



Prólogo

Juan Carrión

*Presidente de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER)
y de la Fundación FEDER*

Los más de tres millones de personas que conviven con una enfermedad rara (ER) o poco frecuente en nuestro país se enfrentan a diario a una problemática asociada directamente al desconocimiento, la dificultad de acceso a la información y la localización de los profesionales o centros especializados. Como consecuencia, la realidad nos deja datos como que, en el 30% de los casos, la demora diagnóstica conlleva el agravamiento de la enfermedad o que, en más del 40% de ellos, no se dispone de tratamiento o, si se dispone, no es el adecuado.

La comunidad de familias que conviven con alguna de estas patologías en nuestro país es plenamente consciente de que para hacer visibles las necesidades comunes es imprescindible apostar conjuntamente por soluciones en pro de la esperanza. Soluciones que busquen la equidad, la plena integración social, sanitaria, educativa y laboral de estas personas. Entre todos estos aspectos, el impulso a proyectos de investigación es una de las principales claves que han movido al movimiento asociativo de ER a una puesta en común por mejorar la vida del colectivo.

Invertir en investigación es invertir en futuro. A día de hoy, son muy pocas las compañías biotecnológicas y farmacéuticas que invierten en I+D+I por la baja prevalencia de estas patologías, el poco atractivo comercial de los proyectos, la falta de formación especializada y la escasez de recursos. La suma de estas condiciones tiene como resultado que haya un menor número de proyectos de investigación clínica y terapéutica que en otras áreas de la medicina y ciencias de la salud, algo que ha ido modificándose en los años con el desarrollo y designación de nuevos medicamentos huérfanos.

En este sentido, se debe poner en valor la dedicación que las asociaciones llevan a cabo para dar luz a investigaciones que podrían encontrar un tratamiento efectivo o las claves para un diagnóstico precoz, entre otros aspectos. No obstante, no podemos olvidar que los recursos económicos de estas entidades no logran cubrir, por sí mismos, la puesta en marcha de estas iniciativas. Es en este punto donde la sociedad juega un papel crucial, donde un pequeño gesto puede cambiar la vida de una familia que se enfrenta día a día a una ER.

Sin la sensibilidad social, muchos de estos proyectos no podrían sostenerse por sí solos. Son muchas las personas que hacen posible la estabilidad de nuevas investigaciones en la lucha por mejorar la calidad de vida del colectivo. Sin olvidar que, sin su respaldo, las ER no hubieran adquirido la visibilidad y el reconocimiento que, poco a poco, van introduciéndose en la sociedad.

La responsabilidad social ha hecho posible que la voz de todos los que convivimos con una ER se canalice en un único mensaje, haciendo visible la realidad y la influencia directa de las dificultades contra las que luchan las familias en su día a día. Poco a poco, advertimos cómo las calles se inundan de actividades solidarias que ligan ocio, deporte, solidaridad y esperanza en una iniciativa cuya raíz se encuentra en la sociedad, en una persona que decidió llevar a cabo una idea solidaria con el único objetivo de destinar los fondos recaudados a la investigación.

El efecto directo de esta movilización social repercute en el compromiso de la Administración, indispensable para promocionar el conocimiento y apoyar la investigación, favoreciendo la viabilidad y la

sostenibilidad de los laboratorios. Bajo esta premisa, la atención social consigue acercar, con un carácter más divulgativo y cercano, el contexto de las ER al resto de los ciudadanos a la par que sitúa la investigación como una prioridad sanitaria, política y social.

Asimismo, hay que destacar que el valor terapéutico y social que nace gracias a estas investigaciones se sitúa más allá de los costes de investigación, ya que no solo se beneficia a una enfermedad poco frecuente, sino también a otras ER e incluso otras comunes y que, consecuentemente, afectan a otra parte de la sociedad.

Desde la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), con el firme compromiso de fomentar, apoyar y fortalecer la investigación de estas patologías, hemos lanzado este 2015 dos ayudas de 6.000 euros a través de nuestra Fundación. El objetivo principal es contribuir a que nuestras asociaciones, en situación de mayor vulnerabilidad, puedan obtener fondos con los que dar inicio o continuidad a estos proyectos; vía principal para avanzar, mantener la esperanza y facilitar el futuro de las personas con enfermedades de baja prevalencia.

De ahí que busquemos afianzar la investigación en tres líneas de trabajo concretas

que serán nuestra hoja de ruta en materia de investigación. La primera de ellas es la recopilación de recursos actuales con el fin de, en un segundo término, poder responder a la demanda informativa, así como a las consultas que correspondan. Es ineludible el establecimiento de sinergias entre ciencia y sociedad, con el fin de garantizar la estabilidad del trabajo en investigación y lograr, conjuntamente, nuevos objetivos. Análogamente, no podemos concebir investigación sin formación. Por ello, es imprescindible alimentar la profesionalización no solo de nuestras entidades, sino también de la sociedad en general y de las diversas ramas socio-sanitarias que trabajan con las ER.

En definitiva, la investigación de las ER no depende solo de los agentes implicados en este campo, sino de un conjunto de acciones que engloban e implican a toda la sociedad. Por tanto, “**Ética de la investigación en Enfermedades Raras**” se configura como una obra indispensable tanto para investigadores como familias, asociaciones y la sociedad en general, todos ellos como actores directos o indirectos; del impacto de la investigación; un impacto tremendamente necesario dentro del enclave político y la realidad social que nos ocupa.