# SUMMER SCHOOL SPANISH EDITION

## 3ª EDICIÓN

Programa de capacitación para representantes de pacientes e investigadores sobre la información, la evaluación de la tecnología sanitaria y el acceso a medicamentos huérfanos, pediátricos y terapias avanzadas

**BARCELONA, SPAIN**
**10 A 14 DE JUNIO, 2019**
**HOTEL SB BCN EVENTS CASTELLDEFELS**

Generalitat de Catalunya
Departament de Salut

Institut Català de la Salut

PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES

## Organizado por:

Generalitat de Catalunya
Departament de Salut

Institut Català de la Salut

PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES

## En colaboración con:

EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

ciberer

Institut sant pau

RARE DISEASES INTERNATIONAL
A EURORDIS INITIATIVE

## Con el apoyo institucional de:

MINISTERIO DE SANIDAD Y POLÍTICA SOCIAL

agencia española de medicamentos y productos sanitarios

CatSalut
Servei Català de la Salut

Generalitat de Catalunya
Departament de Salut

Generalitat de Catalunya
Consell Consultiu de Pacients de Catalunya

## Con la participación de:

Sociedad Española de Farmacología Clínica

sefh
Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria

29 foundation twenty-nine

Oblikue consulting

UAB Universitat Autònoma de Barcelona

UNIVERSITAT DE BARCELONA

uic barcelona

Generalitat de Catalunya
Departament de Salut

Institut Català de la Salut

PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES

Apreciados compañeros:

Después del éxito de las ediciones precedentes del EURORDIS Summer School Spanish Edition, nos es grato anunciar la 3ª edición de este curso formativo adaptado a las necesidades de las asociaciones Españolas y de Iberoamérica, que se impartirá del 10 al 14 de junio 2019 en Castelldefels Barcelona, España.

Pacientes expertos, investigadores y formadores de organizaciones de pacientes e institutos de investigación se unirán, un año más, para participar en el Summer School Spanish Edition 2019. Este programa ha sido desarrollado en base a la experiencia docente de los 11 años del programa internacional con EURORDIS y adaptado a las necesidades de las asociaciones españolas y de Iberoamérica.

El Summer School, se divide en sesiones online y presenciales. El programa online está disponible en la web y es imprescindible su lectura para el correcto seguimiento de las sesiones presenciales que se impartirán con un importante número de talleres para consolidar los conocimientos adquiridos. La formación presencial arrancará el lunes 10 de junio a las 12 horas y finalizará el viernes 14 de junio, a las 14 horas.

Compartir esta formación dirigida a pacientes e investigadores para analizar, discutir y aprender sobre el desarrollo y las políticas de acceso de medicamentos será sin duda, una experiencia emocionante y fructífera para todos los participantes y tiene por objetivo fortalecer la capacidad de los representantes de pacientes e investigadores para implicarse en el desarrollo de medicamentos y los procesos reguladores.

El Summer School Spanih Edition no sería posible sin el apoyo de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios y del Servei Català de la Salut, del Departamento de Salut de la Generalitat de Catalunya. Queremos agradecer, también, el esfuerzo de todos los profesores de las Universidades y Sociedades Científicas que han colaborado de forma desinteresada en este proyecto.

Afectuosamente,

Iolanda Arbiol
Comité Organizador

PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES
SUMMER SCHOOL SPANISH EDITION

## Programme Committee Members:

| CIBERER | PLATAFORMA-ICS | CATSALUT | AEMPS |
|---|---|---|---|
| Pablo Lapunzina | Beatriz Bayés | Josep Torrent | César Hernández |
| Paco Palau | Iolanda Lejardi | Caridad Pontes | Concha Prieto |
| Andrés Medrano | Iolanda Arbiol | Manel Fontanet | |

## Asesores Científicos:

**Cristina Avendaño**, Presidenta de la Sociedad Española de Farmacología Clínica, Directora de Farmacología Clínica Hospital Universiatario Puerta de Hierro Majadahonda

**Miguel Ángel Calleja**, Presidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria, Jefe Servicio de Farmacia del Hospital Virgen de las Nieves Granada.

**Manel Fontanet**, Técnico del Programa de Armonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)

**Encarna Guillén**, Jefa de Sección Genética Médica. S. Pediatría, Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca. IMIB-Arrixaca. CIBERER-ISCIII

**César Hernández,** Jefe del Departamento de Medicamentos de Uso Humano, AEMPS.

**Julian Isla-Gomez**, Presidente de la Dravet Syndrome European Federation

**Pablo Lapunzina**, Director Científico CIBERER.

**Mercè Obach**, Técnico del Programa de Harmonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)

**Caridad Pontes**, Gerente de Harmonitzación Farmacoterapéutica del Servei Català de la Salut (CatSalut)

**Esther Sabando,** Directora del Instituto para la Investigación y Formación en Salud.

**Mercedes Serrano,** Neuropediatra HSJdD, investigadora CIBERER.

**Josep Torrent-Farnell**, Director del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)

**PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES-ICS**
Iolanda Arbiol
Directora
Iolanda.arbiol@malaltiesminoritaries.org
www.malaltiesminoritaries.org

## Objetivos Generales

- Empoderar y capacitar a los pacientes y representantes de pacientes afectados por una enfermedad rara, para participar en los procesos de toma de decisiones sobre acceso y desarrollo de medicamentos.
- Dotar a los pacientes/representantes de pacientes de las habilidades necesarias para asegurar que la perspectiva del paciente se incluye a lo largo de las fases del desarrollo de un medicamento, desde el diseño de los ensayos clínicos hasta su autorización y posterior comercialización.

## Objetivos específicos

- Adquirir conocimientos y habilidades en:
- Metodología y ética en la investigación básica y clínica.
- Genética aplicada al diagnóstico de las enfermedades raras.
- Entorno legal que regula los medicamentos huérfanos y su aprobación en las agencias reguladoras (EMA, AEMPS).
- Evaluación de tecnología sanitaria.
- Políticas de acceso a medicamentos en las CCAA.

## Metodología

- Este curso se impartirá en modalidad pre-training online y sesión presencial con un total de 70h, que tendrán lugar la primera semana de junio (10-14 de junio).

# EQUIPO DOCENTE

- **Rosa Antonijoan**, Directora Servicio de Farmacología Clínica del Hospital Sant Pau (HSCSP), CIM IIB
- **Cristina Avendaño**, Presidenta de la Sociedad Española de Farmacología Clínica, Directora de Farmacología Clínica Hospital Universitario Puerta de Hierro Majadahonda
- **Max Brosa,** Director OBLIKUE Consulting.
- **Joaquim Delgadillo**, Gerente de servicios farmacéuticos y acceso a medicamentos en el área de medicamentos del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Claudia Delgado,** Coordinadora UICEC del Hospital de Sant Pau.
- **Jordi Díaz**, Neurólogo adjunto de la Unidad de Enfermedades Neuromusculares del Hospital de la Santa Creu i Sant Pau.
- **Juan Estévez,** Área de Ensayos Clínicos, Departamento de Medicamentos de Uso Humano, AEMPS.
- **Sílvia Fernández**, Técnico del Programa de Armonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Manel Fontanet**, Técnico del Programa de Armonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Roser Francisco**, División de Innovación y Cartera de Servicios, Área de Atención Sanitaria del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Gemma Garrido**, Técnico del Programa de Armonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Montse Gasol**, Técnico del Programa de Armonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Maria Queralt Gorgas,** Directora Clínica del Servicio de Farmacia del Hospital Universitari Vall d'Hebron.
- **Encarna Guillén**, Jefa de Sección Genética Médica. S. Pediatría, Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca. IMIB-Arrixaca. CIBERER-ISCIII
- **César Hernández,** Jefe del Departamento de Medicamentos de Uso Humano, AEMPS.
- **Julian Isla-Gomez**, Presidente Fundación 29
- **Álvaro Lavandeira,** Presidente del instituto para la investigación y Formación en salud.
- **José Antonio Marcos**, farmacéutico, Hospital Universitario Virgen de la Macarena, Sevilla
- **Victòria Martorell**, Jefa de desarrollo de servicios HSCSP, miembro de la junta del Observatori de Bioètica i Dret de la Universitat de Barcelona
- **Diego Mena**, Técnico del Programa de Armonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Fernando Méndez,** Representante en el Comité de Medicamentos Huérfanos de la EMA, AEMPS.
- **Màrius Morlans,** Vicepresidente Comitè Bioetica de Catalunya.
- **Rosa Morros**, Presidenta del Comité Ético de Investigación Clínica, IDIAP Jordi Gol
- **Mercè Obach**, Técnico del Programa de Armonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **María Palacín**, Directora del Máster en Autoliderazgo y Conducción de Grupos y el Curso de Experto en Avances en Habilidades de Liderar de la UB.
- **Francesc Palau**, Director Instituto Pediátrico de Enfermedades Raras (IPER)
- **Teresa Pàmpols** , Genetista Hospital Clínic y Miembro del Comité de Ética de la Investigación del Instituto de Salud Carlos III
- **Caridad Pontes**, Gerente de Armonización Farmacoterapéutica del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Alfonso Rodríguez,** Unidad de Gestión y Comunicación de Riesgos División de Farmacoepidemiología y Farmacovigilancia, AEMPS
- **Sonia Segovia**, Gestora de registros de enfermedades Raras de CIBERER. Coordinadora de los registros nacionales de Enfermedades Neuromusculares.
- **Clara Serra**, Presidenta de la Sociedad Española de Asesoramiento Genético SEAGen, investigadora CIBERER.
- **Lluís Segú,** OBLIKUE consulting
- **Maria Antonia Serrano**, Jefa del Área de Ensayos Clínicos, AEMPS
- **Mercedes Serrano**, Neuropediatra HSJdD, investigadora CIBERER.
- **Josep Torrent-Farnell**, Director del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Marta Trapero,** Economista de la Salud. Profesora e investigadora en la UIC.
- **Toni Vallano**, Coordinador del Programa de Armonización Farmacoterapéutica del Servei Català de la Salut (CatSalut.
- **Roser Vives**, Técnico del Programa de Armonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)

# LUNES 10 DE JUNIO, 2019

| HORARIO | SALA | SESIÓN Y PONENTES |
|---|---|---|
| 11:30 | BCN-2 | **Registro y entrega de documentación** |
| 12:00 | BCN-2 | **Bienvenida SUMMER SCHOOL 2019**<br>*Alba Vergés y Josep Torrent–Farnell* |
| 12:20 | BCN-2 | **Cuando los pacientes toman la iniciativa**<br>Julián Isla-Gómez |
| 12:40 | BCN-2 | **Networking, presentación de los participantes al curso:**<br>*Iolanda Arbiol y Andrés Medrano* |
| 13:20 | BCN-2 | **Los pacientes en el centro del sistema.** |
| **14:00** | **TERRAZA** | **Fotografía Edición 2019** |
| **14:10** | **TERRAZA** | **LUNCH** |
| 15:10 | BCN-2 | **Pacientes Digitales**<br>*Julián Isla-Gómez* |
| 15:50-18:10 | BCN-2 | **Genética y consejo genético. La importancia del diagnóstico**<br>*Mercedes Serrano y Clara Serra* |
| **19:45 - 22:30** | **Salida en autocar Recepción HOTEL** | **Cena de Bienvenida<br>Restaurante Casanovas Beach Club** |

# MARTES 11 DE JUNIO, 2019

| HORARIO | SALA | SESIÓN Y PONENTES |
|---|---|---|
| 9:00 | BCN-2 | **Revisión de los conceptos clave sobre las consideraciones éticas:**<br>*Victòria Martorell* |
| 9:30 | BCN-2<br>Olímpic 2<br>Calma 3<br>Calma 4 | **Taller 1: El comité de ética**<br>*Grupo 1:Victòria Martorell, Rosa Antonijoan*<br>*Grupo 2:Teresa Pàmpols, Manel Fontanet*<br>*Grupo 3:Màrius Morlans, Sílvia Fernández*<br>*Grupo 4: Rosa Morros, Diego Mena* |
| 11:15 | TERRAZA | COFFEE BREAK |
| 11:25 | BCN-2 | **Sesión de discusión: 5/6 minutos / grupo** |
| 11:30 | BCN-2 | **Revisión de conceptos clave en la metodología de ensayos clínicos:**<br>*Caridad Pontes* |
| 12:30 | BCN-2<br>Olímpic 2<br>Calma 3<br>Calma 4 | **Taller 2: metodología de ensayos clínicos.**<br>Grupo 1: Mercè Obach, Roser Vives<br>Grupo 2: Rosa Antonijoan, Claudia Delgado<br>Grupo 3: Manel Fontanet, Rosa Morros<br>Grupo 4: Diego Molina, Toni Vallano |
| 13:45 | COMEDOR | LUNCH |
| 14:45 | BCN-2 | **Marco regulatorio de la Investigación**<br>*Juan Estévez* |
| 15:45 | TERRAZA | COFFEE BREAK |
| 16:15-18:45 | BCN-2 | **Investigación en Enfermedades Raras (CIBERER)**<br>*Pablo Lapunzina, Paco Palau, Merche Serrano, Jordi Díaz, Gemma Marfan* |

# MIÉRCOLES 12 DE JUNIO, 2019

| HORARIO | SALA | SESIÓN Y PONENTES |
|---|---|---|
| 9:00 | BCN-2 | **Una mirada a la EMA y a sus Comités Científicos**<br>*Fernando Méndez* |
| 9:45 | BCN-2 | **Procedimiento de autorización de fármacos**<br>*Fernando Méndez* |
| **10:45** | **TERRAZA** | **COFFEE BREAK** |
| 11:15 | BCN-2 | **Conceptos clave en farmacovigilancia**<br>*Alfonso Rodríguez* |
| 12:15 | BCN-2 | **Autorizar Medicamentos: Beneficio-Riesgo y Seguridad Clínica**<br>*Cristina Avendaño* |
| **13:15** | **COMEDOR** | **LUNCH** |
| 14:00 | BCN-2<br>Calma 1<br>Calma 3<br>Calma 4 | **Taller 3: Casos prácticos en la evaluación del balance beneficio riesgo**<br>*Grupo 1: Cristina Avendaño, Diego Mena*<br>*Grupo 2: Mercè Obach, Gemma Garrido*<br>*Grupo 3: Rosa Morros, Sílvia Fernández*<br>*Grupo 4: Josep Torrent-Farnell, Manel Fontanet* |
| **16:00** | **TERRAZA** | **COFFEE BREAK** |
| 16:30 | BCN-2 | **Oficina de apoyo a la innovación y conocimiento sobre medicamentos**<br>*Yoana Nuevo* |
| 17:30<br>18:00 | BCN-2 | **Tutoría** |

# JUEVES 13 DE JUNIO, 2019

| HORARIO | SALA | SESIÓN Y PONENTES |
|---|---|---|
| 09:00 | BCN-2 | **Acceso al diagnóstico y tratamiento: Reto de las CCAA**<br>*Encarna Guillén* |
| 10:00 | BCN-2 | **Terapias *Avanzadas***<br>*Cari Pontes* |
| **11:10** | **TERRAZA** | **COFFEE BREAK** |
| 11:35 | BCN-2 | **Criterios farmacoeconómicos para el acceso a medicamentos**<br>*Lluís Segú* |
| 12:45 | BCN-2 | **Huérfanos: Equidad y Coste. El Papel del Hospital**<br>*José Antonio Marcos* |
| **14:00** | **COMEDOR** | **LUNCH** |
| 15:00 | BCN-2<br>Calma 1<br>Calma 3<br>Calma 4 | **Taller 4: Acceso a medicamentos: Selección y Priorización de los Medicamentos**<br>*Grupo 1: Lluís Segú, Roser Vives*<br>*Grupo 2: Max Brosa, Silvia Fernàndez*<br>*Grupo 3: Quim Delgadillo, Manel Fontanet*<br>*Grupo 4: Maria Queralt Gorgas, Gemma Garrido* |
| 17:30 - 17:45 | BCN-2 | **Tutoría** |

# VIERNES 14 DE JUNIO, 2019

| HORARIO | SALA | SESIÓN Y PONENTES |
|---|---|---|
| 09:00 | BCN-2 | **La estrategia nacional de enfermedades raras: retos de los centros de referencia nacionales y europeos**<br>*Roser Francisco* |
| 10:00 | BCN-2 | **El derecho de los pacientes, el derecho como pacientes**<br>Álvaro Lavandeira |
| **11:15** | **TERRAZA** | **BRUNCH** |
| 12:00 | BCN-2 | **Taula debate: El registro de pacientes.**<br>Sònia Segòvia |
| 12:30 | BCN-2 | **Psicología en el liderazgo de grupos**<br>María Palacín |
| **13:30 – 14:00** | | **Clausura, entrega de diplomas y foto de grupo**<br>Beatriz Bayés y Josep Torrent-Farnell |