

IV Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Sevilla, 19, 20 y 21 de febrero de 2009



*“Las Enfermedades Raras y su tratamiento.
Una década de avances”*

Acreditado con 4,07 créditos por la Dirección General de Calidad, Investigación y Gestión del Conocimiento de la Consejería de Salud de la Junta de Andalucía.

Concedido Reconocimiento de Interés Sanitario por el Ministerio de Sanidad y Consumo.

Concedido Reconocimiento de Interés Científico Sanitario por la Consejería de Salud de la Junta de Andalucía



*Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos
de la Provincia de Sevilla*



FEDER

Federación Española de Enfermedades Raras

SEDE DEL CONGRESO: HOTEL MELIÁ LEBREROS. SEVILLA

Queridos congresistas:

*Una vez más, el Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla y la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), unen sus esfuerzos para celebrar el **IV Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras**.*

Desde hace más de diez años, nuestro Colegio viene desarrollando una amplia labor en el campo de las llamadas enfermedades raras, a la par que una estrecha colaboración con FEDER, entidad que agrupa a un número creciente de asociaciones de enfermos aquejados por alguna de estas patologías. Los resultados obtenidos del trabajo conjunto han sido amplios, como lo atestiguan, los tres Congresos Internacionales celebrados en nuestra ciudad desde el año 2000, las Becas de Investigación otorgadas, y los premios periodísticos y fotográficos convocados, en el campo de esas patologías.

No obstante, aún queda mucho por hacer. La inmensa mayoría de los ciudadanos desconoce que alguna de las más de 7.000 enfermedades consideradas raras, poco frecuentes, minoritarias o de baja prevalencia (menos de 5 casos por 10.000 habitantes en Europa), afecta a casi tres millones de españoles, y treinta millones de europeos. A la dificultad del establecimiento del diagnóstico se suma la dificultad para conseguir tratamiento adecuado (medicamentos huérfanos), en el caso de que exista, debido a las trabas burocráticas o a la falta de interés en su desarrollo, ante la baja rentabilidad económica.

En Sevilla, ciudad solidaria siempre, nació hace más de diez años, el movimiento social a favor de los enfermos olvidados que padecían una enfermedad, desconocida en muchos casos. Desde aquel I Congreso Internacional,

nuestra ciudad se ha convertido en un referente nacional en este campo. A principios de este mes, nuestro Colegio presentó en una cena benéfica la ‘Declaración de Sevilla sobre Enfermedades Raras’, con el objetivo de seguir recordándole a la sociedad, la deuda que mantiene con estos enfermos.

Los farmacéuticos somos los profesionales sanitarios más cercanos al paciente, y entre nuestras obligaciones legales y éticas se encuentra la de fomentar medidas que contribuyan a mejorar el acceso a los medicamentos por parte de los enfermos, para garantizar el derecho inalienable a la salud que tenemos los ciudadanos españoles y que la constitución española especifica claramente.

Desde aquí, quiero agradecer a los Comités de Honor, Científico y Organizador, así como a los Ponentes, Moderadores, Patrocinadores, Congressistas, Asociaciones, Familiares de Enfermos, y a todas las personas que han colaborado, el esfuerzo realizado para lograr que este IV Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras, constituya un éxito.

Reciban todos, la más cordial bienvenida a la acogedora ciudad de Sevilla en la certeza de que tendrán una experiencia inolvidable.

Sevilla, 19 a 21 de febrero de 2009

Manuel Pérez Fernández

Presidente del Congreso

y del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla

PRESIDENCIA DE HONOR

Su Majestad La Reina

COMITÉ DE HONOR

Excmo. Sr. D. José Luis Rodríguez Zapatero
(Presidente del Gobierno)

Excmo. Sr. D. Manuel Chaves González
(Presidente de la Junta de Andalucía)

Excmo. Sr. D. Bernat Soria Escoms
(Ministro de Sanidad y Consumo)

Excma. Sra. D^a Cristina Garmendia Mendizábal
(Ministra de Ciencia e Innovación)

Excmo. Sr. D. Alfredo Sánchez Monteseirín
(Alcalde de Sevilla)

Excmo. Sr. D. Enrique Múgica Herzog
(Defensor del Pueblo Español)

Excmo. Sr. D. José Chamizo de la Rubia
(Defensor del Pueblo Andaluz)

Excma. Sra. D^a M^a Jesús Montero Cuadrado
(Consejera de Salud de la Junta de Andalucía)

Excma. Sra. D^a Micaela Navarro Garzón
(Consejera para la Igualdad y Bienestar Social de la Junta de Andalucía)

Excmo. Sr. D. Fernando Rodríguez Villalobos
(Presidente de la Diputación de Sevilla)

Excma. Sra. D^a Amparo Valcárcel García
(Secretaria de Estado de Política Social, Familias y Atención a la Dependencia y a la Discapacidad)

Excmo. Sr. D. José Martínez Olmos
(Secretario General de Sanidad del Ministerio de Sanidad y Consumo)

Excma. Sra. D^a Josefa Ruiz Fernández
(Secretaria Gral. de Salud Pública y Participación de la Consejería de Salud de la Junta de Andalucía)

Ilma. Sra. D^a M^a Teresa Pagés Jiménez
(Directora Gral. de Farmacia y Productos Sanitarios)

Ilma. Sra. D^a María Teresa Florido Mancheño
(Concejala Delegada de Salud y Consumo del Ayuntamiento de Sevilla)

Ilma. Sra. D^a Emilia Barroso Fuentes
(Concejala Delegada de Bienestar Social y Cooperación del Ayuntamiento de Sevilla)

Ilmo. Sr. D. Francisco Javier Cuberta Galdós
(Delegado Provincial de la Consejería de Salud de la Junta de Andalucía)

Ilmo. Sr. D. Manuel Antonio Gálvez Rodríguez
(Delegado Provincial de la Consejería de Igualdad y Bienestar Social de la Junta de Andalucía)

Ilmo. Sr. D. Pedro Capilla Martínez
(Presidente del Consejo General de Colegios Oficiales de Farmacéuticos)

Ilmo. Sr. D. Manuel Arenas Vargas
(Presidente del Consejo Andaluz de Colegios Oficiales de Farmacéuticos)

Ilmo. Sr. D. Agustín García Asuero
(Decano de la Facultad de Farmacia de la Universidad de Sevilla)

Ilma. Sra. D^a Carmen Osuna Fernández
(Decana de la Facultad de Medicina de la Universidad de Sevilla)

Ilma. Sra. D^a M^a Teresa Miras Portugal
(Presidenta de la Real Academia Nacional de Farmacia)

Ilmo. Sr. D. Alberto Ramos Cormenzana
(Presidente de la Academia Iberoamericana de Farmacia)

Ilmo. Sr. D. Carlos Javier González-Villardell Urbano
(Presidente del Real Colegio Oficial de Médicos de Sevilla)

Ilmo. Sr. D. Ignacio Oroquieta Menéndez
(Presidente del Ilustre Colegio Oficial de Veterinarios de la Provincia de Sevilla)

Ilmo. Sr. D. José María Rueda Segura
(Presidente del Ilustre Colegio Oficial de Enfermería de Sevilla)

Ilmo. Sr. D. Luis Cáceres Márquez
(Presidente del Ilustre Colegio Oficial de Odontólogos y Estomatólogos de Sevilla)

Ilmo. Sr. D. Miguel Villafaina Muñoz
(Presidente del Ilustre Colegio Profesional de Fisioterapeutas de Andalucía)

Ilmo. Sr. D. Antonio Delgado Luna
(Presidente de la Fundación Farmacéutica Avenzoar)

COMITÉ CIENTÍFICO

Presidente:

Profesor D. Santiago Grisolía

(Secretario de la Fundación Valenciana de Estudios Avanzados)

Vocales:

D. Moisés Abascal Alonso

(Farmacéutico. Presidente de la Federación Española de Enfermedades Raras)

Dra. D^a Elvira Bel Prieto

(Farmacéutica. Profesora Titular de Legislación y Gestión Farmacéutica. Universidad de Barcelona)

D^a M^a Victoria Casals Pérez-Caballero

(Farmacéutica del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

Dr. D. Santiago Cuéllar Rodríguez

(Farmacéutico. Director del Departamento Técnico del Consejo General de Colegios Oficiales de Farmacéuticos)

D^a M^a Teresa Díaz Carmona

(Farmacéutica. Secretaria Técnica del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

D. Antonio González Ruiz

(Farmacéutico. Presidente del I Congreso Internacional de MHER y Ex Presidente del Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

Dr. D. Joaquín Herrera Carranza

(Farmacéutico. Profesor Titular del Departamento de Farmacia y Tecnología Farmacéutica de la Universidad de Sevilla)

Dr. D. Ángel Martín Reyes

(Farmacéutico. Director del Laboratorio y CIM del Colegio Farmacéutico de Málaga)

Dr. D. José Martínez Olmos

(Médico. Secretario General de Sanidad del Ministerio de Sanidad y Consumo)

Dr. D. José Félix Olalla Marañón

(Farmacéutico. Dpto. de Relaciones Institucionales de Laboratorios Sanofi Aventis)

Dr. D. Manuel Posada de la Paz

(Médico. Responsable Técnico y de Gestión del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras[IIER] del Instituto de Salud Carlos III)

Dr. D. Antonio M^a Rabasco Álvarez

(Farmacéutico. Director del Departamento de Farmacia y Tecnología Farmacéutica de la Universidad de Sevilla. Vocal de Docencia, Investigación e Industria de la Junta de Gobierno del Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

Dr. D. Carlos Raposo Simón

(Farmacéutico y Médico. Subdirector del Colegio Farmacéutico de Madrid)

D^a Rosa Sánchez de Vega

(Presidenta de la Federación Española de Enfermedades Raras [FEDER])

Dr. D. Francisco Zaragoza García

(Farmacéutico. Catedrático de Farmacología de la Universidad de Alcalá de Henares. Vocal Nacional de Docencia e Investigación del Consejo General de Farmacéuticos)

COMITÉ ORGANIZADOR

Presidente:

D. Manuel Pérez Fernández

(Presidente del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

Vocales:

D. Moisés Abascal Alonso

(Presidente de la Fundación FEDER y Vicepresidente de la Federación Española de Enfermedades Raras)

D^a M^a Isabel Andrés Martín

(Vocal de Óptica y Acústica Audiométrica del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

D. Juan Luis Barea Ledesma

(Tesorero del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

D^a M^a Victoria Casals Pérez-Caballero

(Farmacéutica del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

D. Antonio Delgado Luna

(Vicesecretario del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

D^a M^a Teresa Díaz Carmona

(Secretaria Técnica del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

D^a Adela Larrey Murillo

(Vocal 5^a de la Junta de Gobierno del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

D. Manuel Ojeda Casares

(Vicepresidente del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

D^a Milagros Olías Valdés

(Vocal de Plantas Medicinales y Fitoterapia del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

D. Juan Pedro Vaquero Prada

(Secretario del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla)

JUEVES, 19 DE FEBRERO DE 2009

9,30 h. ENTREGA DE DOCUMENTACIÓN

11,00 h. ACTO DE APERTURA OFICIAL

11,30 h. CONFERENCIA INAUGURAL

Dr. D. Jesús Navas Palacios, Director del Instituto de Salud Carlos III de Madrid

12,30 h. MESA REDONDA INAUGURAL

Modera: *D. Manuel Jesús Florencio Caro, Director de 'El Diario de Sevilla'*

Participantes:

D^a Encarna Caballero Mateos, Presidenta de la Asociación Española de Disfonía Espasmódica, Cádiz

D^a Carmen Vargas Zaragoza, Presidenta de la Asociación Española de Enfermos por Pseudoxantoma elástico, Málaga

D^a Rosa Sánchez de Vega, Presidenta de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) y Vicepresidenta de EURORDIS, Madrid

14,00 h. CÓCTEL DE BIENVENIDA

15,30 h. I MESA REDONDA

INVESTIGACIÓN, DIAGNÓSTICO Y TRATAMIENTO DE ENFERMEDADES RARAS

Mesa patrocinada por:



Modera: *D. Francisco Rubiales Moreno, Presidente de EUROMEDIA Comunicación*

1.- CIBERER y las Enfermedades Raras en España

Dr. D. Francisco Palau Martínez, Director del Centro de Investigación Biomédica en Red (CIBERER) Valencia

2.- Diagnóstico preimplantacional de Enfermedades Raras

Dr. D. Guillermo Antiñolo Gil, Director de la Unidad de Gestión Clínica de Genética, Reproducción y Medicina Fetal, Instituto de Biomedicina (IBIS), Sevilla

3.- Avances en el tratamiento de las enfermedades metabólicas hereditarias

Dra. D^a M^a del Amor Bueno Delgado, Unidad de errores innatos del metabolismo, Hospital Infantil del H.U. Virgen del Rocío de Sevilla

4.- Aspectos tecnológicos en el desarrollo de un Medicamento Huérfano

Dr. D. Eduardo L. Mariño Hernández, Director de la Unidad de Farmacia Clínica y Farmacoterapia, Departamento de Farmacia y Tecnología Farmacéutica de la Universidad de Barcelona

5.- Movilización de los afectados para conseguir la unidad de referencia de fibrosis quística

D^a M^a Fuensanta Pérez Quirós, Presidenta de la Asociación Andaluza contra la fibrosis quística, Sevilla

17,00 h. **Café. Visita a pósters**

17,30 h. II MESA REDONDA

LA INDUSTRIA FARMACÉUTICA Y LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Mesa patrocinada por:

Fundación

Cajasol

Modera: *D. Cristóbal Cervantes Hernández, Periodista de 'Punto Radio'*

- 1.- Iniciativas de cooperación público-privada para el avance en la investigación en Enfermedades Raras
Dra. D^a Regina Revilla Pedreira. Directora de Relaciones Externas, Outcomes Research y Comunicación de Merck, Sharp & Dohme, España. Madrid
- 2.- Acciones, resultados y dificultades de la Industria Farmacéutica respecto a los Medicamentos Huérfanos
Dr. D. Fernando Royo Gómez. Director General de Genzyme España. Madrid
- 3.- Análisis de los Medicamentos Huérfanos autorizados y designados en Europa y USA
Dr. D. Santiago Cuéllar Rodríguez. Director del Departamento Técnico del Consejo General de Colegios Farmacéuticos de España. Madrid
- 4.- Las Unidades de Ensayos Clínicos (ECRIN) (European Clinical Research Infrastructures Network) como apoyo a la investigación de Medicamentos Huérfanos
Dr. D. Xavier Carné Cladellas. Jefe del Servicio de Farmacología Clínica. Hospital Clínico de Barcelona

VIERNES, 20 DE FEBRERO DE 2009

9,00 h. III MESA REDONDA

ACCIONES DE LOS PROFESIONALES SANITARIOS FRENTE A LAS ENFERMEDADES RARAS

Modera: *D. Francisco Rosell Fernández. Director de 'El Mundo Andalucía'*

- 1.- La intervención del médico de familia. Actuación de la SEMFYC
Dr. D. Miguel García Ribes. Coordinador del grupo de trabajo de la SEMFYC (Sociedad Española de Medicina Familiar y Comunitaria) de Enfermedades Genéticas y Raras. Cantabria
- 2.- Apoyo del médico pediatra a los enfermos con una Enfermedad Rara
Dr. D. José Antonio Díaz Huertas. Unidad de Pediatría Social. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús. Madrid
- 3.- Papel de la enfermería en los pacientes afectados de Enfermedades Raras
Dra. D^a M^a Concepción Martín Arribas. Jefa de Sección del Instituto de Investigación en Enfermedades Raras. Instituto de Salud Carlos III de Madrid
- 4.- El Farmacéutico ante el enfermo con Enfermedad Rara y la necesidad del Medicamento Huérfano
Dr. D. Manuel Alós Almiñana. Jefe del Servicio de Farmacia. Hospital General de Castellón
- 5.- Campaña Nacional de sensibilización en Atención Primaria: ¿y si fuera una Enfermedad Rara?
D^a Claudia Delgado González. Directora de FEDER (Federación Española de Enfermedades Raras). Madrid

Mesa patrocinada por:



10,30 h. Café. Visita a pósters

11,00 h. IV MESA REDONDA

ORGANIZACIÓN ADMINISTRATIVA Y LEGISLATIVA DE LAS ENFERMEDADES RARAS EN EUROPA Y USA

Modera: *D. Ramiro Navarro. Corresponsal de 'El Global'*

- 1.- Redes de Centros de Referencia en Europa
Dra. D^a Laura Fregonese. Coordinadora Técnica del Proyecto PAAIR (Patients' Association and Alpha1 International Registry). Leiden (Holanda)

- 2.- Grupo operativo de Enfermedades Raras de la Unión Europea
Dra. D^a Ségolène Aymé. Directora de Investigación del Instituto Nacional de la Salud y la Investigación Médica francés (INSERM). Directora de Orphanet. París
- 3.- Experiencia francesa de los Centros de Referencia de Enfermedades Raras
Dra. D^a Alexandra Fourcade. Ministerio Francés de la Salud. Responsable del Plan Nacional de Enfermedades Raras. París
Dra. D^a Ségolène Aymé. Directora de Investigación del INSERM francés. Directora de Orphanet. París
- 4.- Programa de acción del Centro Nacional de Enfermedades Raras de Italia
Dra. D^a Annalisa Trama. Centro Nacional de Enfermedades Raras del Instituto Superior de Sanidad de Italia. Roma
- 5.- Programa de acción de la Oficina de Enfermedades Raras de USA
Dr. D. Stephen Groft. Director de la Oficina de Enfermedades Raras de los Institutos Nacionales de la Salud de USA. Bethesda MD

14,00 h. **Almuerzo**

15,30 h. **V MESA REDONDA**

RECURSOS ASISTENCIALES DE LOS PACIENTES CON ENFERMEDADES RARAS Y SISTEMAS DE INFORMACIÓN

Modera: *D. Juan Carlos Blanco de la Cruz. Subdirector de 'El Correo de Andalucía'*

- 1.- La importancia de los registros en la historia natural de las Enfermedades Raras
Dr. D. Manuel Posada de la Paz. Responsable Técnico y de Gestión del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos III de Madrid
- 2.- Estudio sobre las necesidades sociosanitarias de los afectados por Enfermedades Raras y propuestas de acción
D. Agustín Huete García. Director de la Consultora InterSocial. Madrid
- 3.- Sistemas de información sobre algunas Enfermedades Raras globales: Autismo
Dr. D. Álvaro Ramírez Ospina. Director del Proyecto EAIS (European Autism Information System) Clare. Irlanda
- 4.- SIO: Servicio de Información y Orientación para los pacientes con Enfermedades Raras
D^a Estrella Mayoral Rivero. Coordinadora del Servicio de Información y Orientación de FEDER Badajoz
- 5.- Guía de Apoyo Psicológico para Enfermedades Raras
D^a Begoña Ruiz García. Psicóloga de FEDER. Coordinadora del proyecto. Madrid

17,30 h. **Café. Visita a pósters**

18,00 h. **VI MESA REDONDA**

PLANES SOBRE ENFERMEDADES RARAS DE LAS DISTINTAS ADMINISTRACIONES

Modera: *D. Francisco Correal Naranjo. Periodista de 'El Diario de Sevilla'*

- 1.- Plan Europeo sobre Enfermedades Raras
Dr. D. Antoni Montserrat Moliner. Comisión Europea Dirección General de Protección de la Salud y Consumo. Luxemburgo

Mesa patrocinada por:



Fundación AstraZeneca

Mesa patrocinada por:



2.- Plan Andaluz sobre Enfermedades Raras

Dr. D. Antonio González-Meneses Sánchez. Director del Plan Andaluz de Atención a personas afectadas por Enfermedades Raras. Sevilla

3.- Estrategias sobre Enfermedades Raras en el Sistema Nacional de Salud

Dra. D^a Concepción Colomer Revuelta. Subdirectora General de la Oficina de Planificación Sanitaria y Calidad de la Agencia de Calidad del SNS del Ministerio de Sanidad y Consumo. Madrid

4.- El papel de los pacientes en el impulso de políticas sociales y sanitarias para los afectados

D^a Isabel Campos Barquilla. Vicepresidenta de la Federación Española de Ataxias. Ciudad Real

21,30 h. **CENA DE CLAUSURA**

SÁBADO, 21 DE FEBRERO DE 2009

9,15 h. **COMUNICACIONES ORALES DE LOS PÓSTERS SELECCIONADOS Y PREMIO AL MEJOR PÓSTER**

10,15 h. **VII MESA REDONDA**

ASOCIACIONES DE PACIENTES CON ENFERMEDADES RARAS. TESTIMONIOS, LOGROS Y EXPECTATIVAS

Mesa patrocinada por:

ALEXION
Pharma Spain

Modera: *D. José Álvarez Marcos. Director de Comunicación de la 'Universidad de Sevilla'*

1.- EURORDIS: Declaración Europea de Servicios y Centros de Referencia en Enfermedades Raras, para pacientes

D^a Rosa Sánchez de Vega. Presidenta de FEDER y Vicepresidenta de EURORDIS (Organización Europea de Enfermedades Raras). Madrid

2.- Funciones de un Comité de Ética de Investigación en Enfermedades Raras

Dr. D. Francisco J. de Abajo Iglesias. Presidente del Comité de Ética del Instituto de Investigación de ER. Instituto de Salud Carlos III. Madrid

3.- Fundación FEDER

D^a María de las Mercedes Pastor Maestro. Directora de la Fundación FEDER. Madrid

4.- Centro multidisciplinar para Enfermedades Raras de Alicante

Dra. D^a Cecilia Soriano Clemor. Unidad Multidisciplinar de Enfermedades de Baja Prevalencia. Hospital Universitario de Alicante

5.- Testimonio concreto de una paciente con Enfermedad Rara: Elefantiasis

D^a Encarnación Laforet Requena. Murcia

6.- Plataformas virtuales de salud para aumentar la calidad de vida de los afectados por Enfermedades Raras

Dr. D. Manuel Armayones Ruiz. Vicepresidente de la Asociación Española de Síndrome de Löwe. Madrid

12,00 h. **PRESENTACIÓN DEL CENTRO DE ENFERMEDADES RARAS DE LA FEDERACIÓN ESTATAL**

D. Miguel Ángel Ruiz Carabias. Director Gerente del Centro de Referencia Estatal de Atención Sociosanitaria a personas con Enfermedades Raras y a sus familias.

12,30 h. **LECTURA DE CONCLUSIONES Y ACTO DE CLAUSURA**

INFORMACIÓN DE INTERÉS

FECHA:

Del jueves 19 al sábado 21 de febrero de 2009

SEDE DEL CONGRESO:

Hotel Meliá Lebreros. Avd. Luis de Morales, 2. 41018 Sevilla. Tfno. 954 57 94 00

ORGANIZADORES:

Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla . c/ Alfonso XII, 51
41001 Sevilla. Teléfono: 954 97 96 00. Fax: 954 97 96 01. E-mail: ricofse@redfarma.org
www.farmaceuticosdesevilla.es

Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) . Avd. San Francisco Javier, 9.
Pta. 10º. Mód. 24. 41018 Sevilla . Teléfono: 954 98 98 92. Fax: 954 98 98 93
E-mail: feder@enfermedades-raras.org www.enfermedades-raras.org

SECRETARÍA ADMINISTRATIVA Y CIENTÍFICA:

(Información general, patrocinios y colaboraciones, envío de resúmenes y pósters)
Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla. c/ Alfonso XII, 51
41001 Sevilla. Teléfono: 954 97 96 00. Fax: 954 97 96 01
E-mail: congresomhuerfanos@redfarma.org

SECRETARÍA TÉCNICA:

(Inscripciones, viajes, reserva de alojamientos, reserva de espacio para exposición)
BECOEX S. L. Avd. San Francisco Javier, 1 - 2º D. 41005 Sevilla
Teléfono: 954 64 41 64. Fax: 954 64 51 00. E-mail: medicamentoshuerfanos@gmail.com

FORMATO ELECTRÓNICO:

Este programa figura en Formato Electrónico en www.farmaceuticosdesevilla.es

PREMIO PERIODÍSTICO:

Se concederá Premio Periodístico a trabajo publicado en Medios de Comunicación sobre Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos, cuyas bases figuran en www.farmaceuticosdesevilla.es

PREMIO AL MEJOR PÓSTER:

De entre los pósters admitidos, se seleccionarán 5 para presentación oral, que optarán al premio de mejor póster.

Normas para la presentación del Resumen, consultar www.farmaceuticosdesevilla.es

VI International Congress of Orphan drugs and Rare Diseases

Seville 19 - 21 February 2009



*“Rare Diseases and their treatment.
One decade of progress”*

International Congress accredited with 4.07 credits by the General Directorate of Quality, Research and Knowledge Management, Health Council, Junta de Andalucía.

Recognized as an Event of High Level of Scientific Interest in Health by the Ministry of Health and Consume.

Recognized as an Event of High Level of Scientific Interest in Health by the Health Council, Junta de Andalucía

Organized by the Royal and Illustrious Colleague of Pharmacists of Seville and the Spanish Federation of Rare Diseases (FEDER)



*Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos
de la Provincia de Sevilla*



FEDER
Federación Española de Enfermedades Raras

CONGRESS VENUE: MELIA LEBREROS HOTEL, SEVILLE

THURSDAY 19 FEBRUARY 2009

9:30 h. **REGISTRATION AND DOCUMENTATION**

11:00 h. **WELCOME AND OPENING SESSION**

11:30 h. **OPENING LECTURE**

Dr. D. Jesús Navas Palacios, Director del Instituto de Salud Carlos III de Madrid

12.30 h. **PLENARY SESSION**

Chair: *D. Manuel Jesús Florencio Caro, Director of the Newspaper 'El Diario de Sevilla'*

Keynote Presentations:

D^a Encarna Caballero Mateos, Chairwoman of the Spanish Association of Spasmodic Disphonia, Cádiz

D^a Carmen Vargas Zaragoza, Chairman of the Spanish Association of Patients of Pseudoxantoma elasticum, Málaga

D^a Rosa Sánchez de Vega, Chairwoman of the Spanish Federation of Rare Diseases (FEDER) and Vice-Chairwoman of EURORDIS, Madrid

13:30 h. **Cocktail Reception**

15:30 h. **SESSION I**

RESEARCH, DIAGNOSIS AND TREATMENT OF RARE DISEASES

Chair: *D. Francisco Rubiales Moreno, Chairman of 'EUROMEDIA Comunicación'*

1.- CIBERER and the Rare Diseases in Spain

Dr. D. Francisco Palau Martínez, Scientific Director of the Biomedical Network Research Center on Rare Diseases (CIBERER), Valencia

2.- Pre-implantatory diagnosis on Rare Diseases

Dr. D. Guillermo Antiñolo Gil, Director of the Clinic Unit of Genetic, Reproduction and Fetal Medicine, Instituto de Biomedicina (IBIS), Sevilla

3.- Inherity Inborn Error Metabolisms: Treatment Advances

Dra. D^a M^a del Amor Bueno Delgado, Inborn Error Metabolic Unit, Children Hospital of H.U. Virgen del Rocío de Sevilla.

4.- Technological issues and their application to the Orphan Drugs development.

Dr. D. Eduardo L. Mariño Hernández, Director of the Clinic Pharmacy and Pharmacotherapy Unit, Department of Pharmacy and Pharmaceutical Technology, Barcelona University.

5.- Patient Mobilitation for getting the Cystic Fibrosis Reference Unit.

D^a M^a Fuensanta Pérez Quirós, Chairwoman of the Cystic Fibrosis Association of Andalusia

17:00 h. **Coffe break. Poster session**

17:30 h. **SESSION II**

PHARMACEUTICAL INDUSTRY AND THE ORPHAN DRUGS

Chair: *D. Cristóbal Cervantes Hernández, Journalist of 'Punto Radio'*

Session sponsored by



Session sponsored by



- 1.- Initiatives for private-public cooperation to improve Rare Diseases Research
Dra. D^a Regina Revilla Pedreira. Director of External Relationships, Outcomes Research and Communication. Merck, Sharp & Dohme Spain. Madrid
- 2.- Actions, Results and Difficults of the Pharmaceutical Industry and Orphan Drugs Developments
Dr. D. Fernando Royo Gómez. General Director of Genzyme Spain. Madrid
- 3.- Analysis of Designed and Authorized Orphan Drugs in Europe and USA
Dr. D. Santiago Cuéllar Rodríguez. Director of Technical Department. General Council of the Pharamaceutical Colleague of Spain. Madrid
- 4.- European Clinical Research Infrastructures Network (ECRIN) to support Orphan Drugs Research
Dr. D. Xavier Carné Cladellas. Head of Clinical Pharmacology Service. Clinic Hospital. Barcelona

FRIDAY 20 FEBRUARY 2009

9:00 h. **SESSION III**

Session sponsored by

HEALTH PROFESSIONALS ACTIONS AND RARE DISEASES



Chair: *D. Francisco Rosell Fernández. Director of the Newspaper 'El Mundo Andalucía'*

- 1.- Family Doctor Actions. SEMFYC activities
Dr. D. Miguel García Ribes. Working Group on Genetic and Rare Diseases Coordinator. SEMFYC (Spanish Sociaty of Community and Familia Medicine)
- 2.- The paediatrician support to patients with a Rare Disease
Dr. D. José Antonio Díaz Huertas. Social Paediatrician Unit. University Children Hospital Niño Jesús. Madrid
- 3.- The role of the nurses and rare disease patients
Dra. D^a M^a Concepción Martín Arribas. Head of Section. Rare Diseases Research Institute. Instituto de Salud Carlos III de Madrid
- 4.- The role of the pharmacist supporting rare disease patients and their needs of orphan drugs
Dr. D. Manuel Alós Almiñana. Head of the Pharmacy Service. General Hospital General. Castellón
- 5.- Awareness National Campaign in the Primary Health Care System: if it were a rare disease?
D^a Claudia Delgado González. Director of FEDER (Spanish Federation of on Rare Diseases). Madrid

10:30 h. **Coffee break. Poster session**

11:00 h. **SESSION IV**

ADMINISTRATIVE ORGANIZATION AND REGULATIONS ON RARE DISEASES IN EUROPE AND USA

Chair: *D. Ramiro Navarro. Corresponsal de 'El Global'*

- 1.- European Reference Networks.
Dra. D^a Laura Fregonese. PAAIR (Patients' Association and Alpha1 International Registry) Project coordinator. Leiden (Holanda)
- 2.- Rare Diseases Task Force of the European Community
Dra. D^a Ségolène Aymé. Research Director of ORPHANET (INSERM). París
- 3.- Reference Centres on Rare Diseases. French Experience
Dra. D^a Alexandra Fourcade. French Ministry of Health. Head of the National French Plan on Rare Diseases. París
Dra. D^a Ségolène Aymé. Research Director of ORPHANET (INSERM). París
- 4.- Rare Diseases National Center, Italy: Action Plan
Dra. D^a Annalisa Trama. National Center on Rare Diseases. Instituto Superior de Sanita of Italia. Roma
- 5.- Office for Rare Diseases, NIH, USA Action Programme
Dr. D. Stephen Groft. Director. Office of Rare Diseases, NIH. USA. Bethesda MD

14:00 h. **Lunch**

15:30 h. **SESSION V**

HEALTH CARE RESOURCES FOR RARE DISEASES AND INFORMATION SYSTEMS

Chair: *D. Juan Carlos Blanco de la Cruz. Deputy Director of the Newspaper 'El Correo de Andalucía'*

- 1.- The role of the patient registries and the Natural History of the Rare Diseases
Dr. D. Manuel Posada de la Paz. Head of Department. Rare Diseases Research Institute. Instituto de Salud Carlos III de Madrid
- 2.- Study on Social and health needs of Rare Diseases' patients and their families. Action proposals
D. Agustín Huete García. Director InterSocial company. Madrid
- 3.- European Autism Information System (EAIS)
Dr. D. Álvaro Ramírez Ospina. Director of EAIS project (European Autism Information System). Ireland
- 4.- SIO: Information and Orientation Service on Rare Diseases (Help Line)
D^a Estrella Mayoral Rivero. Coordinator of the Information and Orientation Service of FEDER. Badajoz
- 5.- Guide to psychological support for Rare Disease patients
D^a Begoña Ruiz García. Psychologist of FEDER. Project coordinator

17:30 h. **Coffee break. Poster session**

18:00 h. **SESSION VI**

PLANS FOR RARE DISEASES OF DIFFERENT GOVERNMENTS

Chair: *D. Francisco Correal Naranjo. Journalist of 'El Diario de Sevilla'*

- 1.- European Plan on Rare Diseases
Dr. D. Antoni Montserrat Moliner. European Commission. General Director of Health and Consumers Protection. Luxembourg

Session sponsored by



Fundación AstraZeneca

Session sponsored by



2.- Andalusia Plan on Rare Diseases

Dr. D. Antonio González-Meneses Sánchez. Director of the Andalusia Plan of Rare Disease Affected People. Seville

3.- National Health System Strategy on Rare Diseases

Dra. D^a Concepción Colomer Revuelta. Deputy Director. Health Planning Office and Quality Agency of the Nacional Health System. Ministry of Health and Consume

4.- The advocacy groups role in supporting the social and health policies for patients.

D^a Isabel Campos Barquilla. Vice-Chairwoman of the Ataxias Spanish Federation

21:30 h. **CLOSING OFFICIAL DINNER**

SATURDAY, 21 FEBRUARY 2009

9:15 h. **SESSION OF THE POSTER AWARDS**

10:15 h. **SESSION VII**

RARE DISEASE ADVOCACY GROUPS TESTIMONIES, ACHIEVMENTS AND EXPECTACTIONS

Chair: *D. José Álvarez Marcos. Director de Comunicación de la 'Universidad de Sevilla'*

1.- EURORDIS: European Declaration on Reference Centres for Rare Diseases

D^a Rosa Sánchez de Vega. Chairwoman of the Spanish Federation of Rare Diseases (FEDER) and Vice-Chairwoman of EURORDIS. Madrid

2.- Ethical Committee of the Rare Diseases Research Institute: Missions and Challenges

Dr. D. Francisco J. de Abajo Iglesias. Chairman of the Ethical Comité of the Rare Diseases Research Institute. Instituto de Salud Carlos III. Madrid

3.- FEDER Foundation Action Programme

D^a María de las Mercedes Pastor Maestro. Director of FEDER Foundation. Madrid

4.- Multidisciplinary Center of Rare Diseases in Alicante

Dra. D^a Cecilia Soriano Clemor. Multidisciplinary Unit for low prevalence diseases in Alicante

5.- Testimony of a patient with a rare disease: Elephantiasis

D^a Encarnación Laforet Requena. Murcia

6.- Virtual Health Platforms for Improving the Quality of Life of Rare Disease Patients

Dr. D. Manuel Armayones Ruiz. Vice-Chairman of the Spanish Association of Löwe' Syndrome. Madrid

12:00 h. **KEYNOTE PRESENTATION OF THE RARE DISEASES CENTER OF SPAIN**

D. Miguel Ángel Ruiz Carabias. Managing Director of the National Reference Center for Social and Health Care for Rare Disease patients and their families.

12:30 h. **CLOSING LECTURE AND CLOSURE OF THE CONGRESS**

Session sponsored by

ALEXION
Pharma Spain

RELACIÓN DE ENTIDADES COLABORADORAS:

- Abbott Laboratorios
- Agrupación Mutual Aseguradora (A.M.A.)
- Alexion Pharma Spain
- Almirall
- Alliance Healthcare España
- Amgen
- Ayuntamiento de Sevilla
- Bancofar
- Boiron
- Caja Madrid. Obra Social
- Cajasol
- Casen Fleet
- Cecofar
- Cinfa
- Coca Cola Rendelsur
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Albacete
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Almería
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Granada
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Guadalajara
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Huelva
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Jaén
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Las Palmas
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de León
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Madrid
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Málaga
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de la Región de Murcia
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Tarragona
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Tenerife
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de Toledo
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de la Provincia de Cádiz
- Colegio Oficial de Farmacéuticos de la Provincia de Barcelona
- Consejo Andaluz de Colegios Oficiales de Farmacéuticos
- Consejo de Farmacéuticos del País Vasco
- Consejo General de Colegios Oficiales de Farmacéuticos
- Diputación de Sevilla
- Esteve
- Facultad de Farmacia. Universidad de Sevilla
- Farmaoptics
- Fundación AstraZeneca
- Fundación Bancaja
- Fundación Farmacéutica Avenzoar
- Genzyme
- GlaxoSmithKline
- Grupo Cofares
- Junta de Andalucía. Consejería para la Igualdad y Bienestar Social
- Junta de Andalucía. Consejería de Salud
- Laboratorios Ordesa
- La Caixa
- Lilly
- Merck Serono
- Merck Sharp & Dohme
- Ministerio de Sanidad y Consumo
- Novafar
- Pfizer
- Previsión Sanitaria Nacional
- Real Maestranza de Caballería de Sevilla
- Sanofi-Aventis
- Shire Human Genetic Therapies
- SIGRE
- Sociedad Española de Farmacología
- Swedish Orphan International
- Teva Genéricos Española
- Turismo de la Provincia. Diputación de Sevilla
- Unicaja



Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos
de la Provincia de Sevilla

ORGANIZAN:



FEDER

Federación Española de Enfermedades Raras

PATROCINAN:



Fundación

Cajasol



Fundación AstraZeneca

genzyme



"la Caixa"



novafar
grupo cooperativas



Unicaja

COLABORAN:



MINISTERIO
DE SANIDAD
Y CONSUMO



JUNTA DE ANDALUCIA
CONSEJERIA DE SALUD



JUNTA DE ANDALUCIA
CONSEJERIA PARA LA IGUALDAD Y BIENESTAR SOCIAL



Ayuntamiento de Sevilla



Turismo
de la Provincia
DIPUTACION DE SEVILLA



Profesor



Consejo General de Colegios Oficiales
de Farmacéuticos de España



Consejo Andaluz de Colegios Oficiales
de Farmacéuticos



Consejo de Farmacéuticos
del País Vasco



UNIVERSIDAD DE SEVILLA



Farmacéuticos
Aventura



COLEGIO OFICIAL
DE FARMACÉUTICOS
DE ALMERIA



Colegio de Farmacéuticos
de Cádiz



Colegio de Farmacéuticos
de Huelva



Colegio de Farmacéuticos
de Las Palmas



Colegio de Farmacéuticos
de León



Colegio de Farmacéuticos
de Madrid



Colegio de Farmacéuticos
de Tenerife



Sociedad Española
de Farmacología



Abbott
A Promise for Life



Almirall



AMGEN



cecofar



ESTEVE



gsk
GlaxoSmithKline



Respuestas que importan.



MSD
El lado humano de la medicina
www.msds.es



Trabajando juntos por un mundo más sano



PNV
PREVISION SANITARIA NACIONAL



sanofi aventis
La Salud es un camino



Shire
Human Genetic Therapies



SIGRE
Medicamento y Medio Ambiente

