



EN BÚSQUEDA DE RESPUESTAS: CÓMO COMUNICARSE EFECTIVAMENTE CON LAS COMPAÑÍAS FARMACÉUTICAS Y DE BIOTECNOLOGÍA

EN BÚSQUEDA DE RESPUESTAS: CÓMO COMUNICARSE EFECTIVAMENTE CON LAS COMPAÑÍAS FARMACÉUTICAS Y DE BIOTECNOLOGÍA



INTRODUCCIÓN

Las personas que padecen de enfermedades raras y sin diagnóstico a menudo tienen que conformarse con obtener respuestas limitadas, o no obtener respuesta, a una gran cantidad de preguntas relacionadas con su salud. Con frecuencia, los doctores tienen muy poco —o ningún conocimiento— acerca de la enfermedad rara que padece un paciente, y las opciones de tratamiento son limitadas o inexistentes. Con frecuencia, esto lleva a los pacientes a tomar las riendas del manejo de su diagnóstico y tratamiento.

Los pacientes y sus familias recurren de forma proactiva a las compañías farmacéuticas y de biotecnología para obtener asistencia en muchos asuntos importantes, como por ejemplo:

- El progreso de la investigación
- Obtener acceso a medicamentos aprobados o bajo investigación
- Asistencia con programas de medicamentos y de ayuda al paciente
- Ayuda financiera para enfrentar los costos de la enfermedad
- Servicios de programas de recompensa
- Educación sobre la enfermedad

- Información sobre el producto
- El proceso de desarrollo de la droga
- Recaudación de fondos, subsidios y búsqueda de patrocinadores

Alison Rockett Frase, fundadora y vice presidenta de la Fundación Joshua Frase, lleva casi dos décadas promoviendo la investigación y abogando por los pacientes. Como madre de un niño afectado por una enfermedad rara, ella entiende la importancia de mejorar la comunicación entre los pacientes y familiares de enfermedades raras, y las compañías biofarmacéuticas.

“Tenemos que concientizar y educar a las poblaciones menos representadas, para asegurar una comunicación más abierta, y una inscripción en estudios clínicos más equitativa y balanceada”, dice Alison Rockett Frase. “Todas las partes envueltas tienen que trabajar en equipo para lograr el éxito a todos los niveles.”

Este kit explica cómo pedir ayuda de la industria farmacéutica y de biotecnología, y cómo obtener las respuestas deseadas.

SECCIÓN 1:

TRABAJO PRELIMINAR



Antes de ponerse en contacto con una compañía biofarmacéutica, es importante que los pacientes estén bien informados. Además de hacer una búsqueda de nombres y direcciones en Google, es necesario recaudar cierta información para asegurar una comunicación efectiva entre el paciente y la compañía. Los pacientes deben estar preparados para contestar preguntas como éstas:

- ¿Cuál es la misión y visión de la compañía?
- ¿A qué enfermedad(es) se dedica la compañía?
- ¿Quiénes están al mando de la compañía (equipo ejecutivo, junta de directivos, junta de consultoría científica)?
- ¿Cuál es el proceso de desarrollo de drogas? ¿Tienen alguna droga aprobada?
- ¿Cómo está estructurada la compañía (departamentos, localidades, etc.)? ¿Ofrecen algún recurso a pacientes y doctores?

Mucha de esta información puede encontrarse en el sitio web de la compañía, bajo la sección Sobre nosotros (**About Us**), o bajo enlaces relacionados. Además de los motores de búsqueda de Google y Bing, puede usar este directorio en línea de **WorldPharmaNews** (<http://www.worldpharmanews.com/directory>) para identificar compañías. Si una compañía es pública, los registros de inscripción y reportes anuales archivados con la Comisión de Seguridad e Intercambio de Estados Unidos, (**U.S. Securities and Exchange Commission**), pueden ofrecerle una gran cantidad de información (<http://edgar.sec.gov/edgar.shtml>).

Consejito útil:

“Antes de comunicarse con una compañía (no importa el tamaño de la misma), es bueno saber en qué etapa de investigación se encuentra la enfermedad”, dice Andra Stratton, Co-Fundadora de Lipodystrophy United (Unidos por la Lipodistrofia), una organización que ha trabajado con las compañías farmacéuticas y de drogas asociadas con esa enfermedad.

De acuerdo con Andra Stratton, también es una buena idea informarse sobre lo siguiente:

- ¿Existen pruebas clínicas, no importa la etapa en que se encuentren (www.clinicaltrials.gov)?
- ¿Existe algún “modelo de ratón”? (búscalo en Google)
- ¿Existen tratamientos o medicamentos usados con frecuencia, aun cuando no exista un tratamiento específico para la enfermedad?

Dado que la industria biofarmacéutica desarrolla drogas para varias enfermedades raras, sería bueno averiguar en qué otras organizaciones de apoyo al paciente podrían estar interesados. Además de informarse acerca de la compañía, es importante investigar otros recursos, ya sean organizaciones de apoyo al paciente, o comunidades de apoyo a la enfermedad en línea. Existen muchas organizaciones de apoyo al paciente que pueden proveer guía y apoyo.

Cuando existe una organización de ayuda al paciente

Recientemente, las compañías biofarmacéuticas han reconocido la importancia de relacionarse con las organizaciones de ayuda al paciente durante la creación de estrategias para el desarrollo de drogas.

SECCIÓN 1: TRABAJO PRELIMINAR

Este acercamiento aumenta las posibilidades de establecer y mantener una relación ética y responsable. Es importante que la compañía escuche las voces de los pacientes y entienda sus necesidades.

Las compañías están más receptivas a establecer relaciones con organizaciones de ayuda al paciente que con pacientes individuales. Las organizaciones suelen identificar más rápidamente a la persona indicada dentro de una compañía. Antes de convertirse en Directora de Desarrollo de Investigación Global de la Asociación Internacional de Fibrodisplasia Osificante Progresiva (FOP por sus siglas en inglés), Betsy Bogard trabajó en Genzyme, Genentech y VaxGen. Esa experiencia le permite ofrecer su punto de vista sobre por qué las compañías prefieren tratar con organizaciones de ayuda al paciente, en vez de tratar directamente con los pacientes y sus familias.

“Las compañías sí se relacionan directamente con los pacientes, y creo que deben hacerlo; es importante y productivo. Sin embargo, pienso que en muchos casos es mejor que estas relaciones se desarrollen con el conocimiento o la participación de la organización de ayuda al paciente que corresponde, si es que existe. La organización de ayuda al paciente por lo general tiene un contexto y una perspectiva más amplia de la enfermedad en la comunidad general. La organización también puede tener acceso a expertos y consejeros profesionales que pueden contribuir al diálogo, y pueden asegurar la imparcialidad y transparencia dentro de la comunidad”.

“Dada la responsabilidad que tienen de representar y organizar a la comunidad, estas organizaciones deberían tener la oportunidad de beneficiarse de cualquier información relevante que un paciente comparta con la compañía farmacéutica, o que la compañía comparta con el paciente o la familia.

Imagínese que la compañía farmacéutica y la familia tienen una conversación. Esa información, ¿representa a la mayoría de la comunidad o es más bien una excepción interesante a la regla? Una organización de apoyo al paciente puede ayudar a contestar esa pregunta”.

Si usted desea involucrarse como individuo con una organización de ayuda al paciente, le sugerimos que se informe bien:

- Visite la página de la organización de ayuda al paciente para familiarizarse con el liderazgo de la compañía (equipo de trabajo, junta directiva, y consejeros médicos)
- Familiarícese con los sitios web de las compañías; infórmese sobre sus programas, financiamiento, y si apoyan la investigación
- Sirva de voluntario en algún evento, asista a una conferencia, e infórmese sobre la organización antes de comprometerse más seriamente
- Para más detalles, visite **GuideStar** (www.guidestar.org) para obtener información financiera sobre las organizaciones sin fines de lucro inscritas con el Negociado de Rentas Internas (IRS por sus siglas en inglés)
- Si necesita más información, consulte directamente con la compañía (su director ejecutivo, presidente o miembro de la junta directiva) y aprenda cuáles compañías están involucradas de alguna manera con la enfermedad
- Pregunte quiénes estudian o están relacionados con la enfermedad, incluyendo investigadores académicos
- Pregunte cómo se comunica y relaciona la organización con las compañías, y si es posible recibir información actualizada

Si está interesado en encontrar y unirse a una organización de ayuda al paciente, la oficina de Investigación de Enfermedades Raras (Rare Diseases Research) del Centro

SECCIÓN 1: TRABAJO PRELIMINAR

Nacional para el Avance de las Ciencias de Transferencia, (**National Center for Advancing Translational Sciences**) ha recopilado un **listado de organizaciones de ayuda** que apoyan a las enfermedades raras (http://rarediseases.info.nih.gov/files/Patient_Support_Groups_ORDR%20List.pdf).

Quando no existe una organización de ayuda al paciente

Si no existen organizaciones de apoyo a la enfermedad o al tipo de enfermedad de un paciente, el proceso es similar. Aun cuando no haya una organización establecida, el paciente debe buscar ayuda. He aquí algunas recomendaciones:

- Redes sociales: únase a grupos de Facebook, escuche a otros para tener una idea del tono del grupo, haga y comparta preguntas, reúna información sobre el estado de la investigación, contacte a otros que se han conectado exitosamente con compañías, y aprenda de esas experiencias (puede encontrar una lista de sitios de redes sociales en la **Guía de Recursos**)
- Si hay un grupo de personas interesadas, reúname con ellas y decida cómo proceder; evalúe el interés en seguir adelante con nuevas ideas
- Busque la ayuda de investigadores académicos por medio de contactos académicos/médicos existentes y la Oficina para la Investigación de Enfermedades Raras de los Institutos Nacionales de la Salud (**National Institutes of Health Office of Rare Disease Research**) (<http://rarediseases.info.nih.gov/>)
- Póngase en contacto con otros pacientes y organizaciones de enfermedades raras afiliadas que han logrado colaborar exitosamente en el pasado con las compañías biofarmacéuticas y pídale ayuda

SECCIÓN 2: ACÉRQUESE A LAS COMPAÑÍAS



“La intimidación y la percepción negativa de las poderosas farmacéuticas son dos de las barreras más grandes que existen para acercarse a estas compañías”, dice Andra Stratton, Co-Fundadora y Presidenta de Lipodystrophy United (Unidos por la Lipodistrofia). “En mi experiencia, puede ser un poco más difícil identificar al contacto indicado en una compañía grande, pero siempre hay alguien que valora el trabajo en equipo con los pacientes. El paciente es el verdadero experto y su trabajo es dejarle saber a la compañía que ésta se beneficiará de trabajar con usted”.

Muchas compañías biofarmacéuticas entienden la importancia de conectar regularmente con organizaciones de apoyo y con pacientes en áreas relacionadas a la enfermedad que sirven. Los pacientes proveen entendimiento, opiniones, y en ocasiones, datos relacionados con los programas y productos de una compañía.

Las compañías relacionadas con las comunidades de pacientes también pueden ver oportunidades educativas que podrían ayudar a los individuos afectados y/o a sus proveedores de salud. Es importante saber que no todas las compañías –especialmente las empresas nuevas o pequeñas– tienen actividades establecidas o se relacionan con la respectiva enfermedad o comunidad de pacientes. Es importante que los pacientes sepan que su interacción con una compañía podría ser la primera que una compañía tiene con la comunidad.

Es importante tener una estrategia antes de comunicarse con las compañías. Los pacientes deben preguntarse:

- ¿Qué deseo lograr de esta comunicación?
- Mi mensaje, ¿es claro?
- ¿Sé con quién hablar?

Defina su objetivo

Aunque parezca obvio, es crucial que los pacientes tengan objetivos claros y definidos antes de ponerse en contacto con una compañía, como por ejemplo:

- Obtener asistencia financiera para llevar a cabo una carrera 5K que ayude a reducir los gastos médicos de una familia
- Obtener el patrocinio principal para la gala anual de recaudación de fondos de una organización
- Conectarse con el investigador principal que trabaja con su enfermedad y ayudarlo a familiarizarse con la experiencia del paciente, desde el diagnóstico hasta el tratamiento
- Obtener acceso temprano a una droga que no ha sido autorizada durante pruebas clínicas
- Solicitar la presentación de un artículo sobre la compañía y su trabajo en el boletín informativo de una organización
- Informarse sobre las pruebas diagnósticas para su enfermedad

Tenga en mente que cuando un paciente se acerca a una compañía a hacer una solicitud por primera vez, puede ser beneficioso ofrecer algo a cambio. Los pacientes pueden, por ejemplo, adoptar un mensaje como el que aparece más adelante, que hace una solicitud y ofrece algo a cambio. Los colores asignados ayudan a ilustrar esta relación de mutuo beneficio, que debe ser la fundación de un trabajo en equipo. Cualquier compañía,

SECCIÓN 2: ACÉRQUESE A LAS COMPAÑÍAS

nueva o establecida, apreciará esta manera de pensar de alguien que solicita establecer una conexión.

Los pacientes también deben saber si van a representar la enfermedad como individuos o familiar del paciente, como parte de un grupo con otros pacientes, o como miembros o líderes de una organización para ayuda al paciente. Si el objetivo principal es despertar interés en su enfermedad o en la investigación sobre la misma, refiérase al **Apéndice**. Betsy Bogard, de la Asociación Internacional FOP ofrece algunas sugerencias sobre cómo hacer la conexión.

Prepare el mensaje

Cuando se acerque a las compañías biofarmacéuticas, no olvide que un mensaje bien orientado a la audiencia puede distinguir al paciente de una enfermedad rara. El paciente debe presentarse e identificar su enfermedad, pero debe evitar proveer demasiada información sobre el proceso de diagnóstico o el historial médico en la comunicación inicial, ya sea por correo electrónico, en el buzón de voz, o por teléfono. La persona que recibe el mensaje se puede sentir incómoda de recibir tanta información personal, y la falta de familiaridad con las interacciones con pacientes puede hacer que decida no ayudar. Y por favor recuerde, que no debe solicitar o esperar consejería médica de un representante de la industria.

Jayne Gershkowitz, vice presidenta de ayuda profesional y a pacientes de Amicus Therapeutics, ofrece esto como ejemplo de un mensaje bien dirigido (El texto en azul muestra la solicitud/razón para el contacto, y el texto en verde muestra la oferta, o lo que el paciente puede ofrecer a cambio):

“Soy madre de un paciente, un niño de 3 años que fue diagnosticado recientemente con Síndrome _____ (proporcione enlace a la enfermedad, si está disponible, en <http://rarediseases.info.nih.gov/> o <http://www.omim.org/>). Trabajo como voluntaria con otras familias afectadas por el Síndrome _____ en la búsqueda de información sobre un posible tratamiento. Estoy contactando a ABC Bio **para aprender más sobre su programa de la Enfermedad _____** dada la similitud que esta enfermedad tiene con _____. **Nuestras familias están muy interesadas en cualquier investigación científica o clínica que la compañía esté llevando a cabo**, y en **compartir nuestras experiencias relacionadas a la enfermedad, así como cualquier otra información que pueda ser de ayuda para su compañía**. Déjeme saber cuándo podríamos hablar a su mayor conveniencia. Muchas gracias”.

SECCIÓN 2: ACÉRQUESE A LAS COMPAÑÍAS

Identifique el contacto

Las compañías biofarmacéuticas reciben muchas solicitudes por parte de pacientes y sus familias. Es importante saber a quién debe enviar su mensaje, para asegurarse de obtener respuesta y echar a andar los próximos pasos.

Una búsqueda por Internet suele ser la manera más fácil de identificar a la persona apropiada. Vaya al sitio web de la compañía para saber cómo está estructurada la compañía. ¿Tienen algún departamento de ayuda al paciente, asuntos médicos o públicos, relaciones públicas o comunitarias, o de comunicaciones corporativas? Si no lo tienen, ¿puede encontrar la descripción de algún puesto en la compañía que refleja una interacción directa con la comunidad de enfermedades raras que la compañía sirve?

Si no es fácil localizar esta información, llame y pregunte si hay alguien que interactúa directamente con la comunidad de pacientes. En las compañías pequeñas, hay personas que sirven varias funciones, y puede que haya más de una persona que cumpla este rol, pero bajo otros títulos.

Como último recurso, puede llamar y solicitar la información de contacto del Gerente de Operaciones. Estas personas podrían ayudarle, aunque por lo general no interactúan directamente con la comunidad de pacientes. Dirigirse al Director Ejecutivo debe ser un último recurso, al que debe recurrir solo si una persona tiene comunicación directa con él/ella.

La información anterior asume que el contacto se haga con las oficinas centrales de una compañía. Si la compañía tiene oficinas regionales o locales, los pacientes pueden optar por dirigirse al personal de estas oficinas – consejeros genéticos regionales, gerentes de caso, u otros especialistas de servicios a pacientes asignados a las oficinas regionales.

Importante:

Evite comunicarse con el departamento de investigación clínica o de operaciones clínicas. Las reglas de la industria por lo general prohíben que estos departamentos interactúen directamente con la comunidad de pacientes.



SECCIÓN 3:



CÓMO SOLICITAR ASISTENCIA FINANCIERA

Muchas compañías reciben solicitudes para asistencia financiera, y por eso es importante saber a quién contactar. Comience por visitar el sitio web de la compañía para saber si la compañía tiene información sobre algún programa de contribución, buen ciudadano o de aportación. Lea e imprima la información relevante:

- Reglamentos para donaciones
- Prioridades
- Proceso de solicitud
- Formularios para descargar
- Proceso en línea

Si no hay información disponible, comuníquese con el departamento de ayuda al paciente, relaciones públicas, comunicaciones corporativas, o asuntos médicos.

Los pacientes deben saber qué quieren lograr antes de comunicarse con una compañía – auspicio de un evento, apoyo operacional general, una concesión educacional, o membresía corporativa. También deben preguntar sobre el programa de donación de la compañía y sus requisitos, y proveer una breve descripción de su solicitud. La mayoría de las compañías solo

pueden otorgar concesiones a organizaciones 501c3 sin fines de lucro, pero no a individuos.

Además, debido al aumento en el escrutinio de donaciones dentro de la industria impuesto por la Ley de Transparencia “Sunshine” (**Physician Payment Sunshine Act**) las compañías no pueden tomar decisiones arbitrarias sobre cuáles organizaciones y actividades desean apoyar. Si quiere conocer más sobre el Acta “Sunshine”, la Academia Americana de Cirujanos Ortopédicos (**American Academy of Orthopedic Surgeons**) (<http://www.aaos.org/news/aaosnow/mar13/cover3.asp>) provee amplia información.

Si un paciente conoce a alguien dentro de la compañía que está familiarizado con su organización o enfermedad, el paciente debe informarle con anticipación que estará comunicándose con la compañía y y que mencionará su nombre.

GUÍA DE RECURSOS



Conecte con Pacientes e Investigadores Médicos

Facebook Groups (Grupos de Facebook) (<http://www.facebook.com/help/>): Facebook llega a más de mil millones de usuarios activos al mes, lo que facilita a sus usuarios conectarse con grupos comunitarios de apoyo.

Google Groups (Grupos Google) (<https://groups.google.com/forum/?fromgroups#!overview>): En estos grupos, los usuarios pueden participar en discusiones en línea y mantenerse organizados a través de Google.

Inspire (Inspira) (<http://www.inspire.com>): Inspire conecta a pacientes, familias, amigos, proveedores de cuidado y profesionales de la salud, y ofrece apoyo de salud y bienestar general.

The NCATS Office of Rare Diseases Research (Oficina para la Investigación de Enfermedades Raras del Centro Nacional para el Avance de las Ciencias de Transferencia) (http://rarediseases.info.nih.gov/files/Patient_Support_Groups_ORDR%20List.pdf): Este enlace le da acceso a un listado de organizaciones que apoyan a la comunidad que sufre enfermedades raras. Antes de hacer el acercamiento a una compañía biofarmacéutica, los pacientes deben conectarse a un grupo de apoyo.

NIH Office of Rare Disease Research (Oficina para la Investigación de Enfermedades Raras de los Institutos Nacionales de la Salud) (<http://rarediseases.info.nih.gov/>): La Oficina para la Investigación de Enfermedades Raras de los Institutos Nacionales de la Salud coordina y apoya dicha investigación, responde a las oportunidades para la investigación de enfermedades raras, y provee información sobre ellas. Esta oficina puede proveer información de contacto de investigadores académicos.

PatientsLikeMe (PadresComoYo) (<http://www.patientslikeme.com/>): Los usuarios se unen a este registro para conectarse con personas que se encuentran en situaciones similares. Aquí puede leer las historias de otros pacientes, aprender de sus experiencias, y compartir las suyas.

Rare Connect (Conexión de Enfermedades Raras) (<https://www.rareconnect.org/en>): En este sitio, los pacientes con enfermedades raras pueden conectarse con otros globalmente. Usted puede unirse a un grupo existente o formar su propio grupo, apoyarse mutuamente y compartir experiencias. Los anfitriones del sitio son defensores del paciente.

Rare Share (Sitio para compartir sobre las enfermedades raras) (<http://www.raeshare.org/>): RareShare es un ente social que ayuda a crear comunidades de pacientes, familias, y profesionales de salud que se han visto afectados por padecimientos poco comunes.

GUÍA DE RECURSOS



Yahoo Groups (Grupos Yahoo) (<http://groups.yahoo.com/>): Este sitio pone millones de grupos al alcance de sus dedos. A través de la creación de un grupo Yahoo, los usuarios pueden conectarse con un mundo de pacientes de enfermedades raras y con padres que luchan por sus hijos, inspirando y empoderando a otros.

Conecte con organizaciones paraguas para enfermedades raras

Canadian Organization for Rare Disorders (Organización Canadiense para Enfermedades Raras) (<http://raredisorders.ca/>): CORD es la red nacional de Canadá que representa a las personas que padecen de enfermedades raras. CORD trabaja con los gobiernos, investigadores, médicos clínicos y la industria para promover la investigación, el diagnóstico, tratamiento y servicios para los desórdenes raros en Canadá.

EURORDIS (<http://www.eurordis.org/>): EURORDIS es una alianza de organizaciones de pacientes e individuos activos en el campo de las enfermedades raras en Europa. La alianza es liderada por pacientes y no está afiliada al gobierno.

Global Genes (<http://globalgenes.org/>): Esta organización sin fines de lucro tiene como meta eliminar los desafíos impuestos por las enfermedades raras. Con este fin, desarrolla recursos educativos, provee conexiones, y les ofrece recursos a los pacientes para que sean activistas exitosos.

Japan Patients Association (Asociación Japonesa para Pacientes) (<http://www.nanbyo.jp/>): La asociación sin fines de lucro, creada en el 2005, se enfoca en enfermedades raras y difíciles de tratar, y cuenta con una membresía de casi 300,000 personas provenientes de 72 organizaciones, que incluyen grupos individuales de pacientes y centros regionales. JPA provee servicios a pacientes y familias, brinda apoyo en áreas de política pública, colabora con otras organizaciones en Japón, y organiza foros para pacientes.

National Organization for Rare Disorders (Organización Nacional para los Desórdenes Raros) (<https://www.rarediseases.org/>): NORD provee información a pacientes y familias, ofrece consejería a organizaciones para pacientes, brinda apoyo a la comunidad de enfermedades raras, ofrece subsidios para la investigación, y programas de ayuda al paciente.

GUÍA DE RECURSOS



New Zealand Organization for Rare Disorders (Organización los Desórdenes Raros de Nueva Zelanda) (<http://www.nzord.org.nz/>): NZORD ayuda a las personas afectadas por enfermedades raras y a sus familias a encontrar la información necesaria; provee recursos e información para los grupos de apoyo a las enfermedades raras; está al tanto de asuntos de política pública relacionados a las enfermedades raras; y crea alianzas entre los pacientes/familias, grupos de apoyo, médicos clínicos, investigadores, legisladores y la industria.

Rare Voices Australia (Voces para Enfermedades Raras en Nueva Zelanda) (<https://www.rarevoices.org.au/>): Esta organización es la voz unitaria para todos los australianos que viven con enfermedades raras. Provee una voz sólida comunitaria para promover las políticas de salud y un sistema de salud que funcione para las personas con enfermedades raras.

Taiwan Foundation for Rare Disorders (Fundación para las Enfermedades Raras de Taiwán) (<http://www.tfrd.org.tw/>): La Fundación para las Enfermedades Raras de Taiwán fue creada para proveer apoyo a los pacientes que sufren de enfermedades raras, y que representan una minoría de minorías en Taiwán. Esta organización cree que la calidad de vida de esta comunidad mejora cuando se estimula la investigación médica y se establecen procedimientos formales para el referido, diagnóstico, tratamiento y cuidado de los pacientes con enfermedades raras.

Cómo obtener más información sobre una compañía

Clinicaltrials.gov (<http://clinicaltrials.gov/>): Este sitio web provee un listado de todas las pruebas clínicas que se están conduciendo actualmente en los Estados Unidos y alrededor del mundo. Use el campo de búsqueda para encontrarlas fácilmente.

CheckOrphan (<http://checkorphan.org/>): Una organización sin fines de lucro dedicada a las enfermedades raras, huérfanas y que reciben poca atención. CheckOrphan les permite a los usuarios obtener actualizaciones diarias de las noticias. Suscríbese a sus boletines y obtendrá actualizaciones frecuentes por correo electrónico.

FasterCures (<http://www.fastercures.org/>): El objetivo principal de este grupo de acción del Instituto Milken es salvar vidas mediante la aceleración y mejoramiento del sistema de investigación médico. Suscríbese a sus boletines y lea las noticias más recientes sobre las compañías biofarmacéuticas, sus productos, y sus programas. Haga clic en el botón "Connect" en la página de inicio de FasterCures.

GUÍA DE RECURSOS



GuideStar (<http://www.guidestar.org/>): Este servicio informativo recoge y disemina información sobre todas las organizaciones sin fines de lucro registradas con el Negociado de Rentas Internas (IRS por sus siglas en inglés). El servicio ofrece información sobre la misión de cada agencia sin fin de lucro, su legitimidad, impacto, reputación, finanzas, programas, transparencia, gobernación, y más.

Orphan Drugonaut Blog (Blog sobre drogas para enfermedades huérfanas) (<http://orphandrugonaut.wordpress.com/>): Este recurso provee inteligencia competitiva, noticias, artículos, e información de última hora sobre el desarrollo global de drogas para enfermedades huérfanas y raras. Utilice este recurso para obtener noticias actualizadas sobre productos en etapa de desarrollo, resúmenes analíticos del mercado farmacéutico, y ayuda para identificar líderes de opinión de Estados Unidos y del extranjero.

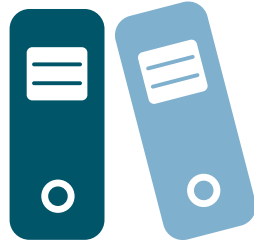
Rare Disease Report (Reporte de Enfermedades Raras) (<http://www.raredr.com/>): Este sitio web y boletín electrónico semanal ofrece una voz para la comunidad de enfermedades raras. Su objetivo es reunir a profesionales de las comunidades médicas, científicas, de investigación, regulatorias y de apoyo que están interesados en enfermedades raras y drogas huérfanas. Inscríbase para recibir su boletín y aprenda más sobre las compañías de biotecnología y farmacéutica, sus esfuerzos, y drogas aprobadas recientemente.

WorldPharmaNews (Noticias del mundo farmacéutico) (<http://www.worldpharmanews.com/directory>): Este directorio en línea proporciona información de contacto sobre las compañías de biotecnología y farmacéutica.

Información sobre el Sunshine Act

American Academy of Orthopedic Surgeons (Academia Americana de Cirujanos Ortopédicos) (<http://www.aaos.org/news/aaosnow/mar13/cover3.asp>): La Ley de Transparencia “Sunshine” (Physician Payment Sunshine Act) promulga mayor transparencia en las relaciones financieras entre médicos y la industria. La Academia publica en su sitio artículos como éste, para proveer una visión más amplia del Acta “Sunshine” y sus regulaciones.

APÉNDICE:



CÓMO RELACIONARSE CON LAS COMPAÑÍAS FARMACÉUTICAS

Betsy Bogard, Asociación Internacional de Fibrodisplasia Osificante Progresiva

Si quiere entablar una relación con una compañía farmacéutica para generar interés en su enfermedad, estas sugerencias podrían resultarle útiles:

Sea selectivo: Elija primero compañías que podrían tener una razón para estar interesadas en la enfermedad, porque éstas ya cuentan con una tecnología viable que se ajusta a los intereses estratégicos de la compañía. Hoy en día, muchas compañías están interesadas aun en las enfermedades más raras, siempre y cuando exista la posibilidad de que su tecnología existente pueda responder a ella.

Conozca la compañía: Infórmese tanto como pueda sobre cómo se inició la compañía, si la misma ha estado en las noticias recientemente, quiénes la dirigen y cuál es su trasfondo, y qué limitaciones o asuntos podría estar enfrentando.

Ofrezca una visión clara de la enfermedad. Prepare un resumen, de 5-7 diapositivas que resuma:


- La causa (los genes defectuosos conocidos; si la enfermedad es genética)
- El curso (etapa de inicio, primeros síntomas, progreso típico, etc.)
- El impacto (su severidad y vigencia)
- La epidemiología (su prevalencia; predisposiciones raciales, étnicas, o geográficas)
- El estatus de la investigación básica o preclínica en la enfermedad (¿existen modelos en animales, por ejemplo?)
- El panorama de tratamiento (cualquier terapia que ya esté en uso, terapias potenciales en desarrollo, posibles recursos terapéuticos, etc.)
- Cualquier red médica y de pacientes que gira en torno a la enfermedad (redes establecidas, consorcios de investigación, organizaciones de pacientes, bases de datos, o registros)

Las compañías toman en cuenta mucha de esta información antes de involucrarse con una enfermedad.

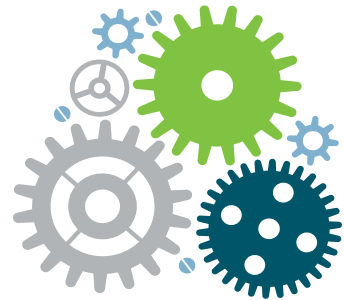
Facilite una conexión con expertos en la materia: Los pacientes y las familias solo pueden explorar posibles tecnologías hasta cierto punto. Llega un momento en que las compañías interesadas tienen que hablar con expertos académicos y médicos. Facilite usted esa conexión para ayudarlos a encontrar respuestas a preguntas técnicas, o incluso a explorar un programa de prueba.

APÉNDICE: CÓMO RELACIONARSE CON LAS COMPAÑÍAS FARMACÉUTICAS

Seguimiento: Siempre recuerde agradecer el tiempo y la atención que reciba de una compañía. Puede enviar otra información detallada, como por ejemplo publicaciones relevantes, más adelante. Si la compañía se muestra interesada pero no se comunica con usted, dele seguimiento otra vez—ellos también están muy ocupados y puede que solo necesiten un recordatorio. Pero si aún así no escucha de ellos, muévase a otra compañía. A fin de cuentas, el interés debe ser mutuo.



AYUDE A OTROS: COMPARTA SUS CONSEJOS Y TRUCOS



Si desea compartir sus experiencias, o tiene algún comentario o sugerencia, puede hacerlo electrónicamente en <http://globalgenes.org/toolkits>.



Colaboradores:

Betsy Bogard

*Directora de Desarrollo de Investigación
Global de la Asociación Internacional
de Fibrodisplasia Osificante Progresiva
<http://www.ifopa.org>*

Jean Campbell

Principal, JF Campbell Consultants

Jayne Gershkowitz

*Directora Senior de Apoyo al Paciente
y Política Pública, Amicus Therapeutics
<http://www.amicusrx.com>*

Karen Kozarsky

*Directora de Investigación,
ReGenX Biosciences
<http://www.regenxbio.com>*

Dan Leonard

*Gerente de Apoyo al Paciente para
Estados Unidos, Genzyme Corporation
<http://www.genzyme.com>*

Alison Rockett Frase

*fundadora y vice presidenta,
Joshua Frase Foundation
<http://www.joshuafrase.org>*

Andra Stratton

*co-fundadora y presidenta,
Lipodystrophy United
www.lipodystrophyunited.org*



Global Genes,
Amicus Therapeutics

<http://globalgenes.org/toolkits>