

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 María 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 REPTA 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.
- > AFECTEN A 5 DE CADA 10.000 PERSONES.
- > AL VOLTANT DEL 80% SÓN D'ORIGEN GENÈTIC.
- > 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 monstren reacis 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



PLATAFORMA  
MALALTIES MINORITÀRIES

*ciberer*



PLATAFORMA  
MALALTIES MINORITÀRIES

*ciberer*

ALEXION

### COL·LABORA



Servei Català  
de la Salut



draveturope



EURORDIS  
RARE DISEASES EUROPE



FECAMM  
Federació Catalana  
de Malalties Minoritàries



feder  
FEDERACIÓ EUROPEA  
DE MALALTIES RARES



Generalitat de Catalunya  
Departament de Salut



HOSPITAL DE LA  
SANTA CREU I  
SANT PAU