



Proyecto
Pide un Deseo
México

¡Cómo están! Los saludo con mucho gusto. Bueno, antes que nada quiero felicitar a quienes están trabajando en la construcción de este esfuerzo tan, tan importante, ERCAL: a la gente de ICORD que está impulsando de manera increíblemente positiva todos estos trabajos.

A Stephen Groft, a Manuel Posadas, a Emilio Roldán, muchas gracias por tomarnos en cuenta, muchas gracias por invitarnos a participar, muchas gracias por permitirnos expresar lo que nosotros sentimos, lo que nosotros vemos de la circunstancia que hoy mismo vivimos.

Me solicitaron que hablara de las enfermedades raras en los términos más precisos que sea posible en estos 10 minutos, en México y en Latinoamérica, y bueno, voy a tratar de ser muy preciso sobre todo en los temas que tienen que ver con México.

Permítanme iniciar.

Hablando del estatus de políticas públicas y legislación en el momento presente, bueno, tendríamos que señalar que evidentemente y debido a la condición que guarda el planeta Tierra en estos momentos, los esfuerzos, los trabajos, las determinaciones que al interior del legislativo se tienen que construir, decidir, etc. están suspendidas porque todo lo que tiene que ver con algo que no sea covid no es prioridad en el país en este momento.

Entonces, independientemente de que tengamos muy claro que lo que dejamos en el tintero hasta marzo del año pasado, lo cierto es que poco hemos podido avanzar en esa carpeta de soluciones que entendemos necesaria para nuestros enfermos, por supuesto se sigue trabajando en México en lo que tiene que ver con la decisión que parta desde el legislativo como una política pública asentada en las agendas de participación que hable del tamizaje neonatal ampliado, la adecuación a edades que no

How are you! I greet you with pleasure. Well, first of all I want to congratulate those who are working on the construction of this very, very important effort, ERCAL: the people of ICORD who are promoting all these works in an incredibly positive way.

To Stephen Groft, to Manuel Posadas, to Emilio Roldán, thank you very much for taking us into account, thank you very much for inviting us to participate, thank you very much for allowing us to express what we feel, what we see from the circumstance that we live today.

They asked me to talk about rare diseases in the most precise terms possible in these 10 minutes, about Mexico and Latin America, and well, I'm going to try to be very precise, especially on issues that have to do with Mexico.

Let me start.

Speaking of the status of public policies and legislation at the present time, well, we would have to point out that evidently and due to the condition of planet Earth at the moment, the efforts, the work, the determinations that the legislators have to build, decide, etc., all resolutions are suspended because everything that has to do with something other than covid is not a priority in the country at this time.

So, regardless of whether we are very clear that what we left in the pipeline until March of last year, the truth is that we have not been able to advance much in that portfolio of solutions that we consider necessary for our patients. Of course, we continue working in Mexico on those decisions that start from the legislature and then move on to as a public policy, based on the agenda of our community about the expanded neonatal screening, the inclusion of patients older than 18 years old so they

solamente sean menores de 18 años los atendidos, sino que puedan ser atendidos bajo terapias específicas en instituciones específicas, pacientes que presenten estos problemas de salud.

Hemos estado trabajando en la agenda que se refiere a las terapias en casa, la resolución que tienen que tomar los legisladores para autorizar que las instituciones puedan permitir la salida de sus terapias para que sean aplicadas en otros lugares de manera específica. Estamos trabajando en políticas públicas en salud que tienen que ver con generación de centros de referencia especializados, con generación de oportunidades a través de la distancia en teleconsultas, etc. Estamos haciendo un esfuerzo que tiene que ver con hacer con lo que se tiene todo lo que se debe. Eso es muy importante.

Las actividades nacionales actuales más destacadas no solo tienen que ver con la celebración del día mundial de las enfermedades raras, también tiene que ver con un consecutivo determinado de vocación de difusión a través de todos los medios de comunicación, incluidas por supuesto las redes sociales, que hoy son tan importantes, para que el mensaje de los nuestros alcance a más personas y sensibilice a muchos más ambientes. Eso es determinante.

También una plataforma en la que hemos empezado a construir un esfuerzo al que llamamos TLTPQ desde AcceSalud, que es un brazo de la federación y que ha tenido oportunidad de hablar con todos los involucrados en estos términos de las enfermedades raras y de lo todo lo que estas afectan. Por supuesto que ha sido muy interesante este desarrollo en el que estamos absolutamente convencidos que tenemos que ser obcecados para que se entienda, se conozca y se asimile de manera sensible el mensaje que estamos enviando.

Los retos, barreras y obstáculos a las necesidades de nuestra comunidad son básicamente los de siempre: la negligencia, la desinformación y la falta de compromiso. Hay que estar adecuando periódicamente toda la información que tiene que

can be treated under specific therapies in specific institutions.

We have been working on the agenda that refers to home therapies, the resolution that legislators have to take to authorize institutions to allow the exit of their therapies to be applied in other places in a specific way. We are working on public health policies that have to do with the generation of specialized reference centers, with the generation of opportunities through distance in teleconsultations, etc. We are making an effort that has to do with doing what is needed to be done. This is very important.

The current most outstanding national activities not only have to do with the celebration of the world rare diseases day, but they also have to do with a certain constant dissemination of our materials and ideas through all media, including of course social networks, that today are so important, so that our message reaches more people and sensitizes many more environments. That is decisive.

A new platform is being created in which we have begun to build an effort that we call “Te Lo Tengo Que Preguntar”, developed by AcceSalud, which is an arm of FEMEXER. This TLTPQ has given the opportunity to speak to all those involved in our rare diseases community, and everything that these affect our patients. Of course, this development has been very interesting in which we are absolutely convinced that we have to be determined so that the message we are sending is understood, known and assimilated in a sensible way.

The challenges, barriers and obstacles to the needs of our community are basically the same as always: negligence, misinformation and lack of commitment. We must be periodically adapting all the information that has to reach the groups that

llegar a los grupos que deciden a favor de los nuestros: legisladores, academia, médicos, instituciones. Eso es muy importante, pero hay gente obcecada en no entender lo importante que son las enfermedades raras. Hay resistencias a las que hay que empujar fuertemente para, evidentemente, poder saltarlas y seguir con nuestro camino. ¿Complicado? Muy complicado. Pero es lo que tenemos que hacer. Esa es la tarea fundamental.

Las necesidades legislativas de políticas públicas que tienen que ver con investigación, procesos regulatorios o servicios de salud están siendo perfectamente atendidas por nosotros.

Evidentemente estamos empujando porque no se recorten los fondos a la investigación, que los regulatorios sean más expeditos y congruentes con la realidad internacional cuando una medicación está aprobada en FDA, en EMA y en Asia Oceanía. Para que los servicios de salud sean integrales y puedan permanecer de manera sustantiva creando certezas para los nuestros, que la investigación tenga como soporte el apoyo financiero, las becas, los patrocinios, no solo del gobierno, sino [también] de las instituciones privadas, que hagamos que este ejercicio, pleno y total, caiga en una canasta de oportunidades que beneficie a todos, a quien investiga, a quien atiende, a quien es atendido, a los regulatorios, al gobierno de la República... a todos.

Oportunidades de colaboración hay muchísimas. Por cada problema que tenemos que resolver existe una oportunidad, y si los problemas los vemos como lecciones, cada lección deberá ser asimilada para ejecutar de manera correcta el siguiente paso. Y que ese paso no caiga en el problema que nos enfrentó en la solución anterior. Eso es muy importante. Cada colaboración que a futuro estemos planeando tendrá que ser absolutamente consolidada bajo una lógica de servicio para quien más lo requiere. Hoy mismo, Funsalud e Inmegen en México aliaron esfuerzos con nosotros de manera institucional para crear un abanico de oportunidades que pueda servir no solo a algunos sino a muchos más. Un abanico de oportunidades

decide in favor of ours: legislators, academia, doctors, institutions. That is very important. However there are people stubborn not to understand how important rare diseases are. There are resistances that you have to push hard to be able to jump over them and continue on your way. Complicated? Very complicated. But it is what we have to do. That is the fundamental task.

The legislative needs of public policies that have to do with research, regulatory processes or health services are being perfectly addressed by us.

Obviously we are pushing for research funds not to be cut, for regulations to be more expeditious and consistent with international reality such as when a medication is approved by the FDA, by EMA and by Asia's and Oceania's regulatory agencies. In order to health services be comprehensive and can remain substantively creating certainties for ours, that the research is supported by financial support, scholarships, sponsorships, and not only from the government, but also from private institutions and companies, all that we make this exercise, full and total. We require it to cover a basket of opportunities that benefits everyone, those who investigates, who serves, who is served, the regulatory agencies, the government of the Republic... everyone.

Opportunities for collaboration are plentiful. For every problem that we have to solve, there is an opportunity, and if we see the problems as lessons, each lesson must be assimilated to correctly execute the next step. And that this step does not fall into the problem that we faced in the previous solution. This is very important. Each collaboration that we are planning in the future will have to be absolutely consolidated under a logic of service for those who most require it. Today, Funsalud and Inmegen in Mexico have allied efforts with us in an institutional way to create a range of opportunities that can serve not only some, but many more. A range of opportunities that approaches the academy, that approaches full research, that

que se acerca a la academia, que se acerca a la investigación plena, que se acerca al ejercicio de la vocación por algunos a favor de las enfermedades como las nuestras; es decir, las oportunidades son muchísimas, tantas como las dificultades. De cada dificultad, repito, tendremos oportunidad de cosechar una oportunidad y eso es absolutamente importante.

¿Cómo hemos atendido en estos tiempos las urgencias, las necesidades, los requerimientos de nuestros pacientes? Bueno, evidentemente con la lógica más estricta de la prioridad que tiene que ver con salvaguardar todo lo que podamos a favor de la circunstancia que los rodea, todo, absolutamente todo. Hemos hecho resiliencia encontrando caminos que desde el infortunio han creado una línea de acción que es robusta, con un centro de gravedad poderoso que tiene la federación porque, habrá que decirlo, la federación mexicana de enfermedades raras es la que hace el trabajo en este país. Hay algunos que suman sus esfuerzos nacionales; otros, que creen que hacen algo cuando lo único en lo que se ocupan es en el observar lo que nosotros hacemos. Eso es muy importante.

En México se atiende los mexicanos por mexicanos, sin ninguna consideración del exterior y siempre a favor de la causa más importante que es salvaguardar su vida de manera digna, correcta, con tratamiento cuando hay oportunidad y con la disposición más amplia de las autoridades que se encargan de ese servicio. Evidentemente, la oportunidad del apoyo del mundo entero ha sido fundamental para nosotros. Diez minutos no son suficientes, pero espero hayan ilustrado lo que se está haciendo en México y quién lo está haciendo. Muchas gracias.

approaches the exercise of the vocation in favor of diseases like ours; that is to say, the opportunities are many, as many are the difficulties. From each difficulty, I repeat, we will have the opportunity to reap an opportunity and that is absolutely important.

How have we attended to the emergencies, the needs, the requirements of our patients in these times? Well, evidently with the strictest logic of priority that has to do with safeguarding everything we can in favor of the circumstance that surrounds them, everything, absolutely everything. We have built resilience by finding paths that since the misfortune have created a line of action that is robust, with a powerful center of gravity that our federation has because, it must be said, the Mexican Federation of Rare Diseases (FEMEXER) is the one that does the work in this country. There are some who add their national efforts; others, who believe that they do something when all they are concerned with is observing what we do. This is very important.

In Mexico, Mexicans are served by Mexicans, without any consideration from abroad and always in favor of the most important cause, which is to safeguard their lives in a dignified and correct way, with treatment when there is existence and with the broadest disposition of the authorities that are available and in charge of that service. Obviously, the opportunity for the support of the whole world has been fundamental for us.

Ten minutes is not enough, but I hope they have illustrated what is being done in Mexico and who is doing it. Thank you.