

■ ORIGINAL

Necesidades socio-sanitarias de la población con enfermedades raras que acude a las oficinas de farmacia en España

Social healthcare needs of the population with rare diseases that goes to a pharmacy in Spain

Huete García A.

Universidad de Salamanca. Departamento de Sociología y Comunicación. Facultad de Educación.

ABREVIATURAS:

ER: Enfermedades Raras; **FEDER:** Federación Española de Enfermedades Raras; **SAAD:** Sistema para la Autonomía y Atención a la Dependencia; **COF Sevilla:** Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla; **MEHUER:** Fundación Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras.

Resumen

Objetivo: Identificar las necesidades socio-sanitarias de la población con enfermedades raras que acude a las oficinas de farmacia en España.

Método: Encuesta realizada durante el primer semestre del año 2014, a través de diferentes oficinas de farmacia comunitaria. En total, la muestra alcanzada es de 500 cuestionarios válidos.

Resultados: La población encuestada acude con elevada frecuencia a las oficinas de farmacia, donde adquiere no sólo medicamentos, sino muchos otros productos sanitarios, así como servicios de orientación, asesoramiento e información. Se trata de una población con elevados niveles de dependencia, que experimenta con frecuencia falta de ayudas técnicas y otros apoyos. Se han evidenciado dificultades para la adquisición de medicamentos relacionadas con el coste de los mismos. El impacto de la enfermedad en el presupuesto del hogar es considerable. La población con enfermedades raras (ER) que acude a las oficinas de farmacia, no sufre incertidumbre en el diagnóstico, lo que sí ocurre en buena medida en la población general con ER, que, por tanto, queda invisible a la red farmacéutica.

Conclusiones: El abordaje de las enfermedades requiere un enfoque socio-sanitario, que contemple tanto el enfoque médico y farmacológico, como las necesidades de apoyo en los diferentes espacios de la vida personal y comunitaria, con especial atención al impacto económico de la enfermedad en el hogar.

Palabras clave: enfermedades raras, discapacidad, dependencia, farmacia, medicamentos, medicamentos huérfanos.

Fecha de recepción: 12/08/15 **Fecha de aceptación:** 19/11/15

Correspondencia:
Correo electrónico:

Huete García A.

Abstract

Objective: To identify the social healthcare needs of the population with rare diseases that goes to pharmacies in Spain.

Method: It was carried out a survey during the first semester of 2014 through different community pharmacies. In all, the sample included 500 valid questionnaires.

Results: The surveyed population goes frequently to pharmacies, in where it not only buys drugs but also many other healthcare products. Besides, it also receives orientation, assessment and information services. It is a population with a high degree of dependence that often suffers a lack of technical aids and other assistances. It has been demonstrated difficulties in the acquisition of drugs because of their price. The impact of the disease in the household budget is considerable. The population with rare diseases (RD) that goes to pharmacies has no uncertainty in the diagnosis as in the case of a large portion of the general population with RD that, consequently, becomes invisible for the pharmaceutical network.

Conclusions: The approach of the diseases requires a social healthcare focus that includes both, the medical and pharmaceutical vision and the support needs in the different fields of the personal and community life, with special attention in the economic impact of the disease at home.

Key words: rare diseases, disability, dependence, pharmacy, drugs, orphan drugs.

Introducción

Las Enfermedades Raras (ER) se definen como enfermedades potencialmente mortales, o debilitantes a largo plazo, de baja prevalencia y alto nivel de complejidad. Muchas de ellas son de carácter genético. Se considera que una enfermedad es rara o poco común cuando afecta a menos de 5 de cada 10.000 personas¹.

Según los datos de la Dirección General de Sanidad y protección de los consumidores de la Comisión Europea, entre 5.000 y 8.000 ER distintas afectarán hasta a un 6 % de la población total de la Unión Europea en algún momento de la vida².

La estimación sobre prevalencia más fiable que se dispone en España, proviene del estudio ENSERio promovido por la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), que establece que el número de personas con ER se sitúa entre 787.007 y 839.648 personas³.

En los últimos años se ha registrado un creciente interés público por el fenómeno de las ER⁴, hecho que ha desencadenado esfuerzos desde diferentes instancias para mejorar la asistencia a la población afectada, especialmente desde un punto de vista sanitario.

Huete García A.

Las encuestas realizadas a pacientes con ER pueden constituir una herramienta clave para aumentar el conocimiento sobre estas patologías, y resultar así decisivas para el apoyo a la planificación de servicios sociales y sanitarios, la investigación sobre ellas y el seguimiento farmacoterapéutico de los medicamentos (huérfanos o no) que pudieran emplearse, eventual o permanentemente. Sin embargo, dada la dispersión de la población, las encuestas resultan herramientas difíciles de aplicar a cualquier población con condiciones de salud muy específicas⁵, como es el caso de la población con ER.

En este trabajo se presentan los resultados fundamentales de una encuesta aplicada a personas con ER a través de oficinas de farmacia en España. Para realizar esta encuesta, se han planteado los siguientes objetivos:

Objetivo general

Identificar las necesidades socio-sanitarias de la población con enfermedades raras que acude a las oficinas de farmacia en España.

Objetivos específicos

Caracterizar el colectivo de población con enfermedades raras que acude a las oficinas de farmacia.

Describir el uso de recursos socio-sanitarios que realizan, con especial atención al uso de servicios farmacéuticos.

Identificar posibles mejoras en la atención en la oficina de farmacia.

Método

Dada la especial configuración de la población (escasa) y su elevada dispersión, resulta prácticamente imposible la composición de una muestra de personas con ER por métodos aleatorios tradicionales. Una manera efectiva de aproximación a las personas a encuestar, es a través de los recursos comunitarios (públicos o privados) que prestan servicios de apoyo, como es el caso de las oficinas de farmacia comunitaria, que se han utilizado como puntos de muestreo a partir de las cuales se han obtenido las unidades de análisis (personas con enfermedad rara). Debe considerarse por tanto como universo poblacional la población con ER que acude frecuentemente a las oficinas de farmacia.

La encuesta se ha administrado durante el primer semestre del año 2014, a través de oficinas de farmacia comunitaria. En total, se han recibido quinientos cuestionarios válidos (n=500), lo cual ofrece un margen de error de +/- 4,48% para unos supuestos de máxima heterogeneidad (p=q=50%) y un nivel de confianza del 95%.

El cuestionario estaba compuesto por 34 preguntas, en su mayoría cerradas y organizadas en 3 bloques principales: características sociodemográficas, tratamiento y servicios de apoyo. La administración del cuestionario se realizó

Huete García A.

mediante entrevista en las propias oficinas de farmacia, con la opción de respuesta auto-administrada, en el caso de ser solicitado así por las personas con ER. En ambos casos, existía la posibilidad de contestar en papel o mediante plataforma web.

El cuestionario ha sido contestado en su mayoría por personas con ER clientes habituales de oficinas de farmacia, aunque un 27,4% lo han hecho a través de informantes clave (familiar u otra persona de referencia). Por sexo se han obtenido 63,2% de cuestionarios contestados por mujeres, mientras que por edad la distribución ha sido la que se indica en la Tabla 1.

	Total	Porcentaje
0 a 16 años	94	18,80%
17 a 33 años	99	19,80%
34 a 50 años	188	37,60%
51 a 67 años	100	20,00%
68 a 84 años	12	2,40%
85 o más años	0	0,00%
Ns/Nc	7	1,40%
Total	500	100,00%

Tabla 1. Distribución de la muestra según grupos de edad.

Fuente: Encuesta a personas con ER clientes de oficinas de farmacia comunitaria (2014). Elaboración propia.

Aunque no se pretende representatividad territorial, cabe indicar que se ha recibido al menos un cuestionario de municipios de todas las provincias a excepción de Álava, Albacete y Palencia. Las provincias que más respuestas han aportado a la muestra son, por este orden: Madrid (98), Sevilla (48), Alicante (44), Cantabria (32), Barcelona (27), Navarra (21), Málaga (13), Valencia (13), Vizcaya, Zaragoza y Almería (11 cada una).

Por tamaño de municipio, la muestra se ha distribuido tal como se indica en la Tabla 2

	Total	Porcentaje
Menos de 2.000 habitantes	22	4,40%
Entre 2.000 y 10.000 habitantes	75	15,00%
Entre 10.001 y 50.000 habitantes	92	18,40%
Entre 50.001 y 500.000 habitantes	170	34,00%
Más de 500.000 habitantes	117	23,40%
Ns/Nc	24	4,80%
Total	500	100,00%

Tabla 2. Distribución de la muestra según tamaño de municipio de residencia.

Fuente: Encuesta a personas con ER clientes de oficinas de farmacia comunitaria (2014). Elaboración propia.

Huete García A.

Resultados

Los resultados indican que 9 de cada 10 personas con ER que acuden a la farmacia comunitaria tienen un diagnóstico confirmado, aunque la dispersión diagnóstica es muy alta: se ha referenciado más de un centenar de patologías diferentes, aunque las más frecuentemente citadas son: Behçet, Arnold Chiari, Fibrosis Quística, Angioedema, Mastocitosis, Linfagiomatosis, Miastenia Gravis, Prader Willi, Esclerosis Múltiple, Lupus, Distrofia Muscular de Duchenne, Esclerodermia y Tourette.

De los pacientes que disponen de tratamiento, 5 de cada 10 lo reciben de forma completa, siendo la mayoría de larga duración (89%) y sin fecha de finalización. Un 16% reconoce no recibir el tratamiento que precisa (Tabla 3).

	Total	Porcentaje
Sí, dispongo del tratamiento que preciso	254	50,80%
Dispongo de algún tratamiento, pero incompleto	151	30,20%
No dispongo del tratamiento o tratamientos que necesito	80	16,00%
Ns/Nc	15	3,00%
Total	500	100,00%

Tabla 3. Distribución de la muestra según disponibilidad de tratamiento.

Fuente: Encuesta a personas con ER clientes de oficinas de farmacia comunitaria (2014). Elaboración propia.

La farmacia comunitaria es la fuente mayoritaria de obtención de productos sanitarios y/o farmacéuticos (93%), aunque un 28,8% acude también a centros sanitarios para obtener dichos productos. Casi un 5% de los encuestados reconoce obtener medicamentos y otros productos sanitarios por otras vías (establecimientos varios, internet, ...). Casi el 80% de los pacientes con ER acude al menos una vez al mes a la Farmacia, lo que les convierte en una población de referencia, tal como se detalla en la Tabla 4.

	Total	Porcentaje
Menos de una vez al mes	80	16,00%
Una o dos veces al mes	200	40,00%
Entre dos y cuatro veces al mes	129	25,80%
Una vez a la semana o más	58	11,60%
Ns/Nc	33	6,60%
Total	500	100,00%

Tabla 4. Distribución de la muestra según frecuencia con la que acude a oficinas de farmacia comunitarias.

Fuente: Encuesta a personas con ER clientes de oficinas de farmacia comunitaria (2014). Elaboración propia.

Huete García A.

Además de los medicamentos de fabricación industrial (82%), los productos que con mayor frecuencia demandan los pacientes con ER en la Farmacia son: dermofarmacia (20%), de nutrición y alimentación (18%), formulas magistrales (16%) y material de cura (15%). Además, un 30% de los encuestados, manifiesta demandar servicios de asesoramiento e información, no vinculados a la dispensación de producto alguno.

Los medicamentos más comúnmente adquiridos por la población encuestada son, por orden de frecuencia: Ibuprofeno, L-carnitina (Carnicor), Azatioprina (Inmuriel), Omeprazol, Colchicina+Diciclomina Clorhidrato (Colchimax), Piridostigmina Bromuro (Mestinon), Calcio, Pancreatina (Kreon), Paracetamol, Prednisona, Cromoglicato Disodico, Pregabalina (Lyrica), Corticoides, Ranitidina.

De la población encuestada, un 18,4% reconoce haber utilizado en alguna ocasión medicamentos adquiridos en el extranjero, 12,8% medicamentos huérfanos y 10% medicamentos de uso compasivo.

Al menos uno de cada tres pacientes con ER reconoce experimentar dificultades para obtener los medicamentos o productos sanitarios que precisa (Tabla 5), dificultades relacionadas generalmente con el precio, la falta de existencias o la no comercialización de los productos (Tabla 6).

	Total	Porcentaje
Sí, dispongo de los productos que necesito sin dificultad	315	63,00%
Sí, aunque tengo dificultades para acceder a ellos	102	20,40%
No dispongo de los productos que necesito	64	12,80%
Ns/Nc	19	3,80%
Total	500	100,00%

Tabla 5. Distribución de la muestra según disponibilidad de medicamentos o productos que precisa.
Fuente: Encuesta a personas con ER clientes de oficinas de farmacia comunitaria (2014). Elaboración propia.

	Total	Porcentaje
El producto me sale demasiado caro	135	27,00%
Falta de existencias del producto	115	23,00%
Está indicado para otra patología pero no para la mía	90	18,00%
El producto ha sido retirado o no está disponible	35	7,00%
Se ha de obtener en otro país	33	6,60%
Fórmula farmacéutica inadecuada	11	2,20%
Otro	96	19,20%

Tabla 6. Distribución de la muestra según dificultades para obtención de productos que precisa. (Respuesta múltiple).
Fuente: Encuesta a personas con ER clientes de oficinas de farmacia comunitaria (2014). Elaboración propia.

Huete García A.

El 56% de los pacientes encuestados ha obtenido el reconocimiento de discapacidad y el 21% de dependencia; un 31% dice disponer de las ayudas técnicas que necesita, aunque la mayoría se reconoce insatisfecha por los apoyos que recibe del Sistema para la Autonomía y Atención a la Dependencia (SAAD), de forma que el 72,7% de los que reciben servicios del SAAD se muestran insatisfechos con ellos.

El 83% de la población encuestada tiene a una persona del hogar como principal apoyo personal, apoyos que mayoritariamente les prestan mujeres (61,8%). El 67% pertenece a una asociación relacionada con su ER y un 49% manifiesta haberse sentido discriminada por causa de su enfermedad.

En relación con los efectos que la enfermedad tiene en la vida personal, las actividades para las que más comúnmente reconocen precisar apoyo son, por orden de frecuencia: actividades domésticas (36,2%), transportes y desplazamientos (32,4%) y autocuidado (23,6%). Resulta especialmente reseñable, que un 21,2% reconoce que la propia enfermedad le causa dificultades para seguir el tratamiento médico que le han prescrito.

En cuanto al impacto económico de la enfermedad, el 52,4% ha reconocido que dedica a la atención de su ER un gasto de entre el 10% y el 25% de los ingresos del hogar, mientras que el 14,2% reconoce que más del 25% de los ingresos del hogar se dedican a sufragar gastos relacionados con la atención a la ER. Las principales partidas a las que se dedica el gasto por enfermedad, tiene que ver con atención sanitaria (89%), adquisición de fármacos y otros productos sanitarios (78,8%), ayudas técnicas (27,2%) y asistencia personal (23,8%).

Discusión

La encuesta sobre ER y profesionales de oficina de farmacia, aborda un fenómeno sobre el que existen escasas referencias previas. En el plano social, se trata de una población que en general presenta elevados niveles de dependencia, que experimenta con frecuencia falta de ayudas técnicas y otros apoyos para el desarrollo de la vida diaria. La población con ER resulta frecuentemente afectada por la imposibilidad de acceder a un diagnóstico, hecho que dificulta el acceso tanto a medicamentos como a otros recursos de apoyo necesarios para generar calidad de vida³⁻⁶⁻⁷.

El hecho de que la población encuestada en este trabajo no se vea afectada por esta incertidumbre en el diagnóstico, refuerza la idea de que, en general, la población con ER que acude a las oficinas de farmacia se encuentra ya en un círculo de apoyos que tiene su eje, precisamente, en la disponibilidad de un diagnóstico preciso. Dicho de otra forma, la población con ER afectada por indisponibilidad diagnóstica permanece invisible a los servicios que presta la red de farmacias comunitarias.

En relación con lo anterior, resulta relevante indicar que la población encuestada acude con elevada frecuencia a las

Huete García A.

oficinas de farmacia, donde adquiere no sólo medicamentos, sino otros productos sanitarios, así como servicios de orientación, asesoramiento e información. Se trata por tanto de una población en la que se representa intensamente el rol del farmacéutico comprometido con las necesidades del paciente relacionadas con el uso de los medicamentos, la farmacovigilancia y el seguimiento farmacoterapéutico⁸⁻⁹⁻¹⁰.

El impacto económico de la enfermedad en el hogar de la población encuestada es muy superior los indicadores internacionales¹¹⁻¹²⁻¹³ sobre promedio de gasto en salud. De esta forma, se han evidenciado dificultades para la adquisición de medicamentos relacionadas con el coste de los mismos.

En el plano social, los resultados permiten afirmar que, a pesar de los esfuerzos realizados en políticas públicas¹⁴, la forma y extensión actual de los servicios de apoyo por discapacidad y dependencia se muestran insuficientes para garantizar una calidad de vida adecuada a la población con ER encuestada, permaneciendo el hogar como fuente principal de apoyos.

Conclusiones

La población con ER que acude a las Oficinas de Farmacia se caracteriza por elevados niveles de dependencia y experimenta de manera generalizada falta de ayudas técnicas y otros apoyos.

Se trata de una población que acude con elevada frecuencia a las Oficinas de Farmacia, donde adquiere no solo medicamentos, sino muchos otros productos sanitarios, así como servicios de orientación, asesoramiento e información. Se han evidenciado dificultades para la adquisición de determinados productos relacionadas con el coste de los mismos.

El abordaje de las ER requiere un enfoque sociosanitario¹⁵⁻¹⁶⁻¹⁷⁻¹⁸, que contemple tanto el enfoque médico y farmacológico, como las necesidades de apoyo en los diferentes espacios de la vida personal y comunitaria, con especial atención al impacto económico de la enfermedad. En este contexto resulta de especial interés prestar atención a la población con ER que carece de un diagnóstico cierto, dado que este factor se ha mostrado como un prescriptor clave de calidad de vida e inclusión social.

Agradecimientos

La *encuesta nacional sobre enfermedades raras y profesionales de oficinas de farmacia* es un trabajo impulsado por el Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla (COF Sevilla) junto con la Fundación Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras (MEHUER). La idea original de la encuesta corresponde D. Manuel Pérez Fernández, Presidente del COF Sevilla. El diseño metodológico y análisis de datos corresponden al autor, que expresa su reconocimiento y agradecimiento al equipo técnico del Centro de Información del Medicamento del COF Sevilla,

Huete García A.

y especialmente a su coordinadora, Encarni García Bermúdez, por las tareas de soporte y difusión realizadas. Corresponde además agradecer la colaboración desinteresada de profesionales de decenas de oficinas de farmacia en la administración del cuestionario, y a las personas con enfermedades raras que han participado.

Un avance de resultados de esta encuesta fue presentado en el VII Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras, celebrado en Sevilla, del 12 al 14 de febrero de 2015.

Bibliografía

1. Orphanet: Portal de información oficial de la Unión Europea sobre enfermedades raras y medicamentos huérfanos (español). (Acceso 23/5/2015). Disponible en: <http://www.orpha.net>
2. Consejo Europeo (EC). Reglamento No. 141/2000 sobre medicamentos huérfanos. [online]. (Acceso 3 de Julio de 2015). Disponible: http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-1/reg_2000_141/reg_2000_141_en.pdf
3. Díaz E, Huete A. Estudio sobre Situación de Necesidades Sociosanitarias de las personas con Enfermedades Raras en España. Estudio ENSERIO. 2009. Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER).
4. Bañón A, Requena S. La representación de las enfermedades poco frecuentes en el discurso periodístico español. Propuestas para el análisis. Pragmática Sociocultural. 2012. Volumen 8 (2). 180–222.
5. Huete A, Quezada M. La discapacidad en las fuentes estadísticas oficiales. Examen y propuestas de mejora. Análisis formal y de contenido sobre discapacidad en las referencias del Instituto Nacional de Estadística (INE). 2012. CINCA.
6. Avellaneda A, Izquierdo M, Torrent-Farnell J, Ramón J. Enfermedades raras: enfermedades crónicas que requieren un nuevo enfoque sociosanitario. Anales del Sistema Sanitario de Navarra. v.30 n.2 Pamplona mayo-ago. 2007. Disponible en: http://scielo.isciii.es/scielo.php?pid=S1137-66272007000300002&script=sci_arttext
7. García-Ribes M, Gaité L. El médico de familia ante las enfermedades raras: un nuevo desafío para la coordinación asistencial. Aten Primaria. 2005; 36: 243.
8. Carpenter DM, Blalock SJ, DeVellis RF. Patients with rare diseases using pharmacists for medication information. J Am Pharm Assoc. 2012; 52(6):e175-82. doi: 10.1331/JAPhA.2012.12047.
9. Grupo de Consenso. Documento de Consenso en Atención Farmacéutica. Ministerio de Sanidad y Consumo. Ars Pharm. 2001; 42: 223-243.
10. Nagore Induráin C, Lacalle E, Arteché L. The pharmacist, rare diseases and orphan medicines. An Sist Sanit Navar. 2008; 31 Suppl 2:127-43.
11. Khurshid A, Ajay M. Economic impacts of health shocks on households in low and middle income countries: a review of the literature. Globalization and Health. 2014; 10:21. Disponible en: <http://www.globalizationandhealth.com/content/10/1/21>
12. Tendencias recientes del gasto social dentro del gasto público y del gasto de los hogares en salud. En: Panorama social de América Latina. 2013. CEPAL.

Huete García A.

13. Organización Mundial de la Salud. "An estimation of the economic impact of chronic noncommunicable diseases in selected countries". Department of Chronic Diseases and Health Promotion (CHP). 2006
14. Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud. Sanidad, 2014. Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad. Disponible en: http://www.msssi.gob.es/organizacion/sns/planCalidadSNS/pdf/Estrategia_Enfermedades_Raras_SNS_2014.pdf
15. Palau F. Enfermedades raras, un paradigma emergente en la medicina del siglo XXI. Medicina Clínica. 2012; 134 (4), 161–168. Disponible en: <http://www.elsevier.es/es-revista-medicina-clinica-2-articulo-enfermedades-raras-un-paradigma-emergente-13147117>
16. Las enfermedades raras: luces y sombras de una realidad que precisa de atención pública. Ararteko. 2012. Serie: Jornadas sobre Derechos Humanos. Disponible en: <http://www.siiis.net/documentos/ficha/202899.pdf>
17. Posada M, Abaitua I. Recursos Asistenciales de Investigación en Enfermedades Raras Ubicados en la Comunidad de Madrid. FEDER. 2009. Disponible en: <https://spainrdr.isciii.es/en/Documents/Recursos%20Asistenciales%20y%20de%20Investigación%20en%20ER.pdf>
18. Posada M, Martín-Arribas C, Ramírez A, Villaverde A, Abaitua I. Enfermedades raras. Concepto, epidemiología y situación actual en España. An Sist Sanit Navar. 2008; 31:9-20.