

Jornada

“Designación y desarrollo de medicamentos huérfanos”

27 de abril de 2017

Salón de actos del Hospital Universitario Niño Jesús

Organizadores: CIBERER y Plataforma Malalties Minoritàries

Programa

9:45-10:00 *Recepción de asistentes*

10:00-10:15 *Inauguración*

Proceso de designación

10:15-10:45 ¿Qué es un medicamento huérfano y cómo se obtiene la designación? ¿Cuáles son los beneficios de la designación?
Dr. Josep Torrent-Farnell. Responsable del Área del Medicamento del CatSalut. Presidente del Comité Científico Asesor Externos del CIBERER.

10:45-11:15 ¿Cómo se ha incorporado a los pacientes en este proceso?
D. Julián Isla. Presidente Dravet Syndrome Foundation. Representante de pacientes en el COMP (Committee for Orphan Medicinal Products) de la EMA.

11:15-11:30 *Mesa redonda de ponentes y debate*

11:30-12:00 *Pausa café*

De la designación al paciente

12:00-12:20 Investigación y desarrollo de medicamentos huérfanos.
Dr. Juan Luque. Gestor Científico CIBERER.

12:20-12:40 Continuidad en el apoyo al investigador.
Dr. César Hernández. Jefe Departamento Medicamentos de Uso Humano. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

12:40-13:00 Interés de la industria en los medicamentos huérfanos.
Dr. Josep María Espinalt. Presidente AELMHU. Director General Alexion.

13:00-13:20 Oportunidades de financiación para la investigación clínica.
Dra. Cristina Rodríguez. Coordinadora Plataforma de Internacionalización CIBER.

13:20-13:50 *Mesa redonda de ponentes y debate*

13:50-15:00 *Pausa comida*

Experiencias en la designación

- 15:00-15:20 Caso A: Células Madre modificadas por vectores lentivirales como Medicamentos Huérfanos para el tratamiento de enfermedades monogénicas de las células sanguíneas.
Dr. Juan Antonio Bueren. CIEMAT, CIBERER e IIS-FJD.
- 15:20-15:40 Caso B: Designación del Ubiquinol para el Síndrome de deficiencia primaria de coenzima Q₁₀.
Plácido Navas. Universidad Pablo de Olavide y CIBERER.
- 15:40-16:00 Caso C: Designación del Propanolol para el tratamiento de la enfermedad de Von Hippel-Lindau. Reposicionamiento terapéutico.
Dra. Luisa Botella. Centro de Investigaciones Biológicas (CSIC) y CIBERER.
- 16:00-16:30 *Mesa redonda de ponentes y debate*
- 16:30-16:45 Conclusiones y clausura

La asistencia es GRATUITA.

INSCRIPCIÓN: El número de plazas es limitado por lo que es necesario enviar un correo a workshop@ciberer.es indicando nombre, apellidos e institución o entidad de procedencia.