

## Pfizer lanza una campaña en redes sociales para visibilizar los retos que existen en el abordaje de las enfermedades raras y la importancia de impulsar la investigación

- Pfizer apuesta por el poder de la imagen y las redes sociales para sensibilizar a la población general sobre las enfermedades raras y la necesidad de fomentar la investigación y la innovación en este ámbito.
- Las asociaciones de pacientes recuerdan, con motivo del Día Mundial, que más de 3 millones de personas en España padecen algún tipo de enfermedad rara y que en muchos casos no existe ni diagnóstico, ni tratamiento adecuado.

**Madrid, 23 de febrero de 2021.-** ¿Qué es una enfermedad rara o poco frecuente? ¿Qué necesidades existen para avanzar en su abordaje? ¿A qué retos se enfrentan las personas que las padecen, cuidadores y especialistas? Son muchas las preguntas que existen todavía en torno a estas enfermedades que, si bien, son llamadas “raras”, la realidad es que afectan a más de 3 millones de españoles, a casi 30 millones de europeos<sup>1</sup> y a 300 millones de personas en todo el mundo<sup>2</sup>.

Con el objetivo de incrementar su visibilidad y concienciar sobre la importancia de fomentar la investigación en torno a las mismas, la Organización Europea de Pacientes con Enfermedades Raras (EURORDIS) creó el Día Mundial de las Enfermedades Raras que se celebra este 28 de febrero, al que la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) se adhiere y al que Pfizer se suma con una campaña de sensibilización en redes sociales, en colaboración con las ilustradoras muy visibles en Instagram, conocidas como “Las Rayadas”, con el aval de FEDER.

*“En Pfizer tenemos el firme compromiso de trabajar para ofrecer el mejor futuro posible a los pacientes con enfermedades raras (EE.RR.), fomentando la investigación en torno a estas patologías, impulsando el desarrollo de nuevas moléculas que contribuyan a avanzar en su calidad de vida y mejorando el acceso a estas”,* señala **Nuria Mir, directora médica de la unidad de Enfermedades Raras de Pfizer España.**

*“Es importante que esta necesidad y este compromiso llegue a toda la sociedad porque, aunque las llamamos “raras”, lo cierto es que son enfermedades que nos pueden afectar a cualquiera de nosotros o a nuestras familias y que tienen un gran impacto en la vida de quien las padece. A través de estas*

ilustraciones queremos acercar esta realidad al público general y visibilizar los retos que debemos afrontar en ello”, añade **Nuria Mir**.

#### SOBRE LAS ENFERMEDADES RARAS\*

##### ¿Qué es una enfermedad rara?

Una enfermedad es considerada rara cuando afecta a un número limitado de la población total, definido en Europa como menos de 5 por cada 10.000 habitantes.

##### ¿Cuántas enfermedades raras hay y cómo son?

Actualmente existen alrededor de 7000 enfermedades raras identificadas. Generalmente son patologías de carácter crónico, degenerativo y genético en más del 70% de los casos.

Aparecen en la infancia en 2 de cada 3 casos y conllevan una gran discapacidad en la autonomía y que ponen en juego el pronóstico vital de quienes conviven con ellas.

##### ¿Qué debo saber sobre las enfermedades raras?

- Solo el 20% de las EERR están siendo investigadas. El desconocimiento es uno de los principales problemas.
- En España, en el 20% de los casos transcurren 10 o más años hasta lograr el **diagnóstico** adecuado y el 47% de las personas carecen de **tratamiento** o no es el correcto.
- La investigación en estas patologías implica avances aplicables a la medicina general.

\*FEDER – “[Las enfermedades raras en cifras](#)”. Consultado en febrero 2021

En colaboración con Las Rayadas, Pfizer ha elaborado una serie de ilustraciones que abordan algunos de los temas clave en relación a las enfermedades raras: qué son y a quién afectan; la importancia de fomentar la investigación para lograr un diagnóstico y tratamiento adecuado; los retos a los que se enfrentan las personas que las padecen en su día a día.

Con un tono fresco y ameno, pero sin perder un ápice del rigor y la importancia que requiere un tema como este, Las Rayadas han abordado estos ángulos para llegar a la población general con una serie de ilustraciones que se han publicado con motivo de la semana en la que se celebra el Día Mundial de las Enfermedades Raras. Puedes ver las ilustraciones publicadas en el perfil de Instagram de [Las Rayadas](#).

## La investigación, clave para mejorar el abordaje de las EE.RR. y dar respuesta a las necesidades urgentes: diagnóstico y tratamiento adecuado

Debido a la falta de conocimiento en torno a estas patologías, los pacientes con este tipo de enfermedades esperan una media de 4 años hasta obtener un diagnóstico adecuado y en el 20% de los casos transcurren 10 o más años hasta que lo logran<sup>3</sup>. Además, según datos de EURORDIS solamente el 5% de estas enfermedades cuenta con tratamientos aprobados, lo que supone que el abordaje terapéutico se centre en su mayor parte en el tratamiento de los síntomas para reducirlos y para frenar la progresión de la enfermedad.

*“Estamos hablando de enfermedades muy complejas, con multitud de variantes que hacen absolutamente necesario que, para poder avanzar en su tratamiento y abordaje, se apueste por la innovación y la investigación. En Pfizer, estos dos conceptos están en nuestro ADN y contamos con más de 20 años de experiencia en el área y más de 300 profesionales especializados”, subraya Nadia Rodríguez, responsable de la Unidad de Enfermedades Raras de Pfizer.*

En concreto, Pfizer cuenta con tratamientos para diez enfermedades raras en diferentes áreas como: Hemofilia A, Hemofilia B, Amiloidosis por transtiretina, Linfangioleiomiomatosis esporádica, Acromegalia, Déficit de hormona de crecimiento en niños, Trastornos del crecimiento por insuficiencia

renal crónica, Síndrome de Turner, Niños pequeños para su edad gestacional (PEG), Síndrome de Prader-Willi (SPW).

*“Pero somos conscientes de que queda mucho camino por recorrer y la Terapia Génica es uno de los grandes ejes en los que trabajamos desde el año 2014 para mejorar el abordaje de estas patologías. Este tipo de tratamiento tiene como objetivo restaurar la función normal en las células y los tejidos afectados por alguna alteración en el material genético. Este tratamiento abre al menos un nuevo escenario de esperanza para pacientes y especialistas”, explica **Nadia Rodríguez**.*

España tiene un papel protagonista en este esfuerzo por promover la investigación en este tipo de enfermedades y es que en Madrid (San Sebastián de los Reyes) se encuentra uno de los principales centros biotecnológicos de Pfizer, donde se fabrican productos para el tratamiento de la hemofilia. *“Esta es la única planta de la compañía en el mundo que elabora y distribuye productos recombinantes para el tratamiento de la hemofilia A y B, destinados a tratar a más de 15.000 pacientes a nivel mundial”,* precisa **Rodríguez**. *“Durante los últimos años, especialmente entre 2015 y 2019, la planta recibió inversiones por valor de más de 100 millones de euros, a lo que se suma una nueva inversión de 70,2 millones de euros, reflejo del compromiso real de la compañía por avanzar en la investigación y la innovación en este ámbito”,* agrega.

Los ensayos clínicos son clave para avanzar en la investigación en torno a las enfermedades raras y en ello destaca el rol de Pfizer España, cuyos ensayos suponen el 15% del total de los que se llevan a cabo en nuestro país. Las patologías en las que actualmente está involucrada la compañía son Hemofilia A, B, Distrofia Muscular de Duchenne, Glomeruloesclerosis, Acrocondroplasia; Laminopatías; cardiopatía por transtiretina; y en un futuro se espera trabajar también en trombocitopenia inmune y en células falciformes.

#### **Pfizer, innovaciones que cambian la vida de los pacientes<sup>o</sup>**

Pfizer, como compañía biomédica que trabaja para mejorar la salud de las personas, se dedica al desarrollo de terapias y vacunas innovadoras para curar y prevenir enfermedades o aliviar sus síntomas. Con una trayectoria de más de 170 años, Pfizer mantiene su compromiso con la sociedad y apuesta por la I+D para dar respuesta a las necesidades médicas de hoy y del mañana. El avance de la ciencia y la tecnología, así como su aplicación médica, exige colaborar con todos los implicados para maximizar la cartera de medicamentos y que la innovación farmacéutica llegue a todas las personas que la necesitan de manera rápida, asequible, fiable y con transparencia, de acuerdo con los más altos estándares de calidad y seguridad. Para más información [www.pfizer.es](http://www.pfizer.es)

#### **Pfizer Comunicación**

Ana Luzuriaga - 677 932 414  
[ana.luzuriaga@pfizer.com](mailto:ana.luzuriaga@pfizer.com)

#### **Ogilvy**

Cristina Hernández – 630 11 33 55  
[cristina.hernandez@ogilvy.com](mailto:cristina.hernandez@ogilvy.com)  
María Ángeles Pinilla – 699 140 918  
[maria.pinilla@ogilvy.com](mailto:maria.pinilla@ogilvy.com)  
Paula Malingre – 650 839 056  
[paula.malingre@ogilvy.com](mailto:paula.malingre@ogilvy.com)

<sup>1</sup> Federación Española de Enfermedades Raras, Preguntas frecuentes sobre las ER, <https://enfermedades-raras.org>. Consultado en febrero de 2021.

<sup>2</sup> Nguengang Wakap S et al. Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database. European Journal of Human Genetics, 2019. Worldwide population in 2017 of an estimated 7 550 000 000 people. <https://www.nature.com/articles/s41431-019-0508-0>

---

<sup>3</sup> Federación Española de Enfermedades Raras. "Las Enfermedades Raras en cifras" <https://enfermedades-raras.org/index.php/enfermedades-raras/enfermedades-raras-en-cifras> Consultado en febrero de 2021.