

II Jornada Aragonesa sobre **C**haperonas Farmacológicas en Enfermedades Lisosomales y otras **A**plicaciones

Fecha

27 y 28 de Noviembre de 2014

Horario

Jueves 27 de 17:00 a 18:30h. Seminario Científico IIS Aragón

Viernes 28

8:45h a 9:00h Inscripción y registro de asistencia

De 9:00 a 13:00 h. Jornada

Lugar

Centro de Investigación Biomédica de Aragón (CIBA)

Salón de Actos "Lorente de Nó"

Avda. San Juan Bosco, 13, Zaragoza 50009

Inscripción

Entrada libre

Se recomienda inscripción previa en

www.iisaragon.es

La Organización Mundial de la Salud tiene registradas unas 7.000 enfermedades raras que afectan a **menos** de cinco personas por cada 10.000 habitantes, lo que complica su diagnóstico, tratamiento, investigación y comprensión social. Y si esto fuera poco, algunas de estas patologías ni siquiera se presentan de la misma forma entre quienes las sufren, lo que multiplica su complejidad.

Este es el caso de la enfermedad de Gaucher, una dolencia hereditaria causada por un defecto en los genes que puede afectar de forma grave a distintos órganos (hígado, bazo, **huesos**, sistema nervioso...).

Una investigación nacional liderada por un equipo aragonés ha logrado un avance para los casos más difíciles de tratar. En concreto, han conseguido dar con unas moléculas que hacen que las proteínas que no funcionan correctamente en los pacientes con la enfermedad de Gaucher recuperen su actividad.

Esas moléculas se llaman 'chaperonas' y están diseñadas para acompañar a la proteína como si fueran su carabina. Esto puede ser eficaz para aquellos pacientes a los que la enfermedad les **origina** un daño neurológico o a **los que el daño mas importante se produzca** en los huesos.

La jornada está dirigida a los profesionales en biomedicina involucrados en el diagnóstico y tratamiento de estas enfermedades.

El **Objetivo** de esta jornada es proporcionar a los participantes información actualizada sobre chaperonas Farmacológicas en Enfermedades Lisosomales y otras aplicaciones.



Seminario Científico

SMALL COMPOUND THERAPIES LYSOSOMAL DISORDERS

Impartido por:

Johannes Aers PhD

Ph.D.Professor. Department of Medical Biochemistry. University of Amsterdam.
Department head at the Leiden Institute of Chemistry.

Modera:

Dra. Pilar Giraldo

Investigadora principal U-752 CIBERER. Grupo de estudio de enfermedad de Gaucher y neoplasias hematológicas. IIS Aragón -Unidad de Investigación Traslacional. Hospital Universitario Miguel Servet.

Jueves 27 de noviembre, 17.00 h
Salón de Actos Lorente de Nó
Centro de Investigación Biomédica de Aragón (CIBA)
Avda. San Juan Bosco, 13 50009 Zaragoza



www.feeteg.org



MINISTERIO
DE CIENCIA
E INNOVACIÓN



8:45h – Registro de Asistentes.

9:00h – Presentación de la Jornada

Ángel Lanas. Director Científico del IIS Aragón.

Pilar Giraldo. Investigadora principal. GIIS-012 Grupo de estudio de enfermedad de Gaucher y neoplasias hematológicas. Hospital Universitario Miguel Servet. Programa de Enfermedades Raras.

Moderadora: Pilar Alfonso Palacin. Investigador CIBERER. Unidad de Investigación Traslacional

9:15h – 10:45 Ponencias

Bases estructurales de las Chaperonas Farmacológicas

Carmen Ortiz Mellet. Departamento de Química. Universidad de Sevilla.

Potenciadores / Vehiculizadores de Chaperonas Farmacológicas

José Manuel García Fernández. Centro Superior de Investigaciones Científicas. Sevilla

Estrategias de la plataforma de bioinformática del CIBERER (U741) para localizar, diseñar y validar compuestos potencialmente activos frente a enfermedades raras

Jose Luis Urdiales. Universidad de Málaga. CIBERER

10:45h – 11:15h Pausa

11:15h – 12:15h Ponencias

Necesidades no cubiertas en el tratamiento de las Enfermedades Lisosomales

Pilar Giraldo. Investigadora principal. GIIS-012 Grupo de estudio de enfermedad de Gaucher y neoplasias hematológicas. Hospital Universitario Miguel Servet. Programa de Enfermedades Raras.

Fabricación a gran escala y comercialización de nuevas moléculas

Francisco De Val (Genzyme - Sanofi)

12:15h – 12:45h Ponencia invitada

Endogamia en las poblaciones judías del Norte de Europa

Manuel Pérez Lizano. Doctor en Historia del Arte. Crítico de Arte.

12:45h – 13:00h Conclusiones finales. Clausura de la jornada



www.feeteg.org



MINISTERIO DE CIENCIA E INNOVACIÓN

