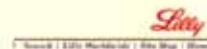


# I Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras



REAL E ILUSTRE COLEGIO OFICIAL DE FARMACEUTICOS

Sevilla, 16-19 Febrero 2000



## PRESIDENCIA DE HONOR

Su Majestad La Reina

## COMITÉ DE HONOR

**Excmo. Sr. D. Manuel Chaves González**  
Presidente de la Junta de Andalucía

**Excmo. Sr. D. Manuel Pimentel Siles**  
Ministro de Trabajo y Asuntos Sociales

**Excmo. Sr. D. José Manuel Romay Beccaría**  
Ministro de Sanidad y Consumo

**Excmo. Sr. D. Alfredo Sánchez Monteseirín**  
Alcalde de Sevilla

**Excmo. Sr. D. José Chamizo de la Rubia**  
Defensor del Pueblo Andaluz

**Excmo. Sr. D. José Luis García de Arboleya y Tornero**  
Consejero de Salud

**Excmo. Sr. D. Isaías Pérez Saldaña**  
Consejero de Asuntos Sociales

**Excmo. Sr. D. Luis Pascual Navarrete Mora**  
Presidente de la Diputación Provincial de Sevilla

**Excmo. Sr. D. Federico Plaza Piñol**  
Director General de Farmacia y Productos Sanitarios. Ministerio de Sanidad

**Ilmo. Sr. D. Rafael de la Torre Carnicero**  
Director General de Farmacia y Conciertos. Junta de Andalucía

**Ilma. Sra. Dña. Piedad Bolaños Donoso**  
Teniente de Alcalde. Ayuntamiento de Sevilla

**Ilmo. Sr. D. Francisco Javier Cuberta Galdós**  
Delegado Provincial de Salud. Junta de Andalucía

**Ilmo. Sr. D. Pedro Capilla Martínez**  
Presidente del Consejo General de Colegios Oficiales de Farmacéuticos de España

**Ilmo. Sr. D. Manuel Fuentes Rodríguez**  
Presidente del Consejo Andaluz de Colegios Oficiales de Farmacéuticos

**Ilmo. Sr. D. Isacio Sigüero Zurdo**  
Presidente del Real e Ilustre Colegio Oficial de Médicos de Sevilla



## COMITÉ CIENTÍFICO

- PRESIDENTE:** Excmo. Sr. D. Santiago Grisolia  
Presidente del Comité de Coordinación Científica  
de la UNESCO para el Proyecto Genoma Humano
- VOCALES:**
- Excmo. Sr. D. César Nombela Cano  
Presidente del Consejo Superior de Investigaciones Científicas
- Ilmo. Sr. D. Antonio Ventosa Ucedo  
Decano de la Facultad de Farmacia de Sevilla
- Ilmo. Sr. D. Isacio Sigüero Zurdo  
Presidente del Colegio Oficial de Médicos de Sevilla
- Ilmo. Sr. D. Francisco Ruiz Berraquero  
Presidente de la Real Academia Iberoamericana de Farmacia
- Ilmo. Sr. D. Angel Martín Reyes  
Miembro de la Academia Iberoamericana de Farmacia  
Director del CIM, COF de Málaga
- Ilmo. Sr. D. Antonio Rabasco Álvarez  
Miembro de la Academia Iberoamericana de Farmacia
- Ilmo. Sr. D. Francisco Zaragoza García  
Vocal Nacional de Docencia del Consejo General de Farmacéuticos
- Dr. D. Santiago Cuéllar Rodríguez  
Miembro del Comité de Evaluación para la Seguridad de  
Medicamentos de uso humano. Farmacéutico del Departamento  
Técnico Consejo General Farmacéutico
- Dra. Dña. Amparo Lluch Colomer  
Vocal de Hospitales del Real e Ilustre Colegio Oficial de  
Farmacéuticos de Sevilla

## INFORMACION GENERAL

**SEDE:** Hotel Meliá Lebreros. Av. Luis de Morales, 2 - 41018 Sevilla. Tel.: 954 579 400  
Fax: 954 582 726.

**FECHAS:** Miércoles 16, Jueves 17, Viernes 18 y Sábado 19 de Febrero 2000.

**IDIOMAS:** Se dispondrá de un servicio de traducción simultánea en todas las conferencias del Congreso.

**EXPOSICIÓN COMERCIAL:** Durante los días del Congreso, se celebrará una Exposición Comercial ubicada en el Hall de la Fuente con las empresas y casas comerciales más representativas del sector farmacéutico.

**ACREDITACIÓN:** Se exigirá el distintivo acreditativo para el acceso a la Sede del Congreso, y a todos los actos del mismo. La credencial personal se entregará junto con la documentación.

**ENTREGA DE DOCUMENTACIÓN:** Todos aquellos participantes que hayan formalizado su inscripción podrán retirar la documentación del Congreso el miércoles, día 16 de Febrero, a partir de las 11,00 horas, en el mostrador de la Secretaría Técnica.

**SECRETARÍA TÉCNICA:** Estará ubicada en los mostradores del Hall del Hotel. Allí podrá dirigirse para cualquier información que precise. Su horario será el mismo del Congreso.

**ALMUERZOS DE TRABAJO:** Serán servidos en el salón Arcos. Indispensable presentar ticket de almuerzo.

**COMUNICACIONES (POSTERS):** Estarán expuestos en el salón Ronda los días 17 y 18, desde las 11 de la mañana hasta las 18'30 de la tarde.



# I Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla

16-19 Febrero, 2000 - Sevilla



## PROGRAMA SOCIAL

### JUEVES 17 DE FEBRERO 2000

#### VISITA TURÍSTICA A SEVILLA PARA ACOMPAÑANTES

10,00 h.: Salida de autobuses desde la sede del Congreso para recorrido panorámico: Jardines de Murillo; Glorieta del Cid; Pabellones de la Exposición de 1929; Plaza de España; Plaza de América; Fábrica de Tabaco; Torre del Oro; Palacio de San Telmo.  
Visita a la Catedral y Giralda.  
Paseo por el Barrio de Santa Cruz.

14,00 h.: Almuerzo en restaurante El Cabildo.

16,00 h.: Regreso al hotel.

### VIERNES 18 DE FEBRERO 2000

#### VISITA CULTURAL A SEVILLA PARA ACOMPAÑANTES

10,00 h.: Salida de autobuses desde la sede del Congreso.  
Visita a la Casa de Pilatos.  
Museo de Bellas Artes.

13,00 h.: Regreso al hotel.

#### CENA DE CLAUSURA

## COMITÉ ORGANIZADOR

**PRESIDENTE:** Ilmo. Sr. D. Antonio González Ruiz  
Presidente del Congreso y del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla

**VOCALES:**  
D. Moisés Abascal Alonso  
Farmacéutico, Presidente de la Federación Española de Enfermedades Raras

D. Manuel Pérez Fernández  
Farmacéutico, Tesorero del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla

D<sup>a</sup> M<sup>a</sup> Victoria Casals Pérez-Caballero  
Farmacéutica, Secretaria Técnica del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla



# I Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla

16-19 Febrero, 2000 - Sevilla



## PROGRAMA CIENTÍFICO

### MIÉRCOLES 16 DE FEBRERO 2000

- 18,00 h.: Acto de Apertura: Por las Autoridades asistentes
- Presentación del Congreso: Ilmo. Sr. Presidente del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla
- Conferencia inaugural: Excmo. Sr. D. Santiago Grisolia
- Perspectivas de la genética en el ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.

### JUEVES 17 DE FEBRERO 2000

#### 9,30 h.: I MESA REDONDA.

Modera: Ilma. Sra. D<sup>o</sup> Ana Rodríguez-Acosta Gómez.  
Vicepresidenta del Consejo General de Colegios Farmacéuticos.

#### ENFERMEDADES RARAS E INVESTIGACIÓN CIENTÍFICA

- Las enfermedades raras en el contexto epidemiológico español.  
*Dr. Manuel Posada de la Paz. Director del CISAT. Instituto Carlos III. Madrid.*
- La necesidad de la investigación básica en el futuro de las terapias huérfanas: Mecanismos moleculares implicados en el síndrome de Kallman.  
*Dr. Fernando de Castro Soubriet. Investigador del INSERM. Paris.*
- Metabolopatías por déficits de la cadena respiratoria mitocondrial.  
*Dr. Joaquín Arenas Barbero. Jefe de Laboratorio de Patología Neurometabólica. Centro de Investigación del Hospital 12 de Octubre. Madrid.*
- Investigación farmacéutica en el V Programa Marco de la U. E. Enfermedades raras.  
*Dra. Sonia C. Antolín Martínez. Gestor Programas Calidad de Vida. Dep<sup>t</sup> de Programas de I+D de la UE. CDTI. Ministerio de Industria y Energía. Madrid.*

11,30 h.: Pausa-Café

- FEDER (Federación Española de Asociaciones de Enfermedades Raras)  
*D. Moisés Abascal Alonso. Presidente. Sevilla.*
- ADAC (Asociación para las Deficiencias de Crecimiento y Desarrollo)  
*Dña. Teresa Barco. Presidenta. Sevilla.*
- Otras Asociaciones Internacionales:  
*Dr. Pasquale Trecca. Presidente de la Federación Italiana de Enfermedades raras. Roma.*

11,00 h.: Pausa Café

#### 11,30 h.: X MESA REDONDA

Modera: Ilmo. Sr. D. Pedro Capilla Martínez.  
Presidente del Consejo General de Colegios Farmacéuticos de España.

#### NECESIDADES SOCIO-SANITARIAS DE LOS ENFERMOS Y SUS FAMILIAS EN LA ESPAÑA ACTUAL

- Ministerio de Trabajo y Asuntos Sociales.  
*Ilmo. Sr. D. Héctor Maravall Gómez-Allende. Director General del IMSERSO. Madrid.*
- Ministerio de Sanidad.  
*Ilmo. Sr. D. Federico Plaza Piñal. Director General de Farmacia y Productos Sanitarios. Madrid.*
- Consejo Superior de Investigaciones Científicas.  
*Excmo. Sr. D. César Nombela Cano. Presidente del CSIC. (Consejo Superior de Investigaciones Científicas). Madrid.*
- Defensor del Pueblo Andaluz.  
*Excmo. Sr. D. José Chamizo de la Rubia. Sevilla.*

#### 13,00 h.: CONFERENCIA DE CLAUSURA

Excmo. Sr. D. José Luis Valverde.  
Catedrático de Historia y Legislación. Facultad de Farmacia de Granada.

#### EL COMPROMISO INTERNACIONAL CON LAS ENFERMEDADES RARAS Y LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

PRESENTACIÓN DE CONCLUSIONES y ACTO DE CLAUSURA.



# I Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla

16-19 Febrero, 2000 - Sevilla



- La farmacia militar como recurso organizado en la preparación de medicamentos huérfanos.  
*Dr. Francisco Javier Alfaro Matos. Comandante Farmacéutico. Madrid.*
- Los radiofármacos como medicamentos huérfanos.  
*Dr. Felipe García de Pesquera Benjumea. Especialista en Radiofarmacia. Servicio de Medicina Nuclear. Hospital Virgen del Rocío. Sevilla.*

17,30 h.: Pausa-Café

18,00 h.: VIII MESA REDONDA

Modera: *Dr. D. Antonio Guerra Gil. Periodista y Doctor en Medicina*

## REPERCUSIÓN SOCIAL DE LAS ENFERMEDADES RARAS Y TERAPIAS HUÉRFANAS.

- Historia de la Ley Americana de medicamentos huérfanos y el papel de las organizaciones de pacientes.  
*Dra. Abbey S. Meyers. Presidenta de NORD (Organización Nacional de Enfermedades Raras) Estados Unidos.*
- La Fibrosis quística y su repercusión social.  
*Dr. Francisco Javier Dapena Fernández. Vicepresidente de la Asociación Andaluza de fibrosis quística y Jefe de la Unidad de fibrosis quística del Hospital Infantil. Hospital Virgen del Rocío. Sevilla.*
- Enfermedades raras y medicamentos huérfanos: El progreso a través de la colaboración.  
*Dr. Terkel Andersen. Director del Centro de Enfermedades raras de Dinamarca. Copenhague.*
- Como vivir con una enfermedad.  
*D. Miguel E. Gil Sánchez. Padre de un afectado. Algeciras (Cádiz).*

22,00 h.: Cena de Gala

SÁBADO 19 DE FEBRERO 2000

9,00 h.: IX MESA REDONDA

Modera: *Ilmo. Sr. D. Manuel Fuentes Rodríguez*

*Presidente del Consejo Andaluz de Colegios Oficiales de Farmacéuticos*

## PRESENTACIÓN Y EXPERIENCIAS DE ASOCIACIONES EUROPEAS DE PACIENTES

- EURORDIS (Asociación Europea de Enfermedades Raras)  
*Dr. Anders Olauson. Presidente. Hovas (Suecia).*

12,00 h.: II MESA REDONDA

Modera: *Ilmo. Sr. D. Manuel Arenas Vargas.*

*Secretario del Consejo Andaluz de Colegios Farmacéuticos.*

## DIAGNÓSTICO Y TRATAMIENTO DE LAS ENFERMEDADES RARAS

- Biotecnología y enfermedades raras.  
*Dr. Fernando Royo Gómez. Director General de Genzyme S.L. Madrid.*
- Diagnóstico y terapia de enfermedades raras: Las enfermedades genéticas de origen lisosomal como ejemplo de enfermedades raras.  
*Dra. Amparo Chabas Bergón. Instituto de Bioquímica Clínica. Barcelona.*
- Creación de una base de datos para la investigación de enfermedades raras e información pública.  
*Dra. Carol Youngs. Contact a Family. Vicepresidenta de EURORDIS. Londres.*
- AGRËNSKA, una organización con diez años al servicio de los pacientes.  
*Dr. Anders Olauson. Presidente de AGRËNSKA. Hovas (Suecia).*

14,00 h.: Almuerzo de trabajo

16,00 h.: III MESA REDONDA

Modera: *Ilmo. Sr. D. Manuel Ojeda Casares.*

*Secretario del Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla.*

## POLÍTICA Y REGULACIÓN APLICADAS EN EUROPA Y EE. UU.

- Medicamentos huérfanos: Consideraciones legales.  
*Dra. Elvira Bel Prieto. Profesora Titular de Legislación y Gestión Farmacéutica. Facultad de Farmacia. Barcelona.*
- La experiencia de la FDA (Food and Drugs Administration) sobre medicamentos huérfanos.  
*Dra. Marlene Halfner. Directora de la Sección de Medicamentos Huérfanos de la FDA. Estados Unidos.*
- Política de la EMEA (Agencia Europea de Evaluación del Medicamento) respecto al medicamento huérfano.  
*Dr. Josep Torrent i Farnell. Director de la Agencia Española del Medicamento y Miembro de la EMEA. Madrid.*
- Medicamentos huérfanos y patologías raras: Situación española.  
*Dr. José Félix Olalla Marañón. Subdirector General de Medicamentos de uso humano de la Agencia Española del Medicamento. Madrid.*
- Plan de acción comunitario en enfermedades poco comunes.  
*Dr. Manuel Posada de la Paz. Director del CISAT. Instituto Carlos III. Madrid.*

17,30 h.: Pausa-Café



# I Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras

Real e Ilustre Colegio Oficial de Farmacéuticos de Sevilla

16-19 Febrero, 2000 - Sevilla



## 18,00 h.: IV MESA REDONDA

Modera: Ilmo. Sr. D. Rafael Durbán Córdoba

Presidente del Colegio Oficial de Farmacéuticos de Almería

### MEDICAMENTOS HUÉRFANOS E INDUSTRIA FARMACÉUTICA

- **La Industria farmacéutica y los medicamentos huérfanos.**  
*Dr. José Carlos Montilla. Director General de Laboratorios Lilly, S.A. Madrid.*
- **La experiencia de una organización industrial en los medicamentos huérfanos.**  
*Dr. Pierre Mambrini. Vicepresidente y Director Técnico de Orphan Europe.*
- **Los investigadores y la necesidad de colaboración con las asociaciones.**  
*Dr. Román Alberca Serrano. Jefe del Servicio de Neurología. Hospital Virgen del Rocío. Sevilla.*
- **Colaboración entre la Industria y las asociaciones de pacientes: Un equilibrio delicado.**  
*Dra. Abbey S. Meyers. Presidenta de NORD. Estados Unidos.*

## VIERNES 18 DE FEBRERO 2000

### 9,30 h.: V MESA REDONDA

Modera: Ilmo. Sr. D. Isacio Siguero Zurdo

Presidente del Colegio Oficial de Médicos de Sevilla

### ENFERMEDADES RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN PAÍSES EN VÍAS DE DESARROLLO

- **Las enfermedades parasitarias como enfermedades raras.**  
*Dr. Diego Guevara Benitez. Catedrático de Parasitología. Facultad de Farmacia. Sevilla.*
- **Medicamentos huérfanos y enfermedades infecciosas.**  
*Dr. Jerónimo Pachón Díaz. Jefe de Servicio de Enfermedades Infecciosas. Hospital Virgen del Rocío. Sevilla.*
- **Asistencia farmacéutica en los países en vías de desarrollo: el papel de las ONG.**  
*Dr. Rafael Martínez Montes. Vicepresidente de Farmacéuticos sin Fronteras de España. Sevilla.*
- **Control de enfermedades infecciosas en países en vías de desarrollo.**  
*Dra. Carmen Pérez Casas. Farmacéutica coordinadora de la campaña "Acceso a medicamentos esenciales" Médicos sin Fronteras. Madrid.*

### 11,30 h.: Pausa-Café

## 12,00 h.: VI MESA REDONDA

Modera: Ilmo. Sr. D. Cecilio Venegas Fito.

Presidente del Colegio Oficial de Farmacéuticos de Badajoz.

### ENFERMEDADES RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN PAÍSES DESARROLLADOS

- **Necesidad de apoyo psicológico en pacientes con enfermedades raras: La experiencia en niños con muy bajo peso al nacimiento.**  
*Dr. José Antonio Portellano Pérez. Profesor Titular del Deptº de Psicobiología. Facultad de Psicología. Universidad Complutense. Madrid.*
- **Síndromes malformativos: Causas y asesoramiento familiar.**  
*Dra. Mª Luisa Martínez Frías. Directora del ECEMC (Estudio Colaborativo Español de Malformaciones Congénitas), Facultad de Medicina, Universidad Complutense, Madrid.*
- **Enfermedades genéticas raras: Problemática asistencial y modelo de investigación.**  
*Dr. Guillermo Antiñolo Gil. Unidad de Genética. Hospital Maternal Virgen del Rocío. Sevilla.*
- **Medicamentos huérfanos y toxicodependencias.**  
*Dr. Antonio García González. Servicio de Farmacia. Hospital Virgen Macarena. Sevilla.*
- **Los antidotos en toxicología como medicamentos huérfanos.**  
*Dr. Manuel Repetto Jiménez. Director del Instituto de Toxicología. Sevilla.*

## 14,00 h.: Almuerzo de trabajo

## 16,00 h.: VII MESA REDONDA

Modera: Ilmo. Sr. D. Fernando Martínez Martínez

Decano de la Facultad de Farmacia de Granada

### SITUACIÓN DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LOS SERVICIOS DE FARMACIA

- **Los medicamentos huérfanos en la enseñanza y en el ejercicio profesional.**  
*Dra. María José Faus Dáder. Profesora Titular de Bioquímica y Biología Molecular. Facultad de Farmacia. Granada.*
- **Los medicamentos huérfanos en la farmacia hospitalaria.**  
*Dr. Francisco Javier Bautista Paloma. Jefe del Servicio de Farmacia. Hospital Virgen del Rocío. Sevilla.*