

27 DE ABRIL DE 2017

# DESIGNACIÓN Y DESARROLLO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS



**INSCRIPCIÓN GRATUITA**  
WORKSHOP@CIBERER.ES

**SALÓN DE ACTOS**  
HOSPITAL UNIVERSITARIO NIÑO JESÚS  
MADRID

# PROGRAMA

27 DE ABRIL DE 2017

## DESIGNACIÓN Y DESARROLLO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

9:45 RECEPCIÓN DE ASISTENTES

10:00 INAUGURACIÓN

### PROCESO DE DESIGNACIÓN

---

10:15 ¿QUÉ ES UN MEDICAMENTO HUÉRFANO Y CÓMO SE OBTIENE LA DESIGNACIÓN?  
¿CUÁLES SON LOS BENEFICIOS DE LA DESIGNACIÓN?

**Dr. Josep Torrent-Farnell.** Responsable del Área del Medicamento del CatSalut. Presidente del Comité Científico Asesor Externos del CIBERER.

10:45 ¿CÓMO SE HA INCORPORADO A LOS PACIENTES EN ESTE PROCESO?

**Sr. Julián Isla.** Presidente Dravet Syndrome Foundation. Representante de pacientes en el COMP (Committee for Orphan Medicinal Products) de la EMA.

11:15 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

11:30 PAUSA CAFÉ



### ASISTENCIA GRATUITA

INSCRIPCIONES

Número de plazas limitado.

Para reservar enviar un correo a [workshop@ciberer.es](mailto:workshop@ciberer.es) indicando nombre, apellidos e institución o entidad de procedencia.

## DE LA DESIGNACIÓN AL PACIENTE

---

12:00 INVESTIGACIÓN Y DESARROLLO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS.

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

12:20 CONTINUIDAD EN EL APOYO AL INVESTIGADOR.

**Dr. César Hernández.** Jefe Departamento Medicamentos de Uso Humano. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

12:40 INTERÉS DE LA INDUSTRIA EN LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS.

**Dr. Josep María Espinalt.** Presidente AELMHU. Director General Alexion.

13:00 OPORTUNIDADES DE FINANCIACIÓN PARA LA INVESTIGACIÓN CLÍNICA.

**Dra. Cristina Rodríguez.** Coordinadora Plataforma de Internacionalización CIBER.

13:20 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

13:50 PAUSA COMIDA

## EXPERIENCIAS EN LA DESIGNACIÓN

---

15:00 CASO A: CÉLULAS MADRE MODIFICADAS POR VECTORES LENTIVIRALES COMO MEDICAMENTOS HUÉRFANOS PARA EL TRATAMIENTO DE ENFERMEDADES MONOGÉNICAS DE LAS CÉLULAS SANGUÍNEAS

**Dr. Juan Antonio Bueren.** CIEMAT, CIBERER e IIS-FJD.

15:20 CASO B: DESIGNACIÓN DEL UBIQUINOL PARA EL SÍNDROME DE DEFICIENCIA PRIMARIA DE COENZIMA Q<sub>10</sub>

**Dr. Plácido Navas.** Universidad Pablo de Olavide y CIBERER.

15:40 CASO C: DESIGNACIÓN DEL PROPRANOLOL PARA EL TRATAMIENTO DE LA ENFERMEDAD DE VON HIPPLE-LINDAU. REPOSICIONAMIENTO TERAPÉUTICO

**Dra. Luisa Botella.** Centro de Investigaciones Biológicas (CSIC) y CIBERER.

16:00 MESA REDONDA DE PONENTES Y DEBATE

16:30 CONCLUSIONES Y CLAUSURA

# 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



## COLABORA

## PATROCINA

