



## EUCERD



# RECOMENDACIONES SOBRE CRITERIOS DE CALIDAD APLICABLES A LOS CENTROS ESPECIALIZADOS EN ENFERMEDADES RARAS DE LOS ESTADOS MIEMBROS

24/10/2011

## Recomendaciones sobre criterios de calidad aplicables a los centros especializados en enfermedades raras de los Estados miembros

### 1. INTRODUCCIÓN

#### 1.1. El contexto europeo

Los centros especializados y las redes europeas de referencia para enfermedades raras se mencionan en el informe del grupo de alto nivel de noviembre de 2005, en la Comunicación de la Comisión al Parlamento Europeo, al Consejo, al Comité Económico y Social Europeo y al Comité de las Regiones «Las enfermedades raras: un reto para Europa» (11.11.2008) y en la Recomendación del Consejo relativa a una acción en el ámbito de las enfermedades raras (8.6.2009), así como en las recomendaciones de Europlan (proyecto europeo para la elaboración de planes nacionales y estrategias contra las enfermedades raras) y en los artículos 12 y 13 de la Directiva de asistencia sanitaria transfronteriza (9.3.2011).

En el grupo operativo sobre enfermedades raras (2005-2009) y en el comité de expertos de la Unión Europea en enfermedades raras (2010-2011) se analizó la situación actual de estos centros y redes de referencia en Europa. Se publicaron varios informes de resultados de seminarios en los que los sectores interesados pudieron expresar sus puntos de vista.

Las presentes recomendaciones se derivan directamente de los siguientes documentos:

- Directiva 2011/24/UE del Parlamento Europeo y del Consejo, relativa a la aplicación de los derechos de los pacientes en la asistencia sanitaria transfronteriza: <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:L:2011:088:0045:0065:ES:PDF>
- Comunicación de la Comisión «Las enfermedades raras: un reto para Europa»: [http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/docs/rare\\_com\\_es.pdf](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_es.pdf)
- Recomendación del Consejo, de 8 de junio de 2009, relativa a una acción en el ámbito de las enfermedades raras (2009/C 151/02): <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:ES:PDF>
- El trabajo del grupo de alto nivel sobre servicios de salud y atención médica en 2005: [http://ec.europa.eu/health/archive/ph\\_overview/co\\_operation/mobility/docs/highlevel\\_2005\\_013\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/archive/ph_overview/co_operation/mobility/docs/highlevel_2005_013_en.pdf)
- El informe del grupo operativo *Overview of Current Centres of Reference on rare diseases in the EU* («Panorama de los actuales centros de referencia sobre enfermedades raras en la UE») (septiembre de 2005): <http://www.eucerd.eu/upload/file/Publication/RDTFECR2005.pdf>

- El informe del grupo operativo *Centres of Reference for Rare Diseases in Europe – State of the art in 2006 and Recommendations of the Rare Diseases Task Force* («Los centros de referencia sobre enfermedades raras en Europa. Situación en 2006 y recomendaciones del grupo operativo») (diciembre de 2006): <http://www.eucerd.eu/upload/file/Publication/RDTFECR2006.pdf>
- El tercer informe del grupo operativo *European Reference Networks in the field of Rare Diseases: State of the art and Future Directions* («Las redes europeas de referencia para enfermedades raras: situación actual y futuras líneas de actuación») (julio de 2008): <http://www.eucerd.eu/upload/file/Publication/RDTFERN2008.pdf>
- El informe del comité de expertos *Centres of expertise and European Reference Networks for Rare Diseases* («Los centros especializados y las redes europeas de referencia para enfermedades raras») (8 y 9 de diciembre de 2010): <http://www.eucerd.eu/upload/file/WorkshopReport/EUCERDWorkshopReportCECERN.pdf>
- El informe de la reunión del comité de expertos *National centres of expertise for rare diseases & European collaboration between centres of expertise* («Los centros nacionales de referencia para enfermedades raras y la colaboración entre ellos») (21 y 22 de marzo de 2011): <http://www.eucerd.eu/upload/file/EUCERDReport220311.pdf>
- El informe del comité de expertos *Preliminary analysis of the experiences and outcomes of pilot European Reference Networks for rare diseases* («Análisis preliminar de las experiencias y resultados de las redes europeas piloto de referencia para enfermedades raras») (mayo de 2011): <http://www.eucerd.eu/upload/file/Reports/ERN2011Analysis.pdf>
- Europlan: *Recommendations for the development of National Plans for rare diseases* («Recomendaciones para la elaboración de planes nacionales contra las enfermedades raras»): [http://www.europlanproject.eu/public/contenuti/files/Guidance\\_Doc\\_EUROPLAN\\_20100601\\_final.pdf](http://www.europlanproject.eu/public/contenuti/files/Guidance_Doc_EUROPLAN_20100601_final.pdf)

En el anexo 1 se presenta una cuidadosa selección de extractos de estos textos.

## 1.2. METODOLOGÍA DEL COMITÉ DE EXPERTOS PARA LA ELABORACIÓN DE SUS RECOMENDACIONES SOBRE CRITERIOS DE CALIDAD APLICABLES A LOS CENTROS ESPECIALIZADOS EN ENFERMEDADES RARAS DE LOS ESTADOS MIEMBROS

En el seminario de 21 y 22 de marzo de 2011 del comité de expertos, dedicado a los centros nacionales y las redes europeas de referencia para enfermedades raras, se propuso que los debates sirvieran para precisar las recomendaciones y los conceptos del grupo de alto nivel sobre servicios de salud y atención médica y del grupo operativo.

La secretaría científica del comité de expertos redactó un proyecto de recomendaciones a partir de documentos ya publicados sobre los centros nacionales y las redes europeas de referencia que se mencionan en el punto 1. El borrador se envió a todos los miembros del comité de expertos para que expusieran sus observaciones, tras lo cual, el 8 de septiembre de 2011, se revisó su redacción en un encuentro entre miembros del comité y representantes de los Estados miembros. Este borrador revisado se presentó a todos los miembros del comité antes de su tercera reunión, celebrada los días 24 y 25 de octubre de 2011, en la cual el comité de expertos aprobó las recomendaciones.

Estas recomendaciones pretenden ayudar a los Estados miembros en sus reflexiones o en la orientación de su política sobre estrategias y planes nacionales contra las enfermedades raras, al abordar la organización de la asistencia sanitaria a escala nacional y europea. También pueden ser útiles para el comité de la Directiva de asistencia sanitaria transfronteriza en su trabajo sobre las redes europeas de referencia.

Téngase en cuenta que el orden de las recomendaciones en el presente documento no constituye una asignación de prioridades.

## **2. RECOMENDACIONES**

### **2.1. Cometido y ámbito de actuación de los centros especializados en enfermedades raras de los Estados miembros**

1. Abordan las enfermedades o afecciones que, por la dificultad de su diagnóstico, requieren atención específica para evitar sus complicaciones o ponerles tratamiento.
2. Son estructuras de gestión y atención a los aquejados de enfermedades raras en una determinada zona, preferentemente nacional, e internacional si es necesario.
3. El ámbito combinado de todos estos centros de un Estado miembro cubre todas las necesidades de los pacientes de enfermedades raras, aunque cada centro no pueda prestar una gama completa de servicios para cada enfermedad rara.
4. Agrupan o coordinan competencias y cualificaciones multidisciplinares especializadas del sector asistencial, paramédico y de servicios sociales para hacer frente a las necesidades médicas, de rehabilitación y paliativas de los pacientes de enfermedades raras.
5. Contribuyen a establecer rutas sanitarias a partir de la asistencia primaria.
6. Mantienen relaciones con laboratorios especializados y otras instituciones.
7. Colaboran con asociaciones de pacientes para que se tenga en cuenta el punto de vista de estos.
8. Contribuyen a elaborar y difundir directrices de buenas prácticas.

9. Ofrecen, cuando es posible, formación y adiestramiento a profesionales de todos los sectores, sanitarios (también especialistas paramédicos) y no sanitarios (enseñantes, personal de asistencia a domicilio).
10. Elaboran y ofrecen información accesible y adaptada a las necesidades específicas de los pacientes y sus familias, de los profesionales sanitarios y sociales, en colaboración con asociaciones de pacientes y con Orphanet.
11. Responden a las necesidades de pacientes de diferentes culturas y grupos étnicos (es decir, tienen sensibilidad cultural).
12. Garantizan, según marcos éticos y jurídicos nacionales e internacionales, la no discriminación y no estigmatización de los afectados por enfermedades raras en toda Europa, dentro de su ámbito de competencias.
13. Contribuyen a la investigación, a fin de mejorar la comprensión de la enfermedad y optimizar el diagnóstico, la asistencia y el tratamiento, incluida la evaluación clínica de los efectos a largo plazo de los nuevos tratamientos.
14. Las enfermedades que puede atender cada centro, o el conjunto de los centros de un país, varían en función del tamaño del país y de la estructura del régimen nacional de asistencia sanitaria.
15. Se relacionan unos con otros a nivel nacional y, en su caso, europeo.
16. Se elaboran directorios nacionales de centros designados formalmente centros especializados, que pueden consultarse en el portal Orphanet.

## **2.2. Criterios para la designación por los Estados miembros de centros especializados en enfermedades raras**

17. Capacidad de elaborar y aplicar directrices de buenas prácticas para el diagnóstico y la atención.
18. Gestión de la calidad de la atención sanitaria, teniendo en cuenta la legislación nacional y europea, y participación, cuando proceda, en sistemas de calidad internos y externos.
19. Capacidad de proponer indicadores de calidad de la asistencia sanitaria en su zona, incluido el grado de satisfacción de los pacientes, y de aplicar medidas a partir de los resultados.
20. Alto nivel de conocimientos especializados y experiencia, demostrado, por ejemplo, mediante el volumen anual de remisiones y de segundas opiniones, publicaciones con revisión científica externa, subvenciones, puestos de trabajo y actividades de enseñanza y adiestramiento.
21. Capacidad adecuada para ocuparse de los pacientes de enfermedades raras y ofrecerles asesoramiento especializado.

22. Contribución a la investigación puntera.
23. Capacidad de recabar datos para la investigación clínica y con fines de salud pública.
24. Capacidad de participación en ensayos clínicos, si procede.
25. Cuando proceda, enfoque multidisciplinario que tenga en cuenta las necesidades médicas, paramédicas, psicológicas y sociales (demostrado, por ejemplo, mediante un comité de enfermedades raras).
26. En su caso, organización de la colaboración que garantice la continuidad de la atención de la infancia a la adolescencia y la edad adulta.
27. Organización de la colaboración que garantice la continuidad de la atención entre todas las fases de la enfermedad.
28. Interconexión y colaboración con otros centros especializados nacionales, europeos e internacionales.
29. Interconexión y colaboración con las asociaciones de pacientes, cuando existan.
30. En su caso, disposiciones que permitan derivar pacientes en cada Estado miembro y a otros países de la UE.
31. Disposiciones que permitan mejorar la prestación de la asistencia y, muy en particular, abreviar el plazo para llegar a un diagnóstico.
32. Existencia de modalidades de salud en línea (por ejemplo, sistemas de gestión compartida de casos, sistemas expertos de telediagnóstico y depósito compartido de casos).
- 2.3. Proceso para la designación y evaluación por los Estados miembros de centros especializados en enfermedades raras**
33. Los Estados miembros establecen, designan y evalúan sus centros especializados y facilitan el acceso a los mismos.
34. Los Estados miembros establecen un procedimiento para definir y aprobar los criterios de designación y un proceso transparente de designación y evaluación.
35. Los criterios de designación definidos por los Estados miembros corresponden a las características de la enfermedad o del grupo de enfermedades de que se ocupan los centros especializados.
36. Los centros pueden no cumplir algunos de los criterios definidos por los Estados miembros cuando ello no repercuta en la calidad de la asistencia y siempre que cuenten con una estrategia para cumplirlos en un plazo determinado.
37. El proceso de designación en los Estados miembros garantiza que los centros tienen la capacidad y los recursos para cumplir las obligaciones de la designación.

38. La designación de un centro es válida durante un lapso definido.
39. Los centros se reevalúan periódicamente mediante un proceso incorporado al de designación en los Estados miembros.
40. La autoridad nacional que concede la designación de los centros podrá retirarla si deja de satisfacerse alguna de las condiciones que sirvieron de base para la designación, o si ya no es preciso mantener el servicio nacional.

#### **2.4. Dimensión europea de los centros especializados**

41. Los Estados miembros que disponen de centros especializados comparten su experiencia y sus indicadores de calidad con los demás Estados miembros y coordinan sus esfuerzos para que en la UE haya centros para todos los pacientes de enfermedades raras.
42. La interconexión de los centros es un elemento fundamental de su contribución al diagnóstico y a la atención a los pacientes, de manera que sean los conocimientos, y no los pacientes, los que circulen cuando sea posible; se promueve el intercambio de datos, muestras biológicas, imágenes radiológicas y demás material, como las herramientas electrónicas para el telediagnóstico.
43. Si procede, se organiza la asistencia sanitaria transfronteriza con centros especializados de países vecinos u otros, a los que puedan enviarse muestras biológicas o a los propios pacientes.
44. Los Estados miembros deben informar adecuadamente a los profesionales, los ciudadanos y a las asociaciones de pacientes de las posibilidades y condiciones de acceso a la asistencia sanitaria, nacional e internacional, en el ámbito de las enfermedades raras.
45. Los centros especializados designados por los Estados miembros son elementos fundamentales de las futuras redes europeas de referencia.

# Anexo 1: Extractos de textos relevantes europeos

## **DIRECTIVA 2011/24/UE DEL PARLAMENTO EUROPEO Y DEL CONSEJO de 9 de marzo de 2011 relativa a la aplicación de los derechos de los pacientes en la asistencia sanitaria transfronteriza**

(...)

(54) La Comisión debe ayudar al desarrollo continuado de redes europeas de referencia entre los prestadores de asistencia sanitaria y los centros de referencia de los Estados miembros. 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. Por lo tanto, la presente Directiva debe incentivar a los Estados miembros para que refuercen el desarrollo continuo de las redes europeas de referencia. Las redes de referencia europeas se basan en la participación voluntaria de sus miembros, pero la Comisión debe desarrollar criterios y condiciones que las redes deben reunir para poder optar a ayuda de la Comisión.

(...)

### **Artículo 12**

#### **Redes europeas de referencia**

1. La Comisión apoyará a los Estados miembros en el desarrollo de redes europeas de referencia entre los prestadores de asistencia sanitaria y los centros de referencia de los Estados miembros, en particular en el ámbito de las enfermedades raras. La participación en las redes será voluntaria y sus miembros participarán y contribuirán a las actividades de la red ateniéndose a la legislación del Estado miembro en que los miembros estén establecidos. Las redes estarán abiertas en todo momento a nuevos prestadores de asistencia sanitaria que deseen unirse a ellas, a condición de que dichos prestadores de asistencia sanitaria cumplan todos los criterios y las condiciones exigidos a que se refiere el apartado 4.
2. Las redes europeas de referencia tendrán como mínimo tres de los siguientes objetivos:
  - 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) contribuir a la puesta en común de conocimientos referentes a la prevención de enfermedades;
  - c) contribuir a 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) contribuir a reforzar la investigación, la vigilancia epidemiológica mediante, por ejemplo, registros, y a proporcionar formación a los profesionales de la sanidad;
  - f) contribuir a facilitar 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.
3. Se anima a los Estados miembros a facilitar el desarrollo de las redes europeas de referencia:
- a) conectando a los prestadores de asistencia sanitaria con los centros de referencia adecuados en todo su territorio nacional y garantizando la difusión de información hacia los prestadores de asistencia sanitaria y los centros de referencia adecuados en todo su territorio nacional;
  - b) fomentando la participación de los prestadores de asistencia sanitaria y de los centros de referencia en las redes europeas de referencia.
4. A los efectos del apartado 1, la Comisión:
- a) adoptará una lista de los criterios y condiciones específicos que habrán de cumplir las redes europeas de referencia y las condiciones y los criterios exigidos a los prestadores de asistencia sanitaria que deseen ingresar en las redes europeas de referencia; dichos criterios y condiciones deberán garantizar, entre otras cosas, que las redes europeas de referencia:
    - 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;
  - b) elaborará y publicará los criterios de creación y evaluación de las redes europeas de referencia;
  - c) facilitará el intercambio de información y conocimientos en relación con la creación de las redes europeas de referencia y con su evaluación.
5. La Comisión adoptará mediante actos delegados, de conformidad con el artículo 17 y a reserva de las condiciones establecidas en los artículos 18 y 19, las medidas mencionadas en el apartado 4, letra a). Las medidas contempladas en el apartado 4, letras b) y c), se

adoptarán de conformidad con el procedimiento de reglamentación mencionado en el artículo 16, apartado 2.

6. Las medidas adoptadas en virtud del presente artículo no armonizarán disposiciones legales o reglamentarias de los Estados miembros y respetarán plenamente las competencias de estos en cuanto a la organización y prestación de asistencia sanitaria y atención médica.

### **Artículo 13** **Enfermedades raras**

La Comisión apoyará a los Estados miembros cooperando en el desarrollo de capacidades de diagnóstico y tratamiento, 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) n o 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.

### **RECOMENDACIÓN DEL CONSEJO de 8 de junio de 2009 relativa a una acción en el ámbito de las enfermedades raras**

(...)

(13) En julio de 2004 se creó un Grupo de Alto Nivel de la Comisión sobre Servicios de Salud y Atención Médica para reunir a expertos de todos los Estados miembros a fin de trabajar en aspectos prácticos de la colaboración entre los sistemas sanitarios nacionales de la UE. Uno de los grupos de trabajo de este Grupo de Alto Nivel se centra en las redes europeas de referencia (RER) para las enfermedades raras. Se han desarrollado algunos criterios y principios para las RER, como su cometido para hacer frente a las enfermedades raras. Las RER podrían servir también como centros de investigación y de conocimiento, para tratar a pacientes de otros Estados miembros y asegurar la disponibilidad de servicios de tratamiento ulterior en caso necesario.

(14) El valor añadido comunitario de las RER es especialmente importante en el caso de las enfermedades raras debido al carácter poco común de dichas afecciones, que implica que en cada país el número de pacientes y los conocimientos especializados son limitados. Por tanto, es primordial poner en común los conocimientos a escala europea para garantizar a los pacientes que sufren enfermedades raras el mismo acceso a una información precisa, un diagnóstico apropiado y a tiempo y una asistencia de alta calidad.

(15) En diciembre de 2006, un grupo de expertos del Grupo de Trabajo de la Unión Europea sobre Enfermedades Raras presentó un informe titulado «Contribución a la elaboración de

políticas: por una colaboración europea en materia de servicios de salud y atención médica en el ámbito de las enfermedades raras» al Grupo de Alto Nivel sobre Servicios de Salud y Atención Médica. El informe del grupo de expertos subraya, entre otras cosas, la importancia de identificar centros especializados, así como los cometidos que dichos centros deben cumplir. Asimismo convino en que, en principio y en la medida de lo posible, habría que hacer llegar el conocimiento especializado al paciente y no lo contrario. Algunas de las medidas solicitadas en el informe se incluyen en la presente Recomendación.

(16) La cooperación y puesta en común de conocimientos entre los centros especializados ha demostrado ser un enfoque muy eficaz para tratar las enfermedades raras en Europa.

(17) Los centros especializados podrían seguir un enfoque de asistencia pluridisciplinario para hacer frente a las afecciones diversas y complejas propias de las enfermedades raras.

(...)

#### **IV. CENTROS ESPECIALIZADOS Y REDES EUROPEAS DE REFERENCIA PARA ENFERMEDADES RARAS**

11. Determinar los centros especializados adecuados del territorio nacional antes de finales de 2013, y estudiar el apoyo a su creación.

12. Fomentar la participación de los centros especializados en las redes europeas de referencia, dentro del respeto a las competencias y normas nacionales en relación con su autorización o reconocimiento.

13. Organizar rutas sanitarias para los pacientes de enfermedades raras mediante la cooperación con los expertos pertinentes y el intercambio de profesionales y de conocimiento experto del propio país o de otros, en caso necesario.

14. Apoyar el uso de las tecnologías de la información y de la comunicación, como la telemedicina, cuando sea necesario para permitir el acceso a distancia a la atención sanitaria específica necesaria.

15. Incluir en sus planes o estrategias las condiciones necesarias para la difusión y la movilidad de la pericia y el conocimiento con objeto de facilitar el tratamiento de los pacientes en su proximidad.

16. Animar a los centros especializados a adoptar un planteamiento pluridisciplinario de la asistencia, a la hora de tratar las enfermedades raras.

#### **V. RECABAR CONOCIMIENTOS ESPECIALIZADOS A ESCALA EUROPEA SOBRE ENFERMEDADES RARAS**

17. Recabar los conocimientos especializados nacionales sobre enfermedades raras y apoyar la puesta en común de dichos conocimientos especializados con los de otros países europeos para prestar apoyo a:

- a) la puesta en común de las mejores prácticas sobre herramientas de diagnóstico y asistencia médica, así como educación y asistencia social en el ámbito de las enfermedades raras;
- b) una educación y una formación suficientes para todos los profesionales sanitarios, para hacerles conscientes de la existencia de estas enfermedades y de los recursos de que se dispone para atenderlas;
- c) el desarrollo de formación médica en ámbitos relativos al diagnóstico y a la gestión de las enfermedades raras, como la genética, la inmunología, la neurología, la oncología o la pediatría;
- d) el desarrollo de unas directrices europeas sobre pruebas de diagnóstico o cribado de población en el respeto de las decisiones y competencias nacionales;
- e) un sistema para compartir los informes de evaluación de los Estados miembros sobre el valor añadido terapéutico o clínico de los medicamentos huérfanos en el ámbito comunitario, en el que se recopile el conocimiento y la pericia pertinentes, a fin de minimizar la tardanza en acceder a medicamentos huérfanos para los pacientes que sufren enfermedades raras.