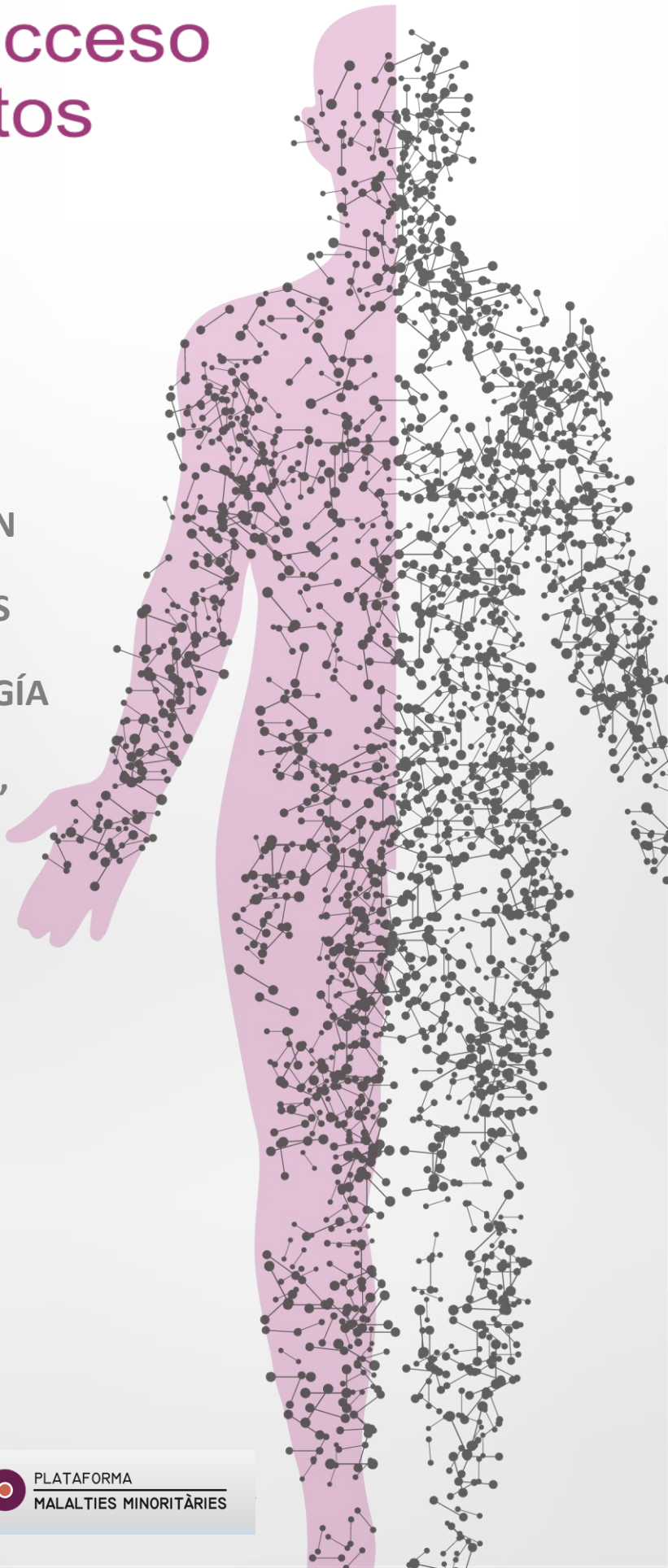
SUMMER SCHOOL SPANISH EDITION

5ª EDICIÓN

Evaluación, regulación y acceso a medicamentos



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

ONLINE

3 DE JUNIO – 15 DE JULIO, 2021

S/Sistema de Salut de Catalunya

Salut/Institut Català de la Salut

PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES

Organizado por:

S/Sistema de Salut de Catalunya

Salut/Institut Català de la Salut

PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES

Generalitat de Catalunya
Consell Consultiu de Pacients de Catalunya

En colaboración con:

MINISTERIO DE SANIDAD

agencia española de medicamentos y productos sanitarios

ciberer
Centro de Investigación Biomédica en Red
Enfermedades Raras

CatSalut
Servei Català de la Salut

sant pau

CLÍNIC BARCELONA Hospital Universitari

Parc Sanitari Sant Joan de Déu

EURORDIS RARE DISEASES EUROPE

RARE DISEASES INTERNATIONAL
A EURORDIS INITIATIVE

Con la participación de:

Sociedad Española de Farmacología clínica

sefh Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria

29 foundation twenty-nine

biocat

UAB Universitat Autònoma de Barcelona

UNIVERSITAT DE BARCELONA

ULC barcelona

Oblikue consulting

S/Sistema de Salut de Catalunya

Salut/Institut Català de la Salut

PLATAFORMA MALALTIES MINORITÀRIES

Apreciados compañeros:

Después del éxito de las ediciones precedentes del Summer School Spanish Edition, nos es grato anunciar la 5ª edición de este curso formativo adaptado a las necesidades de las asociaciones Españolas y de Iberoamérica, que se impartirá en modalidad online durante los meses de Junio y Julio de 2021.

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 2021. Este programa ha sido desarrollado en base a la experiencia docente de los 14 años del programa internacional con EURORDIS y adaptado a las necesidades de las asociaciones españolas y de Iberoamérica.

En respuesta a la situación y necesidades actuales, esta edición se llevará a cabo en modalidad online. La formación se realizará del 3 de Junio al 15 de Julio, donde cada semana se abordará uno de los módulos que conforman el curso del Patient Advocacy Summer School, que se ampliarán con las sesiones de webinar, a cargo del equipo docente, los miércoles y jueves de 17 a 19:30h.

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, del CIBERER, del Servei Català de la Salut, del Departament 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

Programme Committee Members

CIBERER	PLATAFORMA-ICS	CATSALUT	AEMPS
Pablo Lapunzina	Sonia Abilleira	Caridad Pontes	Antonio Blázquez
Paco Palau	Mireia del Toro	Manel Fontanet	César Hernández
Beatriz Gómez	Josep Torrent-Farnell	Cristina Mallol	Yoana Nuevo
Miguel López de Heredia	Iolanda Arbiol		

Asesores Científicos

Cristina Avendaño, Presidenta de la Sociedad Española de Farmacología Clínica, Directora de Farmacología Clínica Hospital Universitario 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)

Paco García Barrios, Associació Catalana Fibrosis Quística de Catalunya y miembro del Programa de Armonización Farmacoterapéutica (PHF).

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-Gómez, Presidente de la Dravet Syndrome European Federation, miembro del Comité Científico Asesor del CIBERER.

Pablo Lapunzina, Director Científico CIBERER.

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

Cristina Montané, Miembro de la Comisión Farmacoterapéutica del SISCAT, en representación del CCPC

Caridad Pontes, Gerente de Armonitzación 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, profesor de Farmacología Clínica, Universidad Autònoma de Barcelona, presidente del Comité Científico Asesor Externo del CIBERER

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

PLATAFORMA
MALALTIES MINORITÀRIES
SUMMER SCHOOL SPANISH EDITION

Objetivos Generales

- Empoderar y capacitar a los pacientes y representantes de pacientes afectados por una enfermedad minoritaria o poco frecuente, para facilitar su participación en los procesos de toma de decisiones sobre acceso y desarrollo de medicamentos.
- Dotar a los profesionales sanitarios 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

- Implementar los conocimientos en metodología y ética en la investigación básica y clínica para poder asesorar e incentivar la participación de pacientes.
- Promover el asesoramiento Genético y el conocimiento de la Genética y así disminuir la incidencia de una Enfermedad Minoritaria dentro de un mismo núcleo familiar.
- Gestionar los medicamentos en condiciones especiales gracias al conocimiento del el entorno legal que regula los medicamentos huérfano, su aprobación en las agencias reguladoras y sus políticas de acceso a las CCAA (EMA, AEMPS, CCAA y Hospitales).
- Mejorar la prescripción médica al afecto por una enfermedad minoritaria.
- Aproximar los principios de la bioética para su aplicación traslacional y favorecer su participación en los Comités de Ética.
- Favorecer la participación activa del profesional sanitario en los comités de armonización de medicamentos

Metodología

El curso consta de 80 horas de formación, divididas en 7 módulos, repartidos en 7 semanas, donde los participantes tienen que visualizar los recursos de aprendizaje y responder a los test de autoevaluación para consolidar su conocimiento.

Cada semana tendrá lugar un webinar de cada tema tratado en los módulos, a cargo del profesional que ha creado el material, con el fin de resolver dudas y ampliar los conceptos y conocimientos.

Los módulos finalizan en talleres online de grupos reducidos, simulando los comités de toma de decisiones, donde los pacientes e investigadores asumen los roles y se involucran de forma práctica en el funcionamiento de los comités.

El programa combina diferentes metodologías, fomentando así una consolidación de conocimientos teóricos y herramientas para su aplicación práctica.

Objetivos específicos

Actividad pendiente de acreditación por el Consell Català de Formació Continuada y la Comisión de Formación Continuada del Sistema Nacional de Salud.

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.
- **Claudia Delgado,** Coordinadora UICEC del Hospital de Sant Pau.
- **Patricia Díaz,** CHMP coordinator" en la Unidad de Centralizados del Departamento de Medicamentos de Uso Humano, AEMPS
- **Jordi Díaz**, Neurólogo adjunto de la Unidad de Enfermedades Neuromusculares del Hospital de la Santa Creu i Sant Pau y miembro CIBERER.
- **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)
- **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)
- **Eva Giménez**, co-fundadora y presidenta Asociación Síndrome de Dent
- **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, miembro del Consejo Asesor Externo del CIBERER
- **Diana González,** División de Farmacoepidemiología y Farmacovigilancia, AEMPS
- **Pablo Lapunzina**, Coordinador Instituto de Genética Médica y Molecular (INGEMM) del idiPaz, Director científico del CIBERER
- **Álvaro Lavandeira,** Presidente del instituto para la investigación y Formación en salud.
- **Fernando Larcherç**, Jefe de la División de Biomedicina Epitelial adscripta al CIBERER (U714) del CIEMAT
- **Yoana Nuevo,** Responsable de la coordinación de la Oficina de Innovación, AEMPS.
- **Cristina Mallol**, División de Innovación y Cartera de Servicios, Área de Atención Sanitaria del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **José Antonio Marcos**, farmacéutico, Hospital Virgen de la Macarena, Sevilla
- **Gemma Marfany,** Doctora en Biologia, Universitat de Barcelona, investigadora CIBERER
- **Victòria Martorell**, Jefa de desarrollo de servicios HSCSP, miembro de la junta del Observatori de Bioètica i Dret de la Universitat de Barcelona
- **Maria Mavris,** Responsable de la relación con pacientes de la Agencia Europea del Medicamento (EMA)
- **Fernando Méndez,** Representante en el Comité de Medicamentos Huérfanos de la EMA, AEMPS.
- **Andrea Molina,** Técnico del Programa de Armonización del Área del Medicamento del Servei Català de la Salut (CatSalut)
- **Cristina Montané,** Coordinadora territorial de la ACAF - Associació Catalana d'Afectades i Afectats de Fibromiàlgia i d'altres Síndromes de Sensibilització Central (SSC)
- **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), miembro CIBERER.
- **Teresa Pàmpols**, Genetista Hospital Clínic, 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)
- **Sònia Segovia**, 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
- **Mercedes Serrano**, Neuropediatra HSJdD, investigadora CIBERER.
- **Elena Sorribes**, Profesora Psicología, Universitat de Barcelona.
- **Josep Torrent-Farnell**, Profesor Farmacologia Clínica UAB, presidente del Comité Científico Asesor Externo del CIBERER.
- **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)

Jueves 3 de Junio, 2021

Jueves 3	Webinar Presentación del curso
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17:00h	**Bienvenida SUMMER SCHOOL 2021** *Iolanda Arbiol y Josep Torrent–Farnell*
17:20h	**Networking, presentación de los participantes al curso:** *Iolanda Arbiol y Miguel López de Heredia*
18:00h	**Cuando los pacientes toman la iniciativa** Julián Isla-Gómez, Eva Giménez y Cristina Montané
19:30h	**Resolución de dudas**

Del 7 al 13 de Junio, 2021

Formación Online / Módulos de consulta	
MÓDULO	**SESIÓN**
Investigación Médica	**Genética y Consejo Genético, La Importancia del Diagnóstico** Merche Serrano
Investigación Médica	**La importancia del Diagnóstico, Genética y Asesoramiento Genético** Clara Serra
Investigación Médica	**Terapias Avanzadas** Caridad Pontes
Investigación Médica	**Revisión de Conceptos clave en la Metodología de Ensayos Clínicos** Caridad Pontes
Investigación Médica	**Bonustrack: Terapias Avanzadas; Terapia Génica**
Miércoles 9	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17-18h	**Las dificultades que afronta la clínica, lo retos y el impacto del diagnóstico** Merche Serrano
18-19:30h	**La Importancia del Diagnóstico, Genética y Asesoramiento Genético** Clara Serra
Jueves 10	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17-18h	**Terapias avanzadas y conceptos clave en Ensayos clínicos** Caridad Pontes
18-20h	**Taller 1: Metodología de Ensayos Clínicos** Grupo 1: Mercè Obach y Roser Vives Grupo 2: Manel Fontanet y Montse Gasol Grupo 3: Rosa Antonijoan y Claudia Delgado

Del 14 al 20 de Junio, 2021

Formación Online / Módulos de consulta	
MÓDULO	**SESIÓN**
Ética	**La importancia de la ética y los conceptos** Màrius Morlans
Ética	**La toma de decisiones en los comités de investigación clínica** Victòria Martorell
Ética	**Revisión de los conceptos clave sobre las consideraciones éticas** Victòria Martorell
Marco Regulatorio	**Oficina de apoyo a la innovación y conocimiento sobre medicamentos** Yoana Nuevo
Investigación Médica	**Investigación en Enfermedades Minoritarias** CIBERER

Miércoles 16	Webinar
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17-18h	**Revisión de los conceptos clave sobre las consideraciones éticas** Victòria Martorell i Màrius Morlans
18-20h	**Taller 2: El comité de ética** Grupo 1: Victòria Martorell y Rosa Antonijoan Grupo 2: Teresa Pàmpols y Manel Fontanet Grupo 3: Màrius Morlans y Sílvia Fernández

Jueves 17	Webinar
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17 – 18:30h	**Investigación en las Enfermedades Minoritarias** Presentación de proyectos CIBERER Pablo Lapunzina Fernando Larcherç
18:30 – 19:30h	**Oficina de apoyo a la innovación y conocimiento sobre medicamentos** Yoana Nuevo

Del 21 al 27 de Junio, 2021

Formación Online / Módulos de consulta	
MÓDULO	**SESIÓN**
Marco Regulatorio	**Marco Regulatorio de la investigación** Juan Estévez
Marco Regulatorio	**Autorizar Medicamentos: Beneficio-Riesgo y Seguridad Clínica** Cristina Avendaño
Agencia Europea de Medicamentos (EMA)	**Una mirada a la EMA y sus comités** Fernando Méndez
Evaluación del beneficio-riesgo y farmacovigilancia	**Conceptos clave en farmacovigilancia** Alfonso Rodríguez
Lunes 21	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17:00-17:45h	**Marco Regulatorio de la investigación** Juan Estévez
17:45-18:30h	**Una mirada a la EMA y sus comités** Fernando Méndez
18:30-19:30h	**Conceptos clave en farmacovigilancia** Diana González
Martes 22	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17:00-18:00h	**Autorizar Medicamentos: Beneficio-Riesgo y Seguridad Clínica** Cristina Avendaño
18:00-20:00h	**Taller 3: Casos prácticos en la evaluación del balance beneficio riesgo** Grupo 1: Cristina Avendaño y Manel Fontanet Grupo 2: Mercè Obach y Gemma Garrido Grupo 3: Josep Torrent , Sílvia Fernandez y Toni Vallano

Del 28 de Junio al 4 de Julio, 2021

Formación Online / Módulos de consulta	
MÓDULO	**SESIÓN**
Acceso al mercado	**Acceso al diagnóstico y tratamiento** Encarna Guillén
Acceso al mercado	**Huérfanos: Equidad y Coste. El papel del Hospital** María Queralt Gorgas
Acceso al mercado	**Criterios farmacoeconómicos para el acceso a medicamentos** Lluís Segú
Miércoles 30	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17:00-18:00h	**Acceso al diagnóstico y tratamiento** Encarna Guillén
18:00-19:30h	**Huérfanos: Equidad y Coste. El papel del Hospital** María Queralt Gorgas
Jueves 1	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17:00-18:00h	**Criterios farmacoeconómicos para el acceso a medicamentos** Lluís Segú
18:00-20:00h	**Taller 4: Acceso a medicamentos: Selección y Priorización de los Medicamentos** Grupo 1: Lluís Segú y Gemma Garrido Grupo 2: Josep Torrent, Roser Vives y Andrea Molina Grupo 3: Max Brosa y Sílvia Fernandez

Del 5 al 11 de Julio, 2021

Formación Online / Módulos de consulta	
MÓDULO	**SESIÓN**
Otros	**La estrategia nacional de EM: retos de los centros de referencia nacionales y europeos** Roser Francisco
Otros	**El registro de pacientes** Sonia Segòvia
Miércoles 7	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17:00-18:00h	**La estrategia nacional de EM: retos de los centros de referencia nacionales y europeos** Cristina Mallol
18:00-19:30h	**El registro de pacientes** Sonia Segòvia
Jueves 8	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17:00-18:00h	**Liderar Equipos y grupos de trabajo** María Palacín Elena Sorribes
18:00-20h	**Taller 5: Psicología y el liderazgo** María Palacín Elena Sorribes

Del 12 al 18 de Julio, 2021

Formación Online / Módulos de consulta	
MÓDULO	**SESIÓN**
Otros	**El derecho de los pacientes, el derecho como pacientes** Álvaro Lavandeira
Miércoles 14	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17:00-18:00h	**El derecho de los pacientes, el derecho como pacientes** Álvaro Lavandeira
18:00-20:00h	**Debate dudas derecho de los pacientes** Álvaro Lavandeira
Jueves 15	**Webinar**
HORARIO	**SESIÓN Y PONENTES**
17:00 h	**Comunicación en los comités** **EMA y los representantes de pacientes** **CCAA y los representantes de pacientes en sus Comités** Maria Mavris y Julián Isla Caridad Pontes y Cristina Montaner
19:30 h	**Cierre y entrega diplomas** Josep Torrent-Farnell i Iolanda Arbiol