

**Para “no dejar a nadie atrás”, el derecho humano y el derecho a la salud de las personas con enfermedades poco frecuentes (EPOF) debe ser incluido explícitamente en las estrategias y esfuerzos comunes de la cooperación internacional de Naciones Unidas.**

\* Lic. Luciana Escati Peñaloza. Directora Ejecutiva Federación Argentina de Enfermedades Poco Frecuentes y Presidente Fundación Mas Vida de Crohn & Colitis Ulcerosa.

#### Considerandos:

Siendo que la *Carta de las Naciones Unidas*, en el Artículo 1 especifica entre sus propósitos “**Realizar la cooperación internacional en la solución de problemas internacionales** de carácter económico, social, cultural o humanitario, y **en el desarrollo y estímulo del respeto a los derechos humanos y a las libertades fundamentales de todos**, sin hacer distinción por motivos de raza, sexo, idioma o religión”; y “**Servir de centro que armonice los esfuerzos de las naciones** por alcanzar estos propósitos comunes”<sup>1</sup>.

Que a 70 años de ser proclamada por la Asamblea General de las Naciones Unidas, la *Declaración Universal de Derechos Humanos*, conserva su pertinencia en la actualidad. El Artículo 25 “Derecho a un nivel de vida adecuado” especifica que (...) “**toda persona tiene derecho a un nivel de vida adecuado que le asegure, así como a su familia, la salud y el bienestar, y en especial la alimentación, el vestido, la vivienda, la asistencia médica y los servicios sociales necesarios; tiene asimismo derecho a los seguros en caso de desempleo, enfermedad, invalidez, viudez, vejez u otros casos de pérdida de sus medios de subsistencia por circunstancias independientes de su voluntad**”<sup>2</sup>.

En tanto, el **derecho a la salud ha sido reconocido como derecho humano** en el *Pacto Internacional de Derechos Económicos, Sociales y Culturales*, de 1966.<sup>3</sup>

Que, todo Estado miembro de las Naciones Unidas, ha ratificado por lo menos un tratado internacional de derechos humanos en el que se reconoce el derecho a la salud. Y que, los Estados se han comprometido a proteger dicho derecho en el marco de declaraciones internacionales, leyes y políticas nacionales y conferencias internacionales.<sup>4</sup>

Tomando en cuenta que la Constitución de la Organización Mundial de la Salud (OMS) establece como uno de sus principios básicos que “**el goce del grado máximo de salud que se pueda lograr es uno de los derechos fundamentales de todo ser humano sin distinción de raza, religión, ideología política o condición económica o social**”<sup>5</sup>;

Que, según lo ha determinado el Comité de Derechos Económicos, Sociales y Culturales de las Naciones Unidas, el **derecho a la salud** es “un derecho inclusivo que se extiende no solo a la atención médica oportuna y apropiada, sino también a los **determinantes subyacentes** de la salud, como el acceso a agua potable y segura y un saneamiento adecuado, un suministro adecuado de alimentos seguros, nutrición y vivienda. Condiciones laborales y ambientales saludables, y acceso a educación e información relacionadas con la salud (...). Destacando todos los “**Aspectos clave del derecho a la salud**: Accesibilidad, Disponibilidad, Participación, Responsabilidad, Aceptabilidad y Buena Calidad (...)”<sup>6</sup>.

<sup>1</sup> Carta de las Naciones Unidas. <http://www.un.org/es/sections/un-charter/chapter-i/index.html>

<sup>2</sup> Declaración Universal de Derechos Humanos. Artículo 25 <http://www.standup4humanrights.org/es/article.html?article=25>

<sup>3</sup> Pacto Internacional de Derechos Económicos, Sociales y Culturales. Adoptado y abierto a la firma, ratificación y adhesión por la Asamblea General en su resolución 2200 A (XXI), de 16 de diciembre de 1966. Entrada en vigor: 3 de enero de 1976, de conformidad con el artículo 27. <https://www.ohchr.org/sp/professionalinterest/pages/cescr.aspx>

<sup>4</sup> Office de las Naciones Unidas Alto Comisionado para los Derechos Humanos. El derecho a la salud. Folleto informativo N° 31. <https://www.ohchr.org/Documents/Publications/Factsheet31sp.pdf>

<sup>5</sup> CONSTITUCIÓN DE LA ORGANIZACIÓN MUNDIAL DE LA SALUD. Documentos básicos, suplemento de la 45a edición, octubre de 2006. [http://www.who.int/governance/eb/who\\_constitution\\_sp.pdf](http://www.who.int/governance/eb/who_constitution_sp.pdf)

<sup>6</sup> Naciones Unidas. Derechos humanos. Oficina de Alto Comisionado. Comité de Derechos Económicos, Sociales y Culturales. Kit de herramientas sobre el derecho a la salud. Aspectos claves del derecho a la salud. <https://www.ohchr.org/EN/Issues/ESCR/Pages/Health.aspx>

**Aspectos clave del derecho a la salud. Accesibilidad:** los establecimientos, bienes y servicios de salud deben ser físicamente accesibles (de manera segura para todos los sectores de la población, incluidos los niños, adolescentes, personas mayores, personas con discapacidades y otros grupos vulnerables), así como financieramente y sobre la base de discriminación. La accesibilidad también implica el derecho a buscar, recibir y difundir información relacionada con la salud en un formato accesible (para todos, incluidas las personas con discapacidades), pero no impide el derecho a que los datos de salud personales se traten de manera confidencial. **Disponibilidad:** la salud pública y las instalaciones, bienes y servicios de salud deben estar disponibles en cantidad suficiente dentro de un estado. **Participación:** Los beneficiarios de los servicios, instalaciones y bienes de atención de la salud deben tener voz en el diseño y la implementación de las políticas de salud que los afectan. **Responsabilidad:** los titulares de deberes deben rendir cuentas por el cumplimiento de las obligaciones de derechos humanos en el área de la salud pública, incluso mediante la posibilidad de buscar recursos efectivos para violaciones tales como, por ejemplo, la denegación de tratamiento. **Aceptabilidad:** las instalaciones, los bienes y los servicios también deben respetar la ética médica y ser sensibles al género y culturalmente apropiados. En otras palabras, deben ser aceptables desde el punto de vista médico y cultural. **Buena calidad:** las instalaciones, bienes y servicios de salud deben ser

Reconociendo que las **políticas e intervenciones que abordan los determinantes sociales de la salud** y fomentan el compromiso de toda la sociedad para promover la salud y el bienestar, **con énfasis en los grupos en situación de pobreza y vulnerabilidad, son un requisito esencial para avanzar hacia el acceso universal a la salud y la cobertura universal de salud;**

Como también que, el **acceso universal a la salud** y la **cobertura universal de salud** se enmarcan en los **valores y principios de la atención primaria de salud (APS)**<sup>7</sup> definidos en la conferencia de Alma-Ata<sup>8</sup> que la OMS promueve desde 1978, como fundamento para el logro de la **"salud para todos"** y que significó un avance para superar los modelos biomédicos, centrados en la enfermedad que privilegian servicios curativos, caros, basados en establecimientos de segundo y tercer nivel por modelos basados en la **promoción de salud**<sup>9</sup> y **preventivos**<sup>10</sup> de la enfermedad a costos razonables para la población;

Que desde entonces, han habido **cambios en el contexto mundial**, así como en la conceptualización y práctica de la APS, lecciones aprendidas y buenas prácticas que han llevado a su renovación, aprobado por la OPS/OMS<sup>11</sup>, **para reinterpretar y modernizar el enfoque y nuevas estrategias coordinadas, efectivas y sostenibles que permitan enfrentar los desafíos de salud del siglo XXI y mejorar la equidad;**

Que los **nuevos desafíos de salud** son consecuencias promovidas por los **avances en la ciencia y medicina** de las últimas décadas, que **han provocado que muchas enfermedades graves sean ahora prevenibles, curables o tratables**, y que a su vez, **han transformado enfermedades complejas en crónicas**. Como también **han permitido identificar un nuevo grupo de enfermedades** –que hasta ese momento eran desconocidas- pero que ahora **se las reconoce mundialmente bajo la categoría de "enfermedades**

científica y médicamente apropiados y de buena calidad. Esto requiere, entre otras cosas, profesionales de la salud capacitados, medicamentos y equipos hospitalarios aprobados y aprobados científicamente, saneamiento adecuado y agua potable segura.

<sup>7</sup> La **atención primaria de la salud (APS)** fue definida como: "la asistencia sanitaria esencial, basada en métodos y tecnologías prácticos científicamente fundados y socialmente aceptables, puesta al alcance de todos los individuos de la comunidad, mediante su plena participación y a un costo que la comunidad y el país puedan soportar en todas y cada una de las etapas de su desarrollo, con espíritu de autorresponsabilidad y autodeterminación". Conferencia de Alma-Ata.

La APS no es atención de segunda clase destinada a comunidades vulnerables socioeconómicamente, sino que es una estrategia dirigida a todos los sectores sociales sin distinción. La Atención Primaria de la Salud. Documento de Alma Ata 1978. En Revista de Atención Primaria de la Salud. MSP. UNICEF, 1990. p. 11-12. Y Sánchez, A. Ramos, E. Marset, P. La Participación Comunitaria en la Atención Primaria de Salud En: Martínez Navarro. Salud Pública. 1ra. Ed. México: Mc GRAW. 1998. p. 318-333.

<sup>8</sup> Declaración Alma-Ata. <http://www.alma-ata.es/declaraciondealmaata/declaraciondealmaata.html>

<sup>9</sup> La **promoción de salud** como tal es una estrategia establecida en Ottawa, en 1986, donde se la define como: "el proceso que proporciona a los individuos y las comunidades los medios necesarios para ejercer un mayor control sobre su propia salud y así poder mejorarla". Méndez A, Ponzo J, Rodríguez M. Promoción de Salud. En Benia W. Temas de Salud Pública. Tomo I. 1ra. Ed. Montevideo. Oficina del Libro. Fefmur. 2008. p. 27-37. Y Valenzuela, T. Herramientas de Comunicación para el desarrollo de entornos saludables. 1a. Ed. Washington. OPS/OMS. 2006. 248 pp.

La estrategia de promoción de la salud, propone la creación de ambientes y entornos saludables, facilita la participación social construyendo ciudadanía y estableciendo estilos de vida saludables. El compromiso de la promoción de salud supone, involucrar a la comunidad en la implantación de las políticas. La promoción de la salud está ligada íntimamente a la salud e involucra sustancialmente a la vida cotidiana, esto es: la vida personal, familiar, laboral y comunitaria de la gente. VIGNOLO, Julio; VACAREZZA, Mariela; ALVAREZ, Cecilia y SOSA, Alicia. Niveles de atención, de prevención y atención primaria de la salud. Arch Med Int [online]. 2011, vol.33, n.1 [citado 2018-07-11], pp.7-11. Disponible en: <[http://www.scielo.edu.uy/scielo.php?script=sci\\_arttext&pid=S1688-423X2011000100003&lng=es&nrm=iso](http://www.scielo.edu.uy/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1688-423X2011000100003&lng=es&nrm=iso)>. ISSN 1688-423X.

<sup>10</sup> La **Prevención** se define como las "Medidas destinadas no solamente a prevenir la aparición de la enfermedad, tales como la reducción de factores de riesgo, sino también a detener su avance y atenuar sus consecuencias una vez establecida" (OMS, 1998). Las actividades preventivas se pueden clasificar en tres niveles: **1. Prevención Primaria:** Son "medidas orientadas a evitar la aparición de una enfermedad o problema de salud mediante el control de los factores causales y los factores predisponentes o condicionantes" (OMS, 1998, Colimón, 1978). "Las estrategias para la prevención primaria pueden estar dirigidas a prohibir o disminuir la exposición del individuo al factor nocivo, hasta niveles no dañinos para la salud. Medidas orientadas a evitar la aparición de una enfermedad o problema de salud, mediante el control de los factores causales y los factores predisponentes o condicionantes" (OMS, 1998, Colimón, 1978).

**2. Prevención Secundaria:** Está destinada al diagnóstico precoz de la enfermedad incipiente (sin manifestaciones clínicas). Significa la búsqueda en sujetos "aparentemente sanos" de enfermedades lo más precozmente posible. Comprende acciones en consecuencia de diagnóstico precoz y tratamiento oportuno. Estos objetivos se pueden lograr a través del examen médico periódico y la búsqueda de casos (Pruebas de Screening). "En la prevención secundaria, el diagnóstico temprano, la captación oportuna y el tratamiento adecuado, son esenciales para el control de la enfermedad". La captación temprana de los casos y el control periódico de la población afectada para evitar o retardar la aparición de las secuelas es fundamental. Lo ideal sería aplicar las medidas preventivas en la fase preclínica, cuando aún el daño al organismo no está tan avanzado y, por lo tanto, los síntomas no son aún aparentes. Esto es particularmente importante cuando se trata de enfermedades crónicas. Pretende reducir la prevalencia de la enfermedad"<sup>4</sup> (OMS, 1998, Colimón, 1978). **3. Prevención Terciaria:** Se refiere a acciones relativas a la recuperación ad integrum de la enfermedad clínicamente manifiesta, mediante un correcto diagnóstico y tratamiento y la rehabilitación física, psicológica y social en caso de invalidez o secuelas buscando reducir de este modo las mismas. En la prevención terciaria son fundamentales el control y seguimiento del paciente, para aplicar el tratamiento y las medidas de rehabilitación oportunamente. Se trata de minimizar los sufrimientos causados al perder la salud; facilitar la adaptación de los pacientes a problemas incurables y contribuir a prevenir o a reducir al máximo, las recidivas de la enfermedad.

Colimón K. Niveles de Prevención. Citado 25/3/2010. Y García G, Rodríguez M, Benia W. Niveles y Estrategias de Prevención. En Benia W. Temas de Salud Pública. Tomo I. Montevideo, Fefmur. 2008. p. 19-26.

<sup>11</sup> OPS/OMS. La Renovación de la Atención Primaria de la Salud en las Américas N° 1. Sistemas de Salud basados en la Atención Primaria de la Salud. Estrategias para el desarrollo de los equipos de APS. 2005 Citado 25/3/2010. Disponible en: <http://www.bvsde.paho.org/bvsacd/cd65/RenovacionSalud.pdf> 43 pp.

**poco frecuentes (EPOF)**” -o también llamadas raras (ER) y/o huérfanas-. Siendo este universo de enfermedades, parte de los nuevos desafíos y necesidades de salud de aproximadamente el 8% de la población mundial<sup>14</sup>;

Que las **enfermedades poco frecuentes** son patologías que afectan a un reducido número de personas de forma aislada, pero que en su conjunto representan una importante cantidad, ya que de modo directo afectan, aproximadamente, a 350 millones de personas en el mundo<sup>12 13</sup> (si todas viviesen en un mismo país, sería el tercer país más poblado del mundo)<sup>13</sup>.

Asimismo, dado el avance del conocimiento, nuevas entidades se descubren casi a diario, siendo que es difícil especificar el número exacto de **enfermedades poco frecuentes**. En la actualidad, se estima que existen entre 6.000 y 8.000 enfermedades poco frecuentes en el mundo.

Que se denominan **enfermedades poco frecuentes** –enfermedades raras y/o huérfanas- a aquellas que afectan a un número reducido de personas en comparación con la población general (1 persona en 2.000 habitantes)<sup>16 14</sup> y que, por su rareza etiológica, plantean desafíos específicos. Son enfermedades graves y habitualmente crónicas y progresivas. Se trata de enfermedades genéticas (se estima que el 80%)<sup>14 15 16</sup>, otras son enfermedades auto-inmunitarias, malformaciones congénitas o enfermedades tóxicas e infecciosas, cánceres poco frecuentes, entre otras. En la mayoría, los signos pueden observarse desde el nacimiento o la infancia<sup>15</sup>. El 30% de los niños con enfermedades poco frecuentes no vivirá para ver su quinto cumpleaños. El 35% de las muertes se produce en el primer año de vida<sup>14</sup>. A su vez, más del 50% aparecen durante la edad adulta<sup>14</sup>. Poseen una elevada morbimortalidad.

Que se debe advertir que, las enfermedades consideradas como “poco frecuentes” podrán variar según el país y/o región. Y por tanto, una enfermedad puede ser poco frecuente en una región, pero habitual en otra.<sup>15 16</sup>

Que las **enfermedades poco frecuentes**, no son prevenibles mediante estrategias de prevención primaria, si bien son factibles de beneficiarse de otras estrategias de prevención secundaria y terciaria<sup>16</sup> (al igual que ciertas otras enfermedades crónicas no transmisibles).

Que la regla por excelencia **para abordar una real dimensión de las enfermedades poco frecuentes**, debe ser la **diversidad**, ya que es una característica intrínseca de éstas, tanto de la propia naturaleza etiológica de cada patología como en la distribución demográfica de las personas afectadas y los profesionales de la salud especializados. Y que presentan gran complejidad etiológica, diagnóstica y de pronóstico, como también, requieren de un manejo y seguimiento multidisciplinario y biopsicosocial<sup>17</sup>.

Que en base a la experiencia de la Comisión de la Unión Europea se sabe que (...) *“La falta de políticas sanitarias específicas para las enfermedades raras –o poco frecuentes y/o huérfanas- y la escasez de conocimientos especializados generan retrasos del diagnóstico y dificultades de acceso a la asistencia. Lo que conduce a una acumulación de deficiencias físicas, psicológicas e intelectuales, a tratamientos inadecuados o incluso nocivos y a la pérdida de confianza en el sistema sanitario, a pesar de que algunas enfermedades raras sean compatibles con una vida normal si se diagnostican a tiempo y se abordan correctamente. El diagnóstico equivocado y la ausencia de diagnóstico son los principales obstáculos para que mejore la calidad de vida de millones de pacientes con enfermedades raras”*<sup>18</sup>.

Que, específicamente, **la baja prevalencia y la especificidad (número limitado de pacientes y escasez de conocimientos y especialización para la atención médica) de las enfermedades poco frecuentes, hace que sea necesario un enfoque global**, de múltiples partes dentro de los servicios sanitarios sub-especializados para reunir conocimientos específicos y crear estrategias compartidas con el propósito de brindar prestaciones asistenciales eficaces, seguras y de calidad en tiempo y forma. En tanto, es esperable que los sistemas sanitarios nacionales no siempre cuenten con los recursos a tal fin en toda la

<sup>12</sup> NGO Committee for Rare Diseases <http://www.ngocommitteerareddiseases.org/>

<sup>13</sup> Global Genes. <https://globalgenes.org/rare-diseases-facts-statistics/>

<sup>14</sup> Eurordis. ¿Qué es una enfermedad rara? <https://www.eurordis.org/es/content/%C2%BFque-es-una-enfermedad-rara>

<sup>15</sup> Orphanet. A cerca de las enfermedades raras. [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education\\_AboutRareDiseases.php?lng=ES](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutRareDiseases.php?lng=ES)

<sup>16</sup> “Garantizar una vida sana y promover el bienestar para todos en todas las edades”<sup>16</sup> “sin dejar a nadie atrás”. Statement by: Argentinian federation of rare diseases FADEPOF (Federación Argentina de Enfermedades poco Frecuentes), the Spanish Federation of Rare Diseases FEDER (Federación Española de Enfermedades Raras) and the members of ALIBER (Alianza Iberoamericana de enfermedades Raras. [https://www.who.int/ncds/governance/third-un-meeting/FADEPOF\\_FEDER\\_ALIBER.pdf?ua=1](https://www.who.int/ncds/governance/third-un-meeting/FADEPOF_FEDER_ALIBER.pdf?ua=1)

<sup>17</sup> Las enfermedades poco frecuentes en Argentina”, pág 8. <http://fadepof.org.ar/noticias/219>

<sup>18</sup> Comisión de las Comunidades Europeas. Bruselas, 11.11.2008 COM(2008) 679 final. Comunicación de la Comisión al Parlamento Europeo, al Consejo, al Comité Económico y Social Europeo y al Comité de las Regiones. Las enfermedades raras: un reto para Europa. [http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/docs/rare\\_com\\_es.pdf](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_es.pdf)

extensión geográfica. Por tanto, es imperioso establecer estrategias y acciones globales que permitan acumular experiencias en las regiones fronterizas, si la asistencia sanitaria o los tratamientos que se requieran no están disponibles en el país o no lo están en un plazo razonable<sup>15</sup>.

Por consiguiente, la movilidad sanitaria transfronteriza, sumada a los avances de **nuevas tecnologías de salud** que se van desarrollando en el área médica, han ampliado los límites dentro de los cuales se puede prestar atención médica especializada y sub-especializada según los diversos **niveles de complejidad**<sup>19</sup> en base a las necesidades de la población.

Conscientes de que el **acceso universal a la salud** y la **cobertura universal de salud (CUS)** implican que **todas las personas y las comunidades tengan acceso, sin discriminación alguna, a servicios de salud integrales, adecuados, oportunos, de calidad, determinados a nivel nacional, de acuerdo con las necesidades**, así como **a medicamentos de calidad, seguros, eficaces y asequibles**, a la vez que se **asegura que el uso de esos servicios no expone a los usuarios a dificultades financieras, en particular a los grupos en situación de vulnerabilidad**<sup>20</sup>.

Y, habiéndose establecido en el marco de los esfuerzos que la OMS realiza junto a sus países miembro, en torno a la **cobertura universal de salud** por **“asegurarse de que todas las personas puedan recibir servicios sanitarios de calidad, en el lugar y en el momento en que los necesiten, sin tener que pasar aprietos económicos”**<sup>21</sup>. Y especialmente porque la **CUS** permite a todas las personas tener acceso a servicios que tratan las principales causas de morbilidad y mortalidad, y garantiza que la calidad de esos servicios sea lo suficientemente buena como para mejorar la salud de las personas que los reciben<sup>22</sup>.

Siendo que, el acceso a cuidados esenciales y de calidad, y a la protección financiera no sólo mejora la salud de las personas y su esperanza de vida, sino que también protege a los países de las epidemias, reduce la pobreza y el riesgo de padecer hambre, crea empleos, impulsa el crecimiento económico y promueve la igualdad de género.

Observando los logros que se pueden alcanzar mediante estrategias impulsadas por la OMS y sus Estados miembros, estableciendo **prioridades de salud** referidas a aumentar la financiación y el uso nacional de estrategias sanitarias de financiación innovadoras, incluyendo aquellas en asociación con el sector privado en expansión. Y al acceso a medicinas para combatir las enfermedades infecciosas como el VIH, la tuberculosis, la malaria, las enfermedades tropicales desatendidas y la hepatitis. Como también, **enfermedades no transmisibles**<sup>23</sup> como ser el cáncer, las enfermedades cardíacas, las enfermedades respiratorias crónicas y la diabetes<sup>24</sup>;

Siendo que la Asamblea General de Naciones Unidas adopta resoluciones para con enfermedades crónicas, debilitantes y costosas, que tienen graves complicaciones y riesgos como por ejemplo en el caso de la diabetes<sup>25</sup>. Incluso más específicamente, como el caso del albinismo<sup>26</sup> –una de las 8.000 enfermedades poco frecuentes donde se expresa la preocupación por la discriminación, la estigmatización y la exclusión social que sufren de manera generalizada las personas con albinismo y

<sup>19</sup> Se entiende como **complejidad** el número de tareas diferenciadas o procedimiento complejos que comprenden la actividad de una unidad asistencial y el grado de desarrollo alcanzado por ella. **Cada nivel de atención condiciona el nivel de complejidad** que debe tener cada establecimiento. El grado de complejidad establece el tipo de recursos humanos, físicos y tecnológicos necesarios para el cumplimiento de los objetivos de la unidad asistencial, sus servicios y organización. El **primer nivel de Complejidad** se refiere a policlínicas, centros de salud, consultorios y otros, donde asisten profesionales como Médicos Familiares y Comunitarios, Pediatras, Ginecólogos, Médicos Generales. En el **segundo nivel de Complejidad** se ubicaría, al igual que en el nivel de atención, a los hospitales con especialidades como Medicina Interna, Pediatría, Ginecología, Cirugía General, Psiquiatría, etc. El **tercer nivel de complejidad** se refiere a establecimientos que realizan prestaciones médicas y quirúrgicas con presencia de subespecialidades de éstas, que se caracterizan por un uso intensivo de recursos humanos y equipamientos, con la realización de procedimientos complejos y uso de alta tecnología.

Villalba S, Noceti M C. Tipos de Establecimientos de Atención Médica del MSP. Niveles de Complejidad. MSP Montevideo. 1989. Y Magnífico G, Noceti C, Rodríguez N. Planificación de la Red Asistencial de ASSE. ASSE- abril, 2002.

<sup>20</sup> Estrategia para el acceso universal a la salud y la cobertura universal de salud. CD53/5, Rev. 2. 2 de octubre del 2014.

<https://www.paho.org/uhexchange/index.php/en/uhexchange-documents/informacion-tecnica/27-estrategia-para-el-acceso-universal-a-la-salud-y-la-cobertura-universal-de-salud/file>

<sup>21</sup> Organización Mundial de la Salud. Campañas mundiales de la salud pública de la OMS. <http://www.who.int/campaigns/world-health-day/2018/campaign-essentials/es/>

<sup>22</sup> <http://www.who.int/campaigns/world-health-day/2018/key-messages/es/>

<sup>23</sup> Las **enfermedades no transmisibles (ENT)** o crónicas son afecciones de larga duración con una progresión generalmente lenta. Entre ellas destacan: las enfermedades cardiovasculares (por ejemplo, los infartos de miocardio o accidentes cerebrovasculares); el cáncer; las enfermedades respiratorias crónicas (por ejemplo, la neumopatía obstructiva crónica o el asma); y la diabetes. OMS. Temas de salud. [http://www.who.int/topics/noncommunicable\\_diseases/es/](http://www.who.int/topics/noncommunicable_diseases/es/)

<sup>24</sup> OMS. Prioridades: Salud para todos <http://www.who.int/dg/priorities/health-for-all/es/>

<sup>25</sup> A/RES/61/225. <https://undocs.org/es/A/RES/61/225>

<sup>26</sup> A/HRC/RES/23/13. <https://undocs.org/es/A/HRC/RES/23/13>

para lo que se ha establecido un mecanismo de procedimientos especiales que se traduzcan en acciones concretas de los Estados.

Y considerando que dentro de la CUS **no sólo se garantiza un conjunto mínimo de servicios de salud, sino también la ampliación paulatina de la cobertura de esos servicios y de la protección financiera, a medida que se disponga de más recursos**, para aquellos nuevos desafíos de salud que se presentan en la actualidad. Todo ello, basado en los **Objetivos de Desarrollo Sostenible (ODS)**, más específicamente en su **Objetivo 3: "Garantizar una vida sana y promover el bienestar para todos en todas las edades"**<sup>27</sup> y sus metas **3.4, 3.8, 3.b, 3.c y 3.d.**<sup>27</sup>

Reconociendo, en particular, los compromisos asumidos por los Estados en la Agenda 2030 de no dejar a nadie atrás y esforzarse por llegar primero a los más lejanos, fundados en la dignidad de la persona humana y reflejando los principios de igualdad y no discriminación<sup>28</sup>.

#### **Petición:**

Las **organizaciones de la sociedad civil del mundo que representan a las personas con enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-** solicitan al **Secretario General y al Alto Comisionado de las Naciones Unidas para los Derechos Humanos en el "Segundo Evento de Alto Nivel del Comité de ONG para Enfermedades Raras:**

1. Que se invite a todos los Estados Miembros, a las organizaciones competentes del sistema de las Naciones Unidas y a otras organizaciones internacionales, así como a la sociedad civil, incluidas las organizaciones no gubernamentales y el sector privado, **a que se reconozca la necesidad de establecer una estrategia mundial sobre las enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-, como "propósitos comunes"**, siendo que es esencial fortalecer los sistemas de salud pública y de atención de la salud para alcanzar los objetivos de desarrollo convenidos internacionalmente, incluidos los Objetivos de Desarrollo Sostenibles (ODS);
2. Que se le encomiende a la Oficina del Alto Comisionado la realización de un informe sobre las **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-, tal y como se ha hecho con el albinismo**<sup>29</sup> (una de las 8 mil enfermedades poco frecuentes) con el propósito de impulsar un llamamiento a intensificar la cooperación internacional, regional y bilateral y a realizar actividades que refuerzan las medidas para prevenir y atender a las personas con éstas patologías y sus familiares,
3. Que se le encomiende al Comité Asesor del Consejo de Derechos Humanos la realización de un estudio acerca de la situación de los derechos humanos de las personas que viven con **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-**, y que brinde recomendaciones con el propósito de promover y proteger los derechos humanos de dichas personas. Todo ello, mediante el nombramiento de un Experto Independiente al que se le encargue:
  - a. Dialogar con los Estados y otros interesados pertinentes, incluidos los organismos, programas y fondos de las Naciones Unidas, los mecanismos regionales de derechos humanos, las instituciones nacionales de derechos humanos, el sector privado y los donantes, y celebrar consultas con ellos;
  - b. Identificar, intercambiar y promover las buenas prácticas en relación con la efectividad de los derechos de las personas con **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-** y la participación de éstas en la sociedad en igualdad de condiciones con las demás;
  - c. Impulsar los avances, y hacer frente a los desafíos y los obstáculos, para hacer efectivo el disfrute de los derechos humanos de las personas con **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-** en todas las regiones del mundo, presentar informes sobre ello y formular recomendaciones al respecto al Consejo de Derechos Humanos;
  - d. Recabar, solicitar y recibir información y comunicaciones de los Estados y otras fuentes pertinentes, incluidas las personas con **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-**, las organizaciones que las representan y otras organizaciones de la sociedad civil, e intercambiarlas con ellos, sobre vulneraciones de los derechos de éstas personas;

<sup>27</sup> Naciones Unidas. Objetivos de Desarrollo Sostenibles. <https://www.un.org/sustainabledevelopment/es/health/>

<sup>28</sup> A/HRC/RES/35/23. <https://documents-dds-ny.un.org/doc/UNDOC/GEN/G17/190/18/PDF/G1719018.pdf?OpenElement>

<sup>29</sup> A/HRC/24/57

- e. Organizar, facilitar y apoyar la prestación de servicios socio-sanitarios, y cooperación internacional en apoyo de las iniciativas nacionales para hacer efectivos los derechos de las personas con **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-**.
4. Que se establezcan estrategias globales -basadas en las buenas prácticas internacionales- con el objeto de abordar localmente los desafíos que plantean las **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-** bajo un enfoque integrado, orientando con claridad las actividades actuales y futuras de la **Cobertura Universal de Salud**, para que las personas de todo el mundo ejerzan su derecho a la salud como derecho humano, traduciéndose a un acceso más fácil y más justo a la prevención, el diagnóstico y el tratamiento de su condición de salud.
- a. Considerar una **propuesta sólida y oportuna de medidas sobre la inclusión de servicios sanitarios, atención médica y terapéutica** para las **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-** dentro del conjunto básico de prestaciones de la **Cobertura Universal de Salud (CUS)**.
- b. Se establezca una **actualización del Listado de Medicamentos Esenciales**<sup>30</sup> incluyendo aquellos que según evidencia científica son eficaces, seguros y de calidad **para el tratamiento de las enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-**.
- c. Se establezca una **actualización de la Lista de Diagnósticos Esenciales In Vitro**<sup>31</sup> de la OMS para incluir aquellos diagnósticos esenciales que, según evidencia científica, sean efectivos, seguros y confiables para diagnosticar **enfermedades poco frecuentes (raras y/o huérfanas)**.
- d. Se establezca un compromiso sobre una **política integrada referida al “acceso y uso racional” de los medicamentos y las tecnologías sanitarias esenciales y estratégicas**, incluidos los que se consideren de alto costo, ya que muchos de éstos para las enfermedades complejas y/o poco frecuentes (...) “ahora se consideran esenciales dado que pueden mejorar considerablemente la calidad de vida y los resultados en materia de salud cuando se usan de acuerdo a las guías de práctica clínica basadas en la evidencia”<sup>32</sup>.
- e. Que se establezcan estudios epidemiológicos y registros con el fin de especificar las prevalencias locales y/o regionales de las **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-** para así interoperabilizar la información transfronteriza que permita alcanzar estándares de calidad en la atención, manejo y tratamiento de estas enfermedades.
5. Se acoja con satisfacción el hecho de que EURORDIS<sup>33</sup> y su Consejo de Alianzas Nacionales<sup>34</sup> desde 2008 lleve observando a nivel global el Día Mundial de las Enfermedades Poco Frecuentes –raras y/o huérfanas- a la que se han unido otras organizaciones como Rare Diseases International (RDI)<sup>35</sup> y sus miembros internacionales. Y que por tanto, tal y como ya se ha hecho con otras enfermedades crónicas, debilitantes y costosas<sup>36</sup>, las Naciones Unidas decida proclamar el último día del mes de febrero “Día Internacional de las Enfermedades Poco Frecuentes” y otorgue el copatrocinio de la Organización Mundial de la Salud.
6. Que entre las estrategias destinadas a las **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-** se articule con las estrategias impulsadas para las **enfermedades no transmisibles (ENT)**, ya que como se ha aportado ante la “III Reunión de Alto Nivel de Naciones Unidas sobre prevención y control de enfermedades no transmisibles (ENT)” es imperiosa la **creación de la subcategoría “enfermedades crónicas no transmisibles ni prevenibles”** dentro de la **categoría de enfermedades no transmisibles (ENT)**<sup>37</sup>, ya que se requiere que se beneficien de acciones de prevención secundaria y terciaria (dado que no son posibles mediante prevención primaria).

<sup>30</sup> <https://www.who.int/medicines/publications/essentialmedicines/en/>

<sup>31</sup> [https://www.who.int/medical\\_devices/diagnostics/WHO\\_EDL\\_2018.pdf](https://www.who.int/medical_devices/diagnostics/WHO_EDL_2018.pdf)

<sup>32</sup> [http://www.paho.org/hq/index.php?option=com\\_content&view=article&id=12556&Itemid=42099&lang=es](http://www.paho.org/hq/index.php?option=com_content&view=article&id=12556&Itemid=42099&lang=es)

<sup>33</sup> Eurordis. <https://www.eurordis.org/es/content/en-breve>

<sup>34</sup> <https://www.rare-diseaseday.org/national-alliances>

<sup>35</sup> RDI <https://www.rare-diseases-international.org/>

<sup>36</sup> Naciones Unidas. Asamblea General. Resolución aprobada por la Asamblea General el 20 de diciembre de 2006. 61/225. Día Mundial de la Diabetes. <https://undocs.org/es/A/RES/61/225>

<sup>37</sup> Organización Mundial de la Salud. Enfermedades no transmisibles y salud mental. Listado de ENT. <http://www.who.int/nmh/topics/es/>

7. Aplicar **enfoques intersectoriales que abarquen la salud en todas las políticas, en todos los ámbitos gubernamentales y en toda la sociedad** con el fin de implementar estrategias e iniciativas en relación con el compromiso 2030 de “no dejar a nadie atrás” en lo referido a las **enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-**.
8. Que se establezcan **compromisos explícitos con el propósito de que se traduzcan en medidas legislativas y reglamentarias, inversiones constantes y financiación de programas contra las enfermedades poco frecuentes –raras y/o huérfanas-** de manera cooperativa entre los Estados Miembros y países transfronterizos.

Debemos trabajar por la dignidad humana común a todas las personas, incluidas las personas que viven con una enfermedad más compleja o poco frecuente, para que reciban la misma calidad de atención y que se acelere la transferencia de avances científicos importantes en nuevas terapias, en una forma predecible y sostenible para la sociedad y los sistemas de salud mundiales<sup>38</sup>.

**Este documento cuenta con el apoyo de:**

**Defensor del Pueblo  
de la Nación Argentina**  
Resolución N° 00012/19



**Organizaciones de la sociedad civil que adhieren a esta petición:**

**Organizaciones Internacionales Paraguas**

**FADEPOF**  
Federación Argentina  
de Enfermedades Poco Frecuentes

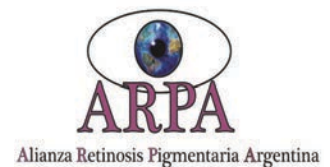


<sup>38</sup> Eurordis. 'Breaking the Access Deadlock to Leave No One Behind'. <https://www.eurordis.org/es/news/el-colectivo-de-enfermedades-raras-exige-un-cambio-radical-para-mejorar-el-acceso-de-los-pacientes-los-medicamentos>



## Organizaciones Individuales

### Argentina





### Brasil



### Chile



### Colombia



### Ecuador



### España



### Guatemala



### México



### Nicaragua



### Panamá



### Paraguay



### Perú



## Venezuela

