

Expertos y pacientes presentan en el Congreso de los Diputados las claves para mejorar la calidad de vida de las personas con enfermedades hepáticas raras

- En el marco del proyecto LidEHRA, el comité de expertos ha presentado el documento *Abordaje de las enfermedades colestásicas: retos, oportunidad y propuestas de mejora*.
- La guía incluye 15 propuestas y recomendaciones orientadas a mejorar la atención y el abordaje de estas patologías

Madrid, 17 de noviembre de 2025.- El Congreso de los Diputados ha acogido la celebración de la jornada *Enfermedades hepáticas raras: retos y oportunidades para su abordaje*, coorganizada por la Federación Nacional de Enfermos y Trasplantados Hepáticos (FNETH) e Ipsen, en el marco del proyecto LidEHRA, una iniciativa que nació con el objetivo de visibilizar y concienciar sobre la situación de los pacientes, así como de proponer soluciones que lleven a un abordaje óptimo de estas.

Durante la jornada se han desarrollado tres mesas redondas, en las que responsables políticos, expertos sanitarios y pacientes han analizado los principales desafíos en el abordaje de las enfermedades hepáticas raras, la necesidad de avanzar en su diagnóstico y tratamiento, y las oportunidades para mejorar la atención integral y la calidad de vida de los pacientes.

En este contexto, el comité de expertos que integra el proyecto LidEHRA, ha presentado el documento *Abordaje de las enfermedades colestásicas: retos, oportunidad y propuestas de mejora*, una guía de consenso en la que se analizan y detallan los retos, oportunidades de mejora y recomendaciones para un abordaje óptimo de este tipo de enfermedades.

"Las enfermedades hepáticas raras tienen, a pesar de su baja prevalencia, un importante impacto a nivel clínico. Al contrario de lo que ocurre con otras enfermedades raras, actualmente existe innovación terapéutica que permitiría mejorar la vida de los pacientes con algunas de estas patologías, por lo que es muy importante poner el foco en los avances que permitan implementar estas mejoras",

señala María Carlota Londoño, hepatóloga en el Hospital Clínic (Barcelona) y miembro del grupo de investigación en enfermedades hepáticas víricas, genéticas e inmuno-mediadas. Por ello, la formación continuada y actualización de los profesionales sanitarios que atienden a estos pacientes es clave para un manejo óptimo de estas patologías.

Por su parte, Elena Arcega, presidenta de FNETH, ha recordado que *"hablar de estas enfermedades es hablar de personas que se enfrentan a menudo a un largo camino hasta lograr un diagnóstico certero, y que luego se prolonga con la incertidumbre de si habrá tratamiento para la enfermedad, si habrá centros en su entorno con especialistas que puedan atender sus necesidades, etc."*. Por eso, ha subrayado la importancia de estas jornadas, que *"nos permiten dar a conocer lo que para muchos es todavía desconocido, poner sobre la mesa la realidad de estos pacientes y trabajar de forma multidisciplinar por mejorar la situación de las personas con enfermedades hepáticas raras"*.

Abordaje multidisciplinar

Precisamente en el documento de consenso presentado se ha puesto de manifiesto la importancia de la colaboración entre los diferentes perfiles implicados en el abordaje de las enfermedades hepáticas raras.

Por este motivo, el comité de expertos es multidisciplinar y está integrado por profesionales sanitarios de diferentes ámbitos, incluyendo la hepatología, la genética, la enfermería y la farmacia hospitalaria, además de perfiles económicos y de gestión y, por supuesto, por los propios pacientes.

"Una coordinación estrecha entre pediatría y adultos es clave en el proceso de transición, pero también en toda la trayectoria asistencial de los pacientes. La colaboración entre Atención Primaria, los hospitales y los diferentes profesionales implicados en su tratamiento y seguimiento es fundamental para garantizar una atención continuada que les permita mantener la mejor calidad de vida posible", afirma Paloma Martínez Campos, enfermera especialista en pediatría en el Hospital Universitario La Paz.

Tras escuchar el análisis y recomendaciones de los expertos, dos representantes de la Comisión de Sanidad, Elvira Velasco (PP) y María Sainz (PSOE), y el portavoz Vox en la Comisión de Sanidad de las Cortes de Castilla-La Mancha, Iván Sánchez, han reflexionado en la última mesa de esta jornada sobre el papel de las políticas sanitarias en la gestión de las enfermedades hepáticas raras.

“En Ipsen, más allá de ofrecer toda nuestra ciencia y medicamentos innovadores, estamos comprometidos con acompañar a los pacientes en su día a día, comprender sus necesidades reales y colaborar con ellos para que sus vidas no estén condicionadas por la enfermedad, sino guiadas por sus oportunidades y posibilidades”, ha concluido Gabriel Galván, director general de Ipsen Iberia.

Tras analizar e identificar los principales retos clínicos, diagnósticos, terapéuticos y gestión asistencial que se presentan en el abordaje de las enfermedades colestásicas, el documento del proyecto LidEHRA recopila un listado de recomendaciones y soluciones concretas que sirven como hoja de ruta para impulsar el cambio hacia un mejor abordaje.

Si quiere conocerlas, puede leer el documento *Abordaje de las enfermedades colestásicas: retos, oportunidad y propuestas de mejora*.

Sobre las enfermedades hepáticas raras

Las enfermedades hepáticas raras son un conjunto de patologías que se caracterizan por las alteraciones en el funcionamiento del hígado y que, por su prevalencia, son consideradas minoritarias. Pese a esta baja prevalencia, tienen un impacto muy significativo en la salud y la calidad de vida de las personas que conviven con ellas.

Sus causas son diversas, como genéticas o autoinmunes, y se presentan con diversos síntomas dependiendo de la enfermedad, pero algunos de los más comunes son el picor intenso y la fatiga, así como alteraciones en la digestión.

Entre las más conocidas están la colangitis biliar primaria (CBP), la colangitis esclerosante primaria (CEP) y la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC).

Sobre Ipsen

Somos una compañía biofarmacéutica global centrada en ofrecer fármacos transformadores para los pacientes en tres áreas terapéuticas: oncología, enfermedades raras y neurociencias.

Nuestra cartera de productos está impulsada por la innovación externa y respaldada por casi 100 años de experiencia en desarrollo y por nuestros centros de EE. UU., Francia y Reino Unido. Nuestros equipos, presentes en más de 40 países,



y nuestras alianzas a lo largo del mundo nos permiten llevar medicamentos a los pacientes en más de 100 países.

Ipsen cotiza en París (Euronext: IPN) y en EE. UU. a través del *American Depositary Receipt Program* patrocinado de nivel 1 (ADR: IPSEY). Para obtener más información, visite ipsen.com.

Ipsen Pharma España se encuentra ubicada en Barcelona. En España, la compañía dispone de un sólido portafolio en oncología (riñón, próstata, tiroides y tumores neuroendocrinos), enfermedades raras (acromegalia, colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) y trastornos del crecimiento) y neurociencias (trastornos del movimiento). Para más información, visite ipsen.com/Spain

Sobre la FNETH

La Federación Nacional de Enfermos y Trasplantados Hepáticos (FNETH) es una organización no gubernamental que desde 2004 trabaja para dar apoyo al colectivo de pacientes con enfermedades hepáticas y/o trasplantados/as, para intentar lograr una sociedad sensible, consciente e informada sobre la donación de órganos y la realidad que viven los pacientes diagnosticados con una enfermedad hepática. Las cuales normalmente son enfermedades silenciosas y a su vez silenciadas por su estigma. FNETH está integrada por 26 asociaciones de pacientes de todo el territorio nacional, y a su vez forma parte de COCEMFE, ELPA, AEHVE, POP, WHA, ILCM, ESOT, Inidress y el Observatorio de la Hepatitis C.