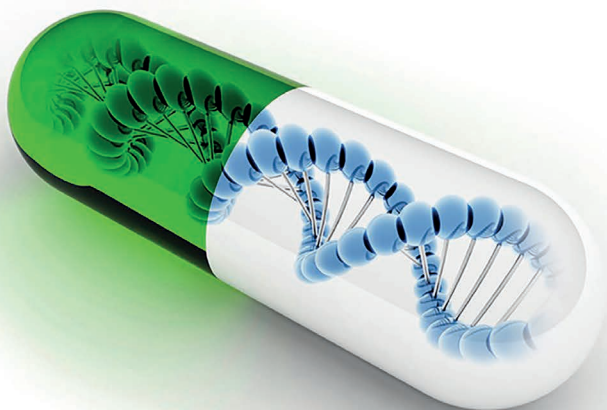


21 D'ABRIL DE 2017

LA DESIGNACIÓ ORFE COM A PORTA D'ENTRADA A LA INVESTIGACIÓ



INSCRIPCIÓ GRATUÏTA

<http://bit.ly/2nAj01t>

**SALA PAU GIL
RECINTE MODERNISTA DE L'HOSPITAL DE SANT PAU
BARCELONA**



PLATAFORMA
MALALTIES MINORITÀRIES

ciberer

PROGRAMA

21 D'ABRIL DE 2017

LA DESIGNACIÓ ORFE COM A PORTA D'ENTRADA A LA INVESTIGACIÓ

9:45 RECEPCIÓ DE ASSISTENTS

10:00 INAUGURACIÓ

Dr. Toni Andreu, director de Direcció General de Recerca i Innovació en Salut, Departament de Salut de la Generalitat de Catalunya.

Dr. Josep Torrent-Farnell, responsable de l'Àrea del Medicament del CatSalut.

Dra. Susan Webb, subdirectora CIBERER i presidenta de la CAMM.

Sra. Maite Bartrolí, representant de pacients a la CATFAC del Departament de Salut i membre de la junta de FECAMM.

Sr. Jordi Cruz, delegat de FEDER Catalunya.

PONÈNCIA INAUGURAL

10:30 OPORTUNITATS DE FINANÇAMENT PER A LA INVESTIGACIÓ CLÍNICA EN MALALTIES MINORITÀRIES

Dr. Toni Andreu, director de Direcció General de Recerca i Innovació en Salut, Departament de Salut de la Generalitat de Catalunya.

PROCÉS DE DESIGNACIÓ

11:00 QUÈ ÉS UN MEDICAMENT ORFE I COM S'OBTÉ LA DESIGNACIÓ? QUI SÓN ELS BENEFICIARIS DE LA DESIGNACIÓ?

Dr. Josep Torrent-Farnell, responsable de l'Àrea del Medicament del CatSalut. President del Comitè Assessor CIBERER.

11:30 COM S'HA INCORPORAT ALS PACIENTS EN AQUEST PROCÉS?

Sr. Julián Isla, president Dravet Syndrome Foundation. Representant de pacients al COMP (Committee for Orphan Medicinal Products) de l'EMA.

12:00 TORN OBERT DE PREGUNTES

DE LA DESIGNACIÓ AL PACIENT/UTILITAT DE LA DESIGNACIÓ

Modera la Taula:

Dr. Ignacio Blanco, coordinador del programa d'assessorament i genètica clínica, Hospital Germans Trias i Pujol.

12:15 LA IMPORTÀNCIA DELS REGISTRES PER LA RECERCA CLÍNICA.

Sra. Sonia Segovia, project manager del Registre Nacional de Malalties Neuromusculars, membre CIBERER.

12:45 INTERÈS DE LA INDÚSTRIA EN ELS MEDICAMENTS ORFES.

Sr. Josep Marí Espinalt, president AELMHU, Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultra-huérfanos.

13:15 TORN OBERT DE PREGUNTES

13:30 LUNCH

EXPERIÈNCIES EN LA DESIGNACIÓ

Modera la Taula:

Dr. Francesc Palau, director de l'Institut Pediàtric de Malalties Minoritàries (IPER) i cap del servei de genètica de l'Hospital de Sant Joan de Déu.

15:00 CAS A: TEMSIROLIMUS, DESIGNACIÓ DEL MEDICAMENT ORFE PER LA ADRENOLEUCODISTRÒFIA

Dra. Montserrat Ruiz, grup de recerca de malalties neurometabòliques de l'IDIBELL, membre CIBERER.

15:20 CAS B: EL REpte DE LA RECERCA BàSICA A LA RECERCA CLÍNICA

Dr. Ramón Martí, Responsable del Grup de Patologia Neuromuscular i Mitocondrial de la Vall d'Hebron, Institut de Recerca (VHIR), membre CIBERER.

15:40 CAS C: COM VALORITZAR UN COP ASSOLIDA LA DESIGNACIÓ?

Dr. Juan Luque, gestor científic CIBERER.

16:00 TORN OBERT DE PREGUNTES

16:30 CONCLUSIONS I CLOENDA

MALALTIES MINORITÀRIES

- > HI HA MÉS DE 7.000 MALALTIES MINORITÀRIES.
- > AL VOLTANT DEL 80% SÓN D'ORIGEN GENÈTIC.
- > AFECTEN A 5 DE CADA 10.000 PERSONES.
- > PODEN AFECTAR EL 3-4% DELS NOUNATS.

MEDICAMENTS ORFES

> PROBLEMÀTICA ACTUAL

Els anomenats medicaments "orfes" estan destinats a tractar diferents malalties que, per la seva baixa prevalença no resulten atractives als patrocinadors, qui es mostren reacs a desenvolupar els medicaments, ja que no es recuperaria el capital invertit en la investigació i el desenvolupament del producte.

> QUÈ SIGNIFICA OBTENIR LA DESIGNACIÓ ORFE?

Se sol·licita la designació de medicaments orfes de forma voluntària i lliure de cost perquè amb ella poden beneficiar-se del incentius contemplats a la regulació, sense els quals, molt probablement, la comercialització del medicament no generaria suficients ingressos per a justificar la inversió necessària. La designació ens indica que el medicament compleix amb la definició d'orfe, establerta per la Comissió Europea.

> QUINS AVANTATGES TÉ? QUINS SÓN ELS INCENTIUS?

Els incentius que s'atorguen amb la designació de medicament orfe són:

EXCLUSIVITAT DE MERCAT A LA UE

Concessió de 10 anys d'exclusivitat quan s'obté l'autorització de comercialització per a un medicament orfe a la UE i els estats membres.

PROTOCOL D'ASSISTÈNCIA

Suport i assessorament de l'Agència Europea del Medicament (EMA) sobre els diversos assajos i proves que haurà de realitzar per demostrar la qualitat, la seguretat i l'eficàcia del medicament.

REDUCCIÓ DE DESPESES

Reducció/exempció de taxes en els procediments.

INVESTIGACIÓ FINANÇADA

El programa Horitzó 2020 recull finançament per a assajos clínics amb les substàncies que posseeixen la designació com a medicament orfe.

ORGANITZA



COL·LABORA

