

EL DEBAT SOBRE LES MALALTIES POC FREQUENTS

UNA MIRADA A TRAVÉS DELS MITJANS DE COMUNICACIÓ

ANTONIO M. BAÑÓN HERNÁNDEZ I JOSEP A. SOLVES ALMELA

Les malalties poc freqüents (MPF) són aquelles que afecten menys de cinc persones per cada 10.000. Hi ha unes 7.000 MPF, són difícils de diagnosticar i molt poques disposen de tractament. En el present article s'estudia com apareixen representades en els mitjans de comunicació les argumentacions i contraargumentacions sobre l'accés als medicaments per a aquestes patologies, mitjançant una anàlisi crítica del discurs del cas de la distròfia muscular de Duchenne. La nostra conclusió és que, en els temps de crisi, el debat s'ha polaritzat entorn dels arguments econòmics (el preu dels medicaments), reforçats pel dubte sobre l'eficàcia curativa que ofereixen.

Paraules clau: anàlisi crítica del discurs, malalties rares, mitjans de comunicació, argumentació, medicaments òrfens.

■ LES MALALTIES POC FREQUENTS

Les malalties poc freqüents (MPF), també conegudes com a malalties rares (MR), afecten menys de cinc persones per cada 10.000. Hi ha unes 7.000 patologies identificades com a *rare*s i tenen un origen genètic en un alt percentatge. De vegades són difícils de diagnosticar i molt poques disposen de tractament. Encara que la situació ha millorat en els últims anys, les investigacions continuen sent insuficients i això limita l'horitzó de guariment o de millora. Sobre les MPF hi ha un desconeixement social que també s'aprecia, a vegades, en entorns sanitaris. N'hi ha moltes que són, a més, molt greus i altament discapacitants, sobretot quan es manifesten durant la infantesa.

L'Estudio de Necesidades Sociosanitarias de las personas con Enfermedades Raras y sus familias, ENSERio (Federació Espanyola de Malalties Rares, 2009), revelava que el 50 % d'aquestes persones no se senten satisfetes amb l'atenció sanitària que reben i que la mitjana de temps estimat per a obtenir un diagnòstic és de cinc anys. Quasi el 80 % dels entrevistats va declarar haver-se sentit tractat de manera inadequada alguna vegada per algun professional sanitari i prop del 77 % va

afirmar haver-se sentit discriminat en alguna ocasió per motiu de la seua malaltia.

No obstant això, més enllà d'aquestes dades, a penes hi ha treballs sobre aspectes socials i humanístics de les MPF. Encara que ja s'ha iniciat l'estudi del procés de construcció simbòlica d'aquestes patologies en els mitjans de comunicació i les xarxes socials (Armayones, Requena, Gómez, Pousada i Bañón, 2015; Bañón, Fornieles, Solves i Rius, 2011), així com de la repercussió que el perfil d'aquest tipus de patologies pot tenir en la interacció metge-pacient (Budysh, Helms i Schultz, 2012), continua pendent l'anàlisi detallada dels arguments polítics i econòmics esgrimits a l'hora de debatre sobre MPF. D'ací que ens centrem en aquesta anàlisi en el present article.

«HI HA UNES 7.000 PATOLOGIES IDENTIFICADES COM A “RARES” I TENEN UN ORIGEN GENÈTIC EN UN ALT PERCENTATGE»

■ EL DISCURS PÚBLIC SOBRE LES MALALTIES POC FREQUENTS

A pesar de tot, en els últims quinze anys les MPF han aconseguit fer-se un espai més o menys estable en l'agenda científica, mediàtica, politicoinstitucional i social (Solves, Bañón i Rius, 2015). Els principals protagonistes, afectats i familiars, han treballat bé la

comunicació i han sabut diferenciar missatges per a cadascun dels grups fonamentals. Als polítics i gestors se'ls ha intentat convèncer que les MPF constitueixen avui dia un problema de salut pública que mereix ser valorat com una prioritat sanitària.

En realitat, però, el debat polític sempre ha estat solapat amb l'econòmic, i viceversa. Un editorial de *The Lancet* (maig, 2015) titulat *Reducing the cost of rare disease drugs* ("Reduir el cost dels medicaments de les malalties poc freqüents") definia, no sense ironia, el cost dels medicaments òrfens –que es desenvolupen amb incentius públics perquè no són rendibles per a les empreses farmacèutiques–, com un «efecte advers no desitjat». Igualment, algunes investigacions publicades en revistes científiques de reconegut prestigi no dubten a oferir titulars com aquest: «Expensive drugs for rare disorders: to treat or not to treat?» ("Medicaments cars per a trastorns poc freqüents: tractar-los o no?") (Schlander i Beck, 2009). És fàcil enfocar l'interès en els preus dels medicaments quan la situació econòmica és una de les principals preocupacions de la societat. No obstant això, aquesta associació entre medicaments per a EPF i preus molt elevats genera, a vegades, una metonímia segons la qual les malalties cares impliquen pacients cars. I a aquesta metonímia s'afegeix una paradoxa: la solució (trobar un tractament) és el problema (tenir dificultats per a finançar-lo).

En una entrevista, el secretari general del Ministeri de Sanitat, Serveis Socials i Igualtat afirmava: «Hi ha països on no s'han incorporat els nous medicaments, sobre la base que no eren cost-efectius. Cal reconèixer que el cost de les innovacions és extraordinàriament elevat, hi ha medicaments per a malalties rares que costen 300.000 euros. El problema és que alguns ni tan sols curen» (Marquès, 2015).

És un fragment molt rellevant per al debat, per la responsabilitat de qui ho diu i pel contingut del que s'ha dit. Fa referència a medicaments aprovats i comercialitzats. Menciona directament les MPF com a exemple de malalties cares. I el que no és menys important: diu que alguns medicaments ni tan sols curen. Aquest plantejament aplica, doncs, dues úniques categories: emmalaltir i curar, negre i blanc. Sense matisos. Caldria debatre sobre plantejaments d'alt calat econòmic però també ètic i científic com els següents: invertim en aquests fàrmacs si detenen la malaltia encara que no la curen? Què fem si aconseguen alentir la malaltia? I si aconseguen una petita millora?

**«LES MALALTIES POC
FREQUENTS, TAMBÉ
CONEGUDES COM
A MALALTIES RARES,
AFECTEN MENYS DE CINC
PERSONES PER CADA
10.000»**



Sobre les malalties poc freqüents hi ha un desconeixement social que també es cospa, a vegades, en entorns sanitaris. En la imatge, cartell oficial del Dia de les Malalties Rares, que se celebra l'últim dia del mes de febrer i que pretén donar a conèixer aquestes malalties així com el seu impacte en la vida dels pacients.

L'autorització per a comercialitzar un medicament orfe no representa un finançament automàtic per part de les administracions o asseguradores. De fet, continua havent-hi una important varietat en aquest sentit entre els distints estats europeus (Picavet, Annemans, Cleemput, Cassiman i Simoens, 2012). Per a arribar al finançament, és normal al·ludir a la relació entre cost i efectivitat o cost i utilitat (Graf i Frank, 2015). En la pràctica, la decisió de finançar medicaments òrfens sol derivar-se de la combinació de factors «oficials» (valor terapèutic, impacte sobre el pressupost, preu i impacte en la pràctica clínica) amb els factors «no oficials», com ara la comparació amb allò que s'ha fet en altres països, la influència de les associacions de pacients i d'experts,



Moltes de les malalties poc freqüents són, a més, molt greus i altament discapacitants, sobretot quan es manifesten durant la infantesa.

l'adscripció de la patologia a la varietat adulta o infantil, la reacció dels mitjans de comunicació, el caràcter innovador del producte, el clima polític o les consideracions ètiques (Picavet, Cassiman i Simoens, 2014).

Del que es tracta és, justament, de saber si la societat està disposada a pagar un preu afegit als medicaments com a conseqüència d'aplicar-se a una malaltia considerada rara. Es tracta de caminar o no cap a l'equitat passant inicialment per la solidaritat. En tot cas, sembla clar que les persones amb MPF tenen dret a una atenció adequada, incloent-hi en aquest punt també el tractament (Rombach, Hollak, Linthorst i Dijkgraaf, 2013). Quan hi haja un tractament efectiu, cal administrar-lo, evocant si és necessari la *rule of rescue* (que al·ludeix a la resposta instintiva d'ajuda a persones en risc de perdre la vida, deixant de banda els costos d'aquesta acció) o l'imperatiu legal. Rebutjar un medicament orfe efectiu per qüestions econòmiques no és una opció vàlida, al parer de Luzatto et al. (2015), els que, d'altra banda, advoquen per utilitzar la persuasió i la creativitat per a negociar millors condicions econòmiques. Com negociar amb una asseguradora o amb les administracions que limiten o neguen tractaments òrfens pel seu preu? (Kesselheim, McGraw, Thompson, O'Keefe i Gagne, 2015).

**«LA MITJANA DE TEMPS
ESTIMAT PER A OBTENIR UN
DIAGNÒSTIC ÉS DE CINC
ANYS»**

■ EL TRACTAMENT PER A LA DISTRÒFIA MUSCULAR DE DUCHENNE

Com apareixen representades en els mitjans les complexes argumentacions i contraargumentacions exposades fins ara en notícies sobre dificultats d'accés a medicaments òrfens? Douglas, Wilcox, Burgess i Lynd (2015) troben a faltar que els mitjans, a més de reaccionar a sol·licituds individuals d'ajuda, no serveixen per a entrar en profunditat en el debat sobre costos, riscos i beneficis associats al finançament de medicaments.

Per a il·lustrar aquest tipus de representacions, ens fixem en el cas d'un medicament designat com a orfe per a pacients amb distròfia muscular de Duchenne que han d'encaixar en un determinat perfil (per exemple, continuar caminant). Es comercialitza amb el nom de Translarna i correspon a la substància activa atalurèn, que contribueix a alentir el progrés de la malaltia. A Espanya, alguns pacients han accedit al tractament mitjançant el procediment conegut com «ús compassiu»: el medicament s'administra, excepcionalment, per raons d'urgència i gravetat, a aquests pacients tot i que encara no està aprovat l'ús per al seu cas en concret.

En els dos primers quadrimestres del 2015 vam detectar tres casos de problemes d'accés a l'atalurèn que van tenir especial repercussió en els mitjans: un cas a Andalusia, un altre a la Comunitat Valenciana i un tercer en la Comunitat de Madrid. Ens aturem en aquest últim, protagonitzat per un nen anomenat Sydney i per la seua família. El medicament, desenvolupat per l'empresa PTC Therapeutics Limited, va obtenir l'autorització per a comercialitzar-se el 31 de juliol de 2014.

Encara que l'ideal seria una anàlisi discursiva de, almenys, el temps, l'espai, els actors, les responsabilitats i els arguments, ens aturarem, en aquest article, únicament en l'últim punt, els arguments. Per a això, hem analitzat cinc notícies de distints mitjans i el comunicat emès per la Conselleria de Sanitat de la Comunitat de Madrid. Les notícies, per ordre cronològic, són les següents: 1) «El meu fill tindria el tractament adequat fora de Madrid» (Bengoa i Sevillano, 2015a). 2) Declaracions de la mare de Sydney en *La Sexta Noticias* (Cutillas i Serrano, 2015). 3) «La Comunitat promet ara tractar el nen amb síndrome de Duchenne» (Bengoa i Sevillano, 2015b). 4) «Els pares del nen que pateix Duchenne ja tenen el medicament per al seu fill» (Efe, 2015). 5) «Sydney ja té la medicina per a frenar la malaltia» (Bengoa, 2015). Per la seua banda, el comu-

nicat publicat en la web de la Conselleria de Sanitat deia: «El nen amb síndrome de Duchenne inicia avui el seu tractament» (Comunidad de Madrid, 2015).

Els moments clau del procés, tal com apareixen en aquests textos, serien els següents. Al juliol de 2014 es va aprovar la comercialització del medicament orfe. La família va començar a demanar-lo però l'hospital en què tractaven Sydney va denegar l'accés al fàrmac en dues ocasions, l'última vegada al juliol de 2015. Altres nens en altres comunitats autònomes d'Espanya (així com d'altres països) ja estaven accedint, des de feia mesos, al medicament, mitjançant l'ús compassiu. La família es va decidir a fer públic el problema a través dels mitjans de comunicació i va començar a demanar firmes de suport a través de la plataforma digital Change.org. La Conselleria de Sanitat del govern autonòmic hi va intervenir i va aconseguir, amb l'ajuda del Ministeri de Sanitat, el medicament en un dia, quan els tràmits habituals per a gestionar-ho solen ser d'un mes. El 15 d'agost de 2015, a penes uns dies després de conèixer-se el cas a través dels mitjans de comunicació, Sydney va obtenir el tractament.

En les notícies analitzades identifiquem els següents arguments, depenent si s'adopta una actitud directament o indirectament favorable a la petició (proactiva), o directament o indirectament desfavorable a aquesta petició (reactiva). L'argumentació proactiva es basa en: primer, el medicament és útil, alenteix la malaltia i per això està aprovat per l'Agència Europea del Medicament i ho ha sol·licitat el metge que atén Sydney; segon, el medicament ja s'està subministrant per a altres nens en altres comunitats autònomes mitjançant el procediment d'ús compassiu; i tercer, encara que el medicament tinga un cost elevat, només un grup reduït del 10% dels 400 casos a Espanya podrà rebre el tractament, per la qual cosa el desemborsament serà esporàdic i limitat.

Per la seua banda, l'argumentació reactiva i els elements demostratius apareixen igualment en el discurs mediàtic. Es fonamenta en: primer, el medicament no guareix la malaltia; segon, no està comercialitzat encara a Espanya (encara que estiga aprovat per l'Agència Espanyola del Medicament, l'hospital té la norma de no atendre aquest tipus de sol·licituds); i tercer, és massa car: més de 300.000 euros l'any. I això en una època en què hi ha restriccions pressupostàries imposades.

En un sol cas, doncs, és possible trobar els arguments i contraarguments bàsics en relació a l'accés a

«MILLORAR LA QUALITAT DE VIDA, ALENTIR O ATURAR EL PROGRÉS D'UNA MALALTIA NO ÉS UN TEMA MENOR QUAN PARLEM DE MALALTIES POC FREQUËNTS»



La mare de Sydney, a la salida del hospital 12 de Octubre con el medicamento para su hijo. - XURR PARA

Sydney ya tiene la medicina para frenar su enfermedad

AITOR BENGEOA. Leganés. Los padres de Sydney, el niño de Leganés que padece distrofia muscular de Duchenne, acudieron ayer al hospital 12 de Octubre para recoger el fármaco especial Ataluren, que puede frenar los síntomas de esta enfermedad rara y actualmente incurable.

La Comunidad de Madrid se lo había negado en dos ocasiones, a pesar de que otras comunidades españolas ya lo dispensaban. Gracias a la movilización de la familia, el pequeño empezará hoy su tratamiento. Su madre, emocionada, ha atribuido su logro a la fuerza del "amor y la voluntad".

Sydney es un niño de cinco años que vive en Leganés al que le chiflan los regalices rojos y la música. Su agudo sentido del oído detecta cadencias y ritmos ocultos en los sonidos que le rodean, que él sigue con precisos tarareos y divertidos bailes que interrumpen solo para sonreír. Una de sus canciones favoritas es *Back to Black*, de Amy Winehouse. También disfruta convirtiendo sus dedos en

pinceles, la salsa de los macarrones que cocina su abuela en témpora y la pared de la cocina en un improvisado lienzo en el que plasma su abstracto arte.

El gusto por pintar es una cualidad que comparte con su madre. Ana Isabel López, de 39 años, quien pocas horas antes se emocionaba al salir del hospital 12 de Octubre junto a su marido, Cristóbal Escudero, aferrada a

un bolso en el que lucía la cara de Sydney. Dentro estaba el fruto de 1,5 años de lucha: el Ataluren, un fármaco que puede ayudar a su hijo a frenar los síntomas de la distrofia muscular de Duchenne, dolencia que padece desde que era un bebé.

Se trata de una enfermedad rara que no tiene cura. Los afectados pierden paulatinamente sus funciones musculares. En torno a

los 12 años han de utilizar silla de ruedas y su esperanza de vida es de unos 30. Solo afecta a varones. En España hay unos 400 pacientes. El Ataluren, que no está comercializado y que solo se puede conseguir con permiso especial en un hospital, está indicado para un pequeño grupo que presenta una mutación genética particular, que es el caso de Sydney.

"Hoy es uno de los días más felices de nuestra vida", explicaban ayer en su casa los padres porque, aunque son conscientes de que la enfermedad es incurable, el nuevo fármaco mejorará la calidad de vida de su hijo. Obtenerlo no ha sido fácil para ellos, que actualmente, además, están desempleados e hipotecados. Hasta en dos ocasiones la Comunidad de Madrid se lo negó, a pesar de que en otras comunidades autónomas se administraba esta medicina, que puede llegar a costar unos 300.000 euros.

Gracias al consejero

Todo cambió esta semana, cuando el caso saltó a los medios de comunicación tras la movilización de la familia del pequeño, que ha contado con el apoyo del Ayuntamiento de Leganés, asociaciones y miles de personas que han respaldado su petición con firmas en la web change.org. "Gracias", ha repetido una y otra vez la madre, nerviosa, a la salida del hospital. Ha extendido el agradecimiento al consejero de Sanidad madrileño, Jesús Sánchez Martínez, que se implicó personalmente para agilizar el proceso de adquisición del Ataluren, que ha tardado 24 horas. López ha pedido, asimismo, que se investiguen esta y otras enfermedades raras.

Hoy, al despertar, su hijo empezará a tomar por fin los sobres que le han prescrito. Tres al día, diluidos en agua o yogur. Hasta entonces, las estrellas y el koala que su madre —apasionada de Australia— ha pintado en las paredes de su habitación velarán, como cada noche, por los sueños de Sydney.

Dalt i a la dreta, una de les informacions analitzades en aquest article. S'hi veu la mare de Sydney, un nen de cinc anys afectat per distrofia muscular de Duchenne, amb el medicament que li havia estat denegat prèviament dues vegades i que pot ajudar a frenar la malaltia del seu fill.

medicaments òrfens amb designació i un alt cost. Però les emocions moltes vegades se superposen a la raó, dimensió aquesta que caldria potenciar més en les informacions periodístiques. Aturem-nos un instant en el primer argument reactivu: el medicament no guareix la malaltia. Del medicament, segons Sydney, es diu que «no guareix, però alenteix la progressió de la malaltia» (Bengoa i Sevillano, 2015a) o que «retarda la progressió d'aquest tipus de distrofia muscular» (Bengoa i Sevillano, 2015b). Millorar la qualitat de vida, alenteix o aturar el progrés d'una malaltia no és un tema menor quan parlem de MPF, tal com s'explicava anteriorment.

■ UN DEBAT POLARITZAT I MANIQUEU

De la nostra anàlisi es conclou que en l'actualitat el debat sobre les MPF s'ha polaritzat i fet maniqueu, de manera que se centra, d'una banda, en el preu dels medicaments i, d'una altra, en la seua eficàcia curativa, sense valorar els efectes positius d'aquests medica-

ELPAÍS 3

MADRID

La Comunidad promete ahora tratar al niño con síndrome de Duchenne

A. B. / E. G. S. Madrid

La Comunidad de Madrid anunció ayer que "facilitará" a Sydney, el niño de cinco años de Leganés que padece una enfermedad rara llamada síndrome de Duchenne, el fármaco experimental Ataluren, que retrasa la progresión de este tipo de distrofia muscular. Esta promesa se produce horas después de que los medios de comunicación publicaran que el hospital 12 de Octubre, dependiente de la Consejería de Sanidad, le estaba negando la medicación. Niños con la misma dolencia que Sydney están recibiendo este tratamiento en otras comunidades autónomas, motivo —la equidad de acceso a la salud— que su madre alegaba para que se lo facilitaran también en la región.

La Comunidad de Madrid emitió una nota de prensa en la que niega que el fármaco se le hubiera denegado. Documentación consultada por EL PAÍS muestra que no es así. El médico del niño solicitó el Ataluren como uso compasivo en marzo de 2015. La Comisión de Farmacia del hospital no lo autorizó, alegando que el fármaco aún no se comercializa en España. La Agencia Europea del Medicamento lo ha aprobado y ya se comercializa en otros países europeos. "Es criterio general de la dirección del hospital no autorizar la adquisición de medicamentos que se encuentran en esa situación", asegura la respuesta.

Criterio: "No autorizar"

A Ana Isabel López, la madre de Sydney, le denegaron una segunda vez el tratamiento. En un documento fechado el 15 de julio, la directora gerente del hospital reconoce que "es posible solicitar" la importación del fármaco como medicamento extranjero —así se ha hecho en otras comunidades—, pero que el criterio del hospital es el de "no autorizar" la compra de este tipo de fármacos. El documento alude para denegarlo al Real Decreto 16/2012, en el que el Gobierno central incluyó recortes en la asistencia sanitaria, entre ellos el copago de los medicamentos de los pensionistas y la exclusión de los inmigrantes sin papeles.

El comunicado de la Comunidad menciona asimismo que al niño se le administrará el fármaco "de acuerdo con criterios clínicos y atendiendo a la solicitud de la doctora" que le atiende. El consejero, Jesús Sánchez Martos, dijo a EL PAÍS que ha citado a los padres del niño a su despacho este miércoles y que ha dado orden al hospital para autorizar el fármaco. "No se tendría que haber denegado", añadió.

ments més enllà de l'estricta curació. En els temps de crisi, i en una qüestió tan important com la vida dels pacients, el debat tendeix a simplificar-se i a eludir els matisos. I s'obliden qüestions com les següents: La societat és coneixedora de la inversió necessària per a posar en marxa un medicament qualsevol? Tenim formació sobre els assajos clínics i sobre el procés d'investigació en general? Estem formats per a utilitzar el nostre sistema sanitari perquè pugui invertir el que és necessari en allò que és més important? Sabem el que són les MPF i quines són les seues específiques característiques mèdiques i psicosocials? Com contribueixen els mitjans al coneixement d'aquestes qüestions?

Són preguntes totes que haurien d'estar més presents quan parlem de models sanitaris i, en tot cas, només podrien ser respostes si es posa en marxa, amb l'ajuda dels mitjans de comunicació, un sistema de formació adequada sobre salut per a la ciutadania. ☺

REFERÈNCIES

- Armayones, M., Requena, S., Gómez, B., Pousada, M., & Bañón, A. M. (2015). El uso de Facebook en asociaciones españolas de enfermedades raras: ¿Cómo y para qué lo utilizan? *Gaceta Sanitaria*, 29(5), 335–350. doi: 10.1016/j.gaceta.2015.05.007
- Bañón, A. M., Fornieles, J., Solves, J. A., & Rius, I. (Coords.). (2011). *Desafíos y estrategias comunicativas de las Enfermedades Raras. La investigación médica como referente*. València: CIBERER.
- Bengoa, A. (2015, 15 d'agost). Sydney ya tiene la medicina para frenar la enfermedad. *El País*. Consultat en http://politica.elpais.com/politica/2015/08/14/actualidad/1439564446_804178.html
- Bengoa, A., & Sevillano, E. G. (2015a, 11 d'agost). Mi hijo tendría el tratamiento adecuado fuera de Madrid. *El País*. Consultat en http://ccaa.elpais.com/ccaa/2015/08/10/madrid/1439240131_518758.html
- Bengoa, A., & Sevillano, E. G. (2015b, 12 d'agost). La Comunidad promete ahora tratar al niño con síndrome de Duchenne. *El País*, p. 3.
- Budyk, K., Helms, T. M., & Schultz, C. (2012). How do patients with rare diseases experience the medical encounter? Exploring role behavior and its impact on patient-physician interaction. *Health Policy*, 105(2–3), 154–164.
- Comunidad de Madrid. (2015, 13 d'agost). El niño con síndrome de Duchenne inicia hoy su tratamiento. Comunidad de Madrid. Consultat en http://www.madrid.org/cs/Satellite?c=CM_Actualidad_FA&cid=1354515183117&language=es&pagename=ComunidadMadrid%2FEstructura
- Cutillas, P., & Serrano, M. (2015, 11 d'agost). Noticias La Sexta. [Emissió de televisió]. Madrid,

- España: La Sexta TV. Consultat en http://www.lasexta.com/noticias/sociedad/reclaman-comunidad-madrid-que-medicacion-sidney-ninos-que-sufre-distrofia-muscular-duchenne_2015081100115.html
- Douglas, C., Wilcox, E., Burgess, M., & Lynd, L. (2015). Why orphan drug coverage reimbursement decision-making needs patient and public involvement. *Health Policy*, 119, 588–596. doi: 10.1016/j.healthpol.2015.01.009
- Efe. (2015, 14 d'agost). Los padres del niño que sufre Duchenne ya tienen el medicamento para su hijo. *Efe*. Consultat en <http://www.efecom.com/efe/espana/sociedad/los-padres-del-nino-que-sufre-duchenne-ya-tienen-el-medicamento-para-su-hijo/10004-2688235>
- Federación Española de Enfermedades Raras. (2009). *Estudio sobre situación de necesidades socio-sanitarias de las personas con enfermedades raras en España. Estudio ENSERio*. Madrid: Caja Madrid.
- Graf, J. M., & Frank, M. (2015). Rare is frequent and frequent is costly: Rare diseases as a challenge for health care systems. *European Journal of Health Economics*, 16, 113–118. doi: 10.1007/s10198-014-0639-8
- Kesselheim, A., McGraw, S., Thompson, L., O'Keefe, K., & Gagne, J. (2015). Development and use of new therapeutics for rare diseases: Views from patients, caregivers, and advocates. *Patient*, 8, 75–84. doi: 10.1007/s40271-014-0096-6
- Luzzatto, L., Hollak, C. E. M., Cox, T. M., Schieppati, A., Licht, C., Kääräinen, H., & Remuzzi, G. (2015). Rare diseases and effective treatments: are we delivering? *The Lancet*, 385(9970), 750–752. doi: 10.1016/S0140-6736(15)60297-5
- Marqués, J. (2015, 28 de juliol). La Sanidad está atendiendo a 185.000 inmigrantes como a cualquier español. *El economista*. Consultat en <http://www.economista.es/interstitial/volver/fords15/sanidad/noticias/6900297/07/15/La-Sanidad-esta-atendiendo-a-185000-inmigrantes-como-a-cualquier-espanol.html#.Kku8Zlj7001EZEH>
- Picavet, E., Annemans, L., Cleemput, I., Cassiman, D., & Simoons, S. (2012). Market uptake of orphan drugs – a European analysis. *Journal of Clinical Pharmacy and Therapeutics*, 37, 664–667. doi: 10.1111/j.1365-2710.2012.01364.x
- Picavet, E., Cassiman, D., & Simoons, S. (2014). Reimbursement of orphan drugs in Belgium: What (else) matters? *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 9, 139. doi: 10.1186/s13023-014-0139-z
- Rombach, S., Hollak, C. E. M., Linthorst, G., & Dijkgraaf, M. G. W. (2013). Cost-effectiveness of enzyme replacement therapy for fabry disease. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 8(1), 29. doi:10.1186/1750-1172-8-29
- Schlender, M., & Beck, M. (2009). Expensive drugs for rare disorders: to treat or not to treat? The case of enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI. *Current Medical Research and Opinion*, 25(5), 1285–1293. doi: 10.1185/03007990902892633
- Solves, J., Bañón, A., & Rius, I. (2015). El OBSER como centro impulsor de la investigación social de las enfermedades minoritarias. En C. Peñafiel, & J. L. Terrón (Coords.), *Estudios de comunicación y salud* (pp. 131–156). Tenerife: Cuadernos Artesanos de Comunicación.
- The Lancet (2015). Reducing the cost of rare disease drugs. *The Lancet*, 385(9970), 746. doi: 10.1016/S0140-6736(15)60420-2

AGRAÏMENTS

Aquest treball forma part del projecte R+D *Llenguatge i Cultura de la Salut*, amb referència CS02014-61928-EXP, subvencionat per la Secretaria d'Estadística, Desenvolupament i Innovació del Ministeri d'Economia i Competitivitat. Les reflexions teòriques també han estat desenvolupades en el marc del projecte *Comunicació, Salut i Migracions a Andalusia*, amb referència 2011/81, subvencionat per la Direcció General de Coordinació de Polítiques Migratòries de la Conselleria d'Ocupació de la Junta d'Andalusia.

Antonio M. Bañón Hernández. Professor de Filologia en la Universitat d'Almeria. És coordinador d'investigació del Centre d'Investigació «Comunicació i Societat» (CySOC) i membre de l'Observatori sobre Malalties Rares (OBSER) de la Federació Espanyola de Malalties Rares (FEDER).

Josep A. Solves Almela. Professor de Comunicació en la Universitat CEU Cardenal Herrera de València. Director de l'Observatori sobre Malalties Rares (OBSER) de la Federació Espanyola de Malalties Rares (FEDER).