

Yo también tengo #derecho a la salud

porque salud es el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar

28 de febrero - Día Mundial de las Enfermedades Poco Frecuentes



Febrero, 2023

EL 28 DE FEBRERO - DÍA MUNDIAL DE LAS ENFERMEDADES POCO FRECUENTES

NOTA CONCEPTO

El momento de actuar por las enfermedades poco frecuentes es posible y es ahora. Desde hace más de una década, FADEPOF – Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes y sus miembros han trabajado con las diferentes partes interesadas para encontrar espacios de debate en Argentina con la intención de implementar acciones concretas para una atención socio-sanitaria integral que atienda las necesidades de las personas que viven con enfermedades poco frecuentes (EPOF) y sus familias. Siendo que, por la baja cantidad de personas afectadas y complejidad clínica de cada una de estas enfermedades, los recursos necesarios son distintos en relación a otras condiciones de salud más frecuentes.

En el año 2011, se sancionó la *Ley Nac. 26.689*¹, que marcó un rumbo a seguir para garantizar que las personas que viven con una EPOF y sus familias en Argentina, también accedan a su derecho a la salud, al igual que el resto de la población. Aunque al día de hoy aún autoridades de 7 provincias – Chaco, Formosa, Jujuy, Mendoza, San Juan, San Luis y Santiago del Estero- no hayan dado cuenta de las necesidades de su población, siendo que aún no han adherido a dicha ley nacional.

A nivel global, mucho se ha hecho para que los países reconozcan que las enfermedades poco frecuentes representan un desafío importante para la salud pública y que requieren de mayores esfuerzos dado que es fundamental que los pacientes tengan acceso a una atención y tratamientos seguros y efectivos de la misma manera que otros con enfermedades más comunes².

Según datos de FADEPOF y sus miembros, en Argentina el acceso a la salud de esta población está limitado, retrasado o negado, en la mayoría de los casos por los precios de los tratamientos. Aunque las respuestas -por parte de las Obras Sociales, Prepagas e incluso el propio Estado- que reciben las personas ante el reclamo formal aducen todo tipo de 'excusas' que omiten los compromisos asumidos en Ley 26.689.

Según los datos de consultas recibidas en FADEPOF en el 2022, el 72% fueron por trabas en el acceso a los tratamientos, 21% sobre localización de recursos especializados (centros de atención/ servicios especializados y organizaciones de pacientes) y el restante 7% por otro tipo de consultas generales (entre ellas alguna ayuda económica relacionada directamente con la enfermedad o sus consecuencias).

Hoy en día, la gran mayoría de los más de 3.6 millones de argentinos que viven con una enfermedad poco frecuente y sus familias -cuidadores habituales- siguen enfrentándose a graves barreras de acceso a la salud, marginados por la mayoría de los servicios sanitarios, y en gran parte invisibles para los modelos de atención actuales, con poca información sobre sus enfermedades y derechos, escaso acceso a tratamientos aprobados, y con un alto nivel de vulnerabilidad psicológica, social y económica.

El retraso diagnóstico, en Argentina está presente en más del 65% de los casos, superando los 10 (diez) años en un 20% y los 5 (cinco) años en un 18%, según los datos del *Estudio ENSERio – Capítulo Argentina*³. Como

¹ Ministerio de Justicia y Derechos Humanos Derecho Fácil/ Ley simple/ Salud/ Enfermedades poco frecuentes [Ley Nac. 26.689](#)

² Dupont A, Van Wilder P. Acceso a medicamentos huérfanos a pesar de la mala calidad de la evidencia clínica. *Br J Clin Pharmacol.* 2011; 71 (4):488–496. doi: 10.1111/j.1365-2125.2010.03877.x.

³ Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes-FADEPOF. [Estudio ENSERio LATAM Capítulo Argentina](#) / contribuciones de Luciana Escati Peñalosa ... [et al.]. - 1a edición especial - Ciudad Autónoma de Buenos Aires: FADEPOF-Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes; Totana: ALIBER- Alianza Iberoamericana de Enfermedades Raras o Poco Frecuentes, 2022.

Yo también tengo #derecho a la salud

porque salud es el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar

28 de febrero - Día Mundial de las Enfermedades Poco Frecuentes



consecuencia del retraso, el 35% de las personas no recibe apoyo o tratamiento y al 31% se le agrava su enfermedad. A lo que se suma, que el 45% de las personas destina al cuidado de su enfermedad entre el 10 y 40% de los ingresos familiares anuales.

Debido a los múltiples desafíos que representan estas enfermedades, tanto para los pacientes y sus familias, los profesionales de la salud e investigadores como para los sistemas de salud y población general, se evidencia la importancia de posicionar a las enfermedades poco frecuentes como un área prioritaria de actuación del nivel político más alto nacional, provincial y municipal con una participación real de todas las partes interesadas, incluyendo a la sociedad civil a través de los representantes de pacientes, sociedades científicas y los productores de tecnología sanitaria, para así, tener un abordaje integral, a fin de encontrar respuestas concretas a las necesidades no cubiertas de esta población.

Resaltando que el 95% de las personas con enfermedades poco frecuentes no cuenta con un tratamiento aprobado para su condición^{4, 5}, y que del 5% que si lo tiene, menos de 1 de cada 10 personas recibe tratamiento específico para su enfermedad⁶ se debe tener una discusión genuina para encontrar la manera de que la innovación científica y terapéutica para las necesidades médicas no cubiertas de esta población, no quede como la responsable de romper con la sostenibilidad de los sistemas de salud, reconocidos por muchos como obsoletos para los tiempos actuales. Cuando haya tratamientos disponibles -con probada calidad, eficacia y seguridad- que salvan o mejoran la vida, se necesita que los pacientes accedan a ellos y que sea en un entorno sostenible y predecible para los sistemas de salud.

El acceso a los tratamientos para pequeñas poblaciones, como es el caso de las enfermedades poco frecuentes, son hoy un punto importante de tensión en nuestro país. FADEPOF y la comunidad de personas que viven con estas enfermedades, quieren ser parte de este debate. NO con el objetivo de exigir derechos especiales, sino basados en el mismo derecho fundamental que el resto de la población: Su derecho a la salud, que no es más que el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar.

Debemos acelerar los esfuerzos para materializar los compromisos asumidos por Argentina a través de la *Ley Nac. de EPOF 26.689*¹ y las Resoluciones de Naciones Unidas sobre '*Cobertura Universal de Salud*' (A/RES/74/2)⁷ y la *Declaración política sobre 'Abordar los retos de las personas que viven con una enfermedad rara y de sus familias'* (A/RES/76/132)⁸ patrocinada por nuestro país.

MAS INFORMACIÓN

- [Acerca de la Campaña 'Yo también tengo #derechoalasalud'](#)
- [Acerca de las Enfermedades Poco Frecuentes \(EPOF\)](#)
- [Acerca del acceso a la salud en las EPOF](#)
- [Acerca de FADEPOF](#)

⁴ Nguengang Wakap S, Lambert DM, Olry A, et al. Estimación de la prevalencia puntual acumulada de enfermedades raras: análisis de la base de datos de Orphanet. *Eur J Hum Genet.* 2020;28(2):165-173. doi:10.1038/s41431-019-0508-0

⁵ Chan A, Chan V, Olsson S, et al. Acceso y necesidades insatisfechas de medicamentos huérfanos en 194 países y 6 áreas: una revisión de política global con análisis de contenido. *Valora la Salud.* 2020; 23 :1581-1590. doi: 10.1016/j.jval.2020.06.020.

⁶ Melnikova I. Enfermedades raras y medicamentos huérfanos. *Nature Reviews Drug Discovery.* 2012; 11 (4):267-8. 10.1038/nrd3654

⁷ Naciones Unidas. [Cobertura Universal de Salud \(A/RES/74/2\)](#)

⁸ Naciones Unidas. ['Abordar los retos de las personas que viven con una enfermedad rara y de sus familias' \(A/RES/76/132\).](#)

Yo también tengo #derecho a la salud

porque salud es el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar

28 de febrero - Día Mundial de las Enfermedades Poco Frecuentes



Acerca de la campaña 'Yo también tengo #derechoalasalud'

La campaña propone una serie de acciones que permitan generar conciencia sobre las realidades poco frecuentes que viven las personas con enfermedades poco frecuentes y sus familias, debido a la baja cantidad de personas afectadas y complejidad clínica de cada enfermedad. Evidenciando que se debe encontrar la manera de generar nuevas estrategias que den respuestas concretas a estas realidades, para garantizar también el derecho a la salud de las personas que viven con enfermedades poco frecuentes y sus familias.

La campaña 'YO TAMBIÉN TENGO #DERECHOALASALUD' es en conmemoración del día mundial 2023, próximo 28 febrero, en redes sociales de FADEPOF.

La campaña hace un llamado a la acción a toda la comunidad para **dar luz a las realidades de las personas con enfermedades poco frecuentes y sus familias respecto a las dificultades en el acceso a la salud. Y decir 'YO TAMBIÉN TENGO #DERECHOALASALUD'. Porque salud es el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar. Y por más que seamos pocos de cada enfermedad, el derecho es de todos.**

Queremos que quienes tienen la responsabilidad de garantizar el derecho a la salud de la población – Presidencia de la Nación, Ministerio de Salud de la Nación y los 23 Ministerios de Salud Provinciales y CABA-, o tienen la responsabilidad de brindar atención y servicios -Obras Sociales Nacionales y Provinciales, COSSPRA, PAMI, Empresas de Medicina Prepaga-, como los que tienen la competencia de controlar -Superintendencia de Servicios de Salud, Defensoría del Pueblo de la Nación y Provinciales, Honorable Cámara de Diputados y Senadores de la Nación- reconozcan que las enfermedades poco frecuentes son una realidad en nuestro país que involucra a más de 4 millones de personas y familias, y necesitan acciones concretas.

FADEPOF junto a la comunidad, insta a todas las partes involucradas a encontrar la manera de que las personas que viven con una enfermedad poco frecuente y sus familias también accedan a su derecho a la salud, materializando los compromisos asumidos por Argentina a través de la [Ley Nac. 26.689](#) y las Resoluciones de Naciones Unidas sobre [Cobertura Universal de Salud \(A/RES/74/2\)](#) y la Declaración Política sobre ['Abordar los retos de las personas que viven con una enfermedad rara y de sus familias' \(A/RES/76/132\)](#).

Acerca de las Enfermedades Poco Frecuentes (EPOF)

Las enfermedades poco frecuentes (EPOF) -o también llamadas "enfermedades raras (ER)" son condiciones de salud con patrones específicos de signos, síntomas y hallazgos clínicos definidos, que afectan a un escaso número de personas en una población determinada. Pueden variar según el país y/o región.

En Argentina, se considera "enfermedad poco frecuente (EPOF)" a aquellas patologías cuya prevalencia en la población es igual o inferior a 1 persona cada 2.000 habitantes, según lo establece la Ley N° 26.689¹ de "Cuidado integral de la salud de las personas con EPOF y sus familias", promulgada en junio 2011 y reglamentada en el año 2015 por el Decreto 794/15.

Basados en los datos epidemiológicos disponibles en Orphanet⁹, se ha determinado que en el mundo hay descritas clínicamente al menos 8.000 enfermedades poco frecuentes definidas por prevalencia puntual sin

⁹ Tisdale A, Cutillo CM, Nathan R, et al. La iniciativa IDeaS: estudio piloto para evaluar el impacto de las enfermedades raras en los pacientes y los sistemas de salud. Orphanet J Rare Dis . 2021;16(1):429. Publicado el 22 de octubre de 2021. doi:10.1186/s13023-021-02061-3

Yo también tengo #derecho a la salud

porque salud es el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar

28 de febrero - Día Mundial de las Enfermedades Poco Frecuentes



contemplar los cánceres raros, ni las enfermedades poco frecuentes causadas por enfermedades infecciosas o intoxicaciones bacterianas o virales raras. Por tanto, se reconoce que el número total es considerablemente mayor llegando a más de 10.000 EPOF. Cada año se agregan casi 300 nuevas descripciones^{9,10}.

Estas enfermedades afectan entre el 4 y el 8% de la población mundial. E incluso, publicaciones recientes refieren que constituyen hasta el 10% de la población mundial^{11, 12}. Estimando que más de 300 millones de personas en el mundo viven con alguna enfermedad poco frecuente.

De las enfermedades poco frecuentes definidas por prevalencia, el 84% tienen una prevalencia puntual de <1/1.000.000. En tanto, el 80 % de la carga poblacional de enfermedades poco frecuentes es atribuible al 4,2% (n = 149) enfermedades en el rango de prevalencia más común (1-5 por 10.000)⁹.

Son enfermedades crónicas, complejas, progresivas, discapacitantes y, en ciertos casos, potencialmente mortales. Siete de cada diez (72%) son de origen genético, y de estas, el 70% se manifiesta al nacer o durante la niñez, siendo que 3 de cada 10 niños morirán antes de cumplir los 5 años¹³.

Llegar a un diagnóstico certero es el mayor desafío: en promedio, puede llevar entre 5 y 10 años y requerir hasta 8 visitas a distintos especialistas antes de obtenerlo. Además, se estima que más de 4 de cada 10 personas reciben al menos un diagnóstico errado durante el proceso¹⁴.

Las personas que viven con una EPOF requieren de una atención biopsicosocial, que contemple tanto la asistencia clínica especializada -en atención primaria y/o de alta complejidad que estén habituados al manejo de los problemas clínicos específicos- como de servicios sociales y apoyo psicológico destinado al propio paciente como a su grupo familiar, bajo una atención integral y coordinada.

El 42% de las personas que viven con una enfermedad rara y cuidadores familiares emplean más de 2 horas al día en tareas relacionadas con la enfermedad (p. ej. higiene, administración de tratamientos) y un tercio de los cuidadores necesitan más de 6 horas al día para estas tareas¹⁵.

La dificultad para localizar a un médico especialista, sumado a la dispersión geográfica hace que las personas con EPOF y sus familiares deban trasladarse a grandes distancias y pasar largas estadías fuera del lugar de residencia para la realización de estudios, controles y seguimiento de su enfermedad, ocasionando pérdida de escolarización y/o productividad laboral¹⁵.

Para la gran mayoría de las personas que vive con una enfermedad poco frecuente y sus cuidadores, el ausentismo escolar, el desempleo, el aislamiento, y la estigmatización son parte de su realidad, y una consecuencia directa de su enfermedad. Por tanto, sentimientos de depresión e infelicidad son tres veces más comunes entre estas personas comparados con la población general¹⁵.

¹⁰ El poder de ser contado. <https://rare-x.org/case-studies/the-power-of-being-counted/>

¹¹ Haendel M, Vasilevsky N, Unni D, et al. ¿Cuántas enfermedades raras hay?. Nat Rev Drug Discovery . 2020;19(2):77-78. doi:10.1038/d41573-019-00180-y

¹² Nguengang Wakap S, Lambert DM, Olry A, et al. Estimación de la prevalencia puntual acumulada de enfermedades raras: análisis de la base de datos de Orphanet. Eur J Hum Genet. 2020;28(2):165-173. doi:10.1038/s41431-019-0508-0

¹³ Wright C, FitzPatrick DR, Firth HV. Genómica pediátrica: diagnóstico de enfermedades raras en niños. Nat Rev. Genet. 2018; 19 :253–268. doi: 10.1038/nrg.2017.116.

¹⁴ Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes-FADEPOF. Estudio ENSERio LATAM Capítulo Argentina / contribuciones de Luciana Escati Peñaloza ... [et al.]. - 1a edición especial - Ciudad Autónoma de Buenos Aires: FADEPOF-Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes; Totana: ALIBER- Alianza Iberoamericana de Enfermedades Raras o Poco Frecuentes, 2022.

¹⁵ Eurordis. Conseguir la Atención Integral y Centrada en la Persona para no Excluir a Nadie. Mayo 2019.

Yo también tengo #derecho a la salud

porque salud es el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar

28 de febrero - Día Mundial de las Enfermedades Poco Frecuentes



Números en Argentina enfermedades poco frecuentes



DEFINICIÓN
1 EN 2.000
HABITANTES



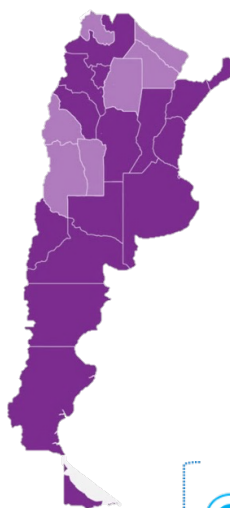
+3,6 MILLONES DE PERSONAS VIVEN CON UNA EPOF



EDAD PROMEDIO
29.5 AÑOS



LAS 24 JURISDICCIONES REPORTAN CASOS



Ley Nac. EPOF 26.689

***Provincias no adheridas:**

- | | |
|------------|------------------------|
| 4. Chaco | 1. San Juan |
| 5. Formosa | 2. San Luis |
| 6. Jujuy | 3. Santiago del Estero |
| 7. Mendoza | |

Programa Nac. de EPOF ³

Listado de EPOF (Resol. 641/2021) ⁴



5888 EPOF EN LISTADO OFICIAL

Registro Nacional de EPOF ⁵

Consejo Consultivo Honorario FADEPOF

Dispensa de medicamentos ⁶:

1. Miastenia Gravis (Programa de Miastenia Gavis - MG)
2. Atrofia Muscular Espinal (CONAME) para Nusinersen y Resol. 21/23 para Zolgensma
3. Fibrosis Quística (ReNaFQ)
4. Síndrome de Turner o monosomía del X
5. Insuficiencia renal crónica
6. Deficiencia congénita de hormona de crecimiento
7. Niños nacidos pequeños para la edad gestacional sin crecimiento compensatorio hasta los 4 años de vida

para cobertura de
Hormona de crecimiento



Ministerio de Salud
Argentina

Referencias

3. Programa Nacional de EPOF dependiente del Ministerio de Salud de la Nación <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes>

4. Listado de EPOF <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes/listado>

5. Registro Nacional de EPOF <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes/registro>

6. Programa Nacional de EPOF. Dispensa de medicamentos <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes/preguntas-frecuentes-sobre-epf/dispensa-de-medicamentos>

Yo también tengo #derecho a la salud

porque salud es el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar

28 de febrero - Día Mundial de las Enfermedades Poco Frecuentes



Acerca del acceso a la salud en las EPOF



Las EPOF son un problema importante de salud pública es fundamental que los pacientes tengan acceso a terapias seguras y efectivas de la misma manera que otros con enfermedades más comunes ¹.



La mayoría de la investigación se centran en el impacto económico focalizando la discusión políticas y públicas principalmente en los altos precios de sus tratamientos (costos directos) ².



Escaso número de comparadores activos. La mayoría de estas terapias se lanzan sin ningún tratamiento previo indicado para la misma condición ^{1, 2}.



El acceso está condicionado por el precio de las terapias y por los mecanismos utilizados por los responsables de la toma de decisiones sanitarias para evaluarlas, reembolsarlas y financiarlas ^{1, 3, 4, 5}.



Los procesos de precio y reembolso son desafiantes debido a las características inherentes de las EPOF, la escasez de conocimiento y experiencia sobre la historia natural de estas condiciones ^{6, 7}.



Los ensayos clínicos son acotados debido a las poblaciones pequeñas y heterogéneas, generando dificultades en la identificación y el reclutamiento, y la falta de puntos finales alternativos para predecir los resultados a más largo plazo ⁸.



Las ETS evalúan los medicamentos con incertidumbre probatoria (el beneficio para los pacientes, los sistemas de atención médica y la sociedad) ^{6, 7}.

Referencias

- Dupont A, Van Wilder P. Acceso a medicamentos huérfanos a pesar de la mala calidad de la evidencia clínica. *Br J Clin Pharmacol*. 2011; 71 (4):488–496. doi: 10.1111/j.1365-2125.2010.03877.x.
- Vogler S., Paris V., Ferrario A., Wirtz VJ, de Joncheere K., Schneider P., et al. (2017). ¿Cómo pueden las políticas de precios y reembolsos mejorar el acceso asequible a los medicamentos? Lecciones aprendidas de los países europeos . *aplicación Economía de la Salud. Política de salud* 15 (3), 307–321. 10.1007/s40258-016-0300-z
- EUCERD (Comité de Expertos en Enfermedades Raras de la Unión Europea) *Recomendación del comité de expertos en enfermedades raras de la Unión Europea a la Comisión Europea y los Estados miembros sobre la mejora de las decisiones informadas basadas en el valor clínico añadido de los medicamentos huérfanos (CAVOMP) flujo de información*. 2012.
- Comisión Europea. *Inventario de incentivos de la Unión y los Estados miembros para apoyar la investigación, el desarrollo y la disponibilidad de medicamentos huérfanos*. 2015.
- Gammie T, Lu C, Babar ZD. Acceso a Medicamentos Huérfanos: Una Revisión Integral de Legislaciones, Regulaciones y Políticas en 35 Países. *Más uno*. 2015; 10 (10):e0140002. doi: 10.1371/journal.pone.0140002.
- Morel T, Arickx F, Befrits G, Siviero P, van der Meijden C, Xoxi E, et al. Conciliar la incertidumbre de los costos y los resultados con la necesidad de acceso a medicamentos huérfanos: un estudio comparativo de acuerdos de entrada administrados en siete países europeos. *Dis. raras de Orphanet J*. 2013; 8 :198. doi: 10.1186/1750-1172-8-198.
- Van den Aardweg S. HTA de medicamentos huérfanos en seis países: ¿justo, defectuoso o fallido? *Euro observador*. 2010; 12 (4):14–17.
- Kesselheim A, Myers J, Avorn J. Características de los ensayos clínicos para respaldar la aprobación de medicamentos huérfanos frente a no huérfanos para el cáncer. *JAMA*. 2011; 305 (22):2320–6. doi: 10.1001/jama.2011.769.

Yo también tengo #derecho a la salud

porque salud es el acceso equitativo a reír, jugar, educarse y trabajar

28 de febrero - Día Mundial de las Enfermedades Poco Frecuentes



El precio por paciente es más alto a comparación de medicamentos para afecciones comunes, debido al pequeño tamaño de la población objetivo ⁹.



Los medicamentos no logran alcanzar los umbrales aceptados, particularmente cuando la prevalencia se encuentra en el extremo inferior del espectro de EPOF ^{7, 10}.



La incertidumbre sobre el tamaño real de las poblaciones de pacientes crea un riesgo financiero para los pagadores y agrava las preocupaciones sobre el costo continuo de financiar el número creciente de tratamientos para las EPOF ^{11, 12, 13}.

Acerca de FADEPOF

La FADEPOF - Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes es una organización civil de segundo grado, conformada por organizaciones y grupos de pacientes y/o familiares que trabajan con alguna enfermedad poco frecuente. Todos sus miembros son organizaciones sin fines de lucro. Actualmente, FADEPOF cuenta con más de 80 miembros distribuidos en la Argentina.

FADEPOF enfoca sus esfuerzos en el fortalecimiento de sus miembros, transfiriendo herramientas y tecnología para potenciar sus acciones e impacto en la sociedad.

Desde hace más de una década, FADEPOF trabaja desarrollando alianzas a nivel nacional, regional y global, para mejorar las condiciones de los miembros y sus comunidades de pacientes y familiares.

FADEPOF trabaja para promover políticas públicas destinadas a mejorar la situación de los 3,6 millones de argentinos que viven con una enfermedad poco frecuente y sus familias.

www.fadepof.org.ar | Info@fadepof.org.ar

FADEPOF ha sido declarada de interés por su labor



LEGISLATURA
Ciudad Autónoma de Buenos Aires



Referencias

9. Simoens S, Picavet E, Doooms M, Cassiman D, Morel T. Evaluación de la rentabilidad de los medicamentos huérfanos: un enigma científico y político. *Appl Health Econ Política de Salud*. 2013; 11 :1–3. doi: 10.1007/s40258-012-0004-y.
10. Drummond L, Towse A. Políticas de medicamentos huérfanos: un caso adecuado para el tratamiento. *Eur J Economía de la Salud*. 2014; 15 :335–340. doi: 10.1007/s10198-014-0560-1.
11. Schey C, Milanova T, Hutchings A. Estimación del impacto presupuestario de los medicamentos huérfanos en Europa: 2010–2020. *Dis. raras de Orphanet J*. 2011; 6:62. doi: 10.1186/1750-1172-6-62.
12. Rollet P, Lemoine A, Dunoyer M. Negocio sostenible de enfermedades raras y acceso a medicamentos: no hay tiempo para conceptos erróneos. *Dis. raras de Orphanet J*. 2013; 8 :109. doi: 10.1186/1750-1172-8-109.
13. Gutierrez L, Patris J, Hutchings A, Cowell W. Principios para una evaluación de valor coherente y financiación sostenible de medicamentos huérfanos en Europa. *Dis. raras de Orphanet J*. 2015; 10:53. doi: 10.1186/s13023-015-0269-y.
14. Simoens S. Salud pública y prevención en Europa: ¿Es rentable? *J. Pharm. Servicio de Salud Res*. 2011; 2 :151–155. doi: 10.1111/j.1759-8893.2011.00052.x.