



## **MEDICAMENTOS HUERFANOS Y DISTROFIAS HEREDITARIAS DE LA RETINA: Situación Actual**

Fecha: 10 de abril de 2019. Horario 4:45-7:00

Lugar: Auditorio del Instituto de Investigación Sanitaria La Fe.  
Avda. Fernando Abril Martorell 106.  
Torre A, Planta Baja. Valencia

Presentación: Almudena Amaya (FARPE) y José María Millán (IIS-La Fe)  
Distribución de cuestionarios y recogida (15 min)

1. Introducción sobre medicamentos huérfanos  
(Investigación clínica, designación, y autorización)  
Rafael Dal-Ré (30 min)
2. Fundamentos de las terapias actuales en DHR  
Terapia (y edición) génica, terapia celular, dispositivos y medicamentos  
José María Millán (30 min)
3. Experiencia en la terapia de DHR: algunos ejemplos de investigación y práctica clínica  
Carmen Ayuso (30 min)

Cuestionario y coloquio (30 min)