



# PLAN ESTRATÉGICO ORPHAR-SEFH 2024-2027

Dr. JOSÉ LUIS POVEDA ANDRÉS

*Director Gerente Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia*



Con el objetivo de abordar los desafíos que suponen los Medicamentos Huérfanos (MH) y las enfermedades raras (ER) para el Sistema Nacional de Salud (SNS) e establecer las bases para impulsar la transformación de la FH en el ámbito de las ER, se ha desarrollado el Plan Estratégico de OrPhar-SEFH para los próximos 4 años (2024-2027).

#### ANÁLISIS EXTERNO

El Plan Estratégico de OrPhar-SEFH se ha realizado bajo un enfoque centrado en la **visión del paciente**, teniendo en cuenta las **tendencias** nacionales e internacionales existentes en el ámbito de la ER y FH, vertidas por el equipo conformado por 12 profesionales de FH especializados en ER.

Incorporación de la visión del paciente (mediente estrovo)



- 1. Transformación innovadora del proceso asistencial de las ER y **personalización** de la asistencia farmacéutica.
- 2. Incorporación de las **necesidades** y **experiencia** del paciente en la toma de **decisiones** clínicas.
- 3. Participación del FH y las **Asociaciones de Pacientes** en el proceso de **evaluación** y **posicionamiento de MIE**.
- 4. Registro de **Real World Evidence (RWE)** desde FH y aplicación en la **práctica** clínica.

#### LÍNEAS ESTRATÉGICAS (LPE)

En el Plan Estratégico de la OrPhar-SEFH se han identificado **23 líneas de acción** en torno a **cinco ejes estratégicos**:



A continuación, se presentan las líneas de acción para cada eje ordenadas de **mayor a menor prioridad**:

#### Alianzas

1. Identificar **Asociaciones de Pacientes** de ER para establecer alianzas y una vía de comunicación para dar soporte a los pacientes desde FH y detectar sus necesidades.
2. Desarrollar **proyectos colaborativos** con la **industria** orientados a desarrollar soluciones innovadoras en el ámbito de las ER.
3. Fomentar la **colaboración del Farmacéutico Hospitalario** especializado en ER en las **estructuras de decisión** sobre evaluación y posicionamiento de MIE.
4. Identificar **Universidades y Centros e Institutos de Investigación** referentes en ER y definir un plan colaborativo para impulsar proyectos de investigación, tecnológicos y multidisciplinares.
5. Definir un plan de colaboración con otros **Sociedades Científicas** especializadas en las diferentes ER.
6. Implementar un **canal de comunicación** y un plan **formativo específico** para Farmacia Comunitaria, MIE, Sociofarmacia, gestor de casos, etc.

#### Evidencia

1. Impulsar **proyectos** de investigación con **MH** y **ER** para la obtención de **evidencia científica**.
2. Potenciar el papel de FH en el **análisis crítico** de la **evidencia científica** en ER y su traslación a los **equipos clínicos interdisciplinares**.
3. Impulsar la **participación de FH** en la utilización de **PRODs** y **PREMs** en el manejo y toma de decisiones en ER.

#### Investigación / Innovación

1. Fomentar el **Análisis de Decisión Multicriterio (MCDM)** en MH.
2. Facilitar la implementación de **nuevos modelos de financiación** innovadores y de compra pública por valor.
3. Impulsar la **difusión de convocatorias de investigación** en ER y la participación de OrPhar-SEFH en estas convocatorias.
4. Identificar **herramientas de Inteligencia Artificial (IA)** existentes y analizar su aplicación en el área de FH y ER.

#### Optimización

1. Actualizar y mantener los contenidos de la **web de OrPhar-SEFH**.
2. Impulsar la **integración del FH** en los **equipos interdisciplinares** de manejo de pacientes con ER.
3. Implementar y acreditar el **plan de Humanización de OrPhar-SEFH**.
4. Impulsar una **nueva edición del curso DPC** en la que se recopila la nueva evidencia disponible en el manejo y tratamiento de pacientes con ER.
5. Desarrollar estrategias de **Telefarmacia** y **administración domiciliar**.
6. Desarrollar nuevos **canales de comunicación con los pacientes**.
7. **Estratificar los pacientes** con ER en función de sus características y su tratamiento para la adaptación e **individualización** de la atención farmacéutica.

#### Unión

1. Crear una **red de Servicios de FH** especializados en ER.
2. Realizar una **jornada anual** sobre ER y MH para visibilizar el papel del FH y OrPhar-SEFH en la atención a los pacientes con ER.
3. Colaborar y crear **mensajes homogéneos** en la **recogida y desecho de fármacos** y dispositivos de administración dispensados en las Unidades de Atención Farmacéutica a Pacientes Externos.

# INFOGRAFÍA PLAN ESTRATÉGICO





# ÍNDICE



**Introducción**



**Líneas de acción**



**Conclusiones**



# INTRODUCCIÓN / ER Y ORPHAR-SEFH

Las **enfermedades raras** (ER) son aquellas que tienen una **prevalencia inferior** a 5 casos por cada 10.000 personas. Actualmente, se han identificado más de **7.000 ER** y, gran parte de ellas, tienen características comunes<sup>1</sup>:

Crónicas

Hereditarias

Degenerativas

Alto grado de  
discapacidad

Pérdida de  
autonomía

Estos factores **condicionan** la cantidad de **recursos** disponibles para la **investigación**, así como para desarrollar **medidas preventivas** y opciones **terapéuticas** efectivas. Así mismo, las ER llevan asociado un **gran impacto económico** en el consumo de recursos del sistema sanitario.



**OrPhar-SEFH**, el grupo de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos (MH) de la SEFH, ha desarrollado su **Plan Estratégico 2024-2027** con el objetivo de:

-  Abordar los **desafíos** que suponen los MH y las ER y contribuir en la **mejora** de la **gestión de estas enfermedades** y su **tratamiento**
-  Trabajar bajo un **enfoque** que permita la **adaptabilidad** a cada centro, y así garantizar la **equidad** en el acceso tratamientos.
-  **Compartir** la **información** entre profesionales y reforzar las redes de conocimiento, generando **evidencia sólida**.
-  Fomentar una **visión integral e integrada** de todo el proceso asistencial y focalizada en los pacientes.

<sup>1</sup><https://gruposedetrabajo.sefh.es/orpharsefh/>

# INTRODUCCIÓN / FACTORES CLAVE DE ÉXITO

Para **alcanzar los objetivos** propuestos de una manera colaborativa y eficiente, el Plan Estratégico se ha desarrollado en torno a las siguientes **palancas clave**:

## Impacto

**Gestión de la salud poblacional** para prevenir enfermedades y fomentar el diagnóstico y tratamiento temprano de las ER

Adopción de **prácticas sostenibles** para asegurar la eficiencia **económica** y **medioambiental** en el tratamiento de ER

**Participación de ciudadanos** de manera activa y consciente en la **toma de decisiones** relacionadas con su propia salud y bienestar

## Actuaciones

**Adaptación y escalado** de las actuaciones definidas en función del centro y de los **recursos disponibles**

Empleo de **RWE** como herramienta para la **toma de decisiones** de clínicas y la **mejora** de la **calidad** de la atención sanitaria a los pacientes con ER

**Participación** del **FH** en la **evaluación** y **posicionamiento** de los **MH** y en el proceso asistencial de la atención a pacientes con ER

## Necesidades

**Individualización** del **proceso** asistencial a través de la **segmentación** de la población y los **pacientes** de ER

Realización **estudios multicéntricos** y uso de **PROMs y PREMs**, para garantizar la creación de evidencia e incorporación de **datos de calidad de vida**

Incorporación de **nuevos modelos de financiación** para superar las barreras financieras y poder determinar el valor del medicamento

## Infraestructura y Organización

Fomento de la **formación continuada** a profesionales mediante la **impulsión** del **Plan** desde la SEFH y OrPhar-SEFH

**Colaboración** con **agencias** reguladoras, Ministerio, Consejerías, Prof. **sanitarios**, Universidades, Soc. Científicas, **Industria Farmacéutica** y **Asoc. Pacientes**

Incorporación de **tecnología** para desarrollar **iniciativas de valor**, cubriendo las **necesidades** actuales del **FH** y aportando un valor diferencial

# INTRODUCCIÓN | TENDENCIAS Y BARRERAS

El **FH** tiene un papel principal en el **desarrollo** de un **nuevo modelo de atención a las ER**, asegurando una **atención personalizada** y centrada en el paciente que incluya sus necesidades y experiencia. Sin embargo, todavía existen **barreras** que condicionan este desarrollo

## TRANSFORMACIÓN DEL PROCESO ASISTENCIAL

### Barreras

- Necesidad de digitalización
- Investigación Farmacogenética
- Falta de Colaboración y recursos humanos

### Tendencias

-  **Empoderamiento** del paciente y **personalización** de la asistencia
-  Colaboración **público-privada**
-  Empleo de **herramientas digitales**

## EXPERIENCIA DE PACIENTE

### Barreras

- Falta de información especializada
- Relación farmacéutico-paciente
- Acceso a tratamientos y servicios especializados

### Tendencias

-  **Humanización** de la **asistencia**
-  **Formación** de pacientes y cuidadores
-  Integración de **PROMs y PREMs**

## REAL WORLD EVIDENCE (RWE)

### Barreras

- Heterogeneidad en el registro
- Bajo volumen de datos sobre ER
- Ausencia de métodos de análisis de datos

### Tendencias

-  **Estratificación del paciente** e identificación de **riesgos**
-  Análisis **predictivo** y **diagnóstico precoz**
-  **Aplicación de datos** en práctica clínica real

## ACCESO Y EVALUACIÓN DE FÁRMACOS

### Barreras

- Regulación autonómica
- Demora en el proceso de evaluación
- Empleo de criterios de evaluación clásicos

### Tendencias

-  **Procedimientos acelerados** para la evaluación de **MH**
-  **Colaboración** con **Asociaciones de pacientes**
-  **Empoderamiento del paciente** en la evaluación de **fármacos**

# INTRODUCCIÓN | VOZ DEL PACIENTE

El **Plan estratégico** de la **Orphar-SEFH** se ha diseñado bajo un **enfoque centrado en el paciente**. Por ello, se ha incorporado la **voz del paciente** en relación a su experiencia actual y expectativas futuras en relación al **rol del farmacéutico asistencial** en el manejo de las **ER**

## ¿Cómo?

La voz del paciente se ha incorporado en el Plan Estratégico mediante la realización **entrevistas** con **representantes** de **pacientes** de:

**Fedhemo:** Federación Española de Hemofilia

**FundAME:** Fundación Atrofia Muscular Espinal

## Conclusiones de las entrevistas



### Rol del FH y Servicio de Farmacia

- **Adaptar** los **protocolos existentes** a los **pacientes** con **ER**
- Disponer de un **Farmacéutico especialista** en **ER** involucrado en todo el **proceso asistencial**
- Incorporar la **visión del paciente** en la **toma de decisiones**



### Experiencia de paciente

- Establecer **consultas multidisciplinares** y coordinar las **citas**
- Adaptar los **PROMs y PREM**s existentes a pacientes con **ER**
- Establecer programas de **suministro de medicación** a **domicilio** a pacientes con dificultad para desplazarse



### Educación del paciente

- Entregar **material informativo** y realizar **educación** al **paciente** por parte de **FH**
- Realizar **talleres** con **pacientes** para la resolución de dudas
- Establecer **consultas presenciales** de **seguimiento** con el **FH**



### Acceso a tratamiento

- Implementar **criterios** de **evaluación adaptados** a las **ER**
- **Asegurar un acceso temprano** a **MH** dentro del hospital
- Agilizar la **tramitación** y **aprobación** de **solicitud** de **tratamientos** para **ER**

# LÍNEAS DE ACCIÓN / EJES ESTRATÉGICOS

En el Plan Estratégico de la OrPhar-SEFH se han identificado **23 líneas de acción** en torno a **cinco ejes estratégicos**:



## Alianzas

Establecer **alianzas** con **agentes externos** como agencias reguladoras, Ministerio, Consejerías, profesionales sanitarios, Universidades, Soc. Científicas, Institutos de Investigación, Asociaciones Pacientes y la Industria Farmacéutica



## Evidencia

**Generar evidencia científica** e inclusión de esta en los protocolos farmacoterapéuticos, la evaluación de MH y la toma de decisiones, incorporando las **necesidades** reales y **experiencia** de los pacientes con ER



## Investigación / Innovación

Impulsar el **empleo** de **nuevos modelos de financiación y criterios de evaluación (MCDA)** de fármacos, fomentando la investigación, la innovación y la incorporación de tecnología para cubrir las necesidades actuales de FH y el paciente, aportando un valor diferencial



## Optimización

**Optimizar el proceso asistencial y farmacoterapéutico** y los protocolos de ER, potenciando la humanización de la asistencia, la comunicación entre profesionales y minimizando el impacto de la asistencia en la vida de los pacientes



## Unión

**Trabajar de manera colaborativa e integrada**, posicionando al FH como referente en el tratamiento de ER, aumentando su visibilidad ante el paciente y otros profesionales

# LÍNEAS DE ACCIÓN / ALIANZAS



Alianzas



Evidencia



Investigación / Innovación



Optimización



Unión

A continuación, se presentan las líneas de acción para el eje de **alianzas** ordenadas de **mayor a menor prioridad**:

- 
- 1 Identificar **Asociaciones de Pacientes** de ER para establecer alianzas y una vía de comunicación para dar soporte a los pacientes desde FH y detectar sus necesidades.
  - 2 Desarrollar **proyectos colaborativos** con la **Industria** orientados a desarrollar soluciones innovadoras en el ámbito de las ER.
  - 3 Fomentar la **colaboración** del **Farmacéutico Hospitalario** especializado en ER en las **estructuras de decisión** sobre evaluación y posicionamiento de **MH**.
  - 4 Identificar **Universidades y Centros e Institutos de Investigación** referentes en ER y definir un plan colaborativo para impulsar proyectos de investigación, tecnológicos y multidisciplinares.
  - 5 Definir un plan de colaboración con otras **Sociedades Científicas** especializadas en las diferentes ER.
  - 6 Implementar un **canal de comunicación** y un **plan formativo** específico para Farmacia Comunitaria, AP, Sociosanitario, gestor de casos, etc.

Alianzas

CONGRESO NACIONAL  
SETH  
30 OCT  
5-7 OCT  
2023

# LÍNEAS DE ACCIÓN / EVIDENCIA



Alianzas



Evidencia



Investigación  
/ Innovación

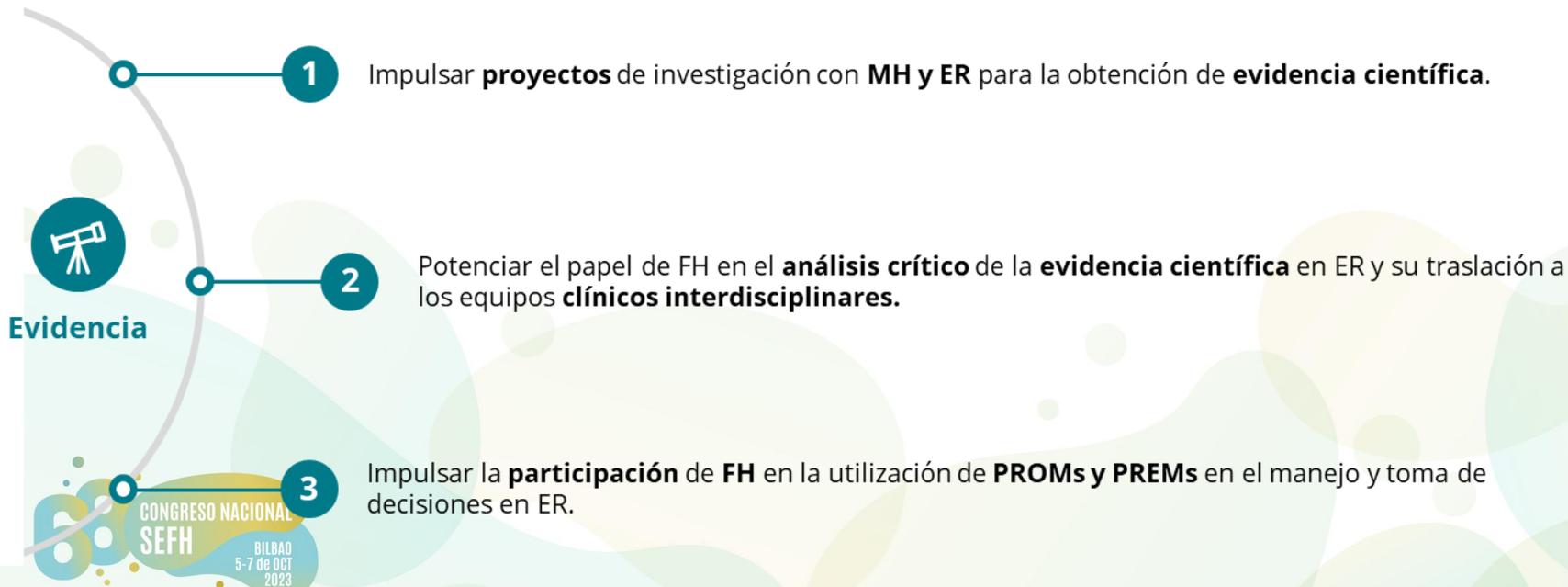


Optimización



Unión

A continuación, se presentan las líneas de acción para el eje de **Evidencia** ordenadas de **mayor a menor prioridad**:



# LÍNEAS DE ACCIÓN / INVESTIGACIÓN / INNOVACIÓN



Allianzas



Evidencia



Investigación / Innovación

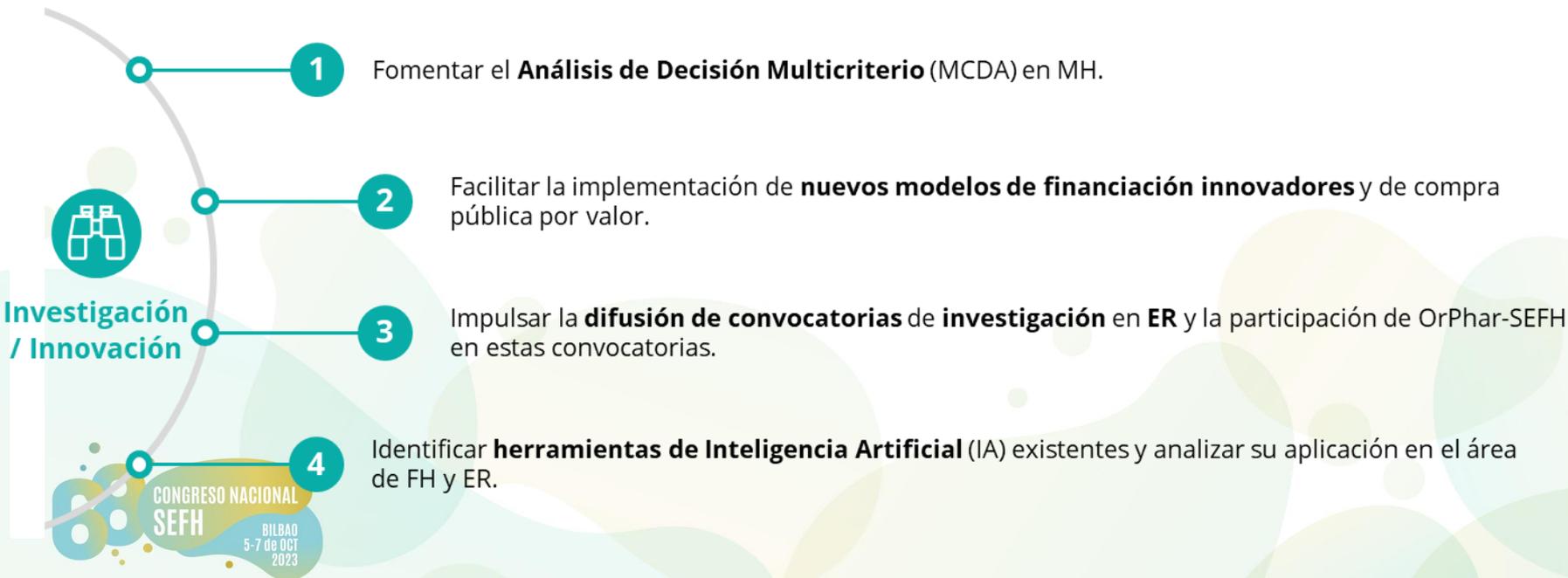


Optimización



Unión

A continuación, se presentan las líneas de acción para el eje de **Investigación / Innovación** ordenadas de **mayor a menor prioridad**:



# LÍNEAS DE ACCIÓN / OPTIMIZACIÓN



Allanzas



Evidencia



Investigación / Innovación

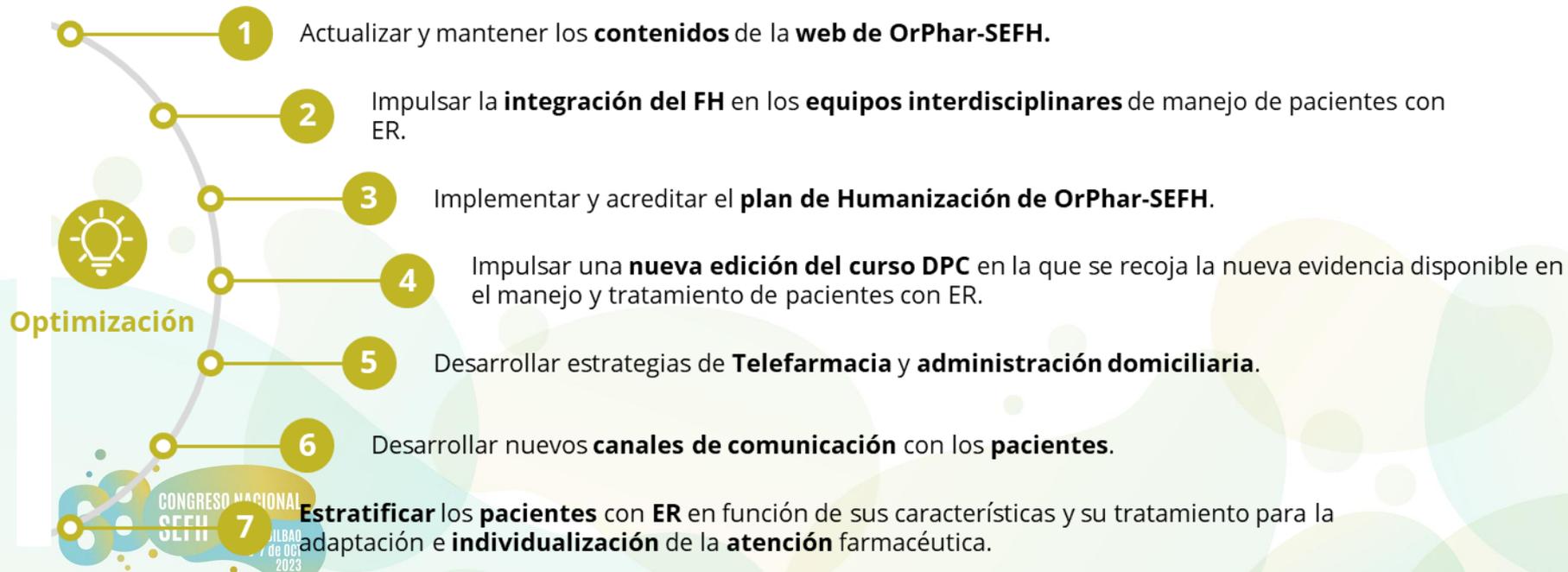


Optimización



Unión

A continuación, se presentan las líneas de acción para el eje de **Optimización** ordenadas de **mayor a menor prioridad**:



# LÍNEAS DE ACCIÓN / UNIÓN



Alianzas



Evidencia



Investigación / Innovación

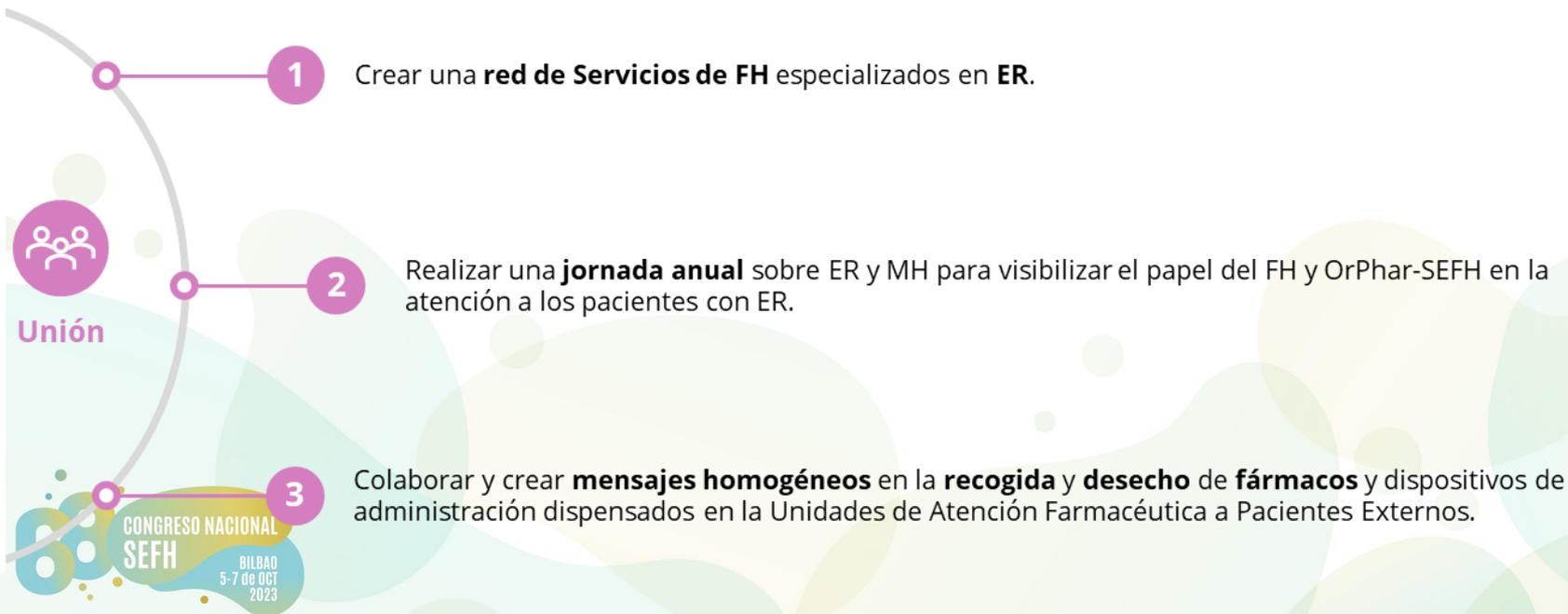


Optimización



Unión

A continuación, se presentan las líneas de acción para el eje de **Unión** ordenadas de **mayor a menor prioridad**:



# CONCLUSIONES

El **enfoque multidisciplinar**, centrado en la **visión del paciente**, del Plan Estratégico de OrPhar-SEFH ha permitido desarrollar un **nuevo modelo de atención** a las **ER** desde la perspectiva del FH. Las **líneas de acción** definidas por el grupo de trabajo de OrPhar-SEFH tienen como **objetivo**:



Promover el uso de **modelos innovadores de atención farmacéutica** para pacientes con ER y la **recogida de evidencia científica** desde FH.



Fomentar la **colaboración estrecha** entre FH, los profesionales involucrados en el manejo de las ER y los propios pacientes, así como, promover la **formación especializada** del FH en ER.



Garantizar la **equidad** de la atención sanitaria y en el acceso a tratamiento.



Impulsar la **toma de decisiones basadas en evidencia** clínica y experiencia de paciente.



Promover la participación activa del FH en la evaluación y posicionamiento de los MH y respaldar el uso de **criterios de evaluación de MH innovadores**, que permitan capturar su valor terapéutico y social.

*El grupo de trabajo OrPhar-SEFH ha llevado a cabo este proyecto con la colaboración de Roche*



# MUCHAS GRACIAS

✉ [poveda\\_josand@gva.es](mailto:poveda_josand@gva.es)

✂ @joseluis\_pa