

21 DE OCTUBRE DE 2019

# DESIGNACIÓN, DESARROLLO Y ACCESO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS



INSCRIPCIÓN GRATUITA

<http://bit.ly/2m8ul4f>

SALA GARATE DE LA UNIVERSIDAD DE DEUSTO,  
AVENIDA DE LAS UNIVERSIDADES, 24  
BILBAO



Institut Català  
de la Salut



PLATAFORMA  
MALALTIES MINORITÀRIES

CICbioGUNE  
CENTER FOR COOPERATIVE RESEARCH IN BIOSCIENCES

**B**ilbao

**Deusto**  
Universidad de Deusto

# PROGRAMA

21 DE OCTUBRE DE 2019

## DESIGNACIÓN, DESARROLLO Y ACCESO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

9:30 RECEPCIÓN DE ASISTENTES

9:45 INAUGURACIÓN

*Moderador:* Dr. José M Mato. Director CIC bioGUNE

Representante del Ayuntamiento de Bilbao

**Dra. María Aguirre.** Departamento de Salud del Gobierno Vasco.

**Dra. Natalia Ojeda.** Universidad de Deusto.

**Sra. Iolanda Arbiol.** Plataforma Malalties Minoritàries - ICS.

**Sra. Juana María Sáenz.** FEDER País Vasco.

**Sra. Beatriz Gómez.** CIBERER.

### PROCESO DE DESIGNACIÓN

10:10 ¿QUÉ ES UN MEDICAMENTO HUÉRFANO Y CÓMO SE OBTIENE LA DESIGNACIÓN?

¿CUÁLES SON LOS BENEFICIOS DE LA DESIGNACIÓN?

**Dr. Josep Torrent-Farnell.** Profesor de la Universitat Autònoma de Barcelona y presidente del Comité Científico Asesor Externo CIBERER.

10:40 ¿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).

11:10 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

11:30 COFFEE BREAK

## DE LA DESIGNACIÓN AL PACIENTE

---

- 12:00 INVESTIGACIÓN Y DESARROLLO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA ACADEMIA  
**Dr. Juan Luque.** Gestor Científico CIBERER.
- 12:20 CONTINUIDAD EN EL APOYO AL INVESTIGADOR  
**Dra. Yoana Nuevo.** Oficina de Innovación AEMPS, Departamento de Medicamentos de Uso Humano (AEMPS).
- 12:40 INTERÉS DE LA INDUSTRIA EN LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS  
**Sra. Stefanie Granado.** Vicepresidenta de AELMHU.
- 13:00 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

## EXPERIENCIAS EN LA DESIGNACIÓN

---

- 13:20 CASO A: DESIGNACIÓN DE AFATINIB Y GEFITINIB PARA EL TRATAMIENTO DE ANEMIA DE FANCONI  
**Dres. Jordi Surrallés y Jordi Minguillón.** Hospital de Sant Pau i la Santa Creu. Universitat Autònoma de Barcelona y CIBERER.
- 13:40 CASO B: DESIGNACIÓN DEL CICLOPIROX PARA EL TRATAMIENTO DE PORFIRIA ERITROPOIÉTICA CONGÉNITA  
**Dr. Óscar Millet.** CIC bioGUNE/Atlas Molecular Pharma.
- 14:00 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE
- 14:15 CONCLUSIONES Y CLAUSURA
- 14:30 LUNCH



### ASISTENCIA GRATUITA

Número de plazas limitado.

Reservas en <http://bit.ly/2m8ul4f>

# ENFERMEDADES RARAS

- > HAY MÁS DE 7.000 ENFERMEDADES RARAS.
- > AFECTAN A 5 DE CADA 10.000 PERSONAS.
- > ALREDEDOR DEL 80% SON DE ORIGEN GENÉTICO.
- > 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



## PATROCINA

