad del laboratorio que está desarrollando el medicamento, éste se importa desde su origen. En este caso, el medicamento se ha importado desde Ginebra donde existía disponibilidad de una dosis en el contexto de un acuerdo entre el laboratorio que desarrolla el medicamento, la Organización Mundial de la Salud y Médicos Sin Fronteras y ya se encuentra en el complejo hospitalario La Paz-Carlos III de Madrid desde hoy 9 de agosto.

¿A que problemas nos enfrentamos?

FINANCIACION

Nuestros compañeros de viaje

Sant Joan de Déu
HOSPITAL MATERNOINFANTIL
UNIVERSITAT DE BARCELONA

UNIVERSIDAD PABLO DE OLAVIDE SEVILLA

CSIC
CONSEJO SUPERIOR DE INVESTIGACIONES CIENTÍFICAS

UNIVERSIDAD DE SEVILLA

UOC
Universitat Oberta de Catalunya
www.uoc.edu

ciberer
CENTRO DE INVESTIGACIÓN BIOMÉDICA EN RED DE ENFERMEDADES RARAS

FEDER
Federación Española de Enfermedades Raras

cicCartuja

Muchas gracias

No queremos hacer lo posible

Queremos hacerlo posible