

## ENFERMEDADES RARAS

- > HAY MÁS DE 7.000 ENFERMEDADES RARAS.
- > ALREDEDOR DEL 80% SON DE ORIGEN GENÉTICO.
- > AFECTAN A 5 DE CADA 10.000 PERSONAS.
- > PUEDEN AFECTAR AL 3-4% DE LOS NEONATOS.

## MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

### > PROBLEMÁTICA ACTUAL

Los llamados medicamentos "huérfanos" están destinados a tratar enfermedades que, por su rareza no resultan atractivos a los patrocinadores, quienes se muestran reacios a desarrollarlos ya que no se recuperaría el capital invertido en la investigación y en el desarrollo del producto.

### > ¿QUÉ SIGNIFICA OBTENER LA DESIGNACIÓN DE MEDICAMENTO HUÉRFANO?

Se solicita la designación de medicamento huérfano de forma voluntaria y libre de coste porque con ella pueden beneficiarse de los incentivos contemplados en la regulación, sin los cuales muy probablemente la comercialización de dicho medicamento no generaría suficientes ingresos para justificar la inversión necesaria. Esta designación nos indica que el medicamento cumple con la definición de huérfano establecida por la Comisión Europea.

### > ¿QUÉ VENTAJAS TIENE? ¿CUÁLES SON LOS INCENTIVOS?

Los incentivos que se otorgan con la designación de medicamento huérfano son:

#### EXCLUSIVIDAD DE MERCADO EN LA UE

Concesión de 10 años de exclusividad cuando se obtiene la autorización de comercialización para un medicamento huérfano en la UE y los Estados Miembros.

#### PROTOCOLO DE ASISTENCIA

Apoyo y asesoramiento de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) sobre los diversos ensayos y pruebas que deberá realizar para demostrar la calidad, la seguridad y la eficacia del medicamento.

#### REDUCCIÓN DE GASTOS

Reducción/exención de tasas en los procedimientos.

#### INVESTIGACIÓN FINANCIADA

El programa Horizonte 2020 recoge financiación para ensayos clínicos con las sustancias que poseen la designación como medicamento huérfano.

### ORGANIZA Y PATROCINA



S/Sistema de Salud de Catalunya

Salut/Institut Català de la Salut

PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES

### COLABORA



28 DE OCTUBRE DE 2020

# DESIGNACIÓN, DESARROLLO Y ACCESO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS



INSCRIPCIONES EN  
<https://tinyurl.com/yyn3pvc9>

JORNADA  
/ ONLINE

# PROGRAMA

28 DE OCTUBRE DE 2020

## DESIGNACIÓN, DESARROLLO Y ACCESO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

9:30 INAUGURACIÓN

**Representante**, CIBERER.

**Representante**, Plataforma Malalties Minoritaries.

### PROCESO DE DESIGNACIÓN

9:40 ¿QUÉ ES UN MEDICAMENTO HUÉRFANO Y CÓMO SE OBTIENE LA DESIGNACIÓN?

¿CUÁLES SON LOS BENEFICIOS DE LA DESIGNACIÓN?

**Dr. Josep Torrent-Farnell**, Universitat Autònoma de Barcelona. Presidente del Comité Científico Asesor Externo del CIBERER.

10:00 ¿CÓMO SE HA INCORPORADO A LOS PACIENTES EN ESTE PROCESO?

**Sr. Julián Isla**, President & Co-founder Foundation 29, Representante de pacientes en el Committee for Orphan Medicinal Products (COMP/EMA).

10:20 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

10:40 PAUSA CAFÉ

### DE LA DESIGNACIÓN AL PACIENTE

11:00 INVESTIGACIÓN Y DESARROLLO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA ACADEMIA

**Dr. Juan Luque**, Gestor Científico CIBERER.

11:20 CONTINUIDAD EN EL APOYO AL INVESTIGADOR

**Dra. Yoana Nuevo**, Oficina de Innovación AEMPS, Departamento de Medicamentos de Uso Humano (AEMPS).

11:40 INTERÉS DE LA INDUSTRIA EN LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

**Dr. Jorge Capapey**, Presidente de la Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU).

12:00 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

12:20 DESCANSO

### EXPERIENCIAS EN LA DESIGNACIÓN

12:30 CASO A: DESIGNACIÓN DE AFATINIB Y GEFITINIB PARA EL TRATAMIENTO DE ANEMIA DE FANCONI

**Dr. Jordi Minguillón**, investigador del Institut de Recerca de l'Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, de la Universidad Autónoma de Barcelona y del CIBERER.

12:50 CASO B: DESIGNACIÓN DE UN EQUIVALENTE AUTOLOGO DE PIEL COMPUESTO DE QUERATINOCITOS Y FIBROBLASTOS GENÉTICAMENTE CORREGIDOS POR EXCISIÓN MEDIADA POR CRISPR/CAS9 DEL EXON 80 PORTADOR DE MUTACIÓN DENTRO DEL COL7A1

**Dr. Fernando Larcher**, Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT), Universidad Carlos III de Madrid (UC3M) y CIBERER.

13:10 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

13:30 CONCLUSIONES Y CLAUSURA



### INSCRIPCIÓN GRATUITA

Inscripciones en <https://tinyurl.com/yyn3pvc9>

Inscripciones abiertas hasta el 23 de Octubre a las 16 horas.