

JORNADA SOBRE LA INVESTIGACIÓN EN  
**ENFERMEDADES RARAS**



**MADRID**

**22 FEBRERO 2018**

INSTITUTO DE SALUD CARLOS III

PATROCINADORES





JORNADA SOBRE LA INVESTIGACIÓN EN

# ENFERMEDADES RARAS

Con esta jornada organizada por el Instituto de Investigación de Enfermedades Raras (IIER), el Instituto de Salud Carlos III (ISCIII) y la colaboración de la Asociación de Medicina de la Industria Farmacéutica (AMIFE) y la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), se pretende dar visibilidad a las enfermedades raras, así como presentar propuestas para conseguir hacer un poco más fácil la vida de los pacientes que las sufren y de sus familias.

09:00 – 9:15

## **Inauguración de la jornada**

Representante Institucional ISCIII / Representante AMIFE

09:15 – 11:30

## **MESA 1: MÁS INVESTIGACIÓN, MENOS RARAS**

**Presenta y modera:** Pilar Campo, vicesecretaria de AMIFE – Directora Operaciones Clínicas, Pivotal, S.L.

09:20 – 10:10

**Colaboración público – privada (coloquio):** Shire (Víctor Navas, Director Médico) / Responsable Plataforma Española Medicamentos Innovadores (Amelia Martín Uranga) + Investigadores ISCIII (Javier García Castro e Ignacio Pérez de Castro)

10:10 – 10:30

**Importancia de los registros en Enfermedades Raras:** Manuel Posada, Director IIER

10:30 – 10:50

**Uso de los medicamentos para ER en situaciones especiales (uso compasivo):** M<sup>a</sup> Eugenia Padilla, Responsable del Área de Uso Compasivo, AEMPS

10:50 – 11:10

**Escuchemos a los pacientes:** Patricia Marín, paciente afectada por FOP, una enfermedad rara sin tratamiento

11:10 – 11:30

**Preguntas**

11:30 – 12:00

**Descanso (café)**

12:00 – 13:25

## **MESA 2: MAYOR DISPONIBILIDAD, MENOS RARAS**

**Presenta y modera:** Consuelo Fernández, Directora Dpto. Médico, Amicus Therapeutics, S.L.U.

12:05 – 12:25

**Regulación de los medicamentos huérfanos, de la investigación clínica al IPT:** César Hernández, Jefe de Departamento de Medicamentos de Uso Humano, AEMPS

12:25 – 12:45

**Medicamentos innovadores y fijación de precios:** D<sup>a</sup> Isabel Pineros Andrés, Dirección General de Cartera Básica de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia

12:45 – 13:05

**Implementación práctica en la prestación farmacéutica:**

Caridad Pontes, Gerente de Armonización Farmacoterapéutica, CatSalut

13:05 – 13:25

**Preguntas**

13:25 – 13:45

**La investigación es nuestra esperanza:** José Luis Plaza, FEDER

13:45

**Conclusión final. Cierre de la jornada**

**Salón Ernest Lluch**

Instituto de Salud Carlos III

Avda. Monforte de Lemos, 5; 28029 Madrid