

Medicamentos Huérfanos: Una Revisión Necesaria Para Un Problema Sanitario No Resuelto

Daniela FONTANA, Sonia UEMA & María Rosa MAZZIERI *

*Departamento de Farmacia. Facultad de Ciencias Químicas. Universidad Nacional de Córdoba.
Ciudad Universitaria. (5000) Córdoba. Argentina.*

RESUMEN. Los medicamentos huérfanos aparecen oficialmente asociados al diagnóstico, la prevención o el tratamiento de las enfermedades raras o pocos frecuentes. Sin embargo, cuando esta relación se vuelve muy restrictiva, quedan muchas necesidades farmacoterapéuticas insatisfechas. La presente revisión describe la evolución de diversos aspectos relacionados a esta problemática, tales como definiciones y marco regulatorio de “enfermedades raras” y “medicamentos huérfanos” en diferentes países (EE.UU., Japón, Australia, Comunidad Europea). En Argentina no se contempla este tema en normativas específicas, lo que dificulta su análisis epidemiológico y la búsqueda de soluciones adecuadas y oportunas para los pacientes.

SUMMARY. “Orphan Drugs: a Necessary Revision for a Not Resolved Health Problem”. Orphan drugs are officially associated to diagnosis, prevention or treatment of rare diseases. However, if this relationship becomes very restrictive, many pharmacotherapeutic necessities may remain unsatisfied. In the present revision diverse aspects related to this theme, such as definitions and regulations of “rare diseases” and “orphan drugs” in different countries (USA, Japan, Australia, European Community) and their evolution are described. In Argentina, this issue is not considered by specific regulations. So that its epidemiological analysis and the search of timely adequate solutions for patients turns frequently difficult.

PALABRAS CLAVE: Enfermedades raras, Medicamentos huérfanos, Políticas sanitarias.
KEY WORDS: Health policies, Orphan drugs, Rare diseases.

* Autora a quien dirigir la correspondencia. *E-mail:* mrmazzie@dqo.fcq.unc.edu.ar