



# Declaración de Principios

## “La investigación es nuestra esperanza”

En el marco del Día Mundial de las ER queremos trasladar la necesidad de impulsar la investigación en enfermedades poco frecuentes, bajo un enfoque integral y de **trabajo en RED**. Para hacerlo posible consideramos imprescindible el **establecimiento de un sistema de incentivos que incluya la investigación científica en enfermedades raras como una actividad prioritaria de mecenazgo dentro de la Ley de Presupuestos Generales del Estado**. Promoviendo la investigación en enfermedades poco frecuentes se aumenta la capacidad del sistema para dar respuesta a las necesidades de las personas con enfermedades poco frecuentes relativas a la prevención, al acceso a diagnóstico y tratamiento, así como en la atención social y sanitaria. Porque sólo trabajando en el presente, podremos conseguir un futuro esperanzador.

Para ello, instamos a todos los sectores implicados a que se adhieran a esta declaración que constituirán la hoja de ruta de la Federación y que establece propuestas concretas para el desarrollo e implementación de políticas de investigación en enfermedades raras.

Todo ello, bajo dos premisas básicas: **el qué y el cómo**.

De esta forma, desde FEDER y en el marco del Día Mundial de las ER se busca posicionar la investigación en las enfermedades poco frecuentes como un desafío de salud pública.

Para ello, instamos a todos los sectores implicados a que se adhieran a esta declaración que constituirán la hoja de ruta de la Federación y que establece propuestas concretas para el desarrollo e implementación de políticas de investigación en enfermedades raras:

1. Invertir en **nuevos procedimientos de diagnóstico** para favorecer la obtención del mismo y la detección precoz impulsando medidas que garanticen el acceso a pruebas genéticas en todo el territorio nacional, así como potenciando el **conocimiento científico asociado a los factores de riesgo** para el establecimiento de estrategias de prevención primaria.
2. Adoptar **sistemas de clasificación apropiados y reconocidos** a nivel internacional, así como consolidar el **Registro Estatal de Enfermedades Raras** como una herramienta clave para la generación de conocimiento.
3. **Promover el desarrollo de nuevas dianas terapéuticas para el impulso de tratamientos y terapias innovadoras**. Asimismo, es preciso impulsar la investigación respecto a los medicamentos huérfanos, medicamentos coadyuvantes, productos sanitarios, tratamientos quirúrgicos especiales, ayudas técnicas, de rehabilitación, productos de apoyo y otras prestaciones del ámbito ortoprotésico, así como el apoyo psicológico y fisioterapéutico.
4. Impulsar la **investigación en la definición de políticas sociales**, actuando como herramienta que clarifique y establezca las prioridades en la atención sanitaria, social, y educativa del colectivo.  
De forma transversal a cada una de estas acciones, **los CSUR deben adquirir un papel de especial relevancia definiendo estrategias terapéuticas** y de seguimiento y actuando de nexo entre las unidades clínicas que atienden habitualmente a estos pacientes
5. Promoviendo la **coordinación y trabajo en red**, trabajando por **grupos de patologías**, lo que permitiría la optimización de los recursos desde un enfoque global incluyendo, no sólo el contexto nacional, sino también el internacional.
6. Estableciendo sistemas de **incentivos fiscales** mediante la previsión en la Ley de Presupuestos Generales del Estado de la investigación científica en enfermedades raras como **actividad prioritaria de mecenazgo**, canalizado a través de sistema de transparencia
7. Fortalecer la cooperación y colaboración entre los sectores implicados siendo necesario que además de incrementar los esfuerzos recursos del sector público, éstos sean complementados con los debidos incentivos por los recursos del sector privado (industria, organizaciones de pacientes, fundaciones, centros de investigación académica).
8. Valorando el coste-utilidad y entendiendo que la investigación en enfermedades poco frecuentes generará un **ahorro al sistema sanitario** y beneficiará de manera indirecta a la investigación en enfermedades comunes.
9. Implicando a los **pacientes** en todo el proceso, respetando los principios éticos y los **derechos y libertades fundamentales** de la persona **empoderando** al paciente y a sus familias teniendo en cuenta el conocimiento y experiencia que desde su papel pueden aportar a la investigación.