



CONGRESO INTERNACIONAL DE
**MEDICAMENTOS HUÉRFANOS
Y ENFERMEDADES RARAS**

Hacia un 2030 lleno de esperanza



SEVILLA

26, 27 y 28 de abril de **2022**



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

feder
entidad de utilidad pública
FUNDACIÓN ESPAÑOLA DE ENFERMEDADES RARAS

mehuer
Fundación Medicamentos Huérfanos
y Enfermedades Raras de Sevilla



Fundación feder
para la Investigación de
Enfermedades Raras

MARTES, 26 DE ABRIL DE 2022

9.30 h. Recepción de asistentes y entrega de documentación

11.30 h. I Mesa Redonda “Realidades y expectativas en el diagnóstico de las enfermedades raras”.

Modera: Begoña Martín Bielsa.

Presidenta de la Asociación de Enfermedades Neuromusculares de Castilla La Mancha (ASEM CLM).

- **Nuevas tecnologías y diagnóstico genético.**
Gemma Bullich Vilanova. Analista de datos en el Centro Nacional de Análisis Genómico.
- **Determinantes del retraso diagnóstico para personas con enfermedades raras.**
Juan Benito Lozano. Instituto de Investigación de Enfermedades Raras (IIER), Instituto de Salud Carlos III.
- **Actualización del cribado neonatal en España.**
Lidia García Pérez. Jefa del Grupo de Economía de la Salud del Servicio de Evaluación del Servicio Canario de la Salud.

Patrocina:



13.00 h. Bienvenida e inauguración oficial por las autoridades.

Patrocina:



14.00 h. Cóctel.

15.30 h. II Mesa Redonda “El diagnóstico como factor determinante de la esperanza de los pacientes”.

Modera: Rosa Elba González González.

Junta Directiva de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER).

- **Casos sin diagnóstico UDNI y Solve-RD.**
Manuel Posada de la Paz. Profesor de Investigación, Instituto de Investigación en Enfermedades Raras, Instituto de Salud Carlos III.
- **Estrategia de Medicina de precisión.**
Cristóbal Belda Iniesta. Director del Instituto de Salud Carlos III.

Patrocina:



- **Papel de las Redes Europeas de Referencia en el diagnóstico de las enfermedades raras.**
Antonio González-Meneses López. Servicio de Dismorfología y Metabolismo. Centro Nacional de Referencia de Enfermedades Metabólicas. Hospital Universitario Virgen del Rocío.

17.00 h. Café. Visita a pósteres.

17.30 h. III Mesa redonda “Recursos y limitaciones en el tratamiento de las enfermedades raras”.

Modera: Antonio Mingorance Gutiérrez.
Presidente del Consejo Andaluz de Colegios Oficiales de Farmacéuticos.

- **Actividad de los comités y departamentos de medicamentos huérfanos EMA/FDA.**
Gloria María Palomo Carrasco. Evaluadora No Clínica. Servicio de Evaluación Fármaco-Toxicológica de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.
- **Experiencias de dispensación colaborativa de medicamentos.**
Jordi de Dalmases Balañá. Vicepresidente del Consejo General de Colegios Farmacéuticos.
- **Impacto de los medicamentos huérfanos.**
David Moreno Alforcea. Vicepresidente de la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU).

Patrocina:



MIÉRCOLES, 27 DE ABRIL DE 2022

9.30 h. IV Mesa Redonda “Tratamiento: tendencias actuales y particularidades en la investigación de medicamentos huérfanos”.

Modera: Manuel C. Molina Muñoz.
Director gerente del Hospital Universitario Virgen del Rocío.

- **Reposicionamiento de medicamentos (Sistema STAMP de la EMA).**
César Hernández García. Jefe del Departamento de Medicamentos de Uso Humano de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.
- **Ensayos clínicos en pediatría en el marco de las enfermedades raras.**
Alberto Torres Falcón. Departamento Asuntos Médicos de AELMHU.

Patrocina:



- **Investigación y desarrollo de terapias avanzadas.**
Javier García Castro. Unidad de Biotecnología Celular. Instituto de Salud Carlos III.
- **Innovaciones que cambian la vida de los pacientes.**
Nuria Mir Melendo. Directora médica de la unidad de enfermedades raras de Pfizer.

11.30 h. **Café. Visita a pósteres.**

12.00 h. **I Mesa Debate “Disponibilidad, accesibilidad y equidad como elementos clave del tratamiento”.**

Modera: Juan Carrión Tudela.
Presidente de FEDER y de la Fundación FEDER.

- **Papel de las organizaciones de pacientes en el comité de designación de medicamentos huérfanos de la EMA.**
Inês Alves. Presidenta de la Asociación Nacional de Displasias Óseas (ANDO), Portugal.
- **Acceso a los medicamentos huérfanos en España.**
Isabel Pineros Andrés. Directora del Departamento de Acceso de Farmaindustria.
- **Nuevo marco regulador de medicamentos huérfanos en Europa. Oportunidades y retos para el acceso en equidad a los medicamentos.**
María Jesús Lamas Díaz. Directora de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.
- **Proyecto En Voz RARA.**
Álvaro Lavandeira Hermoso. Presidente del Instituto de Investigación y Formación en Salud (IFSASALUD).
Manuel Pérez Fernández. Presidente de la Fundación Mehuer.

14.00 h. **Cóctel de trabajo.**

15.30 h. **V Mesa Redonda “Registro de enfermedades raras y epidemiología tras la pandemia del COVID-19”.**

Modera: María Álvarez de Sotomayor Paz.
Decana de la Facultad de Farmacia de la Universidad de Sevilla.

- **Proyecto AcogER: Niños con enfermedades raras atendidos por el sistema de protección a la infancia.**
José Antonio Díaz Huertas. Pediatra. Experto en pediatría social y protección a la infancia.

Patrocina:

sanofi

Patrocina:

Fundación | **Cajasol**

- **Registro estatal de enfermedades raras (ReeR).**
Verónica Alonso Ferreira. Instituto de Investigación de Enfermedades Raras, Instituto de Salud Carlos III.
- **Share4Rare y COVID-19: Impacto de la enfermedad y la vacunación en niños y adolescentes con enfermedades poco frecuentes y no diagnosticadas.**
Begonya Nafria Escalera. Coordinadora del Área de Participación del Paciente en Investigación del Hospital Sant Joan de Déu.

17.30 h. **Café. Visita a pósteres.**

18.00 h. **VI Mesa Redonda “Iniciativas innovadoras en enfermedades raras”.**

Moderador: Miguel Ángel Colmenero Camacho.
Director gerente del Hospital Universitario Virgen Macarena.

- **Anestesia y enfermedades raras.**
Carlos Luis Errando Oyonarte. Jefe del Servicio de Anestesiología y Reanimación del Hospital Can Misses.
- **El proyecto FINEERR: una reflexión sobre la financiación y acceso de las terapias dirigidas a tratar enfermedades raras en España.**
Néboa Zozaya González. Directora del Área de Economía de la Salud. Weber.
- **Cribado genético de enfermedades raras.**
Belén Pérez González. Centro de Diagnóstico de Enfermedades Moleculares. Centro de Biología Molecular. Universidad Autónoma de Madrid. CIBERER. IdiPAZ.
- **Centro innovador-La Casa de Sofía.**
Jordi Cruz Villalba. Patrono de la Fundación Feder y Director de la Asociación MPS-Lisosomales.

21.30 h. **Cena del Congreso.**

Patrocina:
Igenomix[®]
WITH SCIENCE ON YOUR SIDE

JUEVES, 28 DE ABRIL DE 2022

9.30 h. Comunicaciones orales de los pósteres seleccionados y Premio a las dos mejores.

11.15 h. II Mesa Debate “Políticas colaborativas en enfermedades raras”.

Modera: José Félix Olalla Marañón.
Miembro del Comité Científico.

Patrocina:
ALEXION[®]
AstraZeneca Rare Disease

- **Las enfermedades raras en la OMS y las Naciones Unidas.**
Alba Ancochea Díaz. Directora de FEDER y de la Fundación FEDER.
- **Programa Europeo Conjunto de enfermedades raras (EJP-RD).**
Eva Bermejo Sánchez. Directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras, Instituto de Salud Carlos III.
- **Estrategia Nacional de enfermedades raras.**
Pilar Aparicio Azcárraga. Directora General de Salud Pública, Calidad e Innovación. Ministerio de Sanidad.
- **Plan Andaluz de Enfermedades Raras (PAPER).**
Beatriz Muñoz Cabello. Coordinadora del Plan de Atención a Personas Afectadas por Enfermedades Raras. Dirección General de Cuidados Sociosanitarios. Consejería de Salud y Familias de Andalucía.

13.00 h. Conferencia clausura.

- **Estudio de las necesidades sociosanitarias de las personas con enfermedades raras y sus familias en Latinoamérica (ENSERio-LATAM).**
Milda Galkute. Área de investigación y conocimiento de FEDER.
Juan Carrión Tudela. Presidente de la Federación Española de Enfermedades Raras y presidente de la Alianza Iberoamérica de Enfermedades Raras (ALIBER).

13.30 h. Lectura de conclusiones y Acto de Clausura.

Patrocina:

bida
farma

RELACIÓN DE ENTIDADES COLABORADORAS

ALEXION	CONSEJO ANDALUZ DE COLEGIOS OFICIALES DE FARMACÉUTICOS
ALMIRALL	CONSEJO DE COLEGIOS DE FARMACÉUTICOS DE CATALUÑA
AYUNTAMIENTO DE SEVILLA	CONSEJO DE FARMACÉUTICOS DE CASTILLA - LA MANCHA
BIDAFARMA	CONSEJO DE FARMACÉUTICOS DEL PAÍS VASCO
BIOGEN	CONSEJO GENERAL DE COLEGIOS OFICIALES DE FARMACÉUTICOS
BIOMARIN	CSL BEHRING
CAIXABANK	CHIESI
CEDIFA	FACULTAD DE FARMACIA. UNIVERSIDAD DE SEVILLA
CINFA	FEDIFAR
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE ALMERÍA	FUNDACIÓN CAJASOL
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE ASTURIAS	FUNDACIÓN FARMACÉUTICA AVENZOAR
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE BADAJOZ	IGENOMIX
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE BURGOS	INTERCEPT
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE CANTABRIA	IPSEN PHARMA
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE CASTELLÓN	JANSSEN
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE CÓRDOBA	JAZZPHARMA
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE GUADALAJARA	JUNTA DE ANDALUCÍA
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE HUELVA	LILLY
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE MADRID	MINISTERIO DE SANIDAD
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE MÁLAGA	NORMON
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE PONTEVEDRA	NOVARTIS
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE TENERIFE	PFIZER
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE VALENCIA	PHARMA INTERNACIONAL
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE VALLADOLID	PREVISIÓN SANITARIA NACIONAL
COLEGIO OFICIAL DE FARMACÉUTICOS DE ZARAGOZA	ROCHE
	SANOFI
	SIGRE
	SOBI
	STADA
	TAKEDA
	TEVA
	ULTRAGENYX

ORGANIZAN:



PATROCINAN:



COLABORAN:

