Asociación de pacientes ASMD España

MEMORIA ANUAL 2024

www.asmd.es

ASOCIACIÓN ASMD ESPAÑA

R.N.A. 617722

C/ Viloria de la Rioja, 60A

28050 – Madrid

info@asmd.es

www.asmd.es

Tel. +34 644 677 927

INDICE

CARTA DEL PRESIDENTE: 2024 LLEGO LA ESPERANZA 3

SERVICIOS PARA LAS FAMILIAS 5

Servicio de Información y Orientación

Ayudas Fundación Inocente Inocente

Proyecto de inclusión deportiva, cultural y de ocio

Proyecto socioeducativo “Paciente experto, paciente empoderado”

Proyecto ASMD Care

DEFENSA DE DERECHOS 12

Aprobación de la comercialización en España de Xenpozyme

Biobanco ISCIII y Registro Internacional

IV Congreso Nacional Científico Familiar

VISIBILIDAD..... 14

Nueva web y blog de noticias

ECRD 24 (European Conference on Rare Diseases 2024)

WODC 24 (World Orphan Drug Congress 2024)

ISPOR 2024. Atlanta

Podcast portugués Vidas

Onda Cero Día Mundial de Enfermedades Raras

Mes de concienciación ASMD: lanzamiento de infografías y podcasts

SOSTENIBILIDAD..... 17

Donativos web

Lotería de Navidad

Utilidad pública

ALIANZAS..... 18

CARTA DEL PRESIDENTE: 2024 LLEGO LA ESPERANZA

Estimadas familias y amigos de ASMD España,

Me hace ilusión especialmente presentar la Memoria de Actividades 2024, un año que quedará marcado en la historia de nuestra asociación como un punto de inflexión decisivo en la lucha por los derechos de los pacientes con ASMD.

Se consiguió un logro histórico para todos nosotros con la aprobación de Xenpozyme, la primera y única terapia de sustitución enzimática para nuestra enfermedad.

Después de dos largos años de espera, incertidumbre y trabajo incansable, en abril de 2024 la Comisión Interministerial de Precio de los Medicamentos (CIPM) aprobó finalmente la comercialización de Xenpozyme en España. Este momento representa mucho más que una simple aprobación administrativa; simboliza la culminación de años de lucha, esperanza y determinación colectiva.

Durante estos 24 meses que siguieron a la autorización de la Agencia Europea del Medicamento, desde ASMD España mantuvimos un seguimiento exhaustivo del proceso. Celebramos reuniones con las Administraciones Públicas a nivel nacional y regional, establecimos contacto directo con gerencias hospitalarias y servicios de farmacia, siempre con un objetivo claro: conseguir que nuestros pacientes accedieran al único tratamiento disponible para nuestra enfermedad.

Hoy, con profunda satisfacción, puedo afirmar que este esfuerzo ha dado sus frutos. Los pacientes de ASMD en España ya no están en lista de espera; tienen acceso a una terapia que está transformando sus vidas de manera tangible y esperanzadora.

La llegada del tratamiento ha supuesto un cambio radical en el panorama de nuestra enfermedad. Los primeros pacientes que han iniciado el tratamiento están experimentando mejoras significativas en su salud y calidad de vida.

Madres, padres y pacientes adultos que durante años convivieron con la incertidumbre, ahora ven posibilidades reales de mejora en la calidad de vida de sus hijos. Los propios pacientes adultos han recuperado autonomía y perspectivas que parecían inalcanzables.

Pero 2024 no se ha caracterizado únicamente por este hito histórico. Ha sido un año de crecimiento integral para ASMD España, reflejado en múltiples iniciativas que han fortalecido nuestra misión:

La obtención de financiación de la Fundación Inocente, Inocente para nuestro proyecto "Ayúdame a Respirar 2024" ha permitido que más familias accedan a fisioterapia respiratoria especializada, un complemento fundamental al tratamiento farmacológico.

Nuestro programa "Paciente Experto, Paciente Empoderado" ha alcanzado una nueva dimensión con el lanzamiento de nuestro podcast y la realización de webinars que han conectado a familias de toda España, creando una red de apoyo sin precedentes en nuestra comunidad.

La participación en el Proyecto ASMD Care ha posicionado a nuestra asociación como un referente en la investigación sobre calidad de vida, estableciendo las bases para futuras mejoras en la atención sanitaria.

El 2024 nos ha demostrado que cuando la comunidad de pacientes se organiza, se informa y actúa de manera coordinada, los obstáculos más complejos pueden superarse. La aprobación de Xenpozyme es la prueba tangible de que la perseverancia y el trabajo conjunto dan resultados.

Mirando hacia adelante, nuestro compromiso se refuerza. Seguiremos trabajando para que ningún paciente con ASMD se sienta solo en su camino, para que las familias tengan acceso a toda la información y apoyo necesarios, y para que los avances científicos lleguen de manera ágil a quienes más los necesitan.

Este logro no habría sido posible sin el apoyo incondicional de nuestros socios, la colaboración de los profesionales sanitarios, el respaldo de las instituciones y, especialmente, la valentía y determinación de pacientes y familias.

Gracias por acompañarnos en este camino. Juntos hemos demostrado que es posible transformar la realidad de una enfermedad rara, y juntos seguiremos construyendo un futuro más esperanzador para toda nuestra comunidad.

Un abrazo,

Daniel de Vicente
Presidente de ASMD España

SERVICIOS PARA LAS FAMILIAS

SERVICIO DE INFORMACIÓN Y ORIENTACIÓN

Los servicios que ASMD España ofrece a pacientes y familias están dirigidos a proporcionar orientación, información y apoyo integral, así como a empoderarlas en la toma de decisiones relacionadas con su salud. Estos servicios son prestados de forma gratuita por la Asociación, siendo realizados voluntariamente por los miembros de la junta directiva de la entidad.

Conscientes de la importancia de la mejora continua, trabajamos activamente para avanzar en la profesionalización y desarrollo de estos servicios, lo cual nos permitirá seguir elevando la calidad de la atención que brindamos a nuestros beneficiarios.

Contamos con una sólida red de alianzas y colaboradores que nos permite desarrollar nuestro trabajo en dos líneas fundamentales:

- **Derivación especializada**: Canalizar las consultas más complejas hacia profesionales especializados que puedan ofrecer una atención adecuada y específica.
- **Formación especializada**: Colaborar con profesionales expertos para ofrecer formación a las familias en temas de su interés y necesidad.

Nuestro servicio se focaliza en atender a las personas con ASMD y sus familias, acompañándolas durante todo el proceso de la enfermedad y recogiendo sus necesidades más inmediatas. Constituye una puerta de entrada fundamental para nuevos pacientes que buscan acogida y orientación frente a los primeros momentos de angustia e incertidumbre que surgen tras el diagnóstico.

El servicio también está dirigido a profesionales sanitarios e investigadores que requieren información especializada relacionada con la enfermedad.

La atención se presta principalmente a través de:

- Teléfono
- Correo electrónico
- Formulario web

Atendemos de lunes a viernes, garantizando una respuesta ágil y accesible a las consultas recibidas.

Las principales consultas que recibimos están relacionadas con:

- **Información ante el diagnóstico**: Orientación inicial sobre la enfermedad y sus implicaciones.

- **Acceso a tratamiento y terapias**: Información sobre opciones terapéuticas disponibles y terapias de apoyo.
- **Información sobre profesionales de referencia**: Derivación a especialistas de la enfermedad y centros de referencia
- **Acceso a prestaciones y ayudas**: Orientación sobre recursos económicos y sociales disponibles.

  De manera complementaria, ASMD España presenta solicitudes de financiación para facilitar el acceso a ayudas económicas destinadas a las familias afectadas por esta patología.

Para las consultas más especializadas a nivel sociosanitario y legal, hemos establecido alianzas estratégicas con:

- **FEDER (Federación Española de Enfermedades Raras)**: Para consultas relacionadas con prestaciones y ayudas individuales, así como temas de inclusión educativa y laboral.
- **IFSA SALUD (Instituto de Investigación y formación en salud)**: Para proporcionar asistencia jurídica y legal a nuestros asociados.

A través de este servicio, ASMD España recoge de forma sistemática las necesidades de las familias, pacientes y profesionales, permitiéndonos trabajar estas demandas y visibilizar ante las instituciones, la administración pública y la sociedad en general, la realidad de las personas que conviven con esta patología.

Asimismo, identificamos los casos que presentan mayor vulnerabilidad socioeconómica y trabajamos activamente para acompañarlos en la búsqueda de financiación para las terapias y ayudas que requieren, garantizando así un acceso más equitativo a los recursos necesarios para mejorar su calidad de vida.

AYUDAS FUNDACIÓN INOCENTE INOCENTE: Proyecto "Ayúdame a Respirar 2024"

El 11 de abril de 2024, la Fundación Inocente, Inocente celebró el acto de entrega de ayudas destinadas a entidades que desarrollan su labor con menores afectados por enfermedades raras en España. El evento se desarrolló en la sede del CNIC (Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares), contando con la presencia de las asociaciones y fundaciones beneficiarias de estas ayudas.

Las entidades beneficiarias fueron seleccionadas a través de la Convocatoria de Proyectos 2024, cuya financiación fue posible gracias a las donaciones recaudadas durante la Gala Inocente, Inocente. Esta edición destacó por su

alcance e impacto, seleccionando un total de 98 proyectos y destinando más de 1.250.000 euros en ayudas dirigidas a mejorar la calidad de vida de menores con enfermedades raras.

ASMD España tuvo el honor de ser una de las entidades seleccionadas con nuestro proyecto "Ayúdame a Respirar 2024". Esta iniciativa representa un paso significativo en nuestro compromiso con el bienestar de los pacientes pediátricos con ASMD.

La ayuda concedida se destinará íntegramente a la financiación de fisioterapia respiratoria para pacientes pediátricos con ASMD. Esta terapia especializada es fundamental para:

- Mejorar la función respiratoria de los menores afectados
- Mantener y optimizar la capacidad pulmonar
- Prevenir complicaciones respiratorias asociadas a la patología
- Mejorar la calidad de vida de los pacientes y sus familias

Este logro ha sido posible gracias a la generosidad de miles de espectadores que realizaron donativos durante la Gala Inocente, Inocente, así como al compromiso continuado de los socios de la Fundación. Su solidaridad ha permitido hacer realidad proyectos dedicados al cuidado y bienestar de niños con enfermedades raras de toda España.

La obtención de esta financiación representa:

- Un reconocimiento a la labor de ASMD España en el ámbito de las enfermedades raras
- Una oportunidad para ampliar y mejorar los servicios especializados dirigidos a pacientes pediátricos
- Un refuerzo de nuestro compromiso con la atención integral de las familias afectadas por ASMD
- Una contribución significativa a la sostenibilidad de nuestros programas terapéuticos especializados

PROYECTO DE INCLUSIÓN DEPORTIVA, CULTURAL Y DE OCIO

Desde ASMD España fomentamos y apoyamos la inclusión en actividades deportivas, culturales y de ocio de nuestros pacientes pediátricos. Para ello hemos implementado un programa de ayudas económicas directas para:

-Acompañamiento y soporte en conciertos, teatro y otras actividades culturales.

-Grupos de entrenamiento físico y deporte adaptado, con monitores de apoyo.

-Actividades de culturales y de ocio para respiro familiar.

PROYECTO SOCIOEDUCATIVO “PACIENTE EXPERTO, PACIENTE EMPODERADO”

En el marco de nuestro programa socioeducativo "Paciente Experto, Paciente Empoderado", se desarrolló una sesión webinar especializada que abordó la experiencia real de familias con pacientes pediátricos de ASMD en tratamiento de sustitución enzimática.

La sesión contó con la participación de Maricruz Rubio, madre de dos pacientes pediátricos diagnosticados con ASMD que se encuentran en terapia de sustitución enzimática. Su testimonio ofreció una perspectiva única y valiosa sobre la realidad que viven las familias en el proceso de tratamiento.

El webinar se planteó con los siguientes objetivos:

- Compartir experiencia real: Ofrecer un testimonio directo sobre el proceso de tratamiento desde la perspectiva familiar
- Resolver dudas prácticas: Abordar las inquietudes más frecuentes de otras familias en situación similar
- Empoderar a las familias: Proporcionar información y herramientas basadas en la experiencia vivida
- Crear comunidad: Facilitar el intercambio de experiencias entre familias afectadas

Durante la sesión se trataron aspectos como:

- Experiencia logística: Gestión de desplazamientos y tiempos de permanencia en el hospital
- Aspectos emocionales: Impacto psicológico del tratamiento en pacientes pediátricos y familias
- Organización familiar: Adaptación de la dinámica familiar al protocolo de tratamiento
- Relación con el equipo sanitario: Experiencia en la coordinación con profesionales de hospital de día

- Consejos prácticos: Estrategias desarrolladas para optimizar el proceso de tratamiento

Esta actividad se enmarca dentro de nuestro compromiso con:

- Educación entre iguales: Aprendizaje basado en experiencias reales de pacientes y familias
- Empoderamiento familiar: Fortalecimiento de la capacidad de las familias para gestionar la enfermedad
- Apoyo comunitario: Creación de redes de apoyo entre familias con experiencias similares
- Información práctica: Complemento a la información médica con aspectos vivenciales del tratamiento

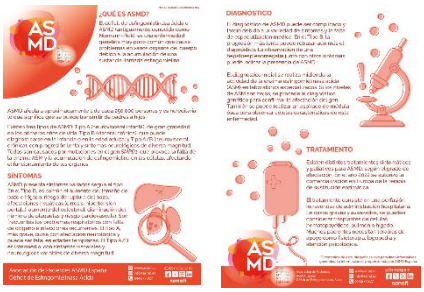
La sesión contribuyó a: reducir la incertidumbre de familias que se enfrentan al inicio del tratamiento, fortalecer la red de apoyo mutuo entre familias de la comunidad ASMD y proporcionar información práctica y consejos útiles basados en la experiencia real. Se trata de normalizar y visibilizar la realidad del tratamiento de sustitución enzimática en pacientes pediátricos

Infografías educativas

Dentro de los recursos educativos y divulgativos englobados en este programa, durante el año 2024, ASMD España lanzó 4 infografías informativas, sobre la enfermedad como parte de su estrategia de sensibilización y educación.

Están disponibles en la sección de recursos de la página web de ASMD España, garantizando su acceso libre y gratuito a toda la comunidad interesada.
Temática:

1. "¿Qué es ASMD?"
2. "Servicios de ASMD España"
3. “ASMD en pacientes adultos”
4. “ASMD en pacientes Pediátricos”



Las infografías han sido desarrolladas con criterios de máxima accesibilidad y uso:

- Formatos disponibles: PDF y PNG para optimizar su difusión y visibilidad.
- Versatilidad de uso: Fáciles de compartir en formato electrónico e imprimibles.
- Público objetivo: Pacientes, familias y profesionales sanitarios
- Distribución: Diseñadas para ser distribuidas tanto en formato digital como impreso.

Nuevo Podcast: "Paciente Experto, Paciente Empoderado"

ASMD España presentó con gran ilusión su nuevo podcast, una iniciativa educativa y de apoyo que forma parte integral del proyecto «Paciente Experto, Paciente Empoderado». Esta herramienta audiovisual representa un paso innovador en la estrategia comunicativa de la asociación.

Objetivos del Podcast:

- Informar: Proporcionar información actualizada y rigurosa sobre ASMD
- Educar: Ofrecer contenido formativo accesible para diferentes audiencias
- Apoyar: Crear un espacio de acompañamiento para pacientes y familias
- Sensibilizar: Aumentar la concienciación sobre esta enfermedad rara

Público Objetivo:

- Pacientes diagnosticados con ASMD
- Familiares y cuidadores
- Profesionales de la salud
- Comunidad científica e investigadores
- Público general interesado en enfermedades raras

La primera temporada consta de 4 episodios especializados:

Episodio 1: "¿Qué es el ASMD?"

- Introducción integral a la enfermedad
- Características principales y manifestaciones
- Información básica para el conocimiento general

Episodio 2: "Cuidados del paciente pediátrico con ASMD"

- Atención especializada a los desafíos en población infantil
- Cuidados específicos necesarios en niños afectados
- Recomendaciones para familias con pacientes pediátricos

Episodio 3: "Cuidados del paciente adulto con ASMD"

- Enfoque en las necesidades específicas de pacientes adultos
- Estrategias de manejo y calidad de vida
- Aspectos diferenciales del cuidado en población adulta

Episodio 4: "El papel de la asociación de pacientes"

- Función y servicios de ASMD España
- Recursos disponibles para pacientes y familias
- Importancia del movimiento asociativo en enfermedades raras

Los episodios cuentan con la participación de: expertos médicos especializados en ASMD, pacientes y familias compartiendo sus experiencias y representantes de ASMD España como facilitadores y moderadores

El podcast está disponible en múltiples plataformas para maximizar su alcance:

- Página web oficial de ASMD España
- Spotify
- Ivoox
- YouTube

Esta iniciativa representa una innovación comunicativa en el ámbito de las enfermedades raras, facilita la accesibilidad a información especializada y es una herramienta de apoyo continuo para pacientes, familias y profesionales sanitarios.

PROYECTO ASMD CARE: Impacto en la calidad de vida

ASMD España participó activamente en el "Proyecto ASMD Care. Impacto de la calidad de vida. PROMS Y PREMS", una iniciativa pionera promovida por la Fundación Española de Hematología y Hemoterapia con el patrocinio de Sanofi. Este proyecto representa un hito significativo en la investigación sobre calidad de vida en pacientes con ASMD en el contexto español.

El objetivo principal es identificar parámetros y aspectos relacionados con la calidad de vida de los pacientes con ASMD y sus familiares, reconociendo su importancia fundamental para:

- El seguimiento clínico integral de los pacientes
- La toma de decisiones médicas informadas
- La mejora de la atención sanitaria especializada

Objetivos secundarios:

- Establecer medidas objetivas de calidad de vida específicas para ASMD
- Recopilar experiencias reportadas por pacientes y familiares
- Desarrollar herramientas de evaluación adaptadas al contexto español
- Crear un marco de referencia para el seguimiento de pacientes con ASMD

Este proyecto ejemplifica el compromiso de ASMD España con la investigación aplicada y su papel como puente entre la comunidad científica, clínica y los pacientes, contribuyendo activamente al avance del conocimiento sobre esta enfermedad rara y a la mejora de la calidad de vida de las personas afectadas.

DEFENSA DE DERECHOS

APROBACIÓN DE LA COMERCIALIZACIÓN EN ESPAÑA DE XENPOZYME

En abril de 2024 la Comisión Interministerial de Precio de los Medicamentos (CIPM) aprobó la comercialización de Xenpozyme en España.

Tras 2 años de espera desde que la Agencia Europea del Medicamento (EMA) aprobase la autorización de comercialización, por fin, los pacientes de ASMD de España han podido acceder a esta terapia, única existente para nuestra enfermedad.

Durante estos 2 años, desde ASMD España hemos hecho un seguimiento continuo del proceso de aprobación y hemos mantenido reuniones con las Administraciones Públicas a nivel nacional y regional, así como gerencias y servicios de farmacia de hospitales públicos para promover un acceso y aprobación rápida al tratamiento.

BIOBANCO ISCIII Y REGISTRO INTERNACIONAL

Seguimos apoyando la donación de muestras de pacientes al Biobanco del Instituto de Salud Carlos III, mediante sesiones informativas y divulgando en RRSS, así como un apartado específico en la web con documentación informativa sobre el proceso de donación de muestras.

También colaboramos con el Registro Internacional de Pacientes Niemann-Pick (INPDR) para fomentar la inscripción de pacientes en el registro. Para ello damos charlas informativas, ayudamos en el proceso de inscripción al mismo. Además, este año, Shaun Bolton CEO de INPDR participó como ponente en nuestro Encuentro Científico-Familiar.

IV ENCUENTRO CIENTÍFICO-FAMILIAR ASMD ESPAÑA

Segovia acogió el IV Encuentro Científico Familiar ASMD España, consolidándose como el evento anual más importante dedicado a esta enfermedad ultra-rara en el panorama nacional. Este encuentro reunió a pacientes, familiares, clínicos e investigadores de toda España, constituyendo un espacio único de intercambio científico y apoyo comunitario.

Más de 60 personas interesadas en ASMD acudieron al encuentro durante el fin de semana del 22 al 24 de noviembre de 2024 en el Hotel Los Arcos de Segovia

La cuarta edición del encuentro dio inicio con la tradicional cena de bienvenida del viernes, proporcionando un espacio informal para el reencuentro de la comunidad ASMD y la presentación de nuevos participantes.

D. Luis Gómez de Montes, Gerente de Asistencia Sanitaria de Segovia, inauguró oficialmente la jornada científica del sábado, dando relevancia institucional al evento.

Los participantes en este encuentro fueron:

Dr. Francisco del Castillo
Servicio de Genética, Hospital Ramón y Cajal, Madrid

Dra. Gema Gómez Mariano
IIER, Instituto de Salud Carlos III

Dr. Shaun Bolton
CEO del INPDR (Registro Internacional Niemann-Pick)

Dra. Lola Ledesma
Centro de Biología Molecular Severo Ochoa

Dr. Jesús Villarrubia
Hematólogo, Hospital Ramón y Cajal

Dr. Antonio González-Meneses
Pediatra, Hospital Virgen del Rocío, Sevilla

Pedro Soriano, enfermero y experto en comunicación en salud y marca sanitaria, impartió el Taller "Fake News en Salud"

La celebración en Segovia de este IV Encuentro confirma el compromiso de ASMD España con la formación continua, la actualización científica y el fortalecimiento de la comunidad de pacientes y profesionales interesados en el ASMD.

VISIBILIDAD

NUEVA WEB Y BLOG DE NOTICIAS

Durante el año 2024 hemos desarrollado una nueva web, más accesible, más fácil de navegar y con más información y recursos sobre ASMD.

Además hemos implementado una nueva plataforma de pago en el sitio web para que los donativos a través de la web puedan hacerse a través del pago con tarjeta y facilite la realización de los mismos.

Conjuntamente lanzamos un blog de noticias con acceso directo desde nuestra web para colgar noticias de actualidad relacionadas con ASMD España.

ECRD 24 (European Conference on Rare Diseases 2024)

Los días 15 y 16 de mayo se celebró en Bruselas el European Conference on Rare Diseases ECRD 2024, el mayor evento europeo de enfermedades raras organizado por pacientes.

Dos días intensos de conferencias, posters y talleres sobre los desafíos y necesidades las necesidades a las que se enfrentan los pacientes de enfermedades poco frecuentes.

Pacientes, clínicos, investigadores y representantes de la industria farmacéutica y Administración se daban cita en la ciudad Belga para compartir buenas prácticas en la atención integral de los pacientes de enfermedades raras.

Representados por nuestro presidente, Daniel de Vicente participamos en el panel **“Innovative Therapies, Unequal Access: Bridging The Gap For Rare Disease Treatments”** para debatir sobre las diferencias y problemas de acceso a las terapias innovadoras en Europa.

WODC 24 (World Orphan Drug Congress 2024)

Presentamos en el WODC 24, celebrado en Barcelona, el poster del proyecto “ASMD Care” sobre el diseño de cuestionarios de PROMs y PREMs específicos de nuestra enfermedad.

ISPOR 2024. Atlanta

Participamos en el congreso ISPOR 2024 dando a conocer el impacto psicológico y socioeconómico que provoca el ASMD en los pacientes y sus familias

El congreso mundial ISPOR 2024, referencia de economía de la salud, se desarrolló en Atlanta durante los días 5 al 8 de mayo de 2024.

Las instalaciones del Atlanta World Congress Center acogían las sesiones y exposiciones de este año.

Expertos en economía de la salud y farmacoeconomía se dieron cita en este evento para asistir a las múltiples sesiones formativas, cursos, paneles de expertos y exposiciones de posters que se llevaron a cabo a lo largo de las 4 intensas jornadas.

Nuestro presidente, Daniel de Vicente, participó como panelista en una de las sesiones más esperadas de la jornada de clausura.

Bajo el título de "**The Invisible Costs in Rare Disease Management: Who Bears the Expense?"** se desarrolló este panel que daba a conocer el impacto que provocan las enfermedades raras en la calidad de vida del paciente y de sus familias.

Se hablo de los costes invisibles que provoca el padecer una de estas patologías.

Sirva de ejemplo nuestra enfermedad, ASMD, así lo plasmaba Daniel de Vicente en el panel de expertos.

El ASMD afecta a la salud del paciente y además impacta en su vida educativa, laboral y social, con consecuencias directas en su bienestar mental y calidad de vida no sólo de ellos, también en la de sus familiares y cuidadores.

Padres, hermanos, hijos y cónyuges se ven afectados, debido a las dificultades de conciliación del cuidado del enfermo con su vida social y laboral o educativa. Desde nuestra perspectiva, es el paciente el que soporta estos costes invisibles.

DÍA MUNDIAL DE LAS ENFERMEDADES RARAS 2024

Durante el mes de febrero, participamos en el programa de radio **Más de Uno de Onda Cero**, conducido por el periodista Carlos Alsina que dedicó un espacio a los pacientes de enfermedades poco frecuentes. En el programa participaron Juan Carrión, presidente de FEDER (Federación Española de Enfermedades Raras) junto a nuestro presidente Daniel de Vicente que compartieron sus experiencias y testimonios, junto a otros pacientes adultos y pediátricos de enfermedades raras.

También grabamos un episodio del **Podcast Vidas**, un programa de Sanofi Portugal para visibilizar las necesidades de las personas que conviven con ASMD. El episodio está disponible en su canal de YouTube.

Asistimos a la **XI Jornada Somos Pacientes** para hablar de la importancia de compartir datos para impulsar la investigación y el conocimiento de las enfermedades raras como ASMD.

OCTUBRE, MES DE CONCIENCIACIÓN ASMD: lanzamiento de infografías informativas y Podcast ASMD España

Coincidiendo con el mes de octubre, que es el mes de concienciación ASMD (Niemann-Pick) y **siendo el día 19 de este mes el Día Internacional de nuestra enfermedad,** lanzamos el primer episodio de ASMD Podcast, así como las dos primeras infografías del "Programa Paciente Experto, Paciente Empoderado", dando difusión a las mismas a través de nuestra web, blog y redes sociales.

SOSTENIBILIDAD

DONATIVOS WEB

En 2024 junto con la renovación de nuestra web, implementamos una plataforma en formato tienda online con pasarela de pago que habilita el pago con tarjeta, facilitando así el poder hacer donativos a través de la web.

LOTERÍA DE NAVIDAD 2024

Todas nuestras familias han participado en la venta de Lotería de Navidad con donativo a nuestra asociación. La recaudación ha ido destinada íntegramente a la financiación de terapias de apoyo y productos sanitarios no financiados para pacientes pediátricos de nuestra asociación.

FONDOS FEDER: proceso de reconocimiento de entidad de utilidad pública

Durante este año hemos seguido trabajando con nuestra Asesoría en el proceso de reconocimiento de nuestra asociación como entidad de utilidad Pública. Hacemos un seguimiento del proceso y continuamos realizando las acciones necesarias, para poder conseguir próximamente este reconocimiento por parte de la Administración, que favorecerá las donaciones a la entidad.

ALIANZAS

Seguimos colaborando y participando en actividades y grupos de trabajo con nuestras alianzas:

- FEDER (Federación Española de Enfermedades Raras): aglutina a mas de 400 asociaciones de pacientes de enfermedades raras en el territorio nacional. Nos apoya con los Fondos FEDER para el fortalecimiento de las asociaciones. A través de su SIO nos resuelven las consultas más técnicas relacionadas con valoración de discapacidades, dependencia, problemas de inclusión…
- EURORDIS (Rare Diseases Europe): Alianza europea de enfermedades raras con mas de 1.000 miembros de distintos países europeos. Colaboramos en el grupo de trabajo DITA (Drug Information and Acces) y apoya en todas las cuestiones relacionadas con ERN (Redes Europeas de Refenrencia), incidencia política a nivel europeo, así como con cursos de formación y empoderamiento para pacientes y familias.
- INPDA (International Niemann-Pick Alliance): formada por más de 20 organizaciones de pacientes de Niemann-Pick y ASMD de todos lo países. Nos reunimos de forma bimensual para poner en común temas relevantes sobre ambas patologías. Organizan un encuentro internacional cada 2 años y además proporciona contactos y redes de trabajo con especialistas clínicos de nuestra enfermedad e investigadores de todo el mundo.
-

ASOCIACIÓN ASMD ESPAÑA

www.asmd.es

info@asmd.es

Tel. +34 644 677 927