

29 DE ABRIL DE 2022

DESIGNACIÓN, DESARROLLO Y ACCESO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS



INSCRIPCIONES EN:
<https://bit.ly/3qlayrb>

CENTRO DE INVESTIGACIÓN EN MEDICINA MOLECULAR
Y ENFERMEDADES CRÓNICAS (CiMUS)
UNIVERSIDAD DE SANTIAGO DE COMPOSTELA



Actividad acreditada por el Consell Català de Formació Continuada de les Professions Sanitàries y la Comisión de Formación Continuada del Sistema Nacional de Salud con 1,25 créditos y registrada con el número 09/031905-FR.

PROGRAMA

29 DE ABRIL DE 2022

DESIGNACIÓN, DESARROLLO Y ACCESO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

9:30 RECEPCIÓN DE ASISTENTES

9:45 INAUGURACIÓN

Modera: Dr. Carlos Diéguez, Director Científico del CiMUS.

Sr. Antonio Fernández-Campa, Director de la Agencia de Coñecemento en Saúde, ACIS. Consellería de Sanidad, Xunta de Galicia.

Sr. Santiago de la Riva, Tesorero de FEDER y Vicepresidente de Fundación FEDER.

Sra. Beatriz Gómez, Gestora de la Actividad Científica CIBERER.

Sra. Iolanda Arbiol, Directora Plataforma Malalties Minoritàries-ICS.

PROCESO DE DESIGNACIÓN

Modera: Dr. Carlos Diéguez. Director Científico del CiMUS.

10:10 ¿QUÉ ES UN MEDICAMENTO HUÉRFANO Y CÓMO SE OBTIENE LA DESIGNACIÓN?
¿CUÁLES SON LOS BENEFICIOS DE LA DESIGNACIÓN?

Dr. Josep Torrent, Universitat Autònoma de Barcelona (UAB). Presidente del Comité Científico Asesor Externo del CIBERER.

10:40 ¿CÓMO SE HA INCORPORADO A LOS PACIENTES EN ESTE PROCESO?

Sr. Julián Isla, Presidente y cofundador Fundación 29, Representante de pacientes en el Committee for Orphan Medicinal Products (COMP/EMA).

11:10 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

11:30 PAUSA CAFÉ

DE LA DESIGNACIÓN AL PACIENTE

Moderadora: **Dra. M^a Luz Couce**, Directora del Instituto de Investigación Sanitaria de Santiago de Compostela (IDIS).

12:00 INVESTIGACIÓN Y DESARROLLO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA ACADEMIA

Dra. Mabel Loza, Centro de Investigación CiMUS de la USC. Fundación Kaertor.
Dr. Juan Luque, Gestor de la Actividad Científica CIBERER.

12:30 CONTINUIDAD EN EL APOYO AL INVESTIGADOR

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

12:50 INTERÉS DE LA INDUSTRIA EN LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Sra. Leticia Beleta, Vicepresidenta Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU).

13:10 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

EXPERIENCIAS EN LA DESIGNACIÓN

Moderador: **Sr. Santiago de la Riva**, Tesorero de FEDER y Vicepresidente de Fundación FEDER.

13:30 CASO A: DESIGNACIÓN DE L-ERGOTIONEINA PARA EL TRATAMIENTO DE CISTINURIA

Dr. Miguel López de Heredia, Gestor de la Actividad Científica CIBERER.

13:50 CASO B: DESIGNACIÓN DE CÉLULAS MADRE HEMATOPOYÉTICAS ENRIQUECIDAS CON CD34+ AUTÓLOGAS MODIFICADAS GENÉTICAMENTE CON VECTOR LENTIVIRAL AUTOACTIVANTE QUE CODIFICA QUE CODIFICA RPS19 OPTIMIZADO PARA CODONES (CORPS19) PARA EL TRATAMIENTO DE LA ANEMIA DE DIAMOND-BLACKFAN.

Dra. Susana Navarro, Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT), Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz (IIS-FJD) y CIBERER.

14:10 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

14:30 CONCLUSIONES Y CLAUSURA

14:45 LUNCH



INSCRIPCIÓN GRATUITA

Inscripciones en <https://bit.ly/3qlayrb>
Inscripciones abiertas hasta el 28 de abril.

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

Por programas europeos que recogen financiación para ensayos clínicos con sustancias que poseen la designación de medicamento huérfano.

ORGANIZA Y PATROCINA



COLABORA

