

## PONENTES

REYES ABAD SAZATORNIL	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Miguel Servet de Zaragoza.</i>
IGNACIO ABAITUA BORDA	<i>Jefe de Área del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras. Subdirección General de Servicios Aplicados, Formación e Investigación del Instituto de Salud Carlos III.</i>
JOSÉ MARÍA AMATE BLANCO	<i>Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias en Instituto de Salud Carlos III.</i>
FRANCISCO BARRERA CERVERA	<i>Padre de afectado de Mucopolisacaridosis tipo II.</i>
FÁTIMA BOSCH TUBERT	<i>Directora del Centro de Biotecnología Animal y Terapia Genética (CBATG) de la Universidad de Barcelona.</i>
MIGUEL A. CALLEJA HERNÁNDEZ	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Virgen de las Nieves de Granada.</i>
MÓNICA CLIMENTE MARTÍ	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Doctor Peset de Valencia.</i>
JORDI CRUZ VILLALBA	<i>Presidente de la Asociación Española de las Mucopolisacaridosis y Síndromes relacionados.</i>
JAIME DALMAU SERRA	<i>Jefe de la Unidad de Nutrición y Metabolopatías pediátricas. Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia.</i>
OLGA DELGADO SÁNCHEZ	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Son Espases de Palma de Mallorca.</i>
MARÍA DOLORES EDO SOLSONA	<i>Farmacéutica especialista del Servicio de Farmacia del Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia.</i>
JUAN FERRERO BOLONIO	<i>Presidente de AELMHU (Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos).</i>
ANTONI GILABERT PERRAMON	<i>Gerente de Atención Farmacéutica y Prestaciones Complementarias del Servei Català de Salut.</i>
PILAR GONZÁLEZ NIETO	<i>Trabajadora Social y Coordinadora de Proyectos y Servicios de la Asociación Madrileña Contra la Fibrosis Quística.</i>
ALICIA HERRERO AMBROSIO	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario La Paz de Madrid.</i>
EDUARDO LÓPEZ BRIZ	<i>Jefe de Sección en el Servicio de Farmacia del Hospital Universitari i Politècnic La Fe.</i>
MERCEDES MARTÍNEZ VALLEJO	<i>Consejera Técnica de la Subdirección General de Calidad de Medicamentos y Productos Sanitarios. Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad.</i>
EMILIO MONTE BOQUET	<i>Jefe de Sección en el Servicio de Farmacia del Hospital Universitari i Politècnic La Fe.</i>
TIAGO OSÓRIO DE BARROS	<i>Country Manager Iberia BIOMARIN.</i>
MANUEL PÉREZ FERNÁNDEZ	<i>Presidente del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla.</i>
ROSARIO PERONA ABELLÓN	<i>Profesora de Investigación del Instituto de Investigaciones Biomédicas "Alberto Sols" del CSIC Madrid.</i>
JOSÉ LUÍS POVEDA ANDRÉS	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia. Presidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria.</i>
FERNANDO ROYO GÓMEZ	<i>Presidente de la Fundación Genzyme</i>
ESTHER SABANDO RODRÍGUEZ	<i>Presidenta de la Asociación Madrileña de Fibrosis Quística.</i>
PEDRO SERRANO AGUILAR	<i>Jefe de Servicio de Evaluación del Servicio Canario de Salud (SESCS) y Jefe de grupo en REDISSEC (ISCIII).</i>
AMPARO SOLÉ JOVER	<i>Médico especialista en neumología en el Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia.</i>
ENRIQUE SOLER COMPANY	<i>Jefe de Servicio del Hospital Arnau de Vilanova de Valencia.</i>
ALEJANDRO TOLEDO NOGUERA	<i>Presidente de Alianza General de Pacientes.</i>
MARÍA TORDERA BAVIERA	<i>Farmacéutica especialista. Unidad de Ensayos Clínicos del Hospital Universitari i Politècnic la Fe de Valencia.</i>
JOSEP TORRENT I FARNELL	<i>Representante de España en el Comité de Medicamentos Huérfanos EMA.</i>
ÓSCAR ZURRIAGA LLORENS	<i>Jefe del Servicio de Estudios Epidemiológicos y Estadísticas Sanitarias. Dirección Gral. de Investigación y Salud Pública. Conselleria de Sanitat de la Comunitat Valenciana.</i>

## Colaboradores:

abbvie



ALEXION

Baxter

BIOMARIN

BioMarin Europe Ltd.



genzyme  
A SANOFI COMPANY

NOVARTIS

Otsuka



Shire



## Jornada acreditada por:



Sociedad Española de  
Farmacia Hospitalaria  
SEFH

## Agradecimientos:



Instituto  
de Salud  
Carlos III



# Jornadas de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Sumando esfuerzos, multiplicando  
resultados en salud

SEDE  
ORGANIZA  
FECHA

Centro de Investigación Príncipe Felipe  
C/ Eduardo Primo Yúfera, 3 (junto Oceanogràfic)  
Valencia

Sociedad Española de Farmacia  
Hospitalaria (SEFH)

11, 12 y 13 de abril de 2013.

Secretaría Técnica: Provalentia Congresos

Avda. Reino de Valencia, 77 - Valencia · tel.: +34 963 734 690 · fax: +34 963 337 930 · congresos@provalentia.com

# PROGRAMA CIENTÍFICO

## JUEVES - 11/04/2013

16:00-16:30 h

Apertura de la Jornada

16:30-18:00 h

Mesa: EPIDEMIOLOGÍA DE ENFERMEDADES RARAS Y UTILIZACIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Modera: Manuel Pérez Fernández

La carga socioeconómica y la calidad de vida relacionada con la salud en pacientes con ER en España: proyecto BURQOL-RD

Pedro Serrano Aguilar

Registro de Enfermedades Raras: una asignatura pendiente

Ignacio Abaitua Borda

Registro de Enfermedades Raras en el ámbito autonómico

Óscar Zurriaga Llorens

La utilización de Medicamentos Huérfanos y sus sistemas de registro en el ámbito hospitalario

Reyes Abad Sazatornil

## VIERNES - 12/04/2013

09:00-11:00 h

Mesa: INVESTIGACIÓN CLÍNICA EN MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Modera: María Tordera Baviera

Marco regulatorio europeo y nacional

Josep Torrent i Farnell

El investigador clínico y los Medicamentos Huérfanos

Rosario Perona Abellón

Dificultades del desarrollo clínico de los Medicamentos Huérfanos en España

Juan Ferrero Bolonio

La ética en la investigación de Medicamentos Huérfanos

Enrique Soler Company

11:00-11:30 h

Pausa - Café

11:30-12:30 h

Conferencia magistral: LA INVESTIGACIÓN BÁSICA EN ENFERMEDADES RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Fátima Bosch Tubert

12:30-14:30 h

Mesa: EVALUACIÓN Y SELECCIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Modera: Eduardo López Briz

El beneficio-riesgo en Medicamentos Huérfanos

José María Amate Blanco

Nuevos modelos de financiación pública en Medicamentos Huérfanos

Mercedes Martínez Vallejo

El modelo autonómico catalán

Antoni Gilabert Perramon

La evaluación de Medicamentos Huérfanos y su inclusión en la Guía Farmacoterapéutica

Olga Delgado Sánchez

14:30-16:30 h

Almuerzo de trabajo

16:30-19:00

Mesa: MODELOS DE EFICIENCIA EN LA GESTIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Modera: José Luís Poveda Andrés

Impacto presupuestario de los Medicamentos Huérfanos

Alicia Herrero Ambrosio

Monitorización de Medicamentos Huérfanos como elemento de individualización terapéutica

Mónica Climente Martí

La farmacotecnia de Medicamentos Huérfanos como elemento de gestión

Miguel Ángel Calleja Hernández

Gestión de riesgo compartido en Medicamentos Huérfanos: ¿es posible?

María Dolores Edo Solsona

La visión de la industria

Fernando Royo Gómez

## SÁBADO - 13/04/2013

09:00-11:00 h

Mesa: EQUIPO MULTIDISCIPLINAR EN EL ABORDAJE DE LA FIBROSIS QUÍSTICA

Modera: José Luís Poveda Andrés

La visión del médico

Amparo Solé Jover

La visión del paciente

Esther Sabando Rodríguez

La visión del trabajador social

Pilar González Nieto

La prestación farmacéutica

Emilio Monte Boquet

11:00-11:30 h

Pausa - Café

11:30-13:30 h

Mesa: AFECTADOS POR ENFERMEDADES DE DEPÓSITO LISOSOMAL: CÓMO ENFRENTARSE A LA ENFERMEDAD

Modera: Alejandro Toledo Noguera

Problemas médicos en el tratamiento de las enfermedades lisosomales

Jaime Dalmau Serra

Acceso a los Medicamentos Huérfanos antes de su aprobación

Tiago Osório de Barros

Frutos de una asociación

Jordi Cruz Villalba

Esperanza y vida

Francisco Barrera Cervera



Los asistentes tendrán servicio de transporte desde el [Hotel AC Valencia](#) hasta el [Centro de Investigación Príncipe Felipe](#), sede de las Jornadas. Consultar horarios en la recepción del hotel.

*14,5 cm*

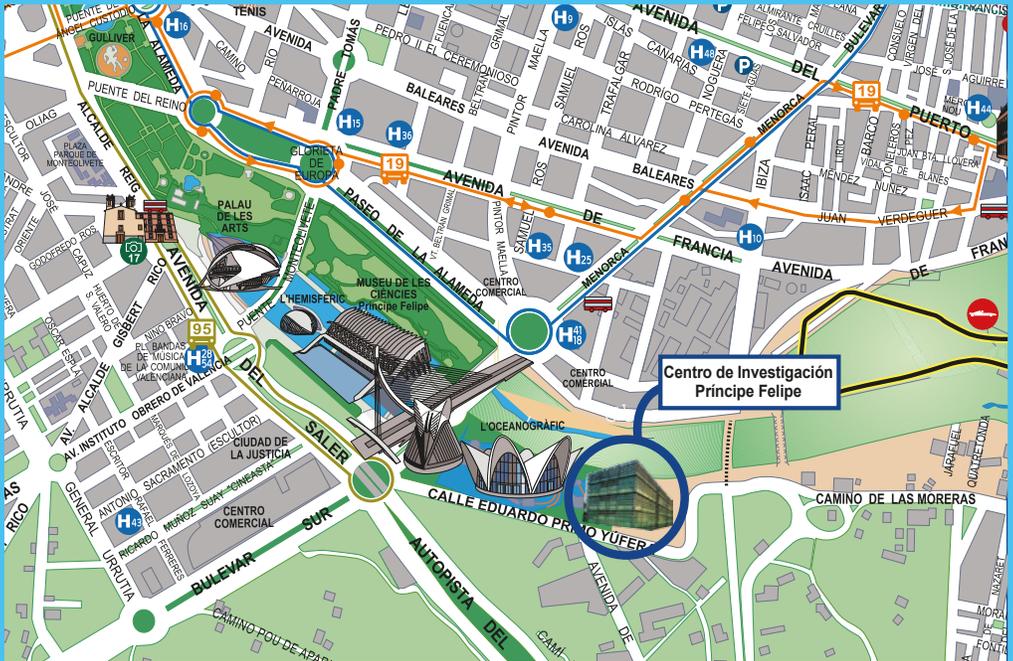
*5 cm*

# Jornadas de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

*Valencia, 11, 12 y 13 de abril de 2013*

## PONENTES

REYES ABAD SAZATORNIL	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Miguel Servet de Zaragoza.</i>
IGNACIO ABAITUA BORDA	<i>Jefe de Área del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos III.</i>
FRANCISCO BARRERA CERVERA	<i>Padre de afectado de Mucopolisacaridosis tipo II.</i>
FÁTIMA BOSCH TUBERT	<i>Directora del Centro de Biotecnología Animal y Terapia Genética (CBATG) de la Universidad de Barcelona.</i>
MIGUEL A. CALLEJA HERNÁNDEZ	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Virgen de las Nieves de Granada.</i>
MÓNICA CLIMENTE MARTÍ	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Doctor Peset de Valencia.</i>
JORDI CRUZ VILLALBA	<i>Presidente de la Asociación Española de las Mucopolisacaridoses y Síndromes relacionados.</i>
JAIME DALMAU SERRA	<i>Jefe de la Unidad de Nutrición y Metabolopatías pediátricas. Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia.</i>
OLGA DELGADO SÁNCHEZ	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario Son Espases de Palma de Mallorca.</i>
MARÍA DOLORES EDO SOLSONA	<i>Farmacéutica especialista del Servicio de Farmacia del Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia.</i>
JUAN FERRERO BOLONIO	<i>Presidente de AELMHU (Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos).</i>
ANTONI GILBERT PERRAMON	<i>Gerente de Atención Farmacéutica y Prestaciones Complementarias del Servei Català de Salut.</i>
PILAR GONZÁLEZ NIETO	<i>Trabajadora Social y Coordinadora de Proyectos y Servicios de la Asociación Madrileña Contra la Fibrosis Quística.</i>
ALICIA HERRERO AMBROSIO	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitario La Paz de Madrid.</i>
EDUARDO LÓPEZ BRIZ	<i>Jefe de Sección en el Servicio de Farmacia del Hospital Universitari i Politècnic La Fe.</i>
MERCEDES MARTÍNEZ VALLEJO	<i>Consejera Técnica de la Subdirección General de Calidad de Medicamentos y Productos Sanitarios. Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad.</i>
EMILIO MONTE BOQUET	<i>Jefe de Sección del Servicio de Farmacia del Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia.</i>
TIAGO OSÓRIO DE BARROS	<i>Country Manager Iberia BIOMARIN.</i>
MANUEL PÉREZ FERNÁNDEZ	<i>Presidente del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla.</i>
ROSARIO PERONA ABELLÓN	<i>Profesora de Investigación del Instituto de Investigaciones Biomédicas "Alberto Sols" del CSIC Madrid.</i>
JOSÉ LUÍS POVEDA ANDRÉS	<i>Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia. Presidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria.</i>
ESTHER SABANDO RODRÍGUEZ	<i>Presidenta de la Asociación Madrileña de Fibrosis Quística.</i>
ANTONIO SARRÍA SANTAMERA	<i>Director Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias en Instituto de Salud Carlos III.</i>
PEDRO SERRANO AGUILAR	<i>Jefe de Servicio de Evaluación del Servicio Canario de Salud (SESCS) y Jefe de grupo en REDISSEC (ISCIII).</i>
AMPARO SOLÉ JOVER	<i>Médico especialista en neumología en el Hospital Universitari i Politècnic La Fe de Valencia.</i>
ENRIQUE SOLER COMPANY	<i>Jefe de Servicio del Hospital Amau de Vilanova de Valencia.</i>
ALEJANDRO TOLEDO NOGUERA	<i>Presidente de Alianza General de Pacientes.</i>
MARÍA TORDERA BAVIERA	<i>Farmacéutica especialista. Unidad de Ensayos Clínicos del Hospital Universitari i Politècnic la Fe de Valencia.</i>
JOSEP TORRENT I FARNELL	<i>Representante de España en el Comité de Medicamentos Huérfanos EMA.</i>
ÓSCAR ZURRIAGA LLORENS	<i>Jefe del Servicio de Estudios Epidemiológicos y Estadísticas Sanitarias. Dirección Gral. de Investigación y Salud Pública. Conselleria de Sanitat de la Comunitat Valenciana.</i>



Centro de Investigación Príncipe Felipe  
 C/ Eduardo Primo Yúfera, 3 (junto Oceanogràfic)  
 46012 · Valencia

Jornada acreditada por:



Sociedad Española de  
 Farmacia Hospitalaria  
 SEFH

Agradecimientos:



Instituto  
 de Salud  
 Carlos III



Secretaría Técnica: Provalencia Congresos

Avda. Reino de Valencia, 77 · Valencia · tel.: +34 963 734 690 · fax: +34 963 337 930 · congresos@provalencia.com

# Jornadas de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

*Sumando esfuerzos, multiplicando  
resultados de salud*

SEDE  
ORGANIZA  
FECHA

Centro de Investigación Príncipe Felipe  
C/ Eduardo Primo Yúfera, 3 (junto Oceanogràfic)  
Valencia

Sociedad Española de Farmacia  
Hospitalaria (SEFH)

11, 12 y 13 de abril de 2013.

## JUEVES - 11/04/2013

16:00-16:30 h

Apertura de la Jornada

16:30-18:00 h

**Mesa: EPIDEMIOLOGÍA DE ENFERMEDADES RARAS Y UTILIZACIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**

*Modera: Manuel Pérez Fernández*

La carga socioeconómica y la calidad de vida relacionada con la salud en pacientes con ER en España: proyecto BURQOL-RD

*Pedro Serrano Aguilar*

Registro de Enfermedades Raras: una asignatura pendiente

*Ignacio Abaitua Borda*

Registro de Enfermedades Raras en el ámbito autonómico

*Óscar Zurriaga Llorens*

La utilización de Medicamentos Huérfanos y sus sistemas de registro en el ámbito hospitalario

*Reyes Abad Sazatornil*

## VIERNES - 12/04/2013

09:00-11:00 h

**Mesa: INVESTIGACIÓN CLÍNICA EN MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**

*Modera: María Tordera Baviera*

Marco regulatorio europeo y nacional

*Josep Torrent i Farnell*

El investigador clínico y los Medicamentos Huérfanos.

*Rosario Perona Abellón*

Dificultades del desarrollo clínico de los Medicamentos Huérfanos en España

*Juan Ferrero Bolonio*

La ética en la investigación de Medicamentos Huérfanos

*Enrique Soler Company*

11:00-11:30 h

Pausa - Café

11:30-12:30 h

**Conferencia magistral: LA INVESTIGACIÓN BÁSICA EN ENFERMEDADES RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**

*Fátima Bosch Tubert*

12:30-14:30 h

**Mesa: EVALUACIÓN Y SELECCIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**

*Moderadora: Eduardo López Briz*

**El beneficio-riesgo en Medicamentos Huérfanos**

*Antonio Sarría Santamera*

**Nuevos modelos de financiación pública en Medicamentos Huérfanos**

*Mercedes Martínez Vallejo*

**El modelo autonómico catalán**

*Antoni Gilabert Perramon*

**La evaluación de Medicamentos Huérfanos y su inclusión en la Guía Farmacoterapéutica**

*Olga Delgado Sánchez*

14:30-16:30 h

**Almuerzo de trabajo**

16:30-18:30 h

**Mesa: MODELOS DE EFICIENCIA EN LA GESTIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**

*Moderador: José Luís Poveda Andrés*

**Impacto presupuestario de los Medicamentos Huérfanos**

*Alicia Herrero Ambrosio*

**Monitorización de Medicamentos Huérfanos como elemento de individualización terapéutica**

*Mónica Climente Martí*

**La farmacotecnia de Medicamentos Huérfanos como elemento de gestión**

*Miguel Ángel Calleja Hernández*

**Gestión de riesgo compartido en Medicamentos Huérfanos: ¿es posible?**

*María Dolores Edo Solsona*

## SÁBADO - 13/04/2013

09:00-11:00 h

**Mesa: EQUIPO MULTIDISCIPLINAR EN EL ABORDAJE DE LA FIBROSIS QUÍSTICA**

*Modera: José Luís Poveda Andrés*

**La visión del médico**

*Amparo Solé Jover*

**La visión del paciente**

*Esther Sabando Rodríguez*

**La visión del trabajador social**

*Pilar González Nieto*

**La prestación farmacéutica**

*Emilio Monte Boquet*

11:00-11:30 h

**Pausa - Café**

11:30-13:30 h

**Mesa: AFECTADOS POR ENFERMEDADES DE DEPÓSITO LISOSOMAL: CÓMO ENFRENTARSE A LA ENFERMEDAD**

*Modera: Alejandro Toledo Noguera*

**Problemas médicos en el tratamiento de las enfermedades lisosomales**

*Jaime Dalmau Serra*

**Acceso a los Medicamentos Huérfanos antes de su aprobación**

*Tiago Osório de Barros*

**Frutos de una asociación**

*Jordi Cruz Villalba*

**Esperanza y vida**

*Francisco Barrera Cervera*



Los asistentes tendrán servicio de transporte desde el [Hotel AC Valencia](#) hasta el [Centro de Investigación Príncipe Felipe](#), sede de las Jornadas. Consultar horarios en la recepción del hotel.