

LAS REDES EUROPEAS DE REFERENCIA DE ENFERMEDADES RARAS. UN HITO EN LA HISTORIA DE LA COOPERACIÓN TRANSFRONTERIZA EN MATERIA DE SALUD. LOS RETOS LOGÍSTICOS, DE TELEMEDICINA Y JURÍDICOS

Nuria María Garrido Cuenca

Profesora Titular Derecho Administrativo UCLM

Patrona de la Fundación Española de Mastocitosis

Asesora Jurídica de la Asociación Española de Mastocitosis

SUMARIO: 1. **Introducción: el imperativo de una acción transfronteriza sobre las enfermedades raras. Las Redes Europeas de Referencia como paradigma de cooperación voluntaria;** 2. **Los pilares normativos de una política europea común de enfermedades raras: subsidiariedad, proporcionalidad y equidad;** 3. **Consolidación de la política europea común de ER en la directiva sobre derechos de los pacientes a la asistencia transfronteriza. En particular, el marco normativo para el desarrollo de los Centros de Referencia Europeos;** 4. **El desarrollo de la directiva: los Actos Delegados de 2014 sobre criterios y condiciones para la creación de redes de referencia, y evaluación y admisión de prestadores de asistencia sanitaria en las redes europeas:** 4.1 Los aspectos jurídicos de los Actos Delegados de 10 de marzo de 2014; 4.2 La Decisión Delegada de la Comisión Europea, de 10 de marzo de 2014, por la que se establecen los criterios y las condiciones que deben cumplir las ERN y los prestadores de asistencia sanitaria para formar parte de una red europea; 4.3 La Decisión de Ejecución de la Comisión Europea de 10 de marzo de 2014 por la que se fijan los criterios para la creación y evaluación de las ERN y de sus miembros, y se facilita el intercambio de información y conocimientos en materia de creación y evaluación de tales redes. 4.4.- La primera convocatoria de manifestaciones de interés y la aprobación de las 24 primeras ERN: marzo de 2017. 4.5.- Estado actual del proceso de verificación de las redes y perspectivas de desarrollo tras la Conferencia de Vilnius; 5. **La trasposición de la directiva en España: la parca regulación del RD 81/2014 y el precipitado desarrollo mediante Acuerdo del Consejo Interterritorial del SNS para posibilitar el acceso a las ERN;** 6. **Conclusiones: un futuro por construir para la garantía del Derecho de movilidad asistencial europea de los enfermos raros y la transferencia de conocimientos.**

RESUMEN

En este estudio se analiza el origen y evolución de la política de redes europeas de referencia y se plantean los retos a nivel europeo y nacional tras la puesta en marcha de las primeras veinticuatro ERN en marzo de 2017, como el inicio de una nueva era de la cooperación voluntaria transfronteriza en materia de salud.

PALABRAS CLAVE

Redes europeas de referencia, enfermedades raras, cooperación voluntaria europea, telemedicina.

ABSTRACT

This study analyzes the origin and evolution of the European Reference Network and poses the challenges at european and national level after the launch of the first twenty-four ERNs in March 2017, as the beginning of a new era of european voluntary cooperation in the field of health.

KEYWORDS

European Reference Network, rare diseases, european voluntary cooperation, telemedicine.

1. INTRODUCCIÓN: EL IMPERATIVO DE UNA ACCIÓN TRANSFRONTERIZA SOBRE LAS ENFERMEDADES RARAS. LAS REDES EUROPEAS DE REFERENCIA COMO PARADIGMA DE COOPERACIÓN VOLUNTARIA

Las Enfermedades Raras son patologías, en un 80% de origen genético, de baja prevalencia (de acuerdo a la definición en la UE, aquellas que afectan a menos de 5 de cada 10.000 personas), potencialmente mortales o debilitantes a largo plazo, que por ser multisistémicas suelen derivar en graves trastornos crónicos, de alto nivel de complejidad y amplia variabilidad. La presentación temprana de estas enfermedades condiciona la particularidad de unas patologías que aparecen pronto en la biografía de una persona, afectando a su autonomía personal y produciendo una dolorosa carga psico-social para los afectados y sus familiares, lo que requiere medidas específicas y multidisciplinarias de tipo sanitario, social, escolar o laboral de forma continua en el tiempo. Estas características comunes plantean también problemas compartidos, como la dificultad de acceso al diagnóstico, la deficiente información, la falta de atención integral, la descoordinación en el seguimiento y las dificultades de acceso a tratamiento sanitario o farmacológico. De ahí que ya haya hecho fortuna la expresión «paradoja de la rareza», no sólo para indicar la posibilidad de encontrar puntos de encuentro para afrontarlas, pese a su diversidad y heterogeneidad, sino también ante los alarmantes datos que esconde aquella proporción aparentemente ínfima: entre 5000 y 8000 enfermedades raras distintas afectan a cerca de un 9% de la población europea, es decir, alrededor de 30 millones de personas (ya más de 3 millones solo en España) están o se verán afectados por una de estas patologías.

Desde que es acuñado el concepto de enfermedades raras, allá por los años setenta, ligado en ese momento a las enfermedades metabólicas hereditarias, el avance en su conocimiento, investigación, información y atención por parte de los poderes públicos ha sido enorme. Sin embargo, los problemas que las acompañan desde su génesis siguen presentes. No obstante, en los últimos años se han producido algunos hechos relevantes, unos derivados de la necesaria implementación de las recientes normas comunitarias relativas a la asistencia sanitaria transfronteriza y la reforma de la regulación de los ensayos clínicos; otros, del avance imparable de la ciencia y la investigación, especialmente la genética, con la cohorte de interrogantes éticos derivados; otros, en fin, del empeño de nuestros poderes públicos y las

estructuras organizativo-científicas centradas en este tipo de patologías por avanzar en su conocimiento y difusión, al objeto de paliar algunos de los problemas estructurales que han frenado desde el principio las posibilidades de progreso¹.

En este estudio nos centraremos en las redes europeas de referencia (conocidas por sus siglas en inglés ERN), la novedad más resaltante que desde la perspectiva de la cooperación transfronteriza ha acaecido en la política europea de enfermedades raras o afecciones complejas desde sus orígenes en los años 90, bajo el sustento normativo de la Directiva 2011/24/UE, de 9 de marzo, sobre los derechos de los pacientes en la asistencia transfronteriza². Tras un complicado desarrollo normativo del art. 12 de esta norma, en sendas Decisiones Delegada y de Ejecución de la Comisión, de 10 de marzo de 2014, un riguroso proceso de consultas previas a los Estados y a un amplio abanico de interesados (prestadores de asistencia sanitaria, profesionales, organizaciones de pacientes y de consumidores), la creación de un Grupo de Expertos y la organización de tres talleres con expertos independientes sobre diferentes elementos y ámbitos relativos a la creación y condiciones de las redes, en marzo de 2016 se lanza la primera convocatoria ERNs.

Este es un hecho histórico en el ámbito de la sanidad europea, pues supone la apuesta por una clara estructura de gobierno para el intercambio de conocimientos y la coordinación de la asistencia en toda la Unión Europea (en adelante UE). Se trata de crear estructuras organizativas y científicas comunes para determinadas enfermedades raras que trabajen en red para la puesta en común de conocimiento, proyectar la investigación multidisciplinar común y formar un mallado de centros especializados, prestadores de asistencia y laboratorios organizados a nivel transfronterizo. Su creación presenta un claro valor añadido para la UE, contribuyendo a facilitar el cumplimiento de los objetivos de una asistencia sanitaria de calidad, asequible y con una

1 Un análisis reciente de estos y otros problemas desde el ámbito científico puede consultarse en el monográfico dedicado a las enfermedades raras, de la Revista EIDON, Revista española de Bioética, junio de 2017, en línea en <http://revistaeidon.es/> (rescatada el 24 de julio de 2017).

2 Este estudio completa y actualiza el análisis realizado en “Cooperación transfronteriza en la investigación, diagnóstico y tratamiento de las enfermedades raras: las redes europeas de referencia como sistema de gobernanza en materia de salud”, en Dir. CANTERO MARTÍNEZ, J., *La liberalización de la asistencia sanitaria transfronteriza en Europa. Retos y desafíos para el SNS*, Aranzadi, Madrid, 2017.

buena relación coste-eficacia a los pacientes cuyas afecciones requieren una concentración de recursos y conocimientos especializados, fundamentalmente para las personas con enfermedades raras, que por su baja prevalencia sufren especialmente la escasez de aquel conocimiento, la inexperiencia o la inequidad en el acceso a la asistencia. Además, las redes podrían ser también centros de referencia en materia de formación e investigación, evaluación y difusión de información. El objetivo último es mejorar la prestación de servicios, los sistemas de trabajo, las vías de acceso a la asistencia, los instrumentos clínicos y la aplicación más precoz de las pruebas científicas y la investigación biomédica.

Por ello, la política de ERN supone un avance de envergadura en el ámbito de la cooperación en la asistencia sanitaria entre Estados, importante en los últimos años, como refleja el avance conjunto en áreas específicas de conocimiento, como ensayos clínicos, formación o actividades de investigación³. Para complementar estas acciones, la UE ha financiado algunas redes a través de los programas de Salud e Investigación o ha apoyado la política de medicamentos huérfanos⁴. Como ejemplo más cercano, en 2013 y en el marco del Tercer Programa de Salud UE, la Comisión lanzó una convocatoria para dos redes piloto adicionales, una para el cáncer infantil y otra para las enfermedades neurológicas complejas⁵.

3 Destacan el apoyo comunitario a la red de referencia de la plataforma de colaboración «OrphanPlatform» (en relación con la información sobre medicamentos huérfanos). Y sobre todo el proyecto ERA-NET, que pretende coordinar los programas nacionales de investigación sobre enfermedades raras a fin de superar algunas de las limitaciones impuestas por la dispersa financiación y la fragmentación entre los programas nacionales. Dentro del mismo, E-Rare es una red constituida por nueve Estados miembros donde instituciones públicas, organizaciones gestoras de proyectos, responsables del desarrollo de programas nacionales y regionales sentaron las bases de una cooperación continua en el tiempo para superar la segmentación de la investigación específica. Sobre otros ensayos de cooperación con algunos ejemplos significativos, BERZI, M. y DURÁ GUIMERA, A., «La gobernanza de la cooperación transfronteriza sanitaria en la UE: un estado de la cuestión y el caso de estudio del Hospital de la Cerdanya», en línea, <http://www.aecpa.es/uploads/files/modules/congress/12/papers/1186.pdf>.

4 Para un análisis específico de estas cuestiones me remito a los trabajos de BOMBILLAR SAEZ, F., «El acceso al medicamento de los pacientes con enfermedades raras y la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud», en PÉREZ GÁLVEZ, J.F., *Reconstrucción y gestión del sistema de salud*, Comares, Granada, 2015, pp. 219 y ss.; BARRANCO VELA, R., «El estatuto jurídico de los medicamentos huérfanos en la Unión Europea: el derecho a la salud de los pacientes con enfermedades raras», en el colectivo dirigido por este autor *El acceso al medicamento. Retos jurídicos actuales, intervención pública y su vinculación al derecho a la salud*, Comares, Granada, 2010.

5 http://ec.europa.eu/health/ern/projects_en.

El proyecto ERN va más allá, al perseguir una acción de dimensión global que fomente la puesta en común, el intercambio y movilidad de conocimientos y experiencia de los profesionales a través de las fronteras en el complejo espectro de las enfermedades raras o especialmente complejas.

Por ello, este mecanismo se ha convertido en el paradigma del principio de cooperación sanitaria a escala a europea, como recientemente postulaba el documento de conclusiones del Consejo “sobre fomento de la cooperación voluntaria entre sistemas sanitarios”, de 9 de junio de 2017⁶. En este se incide en el valor añadido para pacientes y profesionales, la mejora de la eficiencia y la disponibilidad de competencias y recursos a nivel europeo que servirá en definitiva para garantizar el equilibrio entre acceso, calidad, asequibilidad y sostenibilidad de los sistemas sanitarios. Por ello se anima a los Estados a desarrollar plenamente las ERN y ayudarles a alcanzar su objetivo último, que es la mejor calidad en el acceso a la asistencia sanitaria. En particular: mediante la difusión de conocimiento y prácticas innovadoras con el cotejo transfronterizo y voluntario de datos y la elaboración de principios comunes de recogida de datos, de conformidad con la nueva legislación europea de protección de datos; valorando la disposición y capacidad para desempeñar un papel en la formación altamente especializada y el desarrollo profesional continuo, a través de intercambio de aprendizaje y la formación electrónicos para reforzar la capacitación profesional y desarrollar conocimientos y experiencia; en tercer lugar, se invita a la reflexión para encontrar estímulos a la investigación innovadora y puesta en común datos comparables y fiables a partir de registros de pacientes interoperables.

En esta línea, es también destacable la Declaración de EURORDIS sobre Enfermedades Raras⁷, presentada en la Conferencia sobre Desarrollo y Acceso a los Medicamentos en el ámbito de las Enfermedades Raras durante la Presidencia maltesa de la UE en el primer semestre de 2017. EURORDIS⁸ ha

6 <http://www.consilium.europa.eu/es/meetings/epco/2017/06/16/>, rescatado el 24 de julio de 2017

7 Declaration on rare diseases launched at conference held by Maltese Presidency of the EU Council, 21 de marzo 2017, http://download.eurordis.org.s3.amazonaws.com/PR_Malta_210317.pdf, rescatado el 24 de julio de 2017

8 EURORDIS-Rare Diseases Europe es una alianza de más de 700 organizaciones de pacientes de más de 60 países que está realizando una importante labor en el ámbito de las ER a escala europea, poniendo en contacto a pacientes, familias y grupos de pacientes, reuniendo a grupos de interés y moviéndolos a la comunidad de enfermedades raras, contribuyendo

presentado una declaración reclamando mecanismos mejorados de cooperación estructurada voluntaria en todos los Estados miembros de la UE para abordar las necesidades no satisfechas de las personas que padecen una enfermedad rara, centrándose en tres áreas estratégicas:

1. Cooperación estructurada en atención sanitaria para garantizar el éxito de las ERN y su plena integración en los sistemas nacionales de salud, trabajando hacia rutas sanitarias centradas en el paciente.
2. Cooperación estructurada en investigación para garantizar el apoyo a largo plazo e integrado para la investigación, conectada entre la UE y la mayoría de los Estados miembros a través de las ERN.
3. Cooperación estructurada para el acceso mejorado de los pacientes a terapias y tecnologías innovadoras para consolidar iniciativas actuales, como continuación al documento de reflexión de la organización “*Breaking the Access Deadlock to Leave No One Behind*”.

Sin embargo, son todavía muchos los interrogantes sobre la implementación de esta innovadora estructura cooperativa en red. El complejo procedimiento arbitrado desde el ámbito comunitario y la restrictiva transposición de la norma europea en el minúsculo art. 21 del Real Decreto 81/2014 por el que se establecen normas para garantizar la asistencia sanitaria transfronteriza, ha dificultado enormemente la concurrencia de alguno de nuestros centros de excelencia en el tratamiento de determinadas enfermedades raras.

La recomendación del Grupo de Expertos europeo sobre enfermedades raras¹⁰ estableció un primer elenco de 21 grupos de patologías para organizar estas redes transnacionales, dejando a cada Estado la regulación del procedimiento para autorizar la vinculación de los centros nacionales que cumplan determinadas características. Entre los criterios establecidos en España el

a definir la investigación, políticas y servicios a los pacientes. <http://www.eurordis.org/es/quienes-somos>, última consulta el 24 de julio de 2017.

9 <http://www.eurordis.org/sites/default/files/reflexion-pa-per.pdf>, rescatado el 24 de julio de 2017.

10 Este Grupo se constituye en el año 2013 y reemplaza al anterior Comité Europeo de Enfermedades Raras (EURO-CERD) de la Comisión Europea (Decisión de la Comisión de 30 de julio de 2013, DO C 219/4, de 31 de julio). Aunque su estructura, funcionamiento y actividades son una continuación clara del anterior Comité.

más significativo es la necesidad de que exista a nivel nacional un Centro, Servicio o Unidad de Referencia (CSUR) del Sistema Nacional de Salud, acreditado de acuerdo al complejo procedimiento previsto en el RD 1302/2006, de 10 de noviembre, vinculado a cada grupo de patologías identificadas. Esta circunstancia, unida al hecho de las rémoras en la designación de centros especializados agudizada en estos años de crisis económica, ha imposibilitado a muchos centros que todavía no gozan de este estatuto administrativo participar de la totalidad de las ventajas de estas redes¹¹. Además, es exigencia comunitaria que para formar parte de estas estructuras europeas exista una red asistencial de trabajo coordinado entre los diferentes recursos asistenciales que garanticen el tratamiento oportuno. Sin embargo, nuestro SNS no contempla en su normativa la coordinación entre CSUR de un mismo grupo de patologías ubicados en diferentes Comunidades Autónomas, ni entre servicios asistenciales y sociales, ni en los servicios de atención primaria y especializada¹². Por tanto, será necesario revisar los criterios europeos y la normativa y práctica nacional si queremos incorporarnos plenamente a este modelo de gobernanza comunitaria que puede ser la clave para el futuro de la investigación en estas patologías. Este es el objeto del estudio que nos proponemos.

2. LOS PILARES NORMATIVOS DE UNA POLÍTICA EUROPEA COMÚN DE ENFERMEDADES RARAS: SUBSIDIARIEDAD, PROPORCIONALIDAD Y EQUIDAD

Como es sabido, el ámbito de la salud es competencia fundamental de los Estados miembros. El

11 Sobre esta situación me remito a mi estudio «Hacia una construcción del derecho a la salud como contenido del derecho fundamental a una vida digna y de calidad: el “mínimo vital” como límite de la sostenibilidad económica. (A propósito de la Sentencia de 12 de abril de 2013 del Tribunal Superior de Justicia de Galicia sobre denegación de tratamiento en enfermedad rara)», en el colectivo *Libro Homenaje al Profesor Barranco Vela, Vol. II*, Civitas-Thomson Reuters, Navarra, 2014, pp. 1555 y ss.

12 Estas circunstancias han sido puestas de relieve reiteradamente por FEDER (Federación Española de Enfermedades Raras), quien está participando activamente en el proyecto europeo ERN, a través de EURORDIS (Federación de Asociaciones de Enfermedades Raras a nivel europeo) y es interlocutor con nuestras autoridades sanitarias <http://www.enfermedades-raras.org/index.php/slider-home/5433-espa%C3%B1a-quedar%C3%A1-fuera-de-las-redes-europeas-de-referencia-si-no-se-toman-las-medidas-necesarias>. Agradezco especialmente a Alba Ancochea, directora de FEDER, la facilitación de su ponencia «Redes europeas de Referencia: Presente y futuro», con los últimos datos disponibles, en el IX Congreso Internacional de Enfermedades Raras, Murcia, 18 de noviembre de 2016.

cometido de la Unión Europea, de conformidad con los Tratados (art.168 TFUE), es emprender acciones complementarias para aportar un valor añadido europeo a las nacionales, de modo principal en las amenazas comunes para la salud pública, en cuestiones con repercusiones transfronterizas o internacionales y en las relativas a la libre circulación de bienes, servicios y personas. En un marco estratégico único, las políticas sanitarias europeas han pretendido ir asumiendo el reto de afrontar a escala transnacional los problemas más acuciantes en materia de salud, con algunos logros importantes, como la definición de un decálogo de valores sanitarios compartidos¹³, pero todavía muchos déficits y subsisten enormes desigualdades a nivel europeo.

La primera medida común en el ámbito europeo específicamente referida a las enfermedades raras es el programa de acción comunitario sobre las enfermedades poco comunes de 1999. En este documento del Parlamento y del Consejo se consensua la proporción a nivel europeo para la consideración de la baja prevalencia cuando afecta a menos de 5 de cada diez mil personas en la Unión y se establece la hoja de ruta para la atención a estas patologías¹⁴. Lo cierto es que el interés por estas enfermedades es un fenómeno relativamente nuevo en la mayor parte de los Estados miembros de la UE. Desde un desenfocado punto de mira, las autoridades sanitarias y políticas han desatendido en gran parte el problema, al fragmentarse el debate entre la multitud de patologías en vez de reconocer y afrontar las contingencias comunes a todas ellas. De tal modo que hoy encontramos una tipología de enfermedades «huérfanas» del interés de la investigación, del mercado, de las políticas de sanidad pública e invisibles en los sistemas de información sanitaria. En este sentido, la existencia y calidad de los servicios asistenciales de diagnóstico, tratamiento y rehabilitación de los afectados difieren enormemente entre los países. Creando situaciones de desigualdad francamente incompatibles con un modelo sanitario de solidaridad que debe tender a la universalidad, la equidad y la calidad, al menos como valores que afectan al prístino sentido de la vida y la dignidad humana.

Entre los problemas más acuciantes y recurrentes, tres son de especial interés al objeto de nuestro análisis: las carencias en la necesaria atención integral y multidisciplinar, la dispersión geográfica y reducido número de afectados a los efectos de asistencia y los problemas asociados a las escasas y costosas oportunidades de tratamiento y desarrollo de terapias, tratamiento farmacológico e investigación. Respecto al primero, es una característica intrínseca a la mayoría de enfermedades raras la afectación a varios órganos o sistemas, por lo que la atención debe plantearse en un contexto global en el que participen desde los niveles de atención primaria, a las especialidades médicas que entienden de los problemas clínicos específicos, pasando por la enfermería y fisioterapia y en la mayoría de los casos, los servicios sociales y el apoyo psicológico. Una acción concertada y coordinada resulta esencial para evaluar y atender la complejidad del enfermo.

Respecto a la dispersión, la solución óptima pasa por establecer medios de información y comunicación coordinados e interoperables que solucionen los problemas de la población afectada independientemente de su lugar de nacimiento o residencia. La creación de centros de referencia a nivel estatal y europeo puede ayudar a solventar esta dificultad añadida, no sólo para la atención especializada, sino para el registro e investigación. En fin, las opciones terapéuticas suelen ser poco eficaces, costosas y escasas, por lo que el desarrollo de nuevas terapias y fármacos requiere esfuerzos añadidos que hagan atractiva la investigación y el desarrollo de medicamentos huérfanos (incluyendo fármacos, terapia génica, terapia celular) orientados expresamente a su tratamiento. Sin embargo, las dificultades para cualquier avance en este sentido pasan por la obtención de evidencia científica suficiente sobre la efectividad y la seguridad de los tratamientos químicos o terapéuticos. Si de ensayos clínicos hablamos, las complicaciones se multiplican: disponibilidad e interés por parte de investigadores clínicos, financiación y, sobre todo, reclutamiento de pacientes con diagnóstico correcto y en número adecuado¹⁵.

13 Conclusiones del Consejo de 22 de junio de 2006 sobre los valores y principios comunes de los sistemas sanitarios de la Unión Europea (DO 2006/C, 146/01, de 22 de junio).

14 Programa de acción sobre las enfermedades poco comunes (1999-2003): Decisión nº 1295/99/CE, del Parlamento Europeo y del Consejo de 29 de abril de 1999 (DO L 155, de 22 de junio). Este programa se sustituirá por la Recomendación del Consejo, de 8 de junio de 2009, relativa a una acción en el ámbito de las enfermedades raras (DO C 151, de 3 de julio de 2009).

15 Un análisis en detalle de esta problemática en «Estrategia de Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud», aprobada por el Consejo Interterritorial de Salud, 3 de junio de 2009, Ministerio de Sanidad. La Estrategia ha sido actualizada en junio de 2014. Documentos on line (última consulta, 23 julio 2017): <http://www.msc.es/organizacion/sns/planCalidadSNS/docs/enfermedadesRaras.pdf> y http://www.msc.es/organizacion/sns/planCalidadSNS/pdf/Estrategia_Enfermedades_Raras_SNS_2014.pdf.

La legitimidad de la acción comunitaria en el ámbito de las ER resulta evidente en una lógica combinación del principio de subsidiariedad y la base jurídica que proporciona el art. 168 TFUE: «Al definirse y ejecutarse todas las políticas y acciones de la Unión se garantizará un alto nivel de protección de la salud humana. La acción de la Unión, que complementará las políticas nacionales, se encaminará a mejorar la salud pública, prevenir las enfermedades humanas y evitar las fuentes de peligro para la salud física y psíquica».

No sólo eso, es evidente que una estrategia comunitaria tiene mucho que ver con la aplicación de valores europeos de más amplio espectro, como la lucha contra la discriminación (también por motivos de salud o discapacidad) y la protección de los derechos humanos. Y en tal sentido, por las mismas especificidades de las ER –número limitado de pacientes, escasez de conocimientos y de experiencia, recursos limitados– se convierten en un ámbito con un alto valor añadido a escala europea. Un planteamiento común y coordinado puede convertir los distintos enfoques y actuaciones nacionales, por fuerza sesgados y limitados, en factor de eficacia y rentabilidad mutua. En el ámbito de la investigación el interés resulta particularmente atractivo, pues sólo la colaboración entre equipos pluridisciplinarios y el acceso a datos y material biológico procedente de todos los países miembros pueden dar como resultado un tamaño adecuado para las muestras, su análisis y comparación. Por ello, la creación de infraestructuras compartidas propiciadas por el nuevo sino de las tecnologías en red debe entenderse como una prioridad en el ámbito de la salud pública para este tipo de patologías¹⁶. Esta será una de las claves para el desarrollo futuro de las ERN, como se ha señalado en la Tercera conferencia ERN de Vilnius, de 9-10 de marzo, durante el semestre de la Presidencia maltesa y a la que nos referiremos posteriormente en más detalle por su especial interés.

Tampoco podemos olvidar que, aunque «raros o poco frecuentes», los enfermos afectados deben poder disfrutar de los mismos derechos a la prevención, el diagnóstico y el tratamiento que cualquier otro paciente. Por ello, el desarrollo de la colaboración europea en la asistencia sanitaria conllevará importantes

ventajas: fomentando el intercambio de experiencias entre los profesionales especializados en ER; mejorando el acceso a los tratamientos que requieran una concentración de medios (en infraestructuras o conocimiento) o una experiencia particular; la compartición de recursos redundará en mayor esperanza de calidad de vida y manejo de la enfermedad para los pacientes; una mayor eficacia coste-beneficio al concentrarse los recursos y evitar duplicidades; y puede convertirse en modelo de referencia para el establecimiento y difusión de prácticas adecuadas a nivel europeo.

Son estos, entre otros factores que iremos analizando a continuación, los que legitiman sobradamente una acción comunitaria sobre las enfermedades raras. Y así se ha entendido por las instituciones europeas desde el año 1999, cuando es aprobado el primer Programa de acción comunitario sobre las enfermedades poco comunes. Desde este primer ideario político se ha ido generando progresivamente un importante arsenal de medidas hasta llegar al reconocimiento jurídico de las necesidades específicas de los pacientes de enfermedades raras en la Directiva 2011/24/UE sobre los derechos de los pacientes a una sanidad transfronteriza¹⁷. Logro de gran calado pues esta norma proporcionará una base legislativa robusta para poner en marcha las acciones previstas y poder justificar el gasto de la Unión Europea en el campo de las ER como parte del Cuarto Programa de Salud Pública de la UE. En este sentido, los avances que se han producido en el último año pueden calificarse sencillamente como espectaculares para la creación de un marco común sobre las enfermedades raras desde la concepción holística, amplia y operativa que reclama la sanidad del siglo XXI.

El difícil recorrido de las políticas sanitarias a nivel europeo específicamente centradas en las enfermedades raras, desde sus orígenes como objetivo de salud específico en la citada Recomendación del Consejo de 1999, ha estado marcado por algunos hitos importantes¹⁸. Sin duda uno de los más destacables es

17 Un estudio de los principales contenidos de esta norma en CANTERO MARTINEZ, J., “La creación del nuevo derecho a la libre opción sanitaria transfronteriza. Desafíos de la liberalización en nuestro modelo público sanitario”, en Dir. CANTERO MARTINEZ, J., *La liberalización de la asistencia sanitaria transfronteriza en Europa. Retos y desafíos para el SNS*, Aranzadi, Madrid, 2017.

18 Un análisis detenido de esta evolución en GARRIDO CUENCA, N., «La estrategia europea de enfermedades raras: desafíos y oportunidades de una acción sostenible global», en *Derecho y Salud en la Unión Europea*, dir. PÉREZ GÁLVEZ, J.F., Y BARRANCO VELA, R., Comares, Granada, 2013, pp. 241 y ss.

16 Sobre estos extremos resulta ilustrativo el reciente estudio colectivo «Ética en la investigación de las enfermedades raras», dirs. CARMEN AYUSO, RAFAEL DAL-RÉ, Y FRANCESC PALAU, ERGON, CIBERER, 2016, en línea en <http://www.ciberer.es/media/602599/%C3%A9tica-en-la-investigacion-de-las-enfermedades-raras.pdf>.

la Comunicación de la Comisión «Las enfermedades raras: un reto para Europa», de 11 de noviembre de 2008 (COM 2008, 679 final) que plantea como ejes de acción que se suman o completan los anteriores:

- Mejora del reconocimiento y la visibilidad a escala europea de las ER, propiciando la creación de un marco coherente de identificación común compartida de ER.
- Apoyo a los primeros planes nacionales de acción intersectorial en estas patologías (Estrategias Nacionales de ER).
- Cooperación y coordinación: reagrupar los limitados recursos y establecer objetivos comunes frente a la fragmentación del conocimiento en los Estados. La ejecución de esta acción supondrá la puesta en red de los distintos centros de referencia sobre las enfermedades raras aprovechando las nuevas tecnologías y el recién inaugurado programa europeo «Salud en línea», posibilitando el contacto a nivel pacientes/facultativos entre los Estados.
- Canalización de la información, compartiendo a escala europea la información existente y propiciando mecanismos de colaboración en la investigación pluridisciplinar para la puesta a punto de métodos preventivos y terapéuticos a nivel europeo. Tiene como resultado la incentivación financiera y profesional de ORPHANET, como base europea para la identificación, conocimiento y diagnóstico de un conjunto amplio de ER¹⁹.
- La propuesta de complementar las políticas sanitarias con las relativas a la investigación en el ámbito europeo, comunión de especial importancia para el avance en materia de ER, se refleja en la incorporación de los aspectos generales en los programas marco común de investigación (I+D), proponiéndose la inclusión de un incentivo suplementario para el desarrollo de medicamentos huérfanos.

La preparación y ejecución de actividades a nivel europeo en este ámbito pronto reflejó la necesidad de establecer una infraestructura permanente multidisciplinar, técnica, científica y administrativa que sirviera de referente y actuara como estructura orgánica de cooperación con los órganos especializados de los Estados miembros y el resto de sectores interesados

¹⁹ <http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php?lng=ES>.

en esta política. Así, cuando las ER son consideradas como un ámbito de acción prioritario en el marco global de actuación sanitaria a escala europea, es constituido un específico Grupo de trabajo de la UE sobre ER, que se creará sobre la Decisión 2004/192/CE, de la Comisión, de 25 de febrero, por la que se adopta el plan de trabajo de 2004 para la aplicación del II Programa de acción comunitario en el ámbito de la salud pública (2003/2008). Sin embargo, la ampliación de la acción europea y la institucionalización progresiva de una auténtica política sobre ER recomendó tempranamente la asistencia de un Comité consultivo de funciones mucho más amplias y pluridisciplinarias, tal como había evolucionado la actuación europea en este campo. Así, en desarrollo de la Comunicación de la Comisión COM (2008) 679 final sobre las ER (Punto 7), es promulgada la Decisión de la Comisión de 30 de noviembre de 2009 que crea un Comité de Expertos de la Unión Europea en ER (EUCERD), en la idea de establecer un marco común que canalice las consultas con los órganos y partes interesadas de los Estados, con los gestores de los proyectos de investigación a escala europea y el resto de actores sanitarios con competencias y acciones sobre la materia.

Bien puede decirse que la constitución de este Comité es la primera acción visible para la europeización de las enfermedades raras. Sobre la base de la necesidad de cooperación y coordinación, tendrá dos funciones esenciales: asistir a la Comisión en la elaboración y ejecución de actividades europeas, fundamentalmente mediante el seguimiento, la evaluación y la divulgación de resultados estatales y comunes; y, en segundo lugar, constituirse en órgano común de fomento de intercambio de información, experiencias, políticas y prácticas entre los Estados y los agentes implicados (órganos especializados, gestores de proyectos, asociaciones de pacientes). Por ello, su composición refleja el carácter plural y complejo que deriva de la nueva concepción holística de la política de ER: representantes gubernamentales, organizaciones de pacientes, representantes de la industria farmacéutica; proyectos comunitarios (Salud, I+D); un representante del Centro Europeo para prevención y control de Enfermedades, como miembros natos. Facilitando la participación como observadores de representantes de organizaciones internacionales y profesionales y otras asociaciones activas implicadas en ER. Sin embargo, se observa un importante déficit en la composición de este Comité, al que se aparta sin mayor motivación de las cuestiones relacionadas con los medicamentos huérfanos –pese a ser uno de los pilares esenciales de la política global de ER– y de los Comités farmacéutico y de Medicamentos Huérfanos.

Tras la nueva normativa europea sobre comitología aprobada en 2010, y justo cuando finalizaba su mandato el Comité, este ha sido sustituido por el importante Grupo de Expertos en Enfermedades Raras de la Comisión Europea (CEG-RD) creado en 2013 con un mandato de tres años y que reemplazaría al EUCERD. En su composición actual están representados los 28 Estados Miembros de la UE, Islandia, Noruega, Suiza, la Comisión, el Comité de Medicamentos Huérfanos de la EMA, industria y academia, además de ocho expertos y ocho defensores de pacientes, siendo estos últimos de organizaciones miembros de EURORDIS (que a su vez conforman el Grupo de Acción para la Política de EURORDIS (PAG)). Su papel será trascendental en el proceso de implementación de las Redes Europeas de Referencia.

Otro hito de la mayor relevancia ha sido la constitución del Consorcio Internacional de ER, importante iniciativa estructural de la Comisión Europea, centrado fundamentalmente en la investigación. El conocido bajo las siglas IRDiRC²⁰ es una ambiciosa actuación a escala internacional para aunar recursos y armonizar políticas que aceleren la investigación. El Consorcio es puesto en marcha en abril de 2011 tras una iniciativa de la Comisión europea y el Instituto Nacional de Salud de EEUU. Reúne a agencias reguladoras, investigadores, representantes de grupos de pacientes, miembros de la industria farmacéutica y profesionales sanitarios. Sus dos objetivos principales son proporcionar 200 nuevas terapias para las enfermedades raras y herramientas de diagnóstico para la hasta 8.000 enfermedades raras, con un horizonte temporal previsto para el año 2020.

El IRDiRC será un marco científico y político que guiará las actividades de investigación y promoverá la colaboración entre las partes interesadas para explorar sistemáticamente las oportunidades de cara a acelerar el desarrollo de diagnósticos y terapias para las enfermedades raras. El Consorcio asegurará que todo el trabajo se comparta de una manera justa entre los países y evitará la financiación solapada. El soporte económico de la investigación seguirá siendo facultad de las agencias de financiación públicas o privadas, destinando únicamente sus recursos propios a la coordinación. Cada investigador tiene la libertad de entrar a formar parte del Consorcio siempre que su programa de investigación adopte los objetivos generales y políticas del Consorcio y contribuya con al menos 10 millones de euros en 5 años.

Al día de hoy, las agencias gubernamentales de financiación que se han unido oficialmente al Consorcio son: la Comisión europea, el Instituto Nacional para la Salud (EEUU), el Instituto canadiense de Investigación Sanitaria (Canadá), la Agencia Nacional de Investigación INSERM (Francia), el Ministerio Federal de Educación e Investigación (Alemania), el Instituto Nacional de Salud Carlos III (España), la Organización de Investigación y Desarrollo Sanitario (Holanda), el Instituto Nacional de Investigación Sanitaria (RU). Sus principales actividades se centran en avanzar en la armonización del acceso a muestras y datos clínicos, cumplir con la caracterización clínica y molecular de las enfermedades raras, dar un empuje a la investigación traslacional, preclínica y clínica, y conseguir que los procesos éticos y reguladores sean más eficientes.

En este marco de actuación en red y necesaria cooperación han sido impulsadas y desarrolladas por la Comisión varias acciones de interés comunitario, como la Orphanet Joint Action y EUCERD, a las que ya nos hemos referido. En septiembre de 2015 es lanzada una nueva acción común, RD-ACTION²¹, a través de la Dirección General de Sanidad. En ella participan todos los Estados miembros al objeto de alcanzar tres objetivos principales: contribuir a la aplicación, por parte de los Estados Miembros, de las recomendaciones del Grupo de la Comisión Europea en relación con las políticas sobre las enfermedades poco frecuentes; apoyar el desarrollo de Orphanet y hacerlo sostenible, y, finalmente, ayudar a los Estados en la introducción del código de Orphanet en sus sistemas de salud para que las enfermedades raras sean visibles e identificables. Con un presupuesto global de 8.344.079 de Euros, este proyecto tendrá una duración de tres años. Esta acción está coordinada por Orphanet (INSERM), y está compuesta por 63 participantes europeos y no europeos. Plataforma de acción diseñada con el espíritu de la integración y la coherencia entre los datos producidos por Orphanet, destaca en sus análisis expertos para orientar la producción, explotación y difusión de datos que han servido a las instituciones comunitarias en su acción y recomendaciones políticas. Su aportación en el proyecto ERN está siendo trascendental. En 2015 lanza un proceso informal on line que denominó «*Coordination of Rare Disease ERNs: the view from the "Matchmaker"*» cuyo objeto era facilitar el debate y la colaboración entre expertos que aspiraran a unirse a las redes europeas de referencia. Con esta herramienta se pretendía facilitar a grupos de

²⁰ <http://www.irdirc.org/member-funded-research/research-projects/>.

²¹ <http://www.rd-action.eu/workpackage/workpackage-1/>

investigación y prestadores de asistencia la búsqueda de alianzas entre otros profesionales o consorcios con interés en participar en el proyecto ERNs en el mismo grupo temático del campo de la enfermedad y viceversa, la colaboración entre especialistas y una mayor transparencia. La experiencia y los resultados fueron clave en la configuración final de las redes de referencia aprobadas en diciembre de 2016²².

3. CONSOLIDACIÓN DE LA POLÍTICA EUROPEA COMÚN DE ER EN LA DIRECTIVA SOBRE DERECHOS DE LOS PACIENTES A LA ASISTENCIA TRANSFRONTERIZA. EN PARTICULAR, EL MARCO NORMATIVO PARA EL DESARROLLO DE LOS CENTROS DE REFERENCIA EUROPEOS

Analizadas en síntesis la pluralidad de políticas y normativas específicamente referidas a las ER, y conscientes de los importantes logros que ha supuesto en el ámbito comunitario y a nivel de los Estados miembros una política reciente que, por lo menos, ha sacado a la luz pública la existencia de este tipo de patologías y su problemática común, lo cierto es que las recomendaciones europeas no habían recibido todavía un espaldarazo normativo sólido que supusiera el establecimiento de un marco legal realmente vinculante en la Europa de los veintiocho.

Este paso definitivo lo ha dado definitivamente la Directiva 2011/24/UE, de 9 de marzo, sobre los derechos de los pacientes a la sanidad transfronteriza, norma que ha pasado un auténtico calvario hasta su aprobación, sometida a numerosos debates y modificada en múltiples ocasiones desde el primer proyecto que databa de 2008. Aunque no se trata de una norma específicamente prevista para las ER, lo cierto es que cuenta con significativas previsiones pensadas de forma particular para estas patologías. Y lo fundamental, contempla expresamente las ER en uno de sus preceptos y varios de ellos hacen referencia concreta a los mecanismos que pueden facilitar la asistencia transfronteriza a los afectados, reconociendo sus derechos y buscando la eliminación de obstáculos para el tratamiento especializado o el diagnóstico correcto. Aunque quizás el extremo más relevante es el compromiso de apoyo de la Comisión en la garantía del derecho de información sanitaria en todo el ámbito comunitario, con una regulación exhaustiva

de las Redes Europeas de Referencia, como centros especializados en el tratamiento de patologías poco frecuentes que transforman su estela meramente local o nacional para convertirse en organismos de carácter sanitario a nivel europeo. Junto a la clarificación y simplificación de reglas o procedimientos y la regulación del derecho al reembolso de gastos médicos y de la autorización de tratamiento transnacional, podemos afirmar que esta norma supone una base legislativa de empaque para justificar el gasto sanitario dedicado a las ER que se ha contemplado en los dos últimos Programas de Salud de la UE.

Efectivamente, la Directiva ya se refiere expresamente a las ER en su Preámbulo (apartado 55), para definir las como aquellas «que tienen un límite de prevalencia de no más de cinco casos por cada 10 000 personas, de acuerdo con el Reglamento (CE) 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de diciembre de 1999, sobre medicamentos huérfanos y todas ellas son graves, crónicas y con frecuencia ponen en peligro la vida». Para recordarnos seguidamente que, «algunos pacientes afectados por enfermedades raras, en su búsqueda de un diagnóstico y de un tratamiento para mejorar su esperanza y calidad de vida, afrontan dificultades que fueron reconocidas por la Recomendación del Consejo, de 8 de junio de 2009, relativa a una acción en el ámbito de las enfermedades raras». Por ello, el art. 13, titulado justamente «Enfermedades Raras», establece el apoyo de la Comisión a los Estados miembros cooperando en el desarrollo de capacidades de diagnóstico y tratamiento, y en particular procurando:

«a) concienciar a los profesionales sanitarios de las herramientas a su disposición a escala de la Unión para ayudarles a diagnosticar correctamente las enfermedades raras, en particular, la base de datos Orphanet y las redes europeas de referencia;

b) concienciar a los pacientes, los profesionales sanitarios y los financiadores de la asistencia sanitaria de las posibilidades ofrecidas por el Reglamento (CE) 883/2004 para la remisión de los pacientes con enfermedades raras a otros Estados miembros, incluso para el diagnóstico y para tratamientos que no estén disponibles en el Estado miembro de afiliación».

De no menor trascendencia es la completa regulación de las redes europeas de referencia, donde la Comisión se compromete a su incentivación a nivel nacional y a su desarrollo continuado entre

²² <http://www.rd-action.eu/wp-content/uploads/2015/12/RD-ACTION-ERN-Matchmaker-Summary-Final.pdf>, última consulta el 19 de julio de 2017

los prestadores de asistencia sanitaria y los centros de referencia de los Estados miembros. Significativo es el argumento ofrecido por la misma norma para justificar esta política comunitaria: «Las redes europeas de referencia pueden mejorar el acceso al diagnóstico y la prestación de una asistencia sanitaria de gran calidad a todos los pacientes cuyas dolencias requieran una especial concentración de recursos o conocimientos especializados, y podrían convertirse, asimismo, en puntos focales para la formación y la investigación médicas y para la difusión de información y la evaluación, especialmente en el caso de enfermedades raras».

El art. 12 de la Directiva regula las Redes Europeas, resaltando la participación voluntaria de sus miembros y su carácter abierto y dinámico, siempre que se cumplan los criterios y condiciones específicos exigidos a los prestadores de asistencia sanitaria que deseen ingresar en las redes europeas de referencia y que, remitiéndose al desarrollo normativo concreto por parte de la Comisión, deberán garantizar que las redes: i) dispongan de los conocimientos y la experiencia necesarios para diagnosticar, hacer el seguimiento y gestionar a los pacientes, con pruebas que demuestren unos buenos resultados en lo que les sea aplicable, ii) sigan un enfoque multidisciplinar, iii) ofrezcan un alto nivel de experiencia y dispongan de la capacidad necesaria para elaborar guías sobre buenas prácticas, aplicar medidas basadas en resultados y llevar a cabo un control de calidad, iv) contribuyan a la investigación, v) organicen actividades de docencia y formación, y vi) colaboren estrechamente con otros centros de conocimiento y redes nacionales e internacionales.

El apartado 2 de este precepto establece que las redes de referencia deben tener entre sus objetivos un mínimo de tres de los expresamente previstos normativamente, y que son:

- a) contribuir a aprovechar el potencial de la cooperación europea en materia de asistencia sanitaria sumamente especializada para los pacientes y los sistemas de asistencia sanitaria, haciendo uso de las innovaciones en la ciencia médica y las tecnologías sanitarias;
- b) favorecer la puesta en común de conocimientos referentes a la prevención de enfermedades;
- c) mejorar los diagnósticos y a prestar una atención sanitaria de gran calidad, accesible y coste-efectiva a todos los pacientes con afecciones que

requieran una particular concentración de experiencia en campos médicos en los que el conocimiento sea escaso;

d) rentabilizar al máximo los recursos concentrándolos donde sea oportuno;

e) reforzar la investigación, la vigilancia epidemiológica mediante, por ejemplo, registros, y a proporcionar formación a los profesionales de la sanidad;

f) favorecer la movilidad del conocimiento y la experiencia, virtual o físicamente, y a producir, compartir y difundir información, conocimiento y buenas prácticas, así como a promover progresos en el diagnóstico y el tratamiento de las enfermedades raras, dentro y fuera de las redes;

g) alentar el desarrollo de patrones de referencia en materia de calidad y seguridad y contribuir a desarrollar y difundir las mejores prácticas dentro y fuera de la red;

h) ayudar a los Estados miembros con un número insuficiente de pacientes con una afección concreta o que carezcan de tecnología o de experiencia a prestar unos servicios altamente especializados de gran calidad.

Para la implementación de la Directiva, se encomienda a la Comisión el desarrollo normativo de las condiciones específicas que se requerirán a las ERN y los criterios exigidos a los prestadores de asistencia sanitaria que deseen integrarse en una de ellas, así como los criterios de creación y evaluación. La forma jurídica exigida para este desarrollo será la de actos delegados en el primer caso y la decisión de ejecución en el segundo.

En fin, se incita a los Estados miembros a facilitar el desarrollo de las redes europeas de referencia de dos modos: conectando a los prestadores de asistencia sanitaria con los centros de referencia adecuados en todo su territorio nacional y garantizando la difusión de información; y fomentando la participación de los prestadores de asistencia sanitaria y de los centros de referencia en las redes europeas (art. 12.3).

El plazo de transposición de esta Directiva se fijó el 25 de octubre de 2013, por lo que habría que esperar al desarrollo concreto de las medidas arbitradas a nivel europeo para confirmar el éxito de una

auténtica actuación comunitaria de efectos multilaterales que sin lugar a dudas resultaría altamente beneficiosa para la puesta en común del conocimiento y los medios europeos en materia de ER.

4. EL DESARROLLO DE LA DIRECTIVA: LOS ACTOS DELEGADOS DE 2014 SOBRE CRITERIOS Y CONDICIONES PARA LA CREACIÓN DE REDES DE REFERENCIA, Y EVALUACIÓN Y ADMISIÓN DE PRESTADORES DE ASISTENCIA SANITARIA EN LAS REDES EUROPEAS

4.1 Los aspectos jurídicos de los Actos Delegados de 10 de marzo de 2014

En marzo de 2014, con el apoyo unánime de todos los Estados miembros, fue aprobado el marco jurídico necesario para la implementación de las ERN, que requería de la Comisión el desarrollo normativo para su creación y evaluación, así como para el establecimiento de las condiciones exigidas a los prestadores de asistencia sanitaria nacionales que decidieran su incorporación a estas, de acuerdo al procedimiento previsto en el apartado 5 del art. 12 de la Directiva. Sobre esta base se dictarán dos normas complementarias, la Decisión Delegada de la Comisión Europea, de 10 de marzo de 2014, por la que se establecen los criterios y las condiciones que las ERN y los prestadores de asistencia sanitaria que deseen ingresar en las ERN deben cumplir²³ y la Decisión de Ejecución de la Comisión Europea, de la misma fecha, por la que se fijan los criterios para la creación y evaluación de las ERN y de sus miembros, y se facilita el intercambio de información y conocimientos en materia de creación y evaluación de tales redes²⁴.

Ambas normas completan los dictados de la Directiva 2011/24/UE, desarrollando el art. 12, de acuerdo a los principios de subsidiariedad, proporcionalidad y equidad, aclarando los extremos más relevantes que justifican la acción normativa comunitaria.

Respecto al principio de subsidiariedad, en su doble vertiente del criterio de necesidad ante objetivos difícilmente alcanzables por los Estados miembros y

de valor añadido en la dimensión de la acción pretendida, la Comisión considera necesario establecer criterios y procedimientos comunes en la selección de centros especializados (de distinto alcance y eficacia según el Estado) que puedan formar parte de una ERN. En tal sentido, las redes europeas suponen un importante valor añadido a los sistemas nacionales de salud, como mecanismo de cooperación en asistencia sumamente especializada, posibilitando la puesta en común de conocimientos, la mejora del diagnóstico y la asistencia en campos médicos en los que los conocimientos son escasos, y ayudando a los Estados con un número insuficiente de pacientes afectados por una concreta patología a la prestación de la asistencia requerida. Además, contribuyen a mejorar la calidad de la prestación sanitaria, pues las redes europeas pretenden acelerar y amplificar la difusión de las innovaciones en materia de ciencia médica y tecnología sanitarias. En fin, la puesta en común de recursos y conocimientos supone un avance en eficacia y coordinación que reducirá las diferencias en términos de calidad y resultados de la asistencia, particularmente evidente en las enfermedades que requieren una elevada concentración de recursos, conocimiento y pericia. La creación de esta plataforma permanente a nivel de la UE para construir asociaciones de asistencia sanitaria y aprovechar el potencial de sinergias y economías de escala de los centros con experiencia reconocida en enfermedades de baja prevalencia permitirán aumentar exponencialmente la movilidad del conocimiento, mejorar la prestación de servicios, los sistemas de trabajo, los instrumentos clínicos, la eficacia y eficiencia de los sistemas nacionales y la aplicación más precoz de la investigación científica.

Para cumplir el principio de proporcionalidad (de forma que la acción comunitaria no exceda lo necesario para alcanzar objetivos comunes), las normas de desarrollo no tienen por objeto armonizar ninguna disposición legislativa, limitándose a establecer reglas comunes para todos los Estados, pero sin incidencia en los sistemas de salud nacionales, ni obligación de crear nuevas infraestructuras. Por ello, la participación de los centros a nivel estatal es voluntaria y se remite a la legislación nacional el procedimiento de acceso a las redes europeas. Como veremos, en nuestro caso, esta remisión casi en blanco a la potestad normativa interna ha supuesto importantes cortapisas al acceso a la ERN, pues los requisitos finalmente exigibles son excesivamente rigurosos y limitantes, lo que a la postre conduce a crear inequidad entre los prestadores que obedeciendo los requisitos establecidos a nivel europeo no han podido cumplir, sin embargo, la normativa interna.

²³Comisión Europea C (2014) 1408 final, DO L 147, de 17 de mayo.

²⁴Comisión Europea C (2014) 1411 final, DO L 147, de 17 de mayo.

4.2 La Decisión Delegada de la Comisión Europea, de 10 de marzo de 2014, por la que se establecen los criterios y las condiciones que deben cumplir las ERN y los prestadores de asistencia sanitaria para formar parte de una red europea

El objeto de esta Decisión es establecer, por un lado, los criterios y condiciones que deben cumplir las redes y, por otro, los criterios y requisitos exigidos a los prestadores de asistencia sanitaria que deseen incorporarse a una de estas redes. El articulado de la norma es breve, destacando el catálogo de definiciones que concretan los términos de la Directiva, y muy extenso en su Preámbulo y sus dos Anexos, especificando al detalle los contenidos que regula.

Entre la serie de condiciones necesarias para que las redes cumplan los objetivos del art. 12.2 de la Directiva, se establece un listado de criterios relativos a la gobernanza y la coordinación al objeto de garantizar un funcionamiento transparente y eficaz. En esta estructura cada red debe tener un «coordinador» elegido de entre sus miembros (los profesionales de la salud de cada centro candidato) y un «consejo de dirección» compuesto por representantes de cada uno de los miembros que adoptará un reglamento interno y elabora los planes de trabajo e informes de actividades y evaluación de la red. El coordinador preside las reuniones del consejo de dirección, se ocupa de la coordinación interna dentro de la red y con otros prestadores y actúa como representante de aquella.

Los requisitos establecidos en los 6 incisos del art. 12.4.a) de la Directiva se concretan del siguiente modo:

- disponer de la experiencia y los conocimientos necesarios para diagnosticar, hacer el seguimiento y gestionar la calidad y seguridad de la atención a los pacientes, a los que se debe empoderar y responsabilizar con mecanismos de participación que reflejen la calidad de la atención sanitaria;
- deben basarse en un enfoque multidisciplinar, en los equipos asistenciales y en las consultas para casos complejos;
- fomentar conocimientos especializados y apoyar a los prestadores de asistencia sanitaria al objeto de desarrollar orientaciones clínicas y vías transfronterizas para el tratamiento a los pacientes, con capacidad para elaborar guías sobre buenas prácticas, indicadores de resultados y rendimiento y evaluación de la calidad;

- en materia de investigación, identificar y colmar lagunas, promover la investigación colaborativa dentro de la red y reforzar la vigilancia epidemiológica con la creación de registros compartidos;
- estimular el desarrollo de programas formativos y de docencia;
- colaboración con otros centros de conocimiento y redes nacionales e internacionales, creando instrumentos de trabajo en red centrados en la comunicación, el desarrollo de orientaciones clínicas y protocolos e intercambio de información clínica, siempre en el marco de la legislación europea sobre protección de datos.

Respecto a los criterios y condiciones exigidos a los prestadores de asistencia sanitaria se establecen unas condiciones horizontales que deben cumplir todos aquellos que pretendan su incorporación en la red, independientemente de su ámbito de conocimientos o de los procedimientos o tratamientos médicos que apliquen, y una serie de criterios específicos que pueden ser variables en función del ámbito de especialización o de enfermedades concretas. En ambos casos, el detalle y nivel de especialización requerido a los centros es sumamente exquisito y riguroso. En la primera serie de criterios y condiciones horizontales y estructurales, son indispensables los relacionados con la responsabilización de los pacientes y la que se denomina «asistencia sanitaria centrada en el paciente», con la organización, la gestión y la continuidad de las actividades, o las capacidades de investigación y de formación. Además, se especifican todos los relacionados con el intercambio de conocimientos especializados, sistemas de información y herramientas de salud o atención de pacientes en línea, con especial mención a la telemedicina. Por ello la interoperabilidad y la compatibilidad semántica de los sistemas que utilizan las tecnologías de la información y de la comunicación (TIC) deberían facilitar el intercambio de datos médicos y de la información sobre los pacientes y contribuir a la creación y la explotación de bases de datos y de registros compartidos de modo eficiente y seguro, tanto de datos médicos, de pacientes, como de los profesionales. En este sentido, la Decisión prevé la simplificación de los procedimientos relativos al consentimiento informado para el procesamiento de dichos datos proponiendo un modelo único de consentimiento, que se define como «toda manifestación de voluntad, libre, específica, informada y explícita, mediante la que el interesado acepta, ya sea mediante una declaración,

ya sea mediante una acción afirmativa, el intercambio de datos personales y datos sanitarios entre los prestadores de asistencia sanitaria y los miembros de la red europea de referencia». Respecto a los criterios y las condiciones relativos a los conocimientos especializados, la práctica clínica, la calidad, la seguridad de los pacientes y la evaluación deben contribuir a desarrollar y difundir las mejores prácticas en materia de calidad y seguridad de los criterios de referencia. Deberían, asimismo, garantizar la oferta de un alto nivel de conocimientos, elaborar guías de buenas prácticas, aplicar medidas basadas en resultados y control de calidad y seguir un enfoque multidisciplinar.

Finalmente se contempla la posibilidad de que los Estados que no tengan ningún miembro en una red determinada puedan designar prestadores de asistencia que tengan un vínculo especial con ella, mediante un procedimiento explícito y transparente. En este caso, los prestadores podrán ser designados como «centros nacionales asociados» (especializados en la prestación asistencial) o como «centros nacionales de colaboración» (especializados en la producción de conocimiento y mejora de la calidad asistencial). O, en otro caso, se prevé la posibilidad de que los Estados creen una «plataforma nacional de coordinación» con todos los tipos de redes. Sin embargo, en la Decisión que comentamos no se arbitran los concretos procedimientos o exigencias para la implementación de estas posibilidades de cooperación en el marco de las ERN para los Estados. Tampoco se conoce que ningún Estado haya decidido emplear cualquiera de estas fórmulas, por el momento. Aunque esta es una de las propuestas que ha ganado fuerza en la Tercera Conferencia ERN celebrada en Malta el 9 y 10 de marzo de 2017, como mecanismo de solidaridad con los sistemas sanitarios menos desarrollados a nivel europeo.

4.3 La Decisión de Ejecución de la Comisión Europea de 10 de marzo de 2014 por la que se fijan los criterios para la creación y evaluación de las ERN y de sus miembros, y se facilita el intercambio de información y conocimientos en materia de creación y evaluación de tales redes

Establecidos los requisitos de las redes y los prestadores que puedan formar parte de ellas, la Decisión de ejecución establecerá las bases del procedimiento abierto y transparente para la creación de las redes y la admisión de prestadores de asistencia sanitaria en calidad de miembros. El procedimiento

se especifica en el capítulo II de la Decisión. En ella también se regularán el procedimiento de evaluación de las ERN (Capítulo III) y se completa con las reglas básicas sobre el intercambio de información y experiencia acerca de la creación y evaluación de las redes (Capítulo IV).

El *contenido básico de este procedimiento se divide en varias fases*, que analizamos sucintamente a continuación:

1. La convocatoria de manifestaciones de interés: que corresponde a la Comisión en el plazo de 2 años desde la entrada en vigor de la Decisión que comentamos. Al objeto de garantizar que las redes tengan auténtico valor añadido se establece el requisito de un mínimo de 10 prestadores de asistencia sanitaria establecidos en al menos 8 Estados miembros, que podrán responder colectivamente a la propuesta, cuyo contenido se establece en el Anexo I (nombre de la red, impresos cuestionarios y documentación exigida, justificación de que los prestadores comparten el área de especialización, la designación del coordinador y los datos de todos los prestadores). En el caso de que sea difícil alcanzar este mínimo, como puede ocurrir en el caso de algunas enfermedades raras, la norma establece la conveniencia de agrupar en una red temática a los prestadores de asistencia dedicados a afecciones relacionadas, pudiendo incluir también a los proveedores de servicios de alta tecnología que, por lo general, exigen una gran inversión en capital (tales como laboratorios, servicios de radiología o medicina nuclear). Asimismo, se vuelve a insistir en la posibilidad de designar centros nacionales colaboradores y asociados que puedan cooperar en las distintas redes.

2. Requisitos de las solicitudes: deben ir acompañadas de la solicitud de admisión de cada prestador de asistencia con el certificado de la autoridad competente del Estado miembro en que esté establecido de cumplimiento de los requisitos nacionales de acceso a la red y su expreso apoyo.

3. Comprobación por la Comisión de las solicitudes de red y de los prestadores.

4. Informe de valoración técnica por parte de un organismo independiente de estas solicitudes, con arreglo a los criterios de la Decisión Delegada que hemos analizado previamente, que debe realizarse de acuerdo a un manual de valoración

común (art. 13) e incluir una revisión exhaustiva de la documentación requerida y auditorías in situ de un número determinado de los solicitantes. El Informe será comunicado a la Comisión y a cada uno de los prestadores. Estos pueden presentar alegaciones en el plazo de 2 meses y el organismo de valoración debe admitirlas y estudiarlas, pudiendo modificar la decisión inicialmente tomada.

5. La aprobación de redes y de sus miembros se encomienda a un órgano de nueva creación previsto por la norma, denominado «Consejo de Estados miembros», siendo voluntaria la participación de los Estados. Este Consejo establece su reglamento interno, que recogerá el proceso de toma de decisiones, precisará los miembros con derecho a voto en cada red, quórums y el procedimiento en caso de discrepancia con los informes de valoración o solicitudes de admisión²⁵.

6. La publicación de la lista de redes creadas y de sus miembros.

En cualquier caso, y conscientes de las dificultades que este nuevo instrumento de cooperación tan riguroso en requisitos puede suponer para el pleno desenvolvimiento de los objetivos perseguidos, y al objeto de poder ampliar la cobertura de las redes, se prevé la posibilidad de admitir en cualquier momento a nuevos prestadores de asistencia sanitaria que deseen participar en una red ya creada, siguiendo idéntico procedimiento y con aprobación previa del Estado miembro (art. 8). En este caso la Decisión establece un procedimiento similar al de creación *ex novo* de una red, concretando el proceso de valoración técnica de las solicitudes por un organismo independiente, que suponemos debe ser el mismo u otro de idénticas características que el que examina las propuestas de creación de las redes y certifica a los prestadores de asistencia. La aprobación de nuevos miembros corresponde al Consejo de Estados.

El segundo objeto de la Decisión es establecer el *proceso de evaluación periódica de las redes y sus miembros*, que se realizará cada 5 años por un

²⁵ El Consejo de Estados miembros empieza a funcionar el 5 de febrero de 2014 y de él forman parte todos los Estados miembros. Su constitución y la representación española puede consultarse en https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ern_board_members_en.pdf (última consulta el 24 de julio de 2017). La intensa actividad del Consejo se refleja en los manuales de procedimientos, actividades y resoluciones, que se actualizan constantemente en su link específico, dentro de la página de las ERNs, http://ec.europa.eu/health/ern/board_member_states_en.

«organismo de evaluación» designado por la Comisión y que deberá realizar sus actuaciones de acuerdo a un nuevo Manual de evaluación (arts.14 y 15)²⁶. Este órgano debe verificar y evaluar: el cumplimiento de los criterios y condiciones establecidos en la Decisión delegada, de los objetivos de la Directiva y los resultados y el rendimiento de la red, así como la contribución de sus miembros al desarrollo y funcionamiento de la ERN. El Informe de evaluación de la red y de los miembros se remite a la Comisión, al Consejo de Dirección de la Red y a sus miembros, que podrán realizar alegaciones también en el plazo de 2 meses. Comprobados todos estos requisitos, el Consejo de Estados tiene la competencia para verificar la continuidad de la red o, en su caso, su disolución o la pérdida de la condición de miembro. Aunque, dada la trascendencia de esta decisión, se prevé el plazo de un año que se ofrece a la red o al miembro afectado para subsanar las deficiencias detectadas. Este plazo solo se puede ofrecer a una red o un de sus miembros en concreto si el Consejo de Dirección de la red en cuestión ha presentado previamente un plan de mejora.

Principalmente fruto de esta evaluación o si concurren determinadas circunstancias, la norma prevé los supuestos tasados que pueden suponer la disolución de una de las redes creadas o la pérdida del estatus de miembro (arts. 11 y 12). Así, la red debe disolverse en estos casos: si se reduce el número mínimo de prestadores o de Estados miembros requerido por la Decisión; si hay informe de evaluación negativo del Consejo de Estados; si lo decide el Consejo de Dirección de la Red; o si el coordinador de la red no solicita la evaluación en el plazo de 5 años previsto. La pérdida de condición de miembro se puede deber a uno de estos motivos: por retirada voluntaria, por decisión del Consejo de Dirección de la red, si el miembro se negara a ser evaluado, hubiera un informe negativo sobre el miembro o si el Estado donde está establecido notifica el incumplimiento de la legislación nacional referida a la participación en una ERN (en este último caso, con informe motivado que deberá comunicarse a la Comisión).

Finalmente, la Decisión que analizamos contempla la forma en que debe cumplirse el objetivo de *Intercambio de información sobre la creación y*

²⁶ Los Manuales de valoración y evaluación deben basarse en prácticas reconocidas internacionalmente y recoger los principios y metodologías básicos para tal realización (Preámbulo, apartado 12). Estos procedimientos aparecen exhaustivamente recogidos con relevante información complementaria en http://ec.europa.eu/health/ern/implementation/call/more_info_en.

evaluación de redes, uno de los objetivos nucleares de esta política de cooperación. Los mecanismos para hacerlo realidad y que reflejan una concepción rigurosa de transparencia se concretan en su art. 16 y son:

- la puesta a disposición del público de la información general sobre la creación y evaluación de redes, y especialmente la referida a los Manuales de valoración y evaluación;
- la publicación de la lista de redes y sus miembros, que debe actualizarse periódicamente junto con los informes de valoración y evaluación positivos de las redes y las decisiones del Consejo de Estados miembros;
- la organización de conferencias y reuniones de especialistas para el debate técnico y científico entre los miembros de las redes;
- el suministro a las redes de medios y herramientas de comunicación electrónica.

4.4 La primera convocatoria de manifestaciones de interés y la aprobación de las 24 primeras ERN: marzo de 2017.

Tras la publicación de estas normas, el Grupo de Expertos de Enfermedades Raras de la Comisión en colaboración con las estructuras específicas de la *Joint Action RD-Action «Matchmaker» for Rare Diseases ERNs*, decidieron el proceso de implementación de esta acción coordinada. El enfoque fue la creación de 21 Grupos Temáticos²⁷ que agruparan las patologías relacionadas para organizar las ERN.

²⁷ Los Grupos Temáticos finalmente identificados y las manifestaciones de interés de los prestadores de asistencia han sido los siguientes: enfermedades endocrinas raras (71), enfermedades hematológicas raras (65), enfermedades neurológicas raras (61), enfermedades pulmonares raras (61), trastornos epidérmicos raros (56), cáncer pediátrico (54), cáncer en adultos (67), enfermedades metabólicas hereditarias raras (69), enfermedades neuromusculares raras (61), malformaciones y anomalías del desarrollo (37), enfermedades óseas raras (37), enfermedades renales (38), enfermedades vasculares multisistémicas (31), enfermedades oculares raras (30), enfermedades urogenitales raras (29), anomalías craneo faciales raras y ORL – oído, nariz y garganta – (28), enfermedades del tejido conectivo raras (26), epilepsia compleja y rara (28), enfermedades hepáticas raras (28), enfermedades cardíacas raras (24), inmunodeficiencias y enfermedades autoinflamatorias y autoinmunes (24), tumores genéticos (23), trasplante en niños (20), enfermedades gastrointestinales raras (20).

En el primer registro de prestadores de asistencia, nuestro país presentó 61 candidaturas. Finalmente, tras la convocatoria, se han quedado reducidas a 48 con ubicación en 18 de los 24 grupos finalmente creados

Y crear una herramienta on line para que cualquier proveedor de asistencia manifestara su interés por participar en alguna de las redes, se distribuyeran las respuestas de los interesados y los especialistas tuvieran la plataforma de contacto para relacionarse entre sí. Tras la puesta en marcha de este mecanismo en diciembre de 2015, tras sendas reuniones en julio de 2015 (Bruselas y Lisboa), con 580 respuestas de adhesión, más de 50 grupos de profesionales interesados y una veintena de solicitudes potenciales de redes, el Grupo de Expertos formuló una síntesis con la documentación agregada de los candidatos que se hizo pública en marzo de 2016, tras haberse llegado a acuerdos entre los distintos centros interesados y el nombramiento de coordinadores de grupos entre ellos y los Estados, ampliándose los Grupos Temáticos a 24. Este fue el pistoletazo de salida, cumpliendo el plazo de 2 años desde la aprobación de la normativa de implementación de las ERN, para que el 16 de marzo de 2016 fuera publicada la primera convocatoria oficial de manifestaciones de interés, en cumplimiento de la Decisión Delegada de 10 de marzo de 2014, estableciéndose un doble plazo para presentación de solicitudes, hasta el 21 de junio para las ERN que solicitaran fondos presupuestarios para su constitución y del 23 de junio al 22 de julio para las ERN que no optaran a financiación.

Entre agosto y noviembre se llevó a cabo el proceso de evaluación, validación y auditoría, que siguiendo el procedimiento previsto en la Decisión Delegada de 10 de marzo se desarrolló de este modo:

1. Fase de verificación de elegibilidad: la Comisión Europea completó la primera parte de verificación de requisitos en agosto de 2016, con el resultado de que todas las redes solicitantes fueron evaluadas positivamente y sólo 5 prestadores de asistencia sanitaria no pasaron este proceso por la falta de apoyo de su Estado miembro. El Organismo Evaluador Independiente completó la fase de verificación en septiembre²⁸.

2. Fase de evaluación técnica y revisión de documentación: a finales de octubre se habían revisado todas las solicitudes y el muestreo de prestadores de asistencia y coordinador de red y en noviembre se había realizado la auditoría in situ del coordinador y dos prestadores de asistencia de las redes propuestas²⁹.

²⁸ http://ec.europa.eu/dgs/health_food-safety/dyna/enews/enews.cfm?al_id=1712, recuperado el 20 de julio de 2017

²⁹ <http://europa.eu/rapid/midday-express-24-10-2016>.

3. Emisión de Informe de Evaluación técnica del Organismo Independiente para valoración por el Consejo de Estados que fue remitido a los Estados miembros el 15 de noviembre.

4. El Consejo de Estados anuncia el 15 de diciembre las solicitudes positivas de ERN³⁰, cuyo listado definitivo será publicado en enero de 2017³¹.

5. La 3.^a Conferencia de ERN, que se celebró en Vilnius (Lituania), los días 9 y 10 de marzo de 2017 lanzará las primeras ERN para su inmediata puesta en funcionamiento hasta la primera revisión del proyecto que será en 2022³².

A partir de aquí, es previsible que los Estados miembros propongan centros asociados, colaboradores y nacionales que puedan integrarse en alguna de las redes creadas (aunque el procedimiento de designación todavía no ha sido aprobado³³), y se irán lanzando nuevas convocatorias para potenciales miembros de las ERN, como prevé la Decisión Delegada de 10 de marzo de 2014.

Es destacable que la información y publicidad sobre todo el proceso está siendo exquisita, siendo

[htm#15](#), recuperado el 20 de julio de 2017. Es especialmente destacable la potente calidad del procedimiento de evaluación técnica múltiple que se ha aplicado, a través de la triangulación de la información combinando varios métodos de evaluación. Primero con una revisión interna entre todos los centros homólogos candidatos a una red de acuerdo a los criterios específicos que definen conocimiento y competencia y el posterior refrendo del Estado miembro; el muestreo selectivo sirve para validar la evaluación, al haberse producido un primer muestreo de toda la documentación de los prestadores y una posterior evaluación in situ incluido el centro coordinador (muestreo del muestreo), de modo que todos los Estados miembros han pasado por esta al menos en uno de sus prestadores de asistencia sanitaria propuestos; finalmente con una revisión externa de la documentación completada por un organismo de evaluación independiente.

30 https://ec.europa.eu/health/ern/implementation/call_en.

31 http://ec.europa.eu/health/ern/networks_en, última consulta, 24 julio de 2017. En este link aparecen las 24 redes finalmente designadas, con los respectivos vínculos de cada una de ellas.

En la resolución final de la convocatoria, las ERN estarán presentes en 26 países, 300 hospitales y 900 unidades de alta especialización.

32 El texto completo de las conferencias, en http://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ev_20170309_frep_en.pdf (última consulta el 24 de julio de 2017)

33 En una comunicación del 20 de mayo de 2016 el Consejo de Estados miembros publica los criterios en que debería basarse este procedimiento (vid esta comunicación en https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/boms_strategic-view_affiliatedpartners_en.pdf).

además contrastable y actualizada constantemente en las múltiples páginas web de los organismos europeos con competencias generales en salud³⁴, la página web específica sobre las ERNs³⁵, el del Grupo de expertos de la Comisión en Er³⁶, la RD-Action³⁷, o las asociaciones de pacientes representadas en EURODIS³⁸. En un trabajo de estas características es imposible plasmar el cúmulo de información aportada, por lo que nos remitimos a los principales links y a la actualización al día en la página web de la Comisión sobre política y acciones en ERNs.

4.5 Estado actual del proceso de verificación de las redes y perspectivas de desarrollo tras la Conferencia de Vilnius

El 9 de marzo de 2017 marcó un momento histórico para la asistencia sanitaria europea. No sólo era la fecha de nacimiento de las primeras 24 redes europeas de referencia, sino el inicio de una nueva era de cooperación en el ámbito de la salud. Representantes de las ERN, los Estados miembros, pacientes y responsables políticos se reunieron en Vilnius (Lituania), en el seno de la 3.^a Conferencia ERN en tono a cuatro mesas redondas que abordaron la organización y gestión, las políticas y acciones de apoyo, la importancia de la integración de las ERNs y los sistemas nacionales de salud y, en fin, el itinerario a seguir para el futuro. Reconociendo el éxito de este mecanismo de cooperación transfronteriza, los retos técnicos y logísticos para su completa implementación son todavía importantes.

Las principales conclusiones de esta Conferencia se centraron en estos temas:

1º) Las posibilidades de las nuevas tecnologías. En este sentido, se está desarrollando la denominada *ERN IT PLATFORM*, plataforma on line colaborativa que incluye un Sistema de Gestión de Pacientes Clínicos seguro, un sitio web o portal público y herramientas de e-formación. Los avances para abordar el desarrollo de un Registro

34 https://ec.europa.eu/health/ern/implementation/call_en; http://ec.europa.eu/dgs/health_food-safety/dyna/enews/enews.cfm?al_id=1712.

35 http://ec.europa.eu/health/ern/policy_en

36 http://ec.europa.eu/health/rare_diseases/expert_group_en.

37 <http://www.rd-action.eu/>.

38 <http://www.eurordis.org/es/news/participa-en-las-redes-europeas-de-referencia>.

común interoperable para las ERN, con el apoyo de la Comisión (DG Sanidad) y el Grupo de Expertos, se centran en el diseño de instrumentos para mejorar el acceso a los registros existentes y su información. La mejora en los registros existentes es la clave para responder al reto tecnológico y las aplicaciones de la telemedicina que son los pilares del trabajo e investigación en red a que aspiran las ERNs.

Esta Plataforma aspira a convertirse en la columna vertebral de las redes, facilitando la comunicación entre los miembros, la gestión de documentos y la organización de trabajo y eventos. Uno de sus pilares, el Sistema de Gestión de Pacientes Clínicos de ERN servirá para compartir datos clínicos, incluyendo imágenes médicas. El reto tecnológico es que todas las redes utilicen el mismo sistema, única forma para posibilitar la colaboración cruzada en los casos en que sea necesaria la experiencia de más de una ERN (hecho común en las enfermedades raras, por las afecciones multisistémicas y complejas que conllevan). Aunque todavía está por construir jurídicamente la compartición de datos sanitarios de los pacientes, la idea sería implicarlos en el sistema, configurando un tipo de consentimiento de cesión común y un conjunto mínimo de datos estándar que pudiera conducir a conclusiones clínicas sobre el diagnóstico y el tratamiento. El registro y almacenamiento con fines de investigación conllevará un consentimiento adicional. En este extremo sería importante solucionar la dispersión de registros de pacientes, cerca de 600 operados a nivel local, regional o nacional, algunos operados por centros sanitarios y otros incluso administrados por ciudadanos a título individual. Se plantea en este sentido la creación de una plataforma web con acceso a las colecciones de datos de enfermedades raras y establecer unas normas comunes para los registros existentes y aquellos nuevos que puedan crearse. Los retos técnicos, legales y ligados a la protección de datos son relevantes, partiendo de la existencia de distintas normativas nacionales, con conceptos diversos sobre la propiedad de datos, la confidencialidad o las reglas de consentimiento. Aunque es posible que las diferencias tiendan a difuminarse con la entrada en vigor del nuevo Reglamento europeo de protección de datos, siguen siendo importantes los retos jurídicos y éticos que plantea este proyecto común del Registro europeo de Enfermedades raras³⁹.

Además, se plantea también el tema de la compatibilidad e integración con los datos ya recopilados a través de otros sistemas de información comunitarios, como ORPHANET, con su sistema de codificación de enfermedades raras, EUROCAT y SCPE. Es evidente que la transferencia de los conocimientos y la experiencia de las redes existentes a nivel europeo deben ser el punto de partida para el funcionamiento eficaz de las ERN, aprovechando las herramientas existentes y dándoles la continuidad e interoperabilidad requerida para el conocimiento complejo común.

2º) La insistencia en robustecer el marco político y jurídico sobre el que se han sustentado las ERN, siendo imprescindible la continuación del apoyo financiero como Connecting Europe, Horizonte 2020 y el Fondo Europeo de Inversiones.

3º) La necesidad programas conjuntos para alinear las estrategias de investigación de los Estados miembros sobre enfermedades raras. Con el convencimiento de que el éxito de las ERN dependerá de su integración en los sistemas nacionales de salud. No obstante, la preocupación por la enorme carga de trabajo, científica y burocrática, es común entre los proveedores de asistencia sanitaria. Además, ni los modelos de centros de referencia, ni los sistemas de reembolso son idénticos en los países, por lo que se pensará en una plataforma de intercambio de experiencias para apoyar objetivos comunes de las ERN. Otros temas a solucionar serán el modelo de reembolso de las “consultas virtuales” entre pacientes y profesionales de distintos Estados y en el seno de la red de referencia, o el no menos complicado de la responsabilidad profesional en el caso de pacientes derivados a una de estas redes transnacionales. Es evidente que el armazón estructural está diseñado, pero los interrogantes jurídicos y la necesidad de implementar un diseño normativo de estas cuestiones comunes es un enorme reto que habrá que afrontar desde una visión plural y global del derecho.

4º) Mirando hacia el futuro, a medida que las redes evolucionan, deben encontrar una manera de ser más inclusivas para dar cabida a aquellos

deberá ser estudiado con profundidad en el futuro, como única garantía para el desarrollo jurídicamente adecuado de las ERN. Algunas de las cuestiones planteadas son analizadas, desde una perspectiva general, en el colectivo *Reglamento general de Protección de Datos. Hacia un nuevo modelo europeo de privacidad*, Dir. PIÑAR MAÑAS, J.L., Ed. Reus, Madrid, 2016.

39 Este tema, de enorme complejidad técnica y jurídica,

prestadores que, sin cumplir los exigentes requisitos para ser miembros de pleno derecho de las ERN, puedan sin embargo ostentar el estatus de “socio afiliado”, permitiendo aprovecharse de las ventajas en investigación y acceso a todos los ciudadanos europeos. Para los proveedores, la experiencia de trabajar en una ERN puede variar, ya que el número de miembros y la amplitud de las enfermedades cubiertas varían considerablemente. La red más pequeña tiene 18 miembros, mientras que la mayor cuenta con 73. Sin embargo, todos los proveedores comparten una visión de cómo las redes deben funcionar, en base a la confianza legítima y la buena cooperación entre los miembros. Y ello para recibir o proporcionar segundas opiniones sobre casos raros o complejos, colaborar en proyectos de investigación y utilización de tecnologías de vanguardia. La participación reportará indudables ventajas: reconocimiento profesional, atracción de pacientes y de otros profesionales, utilización común de diagnósticos y tratamientos avanzados compartiendo equipos virtuales multidisciplinarios en plataformas seguras.

En fin, el objetivo es encontrar una manera de ser más incluyente sin crear mega redes difíciles de manejar, cerradas y que terminen haciendo la desigualdad de acceso o una doble velocidad problemas que son principalmente la razón de ser de este proyecto europeo.

5º) Los pacientes, epicentro de las ERN, deben estar representados activamente en los órganos asesores de las redes como socios clave. Los avances en este sentido desde la plataforma EURORDIS han sido importantes en esta última reunión, y deben seguir siéndolo. Además, se solicitó una reflexión sobre el apoyo nacional, logístico y financiero a cada una de las organizaciones de pacientes que componen EURORDIS.

Estas apuestas de futuro se han visto reforzadas, al culminar la Presidencia maltesa, por el Consejo en junio de 2017 con la adopción de sus “Conclusiones sobre el fomento de la cooperación voluntaria entre los sistemas sanitarios de los Estados miembros”,⁴⁰ que podría propiciar la mejora de los resultados para pacientes y profesionales sanitarios y aumentar la eficiencia de los sistemas de salud. Este se ve como uno de los mecanismos esenciales en materia de enfermedades raras, en la idea de mejorar el acceso de

los pacientes a los tratamientos, así como aumentar los conocimientos técnicos en los Estados miembros y el acceso a tecnologías sanitarias innovadoras. En concreto, en su Considerando 31, se señala que los Estados deben ayudar a las ERN a alcanzar su objetivo primero, a saber, proporcionar un mejor acceso a los pacientes que requieran asistencia sanitaria sumamente especializada, a fin de superar los obstáculos de acceso y de reducir las desigualdades entre los ciudadanos europeos. Se trata, en particular, de:

a) Valorar la disposición y la capacidad de las ERN para desempeñar un papel en la formación altamente especializada y el desarrollo profesional continuo de los profesionales de la salud, en particular a través del aprendizaje y la formación electrónicos y los intercambios a corto plazo para reforzar la capacitación del personal sanitario a través de los proveedores de asistencia sanitaria de la ERN y para desarrollar sus conocimientos y experiencia en el diagnóstico, tratamiento y cuidado de los pacientes;

b) Reflexionar para encontrar maneras de estimular la investigación innovadora sobre enfermedades extremadamente raras a través de las RER, de poner en común datos objetivos sobre la eficacia de las tecnologías innovadoras y de capturar datos comparables y fiables, así como otros datos pertinentes, a partir de registros de pacientes interoperables.

Los ministros también se han mostrado de acuerdo en que el intercambio de información sobre políticas nacionales en materia de precios y reembolsos y sobre acuerdos relativos a los precios de los medicamentos podría mejorar la transparencia y reforzar la posición de los Estados miembros en las negociaciones con el sector, al tiempo que se gana en términos de accesibilidad de los medicamentos.

El Real Decreto RD 81/2014, de 7 de febrero, por el que se establecen normas para garantizar la asistencia sanitaria transfronteriza, y se modifica el Real Decreto 1718/2010, de 17 de diciembre, sobre receta médica y órdenes de dispensación, incorporando a nuestro ordenamiento la Directiva 2011/24/UE, enumera entre sus objetivos el de favorecer la cooperación sanitaria entre España y el resto de la Unión Europea. La política comunitaria que estamos analizando ve su reflejo en los arts. 21 y 22, trasladando los principios que en materia de información sobre enfermedades raras y cooperación entre centros de referencia europeos preveía la Directiva.

⁴⁰ OJ C 206, 30.6.2017, p. 3–7, disponible en http://eur-lex.europa.eu/legal-content/ES/TXT/?uri=uriserv:OJ.C_2017.206.01.0003.01.SPA

El Reglamento recoge en su art. 21 que corresponde al Ministerio de Sanidad establecer el procedimiento para que los Centros, Servicios o Unidades de Referencia (CSUR) del SNS⁴¹ puedan «pertener o colaborar» con las redes europeas de referencia, previo acuerdo del Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud (CISNS) y tras la propuesta del Comité de Designación de Centros, Servicios y Unidades de Referencia (CSUR). Este es el escueto contenido de la regulación reglamentaria en nuestro Estado.

Por tanto, había que diseñar este procedimiento, con los trámites formales requeridos, antes de marzo de 2016, al objeto de dar la oportunidad a nuestros prestadores de asistencia sanitaria que tuvieran la designación formal de CSUR para participar en la primera convocatoria de manifestaciones de interés en la ERNs. Pues uno de los requisitos principales establecidos por la Decisión de ejecución de la Comisión (art. 3.3) era que todas las solicitudes de admisión deberán ir acompañadas de una declaración por escrito del Estado miembro en el que esté establecido el prestador de asistencia sanitaria en cuestión, en la que se certifique que su participación en la propuesta de creación de una red es conforme con la legislación nacional de dicho Estado miembro.

El 24 de febrero de 2016, a un mes vista de la primera convocatoria, y a mi juicio con bastante precipitación, el Comité de Designación de CSUR hace público el Acuerdo «para facilitar que los prestadores de asistencia sanitaria puedan acceder a ser miembros de las ERN». En este se llega a afirmar que «dado que no se prevé la celebración de un Pleno del CISNS antes de la mencionada convocatoria de la Comisión Europea, se debe alcanzar el acuerdo» sobre algunas cuestiones, «en tanto se elabore la correspondiente norma jurídica», tal como prevé el art. 21 del Reglamento. Este Acuerdo sería ratificado por el Consejo Interterritorial el 13 de abril de 2016, un mes después de la publicación de la primera convocatoria de interés europea. Por tanto, y esta es la primera crítica que debemos realizar a la actuación en la materia por parte de nuestras autoridades sanitarias, ha existido una absoluta falta de previsión e incluso el incumplimiento, o al menos el cumplimiento condicionado, de las disposiciones reglamentarias, pues ni existió ni existe todavía norma ministerial que refrende con el empaque jurídico requerido la acción ERN.

El procedimiento que se arbitra resulta también un tanto caótico, puesto que, dada la situación actual

de los CSUR específicos de enfermedades raras de nuestro Sistema Nacional de Salud, que empiezan a designarse sobre este tipo de patologías hace dos escasos años⁴², se deben especificar distintas situaciones, con condicionantes y criterios diferenciados, dependiendo de si es un CSUR ya designado o no. Y además supeditado a numerosas circunstancias, no estrictamente relacionadas con los indicadores científicos y de actividad de los posibles candidatos, sino más bien de la voluntad política de las autoridades sanitarias autonómicas en las que se ubica el prestador de asistencia sanitaria, o del albur de que ya se encuentre en estudio su posible designación como CSUR, o que la patología concreta todavía no haya sido objeto de valoración para ostentar esta categoría. Bien es sabido que este proceso está siendo forzosamente gradual y que la reticente crisis económica ha paralizado en gran medida el proceso de designación. Por tanto, otra de las críticas que debe hacerse al procedimiento para el acceso a las ERN en nuestro país es que se han limitado enormemente las posibilidades de numerosos centros especializados en patologías incluidas en alguno de los Grupos de ERNs a nivel europeo, al exigirse el estatus jurídico de CSUR para poder acceder a la convocatoria. Esto es, se han primado más los criterios burocráticos que los propiamente sanitarios para conformar un procedimiento de tal envergadura y trascendencia.

42 Tras el Acuerdo del Consejo Interterritorial de 16 de abril de 2016, existen ya 277 CSUR designados por nuestro SNS, y son 52 las patologías o procedimientos para los que se ha considerado necesario su reconocimiento. El año 2015, y frente a los criterios preferentes de designación que desde el año 2006 habían primado para la constitución de nuevos CSUR, el Ministerio aprobó mediante tres Ordenes de 9, 15 y 23 de enero de 2015, por vez primera, la autorización de centros de referencia en enfermedades raras (enfermedades metabólicas congénitas, como la glucogenosis, las enfermedades peroxisomales, o las enfermedades lisosomales; y para síndromes neurocutáneos, como son las neurofibromatosis, la esclerosis tuberosa, o la enfermedad de Von-Hippel Lindau, Er que cursan con trastornos del movimiento o trastornos complejos del sistema nervioso). A partir de este momento el número de patologías raras se ha ampliado, pero siguen existiendo importantes déficits en grupos de patologías como las maxilofaciales, inmunológicas, respiratorias, dermatológicas y endocrinas, y que se culmine el proceso de acreditación de otras, como las neuromusculares. La información completa de los CSUR y los grupos de patologías en la actualidad puede consultarse en <https://www.msssi.gob.es/profesionales/CentrosDeReferencia/PatologiasCSUR.htm>.

Con fecha 21 de junio de 2017, el Consejo Interterritorial ha aprobado la designación de otros 28 CSUR para atender 13 patologías. Además se han aprobado 2 propuestas de nuevas patologías para designar CSUR (coagulopatías congénitas y patología compleja hipotálamo-hipofisaria), pendientes todavía de ratificación y publicación mediante Resolución del Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad. La nota de prensa del Ministerio sobre este Acuerdo (todavía no publicado) puede consultarse en <http://www.actasanitaria.com/wp-content/uploads/2017/06/21.06.2017-np-consejo-interterritorial-de-salud.pdf>

41 CSUR designados de acuerdo al procedimiento establecido en el RD 1302/2006, de 10 de noviembre, por el que se establecen las bases de designación de CSUR del SNS.

El procedimiento comienza por la presentación de solicitudes, ante el Comité de Designación de CSUR, por la Comunidad Autónoma en la que se ubique el prestador de asistencia sanitaria/CSUR, de acuerdo a la documentación recogida en los Anexos II y III del Acuerdo⁴³. Recibidas las solicitudes, la Secretaría del Comité comprueba la documentación y el cumplimiento de los requisitos exigidos y se eleva al Comité de Designación, que estudia las solicitudes y emite el correspondiente informe según los criterios a aplicar en las distintas situaciones en que se puede encontrar el solicitante, acordes con el desarrollo del proyecto CSUR en el SNS. Las situaciones contempladas son hasta 6, dependiendo del momento procesal en que se encuentre el candidato y los condicionantes referidos a si han sido establecidos los criterios de designación por el CISNS para la atención de patologías o procedimientos incluidos o similares al área objeto de atención de la ERN, si están pendientes de ser acordados, si están pendientes de abordaje o si ni siquiera se ha considerado su atención. Y a la vez, si los centros han sido admitidos a este proceso, si ya han sido propuestos, si no se ha abierto el proceso de presentación de solicitudes o si todavía no se ha planteado el abordaje en nuestro SNS de la patología.

En realidad, no llega a comprenderse muy bien toda esta literatura procedimental, pues solo si un CSUR ha sido designado o si cuenta con la propuesta de designación del Comité (pendiente de ratificación por el CISNN y de la correspondiente Resolución ministerial), puede optar a la convocatoria europea de ERNs. Tan claro como queda explícito en el cuadro sinóptico contenido en el propio Acuerdo, y como recoge su apartado 4, que establece el modo de formalización de la Declaración escrita del Estado miembro que avale la concurrencia al proceso de manifestaciones de interés (requisito imprescindible según la normativa comunitaria, como hemos analizado). El órgano competente para emitir esta Declaración de conformidad con la legislación española es el Director General de Cartera Básica de Servicios del SNS y Farmacia del Ministerio.

43 Esta solicitud debe ir acompañada de: Informe favorable de la autoridad competente de la Comunidad Autónoma donde esté ubicado el centro apoyando la solicitud del prestador de asistencia sanitaria para ser miembro de una ERN; solicitud del prestador de asistencia sanitaria para obtener la conformidad para acceder a ser miembro de una ERN, firmada por el responsable de la Unidad Clínica y la Dirección del Centro (el formulario se recoge en el citado acuerdo del Comité); copia del impreso de solicitud que el prestador de asistencia sanitaria va a presentar a la convocatoria de la Comisión Europea para participar como miembro de una determinada ERN.

En cualquier caso, esta última fase del procedimiento prevé un mecanismo adicional (no contemplado por cierto en la normativa comunitaria) para facilitar que los prestadores de asistencia que cuenten con la propuesta de designación como CSUR del Comité de Designación, pendiente de ser ratificada por el CISNS y Resolución del Ministerio, y previo informe provisional del Comité, puedan acceder a ser miembros de una ERN. Se trata de una comunicación informativa emitida por el Director General informando del proceso, supeditando la Declaración requerida por las instancias comunitarias a la finalización del proceso de designación. Una vez publicadas las ERNs en el transcurso del año 2017 no hemos podido comprobar si este procedimiento arbitrado fuera de los estrictos márgenes de la norma comunitaria ha sido aplicado o ha tenido algún efecto, pues no existe información disponible en la página web del Ministerio.

Pero por lo pronto ya podemos hacer una valoración aproximativa de la restrictiva transposición de la Directiva comunitaria, con los datos del resumen de aplicaciones ofrecido por EURORDIS. España presentó su candidatura a un total de 18 Redes Europeas de Referencia de las 24, pero con un número significativamente menor de candidatos que otros Estados miembros. En concreto, España ha presentado 48 centros o unidades de referencia, frente a Estados como Italia, que ha presentado 192 centros, Francia con 129 candidatos, Alemania con 125, Reino Unido con 118, Países Bajos con 92 o Bélgica con 65. Finalmente, España estará presente con 42 CSUR en 17 ERN⁴⁴. La mitad de ellos se localizan en Cataluña, que se distribuyen entre 16 ERNs; la Comunidad de Madrid se posiciona como la segunda autonomía que más centros aporta a las redes. Le siguen otros dentro de Andalucía, Comunidad Valenciana, Galicia, Murcia y País Vasco. Por otro lado, España también destaca como coordinadora de una de estas redes. En concreto, será el Hospital Universitario La Paz quien lidere la red de transplante infantil (TRANSCHILD).

En fin, debemos también hacer una breve referencia al art. 22 del Reglamento, que encomienda al Ministerio, con el fin de desarrollar las capacidades de diagnóstico y tratamiento de las enfermedades

44 El listado de centros españoles que forman parte de las ERN puede consultarse en <http://www.enfermedades-raras.org/index.php/redes-europeas-de-referencia/8001-conoce-la-participacion-de-espana-dentro-de-las-erns>, y <http://www.enfermedades-raras.org/images/membersSpain.pdf>, rescatado el 24 de julio de 2017.

raras y facilitar su conocimiento, el suministro de información tanto a los profesionales sanitarios como a los pacientes sobre las herramientas existentes en España y en la Unión Europea para facilitar la práctica clínica en las enfermedades raras, tales como los Centros, Servicios y Unidades de Referencia del Sistema Nacional de Salud de España y las Redes Europeas de Referencia relacionadas con estas enfermedades. Así como de las posibilidades que ofrece el Reglamento (CE) n.º 883/2004, de 29 de abril de 2004, para la remisión de los pacientes con enfermedades raras a otros Estados para diagnósticos y tratamientos que no estén disponibles en nuestro país. Sin embargo, restringiendo los derechos previamente consolidados en aquella norma, el ANEXO II limita su ejercicio, al incluir entre las prestaciones sanitarias sometidas a autorización previa en todo caso: aquellas técnicas, tecnologías o procedimientos incluidos en la cartera común de servicios del SNS seleccionadas en base a la exigencia del uso de procedimientos o equipos médicos sumamente especializados, a la necesidad de atención a pacientes con problemas complejos, o a su elevado coste económico, y en concreto –entre otros–: los tratamientos farmacológicos o con productos biológicos, cuyo importe mensual sea superior a 1.500 Euros, o la atención a patologías y realización de procedimientos para los cuales se han designado servicios de referencia, de acuerdo con el Real Decreto 1302/2006, de 10 de noviembre, por el que se establecen las bases del procedimiento para la designación y acreditación de los centros, servicios y unidades de referencia del Sistema Nacional de Salud, incluidos en el anexo III del Real Decreto 1207/2006, de 20 de octubre, por el que se regula la gestión del Fondo de Cohesión Sanitaria, o se han establecido redes de referencia en Europa. Especialmente este último requisito no se comprende, pues muchos de los pacientes afectados por una ER precisamente necesitan acceder a tratamientos, terapias o intervenciones que no están recogidos en esta Cartera básica, esto es, cubiertos por nuestro SNS, y la posibilidad de acceso a una ERN cubriría ese vacío normativo y fáctico. Sin embargo, esta vía parece vedada por nuestra normativa que, inexcusablemente, debe ser modificada.

Por tanto, de nuevo se ha perdido la oportunidad en esta norma de avanzar en materia de derechos de los enfermos raros, sometiéndoles al más riguroso de los regímenes posibles de acceso a la asistencia sanitaria transfronteriza y dejando al albur del desarrollo normativo la posibilidad de ejercer sus derechos en el espacio sanitario europeo.

6. CONCLUSIONES: UN FUTURO POR CONSTRUIR PARA LA GARANTÍA DEL DERECHO DE MOVILIDAD ASISTENCIAL EUROPEA DE LOS ENFERMOS RAROS Y LA TRANSFERENCIA DE CONOCIMIENTOS

Aunque los avances en la estrategia política comunitaria para afrontar los derechos de los pacientes con enfermedades raras en igualdad de condiciones que el resto de ciudadanos han sido espectaculares desde el año 1999, todavía son muchos los retos pendientes. La Directiva de Asistencia Sanitaria Transfronteriza, a pesar de sus muchos déficits, ha sido ambiciosa a la hora de configurar por primera vez con el empaque jurídico merecido la implementación de una política común en materia de enfermedades raras, desde el punto de vista de la información y, sobre todo, de la construcción de un espacio compartido de asistencia, investigación y conocimiento colaborativo y cooperativo con la puesta en marcha de las denominadas redes europeas de referencia. Aunque muy generosa en sus objetivos, la implementación de la norma y los resultados de la primera convocatoria de manifestaciones de interés ha demostrado que su principal funcionalidad, en esta primera etapa, será la creación de redes centradas en la transferencia de información y conocimiento, fundamentalmente a efectos de investigación. Pues hacer realidad la movilidad en la asistencia sigue sometida a los requisitos generales previstos en la norma comunitaria para el resto de los pacientes.

Los proyectos en curso ya han demostrado su utilidad de cara a una política estratégica común, por lo que resulta imperioso continuar en esta tónica. Para ello era fundamental una implementación adecuada a nivel estatal de la normativa europea, que desde nuestro punto de vista no ha cumplido las expectativas. El impulso de la acción comunitaria para la identificación y visibilidad a escala comunitaria de los centros de referencia reconocidos a nivel estatal y de aquellos otros que, sin tener la designación reconocida, actúan como tales, no ha sido posible con la estrecha y escueta transposición reglamentaria y su precipitada ejecución, sin el desarrollo normativo procedimental exigido hasta la fecha. Los datos fehacientes de nuestra muy corta participación en las redes, con solo 48 centros finalmente presentados por nuestro Estado, muy por debajo de la media europea y de los principales prestadores de asistencia de nuestro entorno comunitario son el botón de muestra. Ha sido por tanto una oportunidad perdida para entrar con broche de oro en estas redes de referencia que deben ser, en lo esencial, estructuras comunes

de investigación y conocimiento en los que se gestan y actualizan los últimos resultados científicos, se posibilita la atención a pacientes de otros Estados miembros y se garantiza la posibilidad de tratamiento ulterior en caso necesario.

En la definición e implementación también ha sido evidente la necesidad de que los servicios y la experiencia estén debidamente distribuidos por toda la Unión Europea, y de ahí las exigencias de un número mínimo de Estados para constituir la red y una composición equitativa de los prestadores de asistencia europeos. La idea subyacente es que todos los Estados se esfuercen en determinar minuciosamente sus centros de referencia, les presten el mayor apoyo financiero posible y planteen la organización de rutas sanitarias para sus pacientes en aplicación estricta del principio de reciprocidad a escala europea. Es de esperar que nuestras autoridades sanitarias sepan reaccionar a tiempo, faciliten la adhesión a las ERN de los centros de excelencia que han quedado fuera del proyecto europeo por cuestiones más políticas, procedimentales y burocráticas que por sus capacidades investigadoras o asistenciales, aceleren la designación de CSUR especializados en enfermedades raras, establezcan mecanismos de coordinación entre ellos y el resto de servicios de atención primaria, especializada y sociales, y se reactive definitivamente el Fondo de Cohesión, como mecanismo de solidaridad y equidad para el acceso a las prestaciones sanitarias en condiciones de igualdad en todo el territorio nacional.

Además, la Directiva ha supuesto también un definitivo espaldarazo a la potenciación de las acciones que continúen el desarrollo de una red de servicios electrónicos para enfermedades raras, pues el modelo de Orphanet ha resultado demostración palpable de cómo las nuevas tecnologías informáticas pueden contribuir a establecer lazos de relación entre los enfermos, a que los grupos de investigadores compartan bases de datos, a la recopilación de información estadística para la investigación clínica, al registro de pacientes dispuestos a participar en la investigación clínica, y a presentar casos a los expertos para poder mejorar la calidad del diagnóstico y del tratamiento. Las herramientas en línea y electrónicas han resultado ser un importante y eficaz arma para vencer los obstáculos añadidos con que se encuentran los afectados por una patología minoritaria. En esta línea sería interesante importar para las ER las medidas de cooperación e intercambio de información en la red voluntaria europea referida a la «sanidad electrónica» que se recoge en la citada Directiva sobre

asistencia transfronteriza (art. 14), especialmente útil al desarrollo de las redes interoperables necesarias para la transferencia de conocimiento e información en las ER. Los distintos organismos y plataformas de acción conjunta empeñados en el futuro de una política verdaderamente común para estos enfermos han demostrado que para seguir avanzando estas herramientas son la clave que, en un futuro, podrá solventar los obstáculos que el mercado común de la asistencia sanitaria transfronteriza todavía sigue empeñado en poner a la consolidación de una auténtica ciudadanía sanitaria europea. Los Acuerdos a que se han llegado en la 3ª Conferencia ERN de Vilnius, celebrada durante los días 9 y 10 de marzo de 2017, plantean todos estos retos y lanzan como eje estrella del futuro de las ERN la plataforma colaborativa *ERN IT Platform*, un proyecto que integra mecanismos para la colaboración de prestadores de asistencia y profesionales participantes en las redes, prevé la creación de un Sistema de Gestión Clínica de Pacientes, un portal público y herramientas de formación. El futuro dirá si los retos técnicos, logísticos y también jurídicos que plantean estas cuestiones pueden encontrar la solución esperada, en el marco de un nuevo modelo de cooperación supranacional para responder a los problemas comunes de las enfermedades poco frecuentes.

En fin, las incógnitas que nos plantea el futuro de nuestra participación en las ERN y la política actual en materia de enfermedades raras en general son muchas. Parece que desde el Ministerio se pretende avanzar en un camino conjunto de nuestros centros de referencia y las nuevas redes europeas, entre las que desde luego hay sinergias y convergencias, pero también muchos déficits. Entre los interrogantes que se nos plantean: si la idea es mejorar e incrementar los CSUR que tienen posibilidades de participar en las ERN, ¿qué pasará con el resto?; y los grupos de patologías donde España no está representada, ¿se arbitrará un mecanismo o una modificación legal para el acceso a las redes europeas que si están preparadas para ellos?; ¿Cómo se adaptará nuestro sistema a las plataformas de intercambio tecnológico, e incluso como se accederá al posible registro europeo de ERN, si todavía nuestro registro de enfermedades raras está en proceso de implementación?; ¿deberemos cambiar nuestro proceso de designación de CSUR para adaptarnos al modelo europeo de los “grupos de patologías”, en vez de las patologías concretas que ahora contempla nuestra normativa?

Es de esperar que estas dudas sean resueltas en breve, siendo de aplaudir el interés creciente y la

sensibilidad de nuestros dirigentes sanitarios en los últimos tiempos. De hecho, el abordaje de las enfermedades raras ha sido uno de los principales temas tratados en el reciente Pleno del Consejo Interterritorial SNS, celebrado el 21 de junio de 2017⁴⁵. Según la nota de prensa ministerial, “es prioritario seguir sumando esfuerzos para avanzar en la investigación, mejorar la detección precoz y ahorrar el calvario que supone a los enfermos y a sus familias el tiempo de espera hasta que se diagnostica la enfermedad”. Y así, entre las medidas aprobadas destacan: la aprobación de la distribución de 1 millón de euros a las comunidades autónomas para avanzar en la atención a las personas con enfermedades raras y 800.000 euros, como novedad, para facilitar, en el marco de una prueba piloto, un diagnóstico más rápido y establecer “rutas asistenciales” que aseguren a las familias acceder a un diagnóstico genético. Por fin se ha aprobado el Manual de Procedimientos del Registro de Enfermedades Raras, que debe suponer la puesta en marcha definitiva de este Registro, con el que será posible mantener un censo de pacientes, conocer la incidencia y prevalencia de las enfermedades raras y orientar la planificación y gestión sanitaria de estas patologías. También se abordó el problema añadido que todavía representan las enfermedades ultra-raras y el de medicamentos de alto impacto económico y sanitario que requieren estas patologías, planteando la necesidad de abordar el reto que supone este asunto para el Sistema Nacional de Salud. Para ello, se ha creado un grupo de trabajo que tendrá como principal objetivo establecer un modelo de abordaje global de todos estos fármacos, que permita realizar estudios terapéuticos sobre los resultados en salud. En fin, se han designado 28 nuevos CSUR para tratar 14 nuevas patologías.

En definitiva, los retos son todavía importantes, pero el camino está abierto a los efectos de una acción conjunta que garantice efectivamente el intercambio de información a través de las redes europeas, que promueva una mejor clasificación de las enfermedades raras, que desarrolle estrategias y mecanismos comunes de comunicación en línea entre los interesados, defina indicadores sanitarios comunes y genere datos epidemiológicos comparables a escala comunitaria. Y en este futuro, nuestro Estado, que ha venido siendo líder y modelo entre los sistemas sanitarios a nivel europeo e incluso mundial, debe empeñarse a fondo. Y los juristas realizar un esfuerzo de sensibilidad y solidaridad para dar el empuje científico a

estos retos que no son solo técnicos y logísticos, sino de verdadera filigrana jurídica en un tema apasionante para la protección de la salud en pie de igualdad de un colectivo minoritario, pero cuya arquitectura normativa sencillamente está en cimientos.

BIBLIOGRAFÍA:

- AAVV: «Ética en la investigación de las enfermedades raras», dirs. CARMEN AYUSO, RAFAEL DAL-RE, Y FRANCESC PALAU, ERGON, CIBERER, 2016, en línea <http://www.ciberer.es/media/602599/%C3%A9tica-en-la-investigacion-de-las-enfermedades-raras.pdf>.
- AAVV: “Reglamento general de Protección de Datos. Hacia un nuevo modelo europeo de privacidad”, Dir. PIÑAR MAÑAS, J.L., Ed. Reus, Madrid, 2016.
- AAVV: Monográfico dedicado a las enfermedades raras Revista EIDON, Revista española de Bioética, junio de 2017, en línea en <http://revis-taeidon.es/>
- ANCOECHEA, A., directora de FEDER, ponencia escrita «Redes europeas de Referencia: Presente y futuro», con los últimos datos disponibles, en el IX Congreso Internacional de Enfermedades Raras, Murcia, 18 de noviembre de 2016.
- BARRANCO VELA, R., «El estatuto jurídico de los medicamentos huérfanos en la Unión Europea: el derecho a la salud de los pacientes con enfermedades raras», en el colectivo dirigido por este autor *El acceso al medicamento. Retos jurídicos actuales, intervención pública y su vinculación al derecho a la salud*, Comares, Granada, 2010.
- BERZI, M. y DURÁ GUIMERA, A., «La gobernanza de la cooperación transfronteriza sanitaria en la UE: un estado de la cuestión y el caso de estudio del Hospital de la Cerdanya», en línea, <http://www.aecpa.es/uploads/files/modules/congress/12/papers/1186.pdf>
- BOMBILLAR SAEZ, F., «El acceso al medicamento de los pacientes con enfermedades raras y la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud», en PÉREZ GÁLVEZ, J.F., *Reconstrucción y gestión del sistema de salud*, Comares, Granada, 2015, pp. 219 y ss.

⁴⁵ <http://www.lamoncloa.gob.es/serviciosdeprensa/notas-prensa/msssi/Paginas/2017/210617estategia-ela.aspx>

- CANTERO MARTINEZ, J., “La creación del nuevo derecho a la libre opción sanitaria transfronteriza. Desafíos de la liberalización en nuestro modelo público sanitario”, en Dir. CANTERO MARTINEZ, J., *La liberalización de la asistencia sanitaria transfronteriza en Europa. Retos y desafíos para el SNS*, Aranzadi, Madrid, 2017.
- GARRIDO CUENCA, N., «Hacia una construcción del derecho a la salud como contenido del derecho fundamental a una vida digna y de calidad: el “mínimo vital” como límite de la sostenibilidad económica. (A propósito de la Sentencia de 12 de abril de 2013 del Tribunal Superior de Justicia de Galicia sobre denegación de tratamiento en enfermedad rara)», en *el Libro Homenaje al Profesor Barranco Vela, Vol. II*, Civitas-Thomson Reuters, Navarra, 2014, pp. 1555 y ss.
- «La estrategia europea de enfermedades raras: desafíos y oportunidades de una acción sostenible global», en *Derecho y Salud en la Unión Europea*, dir. PÉREZ GÁLVEZ, J.F., Y BARRANCO VELA, R., Comares, Granada, 2013, pp. 241 y ss.
- “Cooperación transfronteriza en la investigación, diagnóstico y tratamiento de las enfermedades raras: las redes europeas de referencia como sistema de gobernanza en materia de salud”, en Dir. CANTERO MARTINEZ, J., *La liberalización de la asistencia sanitaria transfronteriza en Europa. Retos y desafíos para el SNS*, Aranzadi, Madrid, 2017.
- MINISTERIO DE SANIDAD, SERVICIOS SOCIALES E IGUALDAD, «Estrategia de Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud», aprobada por el Consejo Interterritorial de Salud, 3 de junio de 2009, con actualización en 2014 <http://www.msc.es/organizacion/sns/planCalidadSNS/docs/enfermedadesRaras.pdf> y http://www.msc.es/organizacion/sns/planCalidadSNS/pdf/Estrategia_Enfermedades_Raras_SNS_2014.pdf.
- Recomendación del Consejo, de 8 de junio de 2009, relativa a una acción en el ámbito de las enfermedades raras (DO C 151, de 3 de julio de 2009).
- Conclusiones del Consejo de 22 de junio de 2006 sobre los valores y principios comunes de los sistemas sanitarios de la Unión Europea (DO 2006/C, 146/01, de 22 de junio).
- Declaration on rare diseases launched at conference held by Maltese Presidency of the EU Council, 21 de marzo 2017, http://download.eurordis.org.s3.amazonaws.com/PR_Malta_210317.pdf
- 3.ª Conferencia de ERN, Vilnius (Lituania), 9 y 10 de marzo de 2017 http://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ev_20170309_frep_en.pdf
- Conclusiones del Consejo sobre el fomento de la cooperación voluntaria entre los sistemas sanitarios de los Estados miembros (DO C 206, 30.6.2017, disponible en http://eur-lex.europa.eu/legal-content/ES/TXT/?uri=uriserv:OJ.C_2017.206.01.0003.01.SPA
- «Coordination of Rare Disease ERNs: the view from the “Matchmaker”», <http://www.rd-action.eu/wp-content/uploads/2015/12/RD-ACTION-ERN-Matchmaker-Summary-Final.pdf>
- “Breaking the Access Deadlock to Leave No One Behind” EURORDIS, documento de reflexión, <http://www.eurordis.org/sites/default/files/reflexion-paper.pdf>
- http://ec.europa.eu/health/ern/implementation/call/more_info_en.
- http://ec.europa.eu/health/ern/policy_en
- http://ec.europa.eu/health/rare_diseases/expert_group_en.
- <http://www.rd-action.eu/>.
- <http://www.eurordis.org/es/news/participa-en-las-redes-europeas-de-referencia>.
- <https://www.msssi.gob.es/profesionales/CentrosDeReferencia/PatologiasCSUR.htm>.
- <http://www.enfermedades-raras.org/index.php/redes-europeas-de-referencia/8001-conoce-la-participacion-de-espana-dentro-de-las-erns>, y <http://www.enfermedades-raras.org/images/membersSpain.pdf>

DOCUMENTOS COMUNITARIOS Y ENLACES DE INTERÉS:

- Programa de acción sobre las enfermedades poco comunes (1999-2003), Decisión nº 1295/99/CE, del Parlamento Europeo y del Consejo de 29 de abril de 1999 (DO L 155, de 22 de junio).