Challenges and Opportunities for Rare Diseases and Orphan Drugs in Latin America: An Industry Perspective

Alison Joslyn
VP, Head of Latin America Region, Shire

ICORD
15th October 2015
Mexico City, Mexico

Our purpose
We enable people with life-altering conditions to lead better lives.

Shire

Overview of presentation

Impact and Challenges of Rare Diseases

A Rare Disease Patient's Journey

Opportunities and Common Goals

Shire

The impact of rare diseases is enormous

Nearly

7000

rare diseases are recognized[1]

Effective treatments are available for only

1%

of rare diseases[2]

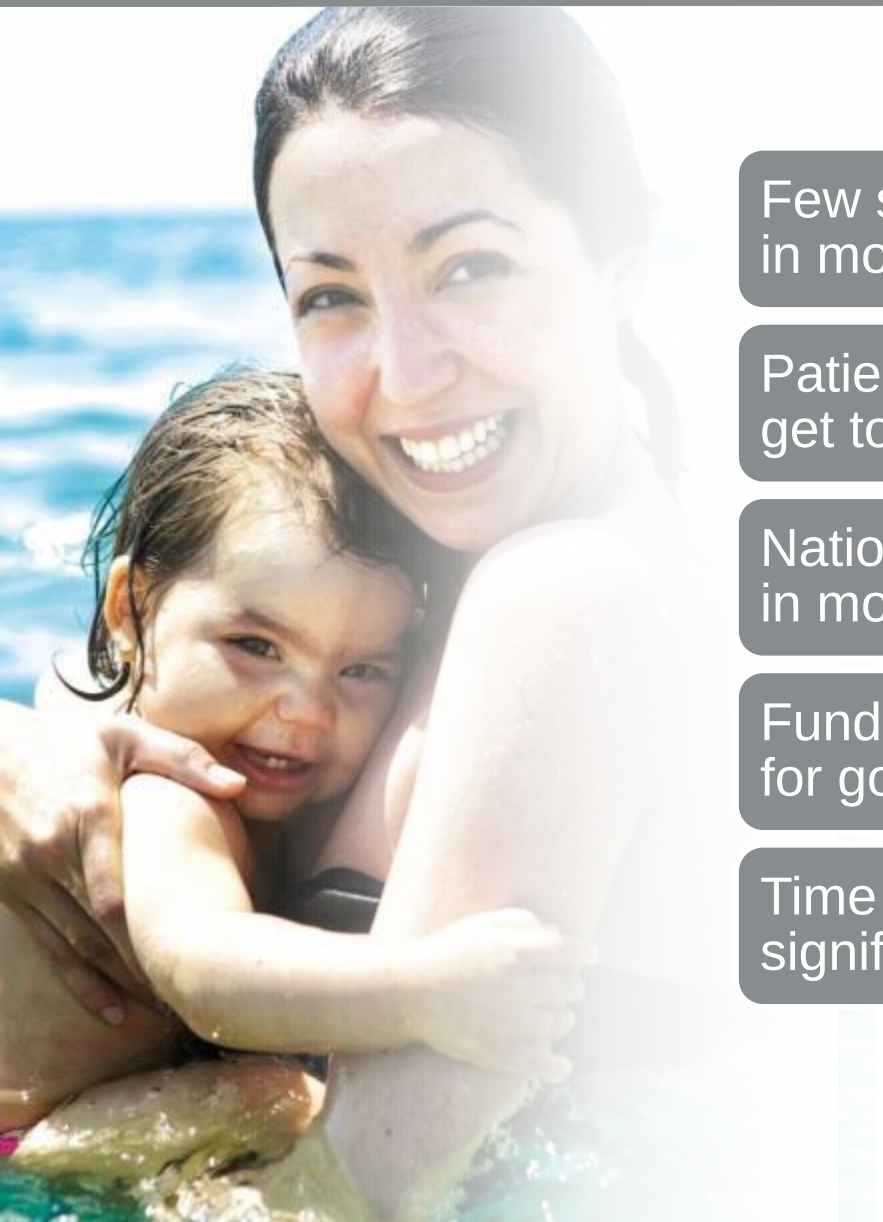
75%

of those diagnosed with rare diseases **are children**[3]

1/3

of children born with a rare disease are unlikely to see their **5th birthday**[3]

Additional challenges patients face in Latin America

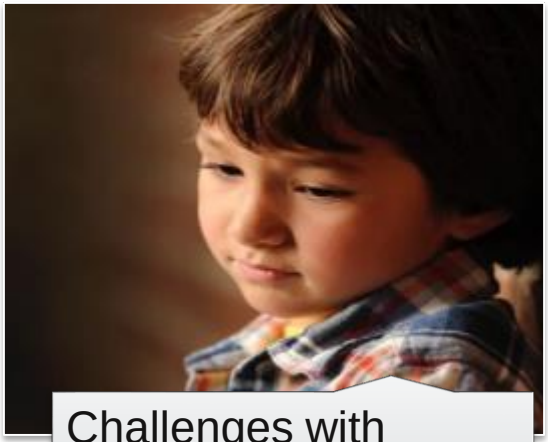


- Few specialist centers exist for rare diseases in most countries
- Patients often have to travel long distances to get to the doctor and treatment
- National policies or plans for RDs very recent in most countries
- Funding of available treatments is a challenge for governments and patients alike
- Time to access for treatments can vary significantly in the region

Shire

The rare disease patient's journey

Challenges in getting to the **right doctor**

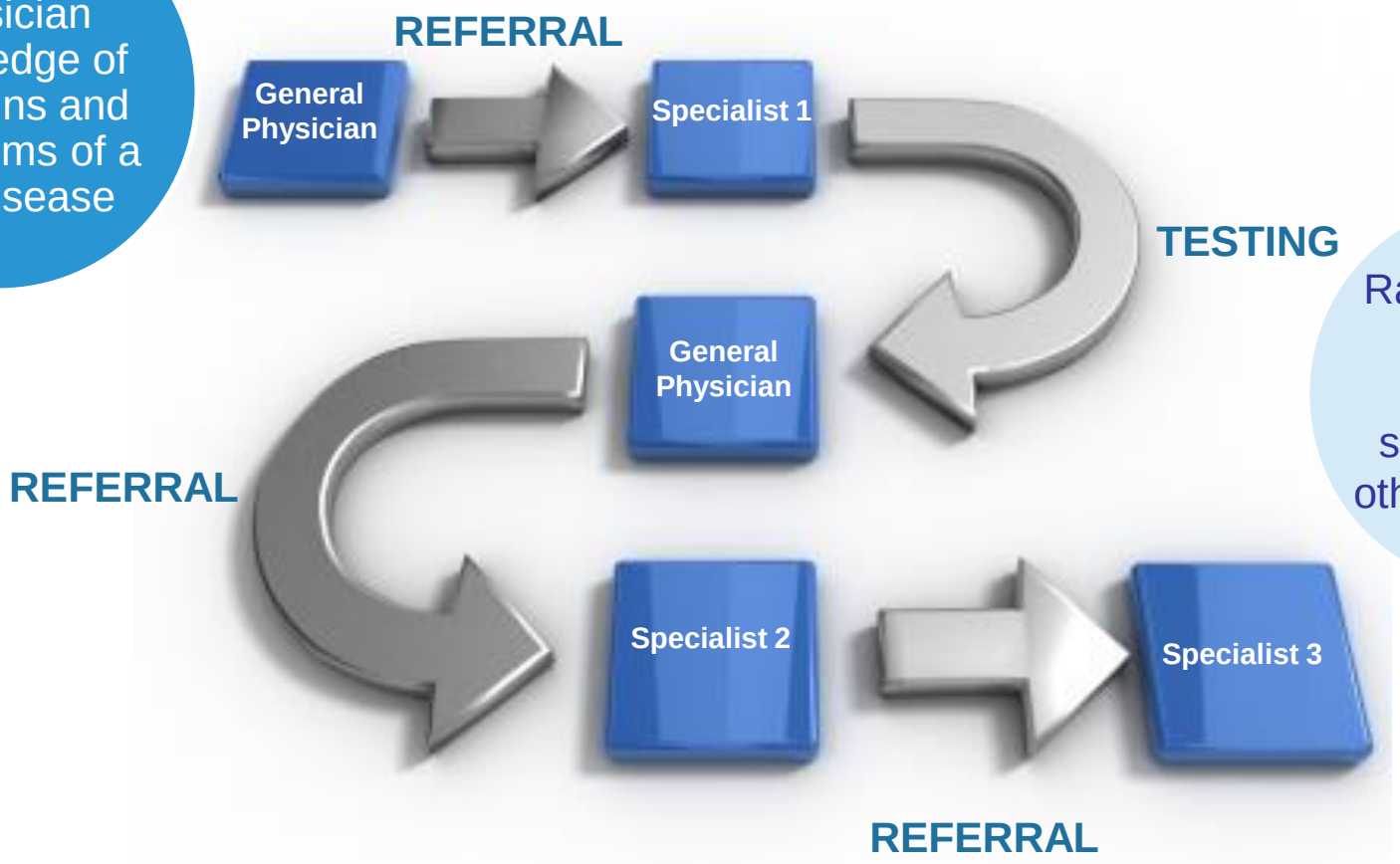


Challenges with getting the **right diagnosis**

Difficulty in accessing **available treatments**

Challenges in getting to the right doctor

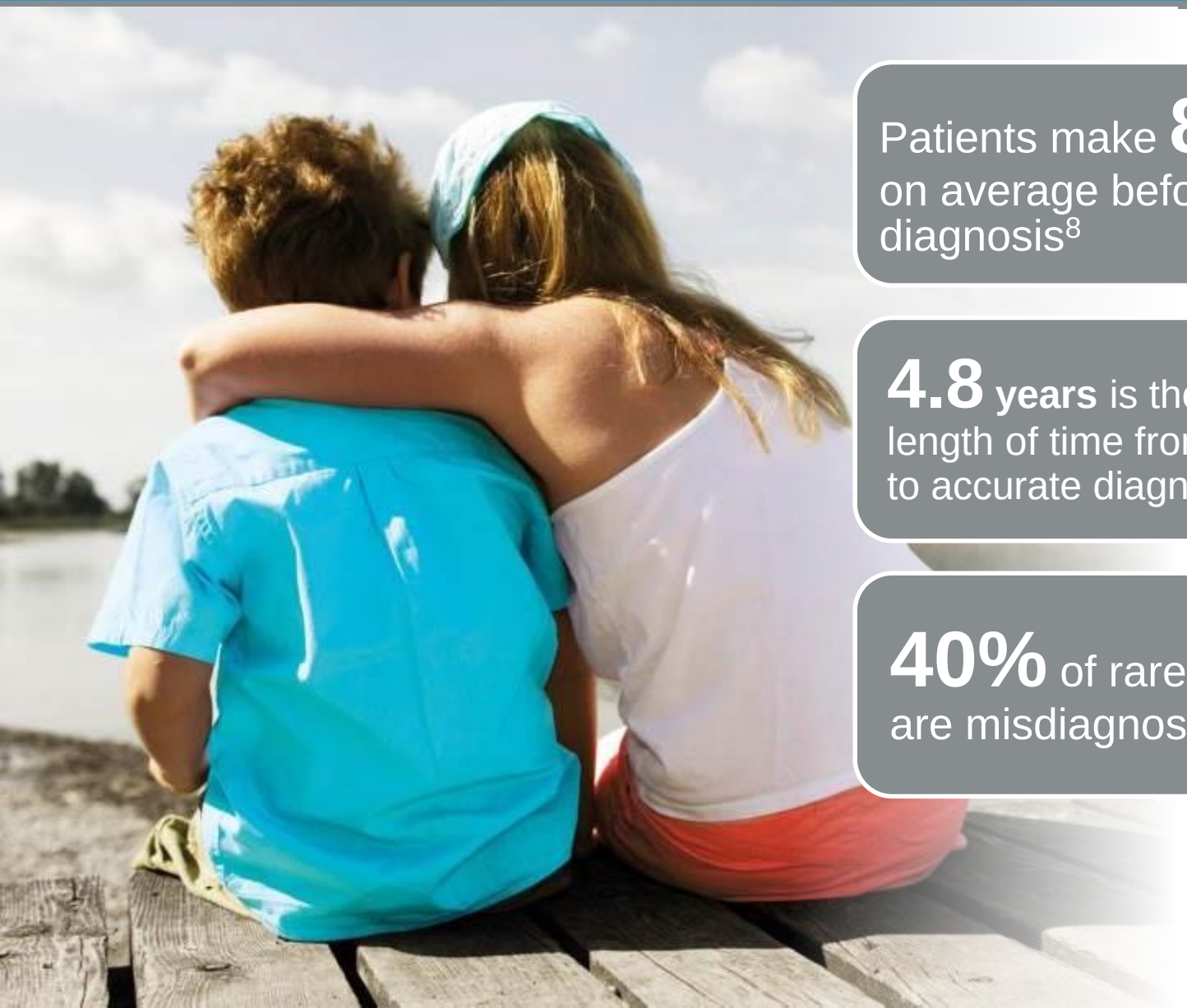
Limited physician knowledge of the signs and symptoms of a rare disease



Rare diseases often hide behind the symptoms of other diseases[8]

Shire

Challenges in getting the right diagnosis



Patients make **8 doctor visits** on average before getting a diagnosis[8]

4.8 years is the mean average length of time from symptom onset to accurate diagnosis[9]

40% of rare disease patients are misdiagnosed at least once[9]

Shire

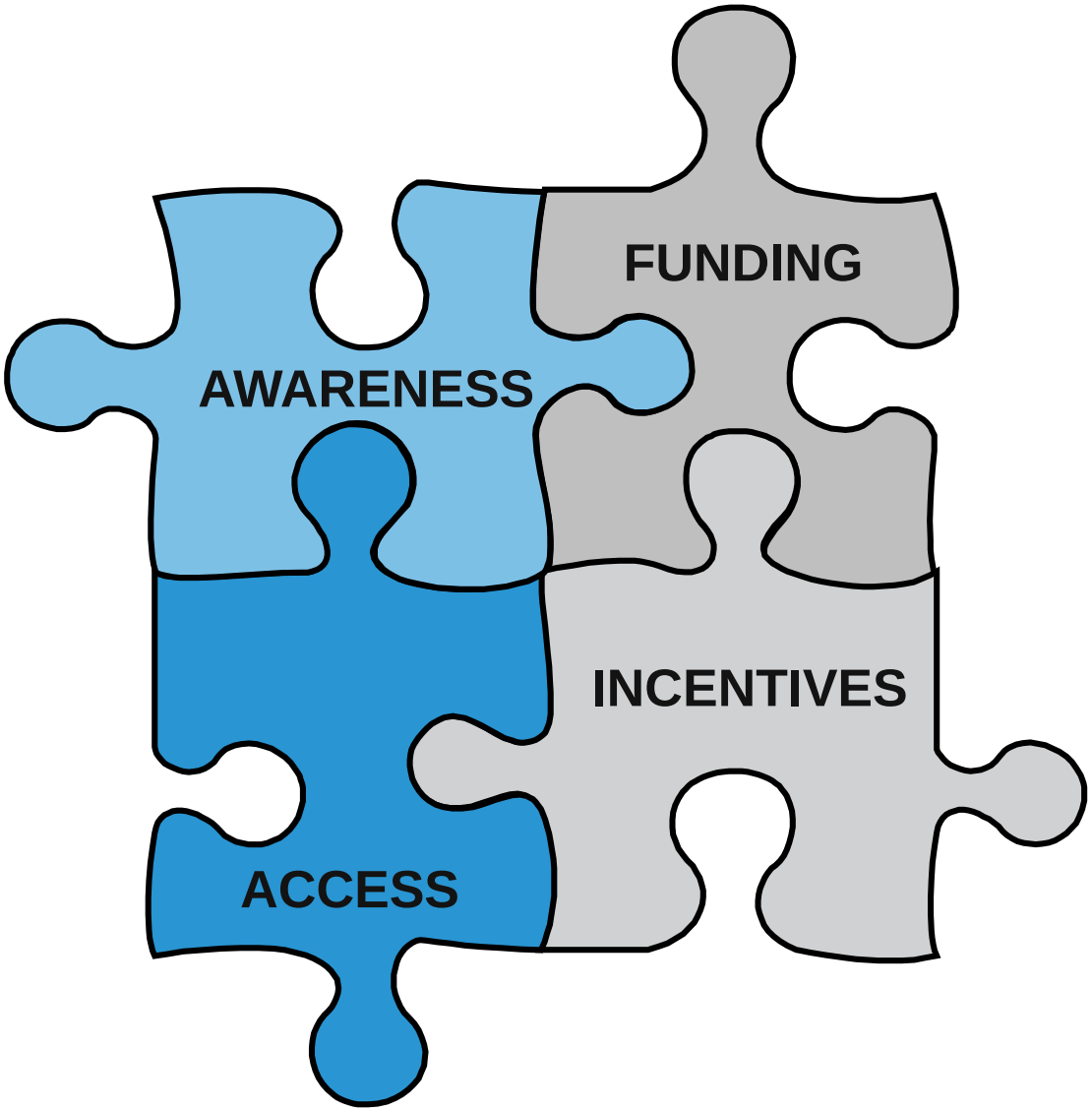
Difficulties in accessing treatment in Latin America

- Once diagnosed, access to treatment is hugely variable
- There is a lack of dedicated processes to assess and fund orphan drugs
- Often the route to accessing treatment is judicial (Brazil and Columbia)
- In Mexico, there are age thresholds for treatment

We need to learn from global best-practices and create a special regulatory regimen for rare disease treatment & orphan drugs.

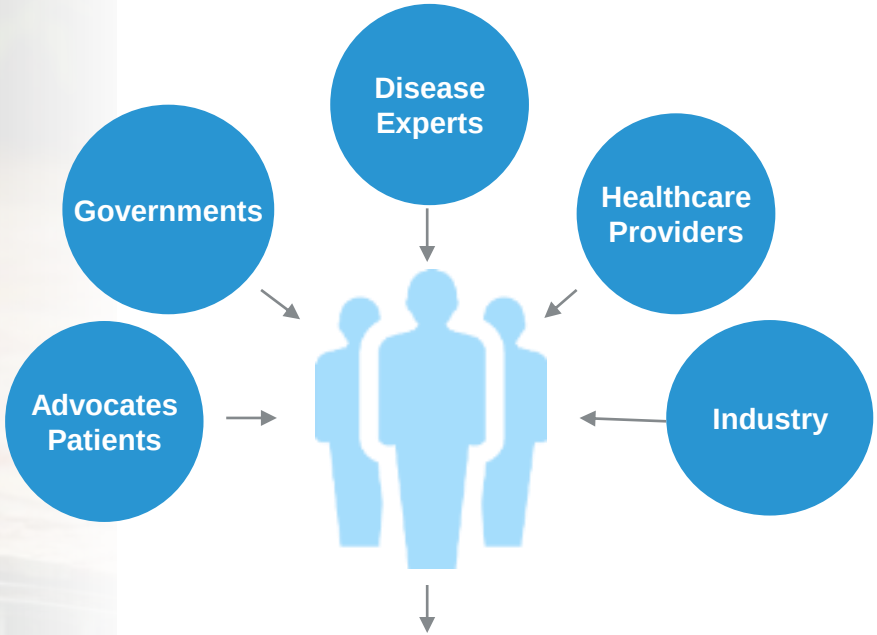
What are the opportunities for helping the patient's on their journey?

The common goal is to improve the lives of patients with rare diseases



We will only be successful if we all work together

We need **focused** and **united** efforts from all parties involved in the rare diseases space



Speaking with **One Voice**

Committed to **Change**

ith shared **Goals** And **Values**

United effort to increase awareness of rare diseases – Mexico case study

- Photography exhibition held in the Mexican Congress on February 24, 2015 to celebrate Rare Disease Day
- Attended by patient associations, doctors, Mexican celebrities who support the cause, political and health authorities and media
- Extensive media coverage about the state of rare diseases in Mexico

PONTE MÁS MÚSICA EXA

Al menos 7 millones de personas en México padecen enfermedades raras

México., 24 de febrero de 2015.- La especialista en genética, Lizette Arnaud López, dijo que alrededor de siete millones de personas en México padecen algún tipo de enfermedad rara.

En rueda de prensa la doctora adscrita al Servicio de Genética Médica del Nuevo Hospital Civil de Guadalajara expresó que una enfermedad rara es aquella que afecta a menos de cinco personas por cada 10 mil habitantes, aunque la mayoría de pacientes son una de cada 10 mil personas.

Mencionó que debido a la baja incidencia, las y los científicos aún no logran establecer un diagnóstico claro ni los fármacos para un tratamiento específico.

Indicó que en México se estima que alrededor de siete millones de personas padecen algún tipo de enfermedad rara, entre las que destacan los síndromes de Hurler, Silver, de Sanfilipo, de Morquio, de Maroteaux, de Hunter, entre otras.

Manifestó que el origen de las enfermedades raras se origina en 80% por causas genéticas y el resto debido a infecciones bacterianas, alergias o causas degenerativas.

A su vez el presidente de la Organización Mexicana de Enfermedades Raras, Jesús Navarro Torres, señaló que las patologías poco frecuentes son crónicas, desgastantes y en su mayor parte llevan a una discapacidad.

Detalló que estas enfermedades pueden ser semejantes en sus síntomas a otras muchas más conocidas, lo que provoca en su mayoría diagnósticos erróneos, "se estima que existen entre 6 mil y 8 mil enfermedades raras que afectan a entre 6% y 8% de la población mundial".

TVNOTAS

http://www.tvnotas.com.mx/2015/02/25/C-70648-inauguran-exposicion-testimonios-sobre-enfermedades-raras-en-camara-de-diputados.php

Inauguran exposición 'Testimonios sobre Enfermedades Raras' en Cámara de Diputados

25 de Febrero del 2015 Por Redacción / Foto: Twitter

Organizaciones civiles solicitaron a la Cámara de Diputados fortalecer la aplicación del tamiz neonatal ampliado, con el objetivo de diagnosticar de forma temprana las enfermedades poco comunes que puedan alterar el desarrollo de recién nacidos.

Geby Spanic habló de la cara de las madres de estas enfermedades.

EXCELSIOR

Por tu Salud

Diagnóstico tardío lo excluye de tratamiento

Josué es uno de los 20 niños mexicanos con síndrome de Maroteaux L enfermedad rara

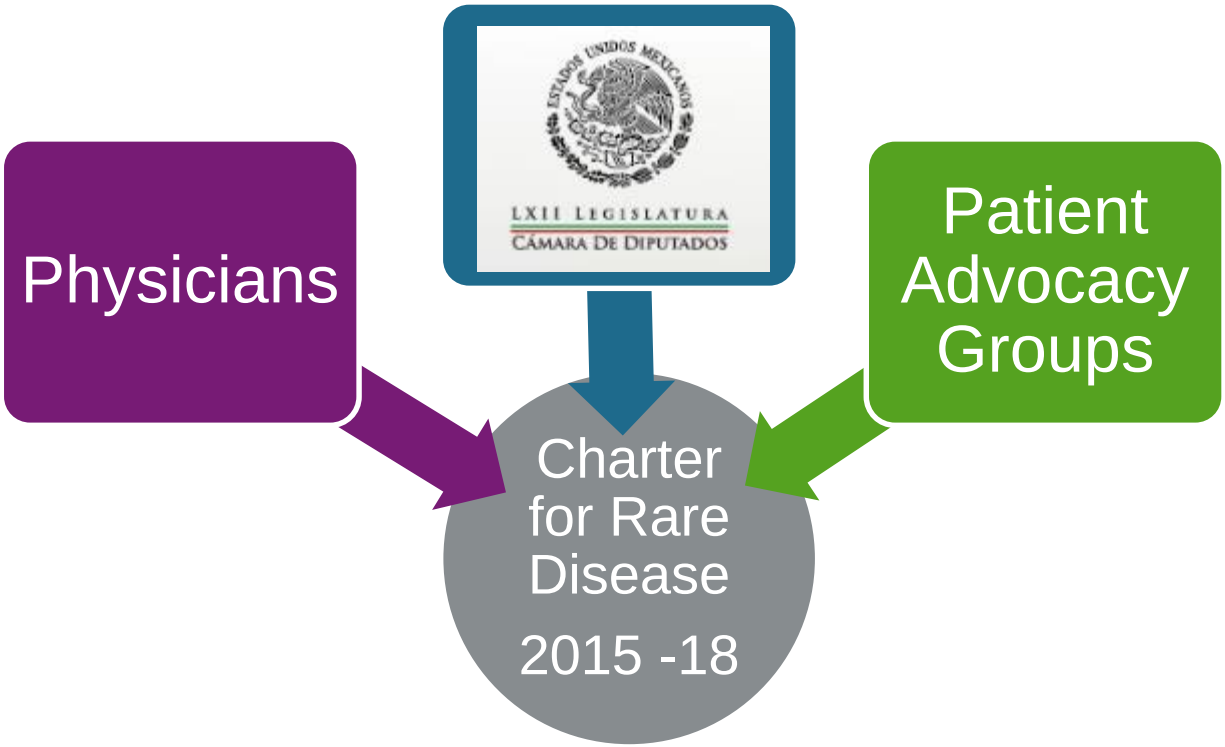
Laura Toribio

CIUDAD DE MÉXICO, 25 de febrero.- Por haberse tardado más de diez diagnóstico de su enfermedad, ahora la familia de Josué deberá pagar de los 65 mil pesos mensuales que cuesta su tratamiento. Si hubieran detecta padece una enfermedad rara al menos un día antes de que cumpliera diez terapia estaría cubierta por el Seguro Popular.

Shire

Working together to elevate rare diseases to a national priority in Mexico

- Followed by a Legislative Forum sponsored by Congresswoman Beatriz Yamamoto held on February 25 with testimonials of patient associations
- Charter released outlining priorities for the next four years:
  - Establishment of National Registry
  - Formation of a National Council



Shire

Because people with rare diseases never give up, and neither should we