

PROGRAMA

**XIII**

**CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS**

# TERAPIA GÉNICA

**28 Y 29 DE  
SEPTIEMBRE  
2023**



**Real Fundación  
VICTORIA EUGENIA**



## SUMARIO

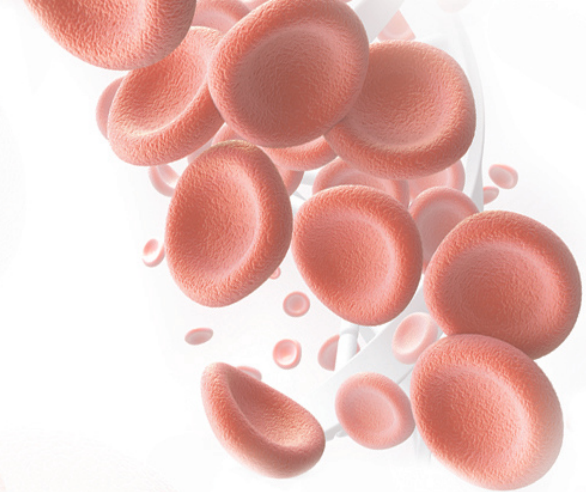
- **Presentación de los coordinadores del curso.**
- **Programa científico.**
- **Ponentes.**
- **Información general.**
- **Patrocinadores.**
- **Avales y reconocimientos.**
- **Secretaría técnica.**

PROGRAMA

**XIII**

CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS





# PRESENTACIÓN DE LOS COORDINADORES DEL CURSO

PROGRAMA

**XIII**CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS**Dr. Francisco Vidal Pérez.**

Laboratorio de Coagulopatías Congénitas del Banco de Sangre y Tejidos (BST) de Cataluña.

**Dr. Santiago Bonanad Boix.**

Servicio de Hemostasia y Trombosis y Unidad de Coagulopatías Congénitas. Hospital Universitari i Politècnic La Fe, Valencia.

**Dr. Antonio Gómez Outes.**

División de Farmacología y Evaluación Clínica. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), Madrid.

**Dra. María Teresa Álvarez Román.**

Sección de Hemostasia. Servicio de Hematología. Hospital Universitario La Paz, Madrid. Profesora Asociada de la Universidad Autónoma de Madrid.

El Curso monográfico de Formación Continuada en Hemofilia y otras Coagulopatías Congénitas aborda temas actuales y diferentes en cada ocasión. La extensa investigación y reciente comercialización de la terapia génica para hemofilia A y B, llevan a centrar la mirada de esta décimo tercera edición en el estado actual de la terapia génica.

De nuevo, se han seleccionado con especial esmero a ponentes con gran experiencia y prestigio en la investigación clínica y el manejo de estas nuevas terapias en hemofilia. Desde una perspectiva integradora y centrada en el paciente, los expertos expondrán sus diferentes puntos de vista sobre los últimos avances en la terapia génica en hemofilia y cómo implementarlos en la práctica diaria asistencial.

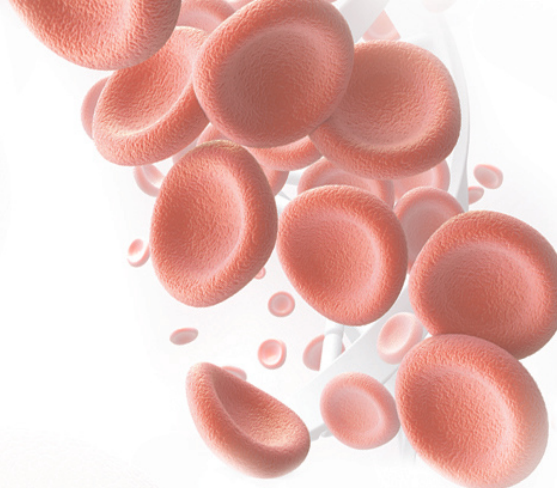
Con el fin de darle al Curso un carácter más dinámico, se presentarán ponencias de 25-30 minutos, en cuatro bloques que finalizan con mesas redondas que permitan el debate y la discusión sobre casos concretos, preguntas y dudas de los asistentes.

Se ha solicitado la acreditación del Curso a través de la Comisión de Formación Continuada de las Profesiones Sanitarias de la Comunidad de Madrid.

Por último, queremos dar las gracias a la Real Fundación Victoria Eugenia por fomentar estos cursos de transmisión, intercambio y puesta en común de experiencias y conocimientos. Esperamos que el presente curso resulte interesante, atractivo y sobre todo, que sea de utilidad para los asistentes.

Un cordial saludo.





# PROGRAMA CIENTÍFICO

**DÍA 1 - Jueves, 28/09/2023**

**10:15h**

**Entrega de la documentación.**

**10:45h**

**Inauguración:**

- Sr. David Silva, presidente de la RFVE.
- Representante Comunidad de Madrid.
- Coordinadores.

**11:00h**

**Bloque 1. Retos tecnológicos de la terapia génica en Hemofilia.**

**Modera:**

**Dr. Francisco Vidal Pérez.**

Jefe del Laboratorio de Coagulopatías Congénitas del Banco de Sangre y Tejidos (BST) de Cataluña.

• **Terapia génica en hemofilia: historia de un desafío.**

**Dr. Jordi Barquinero Mañez.**

Jefe del grupo de Terapia Génica y Celular en el Instituto de Investigación Vall d'Hebron, Barcelona.

• **Limitaciones de la terapia génica con vectores virales adenoasociados.**

**Dra. Gloria González Aseguinolaza.**

Directora de Innovación y Transferencia del CIMA, Universidad de Navarra. Investigadora del Programa de Terapia Génica y Regulación de la Expresión Génica.

• **Vectores lentivirales como alternativa terapéutica para la hemofilia: ventajas y desventajas.**

**Dr. José Carlos Segovia Sanz.**

Jefe de la División de Tecnología Celular del Centro de Investigaciones Energéticas, Ambientales y Tecnológicas (CIEMAT), Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER), Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz.

• **Terapia génica en hemofilia: novedades recientes y perspectivas de futuro.**

**Dr. Xavier Anguela Martínez.**

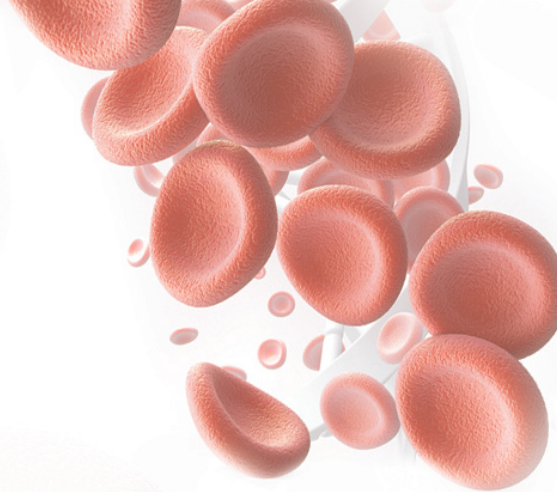
Consultor en Terapia Génica.

PROGRAMA

**XIII**

CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS





- **Conclusiones de la mesa.**

14:00h

**Comida Buffet.**

15:00h

**Bloque 2. Aspectos clínicos de la terapia génica en la hemofilia.**

**Modera:**

**Dr. Santiago Bonanad Boix.**

**Jefe de la Unidad de Hemostasia y Trombosis. Hospital Universitari i Politècnic La Fe, Valencia.**

- **Las necesidades no cubiertas en el manejo de la hemofilia.**

**Dr. Ramiro Núñez Vázquez.**

**Servicio de Hematología. Jefe de Sección de Hemostasia. Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla.**

- **Experiencias y resultados de eficacia y seguridad de la terapia génica en la hemofilia A.**

**Dr. Francisco López Jaime.**

**Servicio de Hematología. Hospital Regional Universitario, Málaga.**

- **Experiencias y resultados de eficacia y seguridad de la terapia génica en la hemofilia B.**

**Dra. Olga Benítez Hidalgo.**

**Servicio de Hematología, Hospital Universitario Vall d'Hebrón, Barcelona.**

- **El dilema de las terapias actuales frente a la terapia génica.**

**Dr. Manuel Rodríguez López.**

**Servicio de Hematología, Hospital Universitario Álvaro Cunqueiro, Vigo.**

- **Conclusiones de la mesa.**

**DÍA 2 - Viernes, 29/09/2023**

09:00h

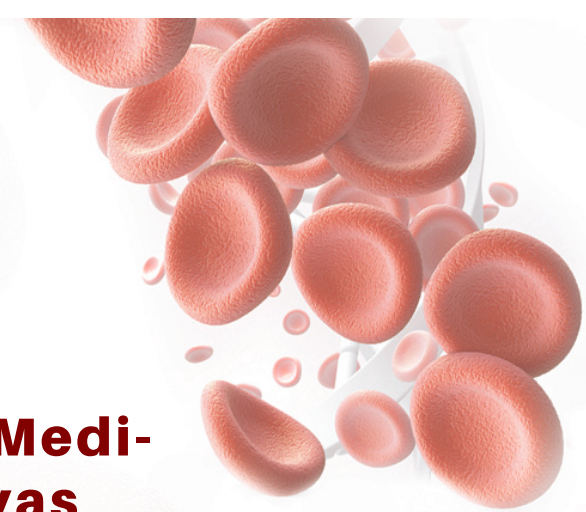
**Bloque 3. Aspectos reguladores y acceso a las terapias génicas.**

**Modera:**

**Dr. Antonio Gómez Outes.**

**Jefe de Servicio de Cardiovascular y Respiratorio en la División de Farmacología y Evaluación Clínica de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) en Madrid.**





- **El Comité de Terapias Avanzadas (CAT) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) y su papel en la investigación y evaluación de nuevas terapias génicas.**

Dra. Sol Ruiz.

Miembro del CAT y del CHMP de la EMA. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, Madrid.

- **El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la EMA y las decisiones sobre el beneficio-riesgo de nuevas terapias.**

Dra. Blanca García-Ochoa.

Miembro del CHMP de la EMA. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, Madrid.

- **Los informes de Posicionamiento Terapéutico en el contexto de terapias avanzadas en enfermedades huérfanas.**

Dra. Ana Rossignoli.

Grupo de Coordinación de Posicionamiento Terapéutico. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, Madrid.

- **Precio, financiación, acceso y medición de resultados con terapias génicas.**

Dr. César Hernández García.

Director General de Cartera Básica y Farmacia. Ministerio de Sanidad, Madrid.

- **Conclusiones de la mesa.**

11:30h

**Descanso café.**

12:00h

#### **Bloque 4. Retos y oportunidades de la terapia génica para el paciente con hemofilia.**

Modera:

Dra. María Teresa Álvarez Román.

Jefa de Sección de Hemostasia. Servicio de Hematología. Hospital Universitario La Paz, Madrid.

Profesora Asociada de la Universidad Autónoma de Madrid.

- **¿Qué debe conocer el paciente de la terapia génica?**

Dr. Victor Jiménez Yuste.

Jefe de servicio de Hematología. Hospital Universitario La Paz, Madrid.

Profesor Asociado de la Universidad Autónoma de Madrid.



- **¿Ven los pacientes la terapia génica como una alternativa real? Visión de un paciente y una portadora.**

D. Daniel Aníbal García. Presidente de Fedhemo.

Dra. Belén Velasco Llaves. Médico de familia. Médico de Emergencias en SUMMA 112.

- **¿Cuál será el papel de la enfermería en terapia génica?**

Dña. Sara García Barcenilla.

Enfermera de ensayos clínicos en el Hospital Universitario La Paz, Madrid.

- **Cómo manejar las expectativas y el cambio de rol del paciente con hemofilia.**

Dña. Ana I. Torres Ortuño.

Psicóloga clínica ARMH. Profesora Facultad de Medicina. Universidad de Murcia.

- **Conclusiones de la mesa.**

- **Acto de clausura.**

PROGRAMA

**XIII**

CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS



## PONENTES

**Dr. Jordi Barquinero Mañez.**  
Jefe del grupo de Terapia Génica y Celular en el Instituto de Investigación Vall d'Hebron.

**Dra. Gloria González Aseguinolaza.**  
Directora de Innovación y Tránsito del CIMA, Universidad de Navarra. Investigadora del Programa de Terapia Génica y regulación de la Expresión Génica.

**Dr. José Carlos Segovia Sanz.**  
Jefe de la División de Tecnología Celular del Centro de Investigaciones Energéticas, Ambientales y Tecnológicas (CIEMAT), Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER), Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz.

**Dr. Xavier Anguela Martínez.**  
Consultor en Terapia Génica.

**Dr. Ramiro Núñez Vázquez.**  
Jefe de Sección de Hemostasia. Servicio de Hematología, Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla.

**Dr. Francisco López Jaime.**  
Servicio de Hematología, Hospital Regional Universitario, Málaga.

**Dra. Olga Benítez Hidalgo.**  
Servicio de Hematología, Hospital Universitario Vall d'Hebrón, Barcelona.

**Dr. Manuel Rodríguez López.**  
Servicio de Hematología, Hospital Universitario Álvaro Cunqueiro, Vigo.

**Dra. Sol Ruiz.**  
Miembro del CAT y del CHMP de la EMA. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, Madrid.

**Dra. Blanca García-Ochoa.**  
Miembro del CHMP de la EMA. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, Madrid.

**Dra. Ana Rossignoli.**  
Grupo de Coordinación de Posicionamiento Terapéutico. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, Madrid.

**Dr. César Hernández García.**  
Director General de Cartera Básica y Farmacia. Ministerio de Sanidad, Madrid.

**Dr. Victor Jiménez Yuste.**  
Jefe de servicio de Hematología. Hospital Universitario La Paz. Profesor Asociado de la Universidad Autónoma de Madrid.

**D. Daniel Aníbal García.**  
Presidente de Fedhemo.

**Dra. Belén Velasco Llaves.**  
Médico de familia. Médico de Emergencias en SUMMA 112.

**Dra. Sara García Barcenilla.**  
Enfermera de ensayos clínicos en el Hospital Universitario La Paz, Madrid.

**Dña. Ana I. Torres Ortuño.**  
Psicóloga clínica ARMH. Profesora Facultad de Medicina. Universidad de Murcia.

PROGRAMA

**XIII**CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS



# INFORMACIÓN GENERAL

## CUOTA DE INSCRIPCIÓN:

- 600€ por inscripción.

## La cuota de inscripción presencial incluye:

- Asistencia a los actos científicos.
- Documentación del curso.
- Certificado de asistencia.
- Cafés y almuerzos de trabajo.
- Cena del 28 de septiembre.

**¡PLAZAS LIMITADAS!**

## SEDE DE REALIZACIÓN DEL CURSO:



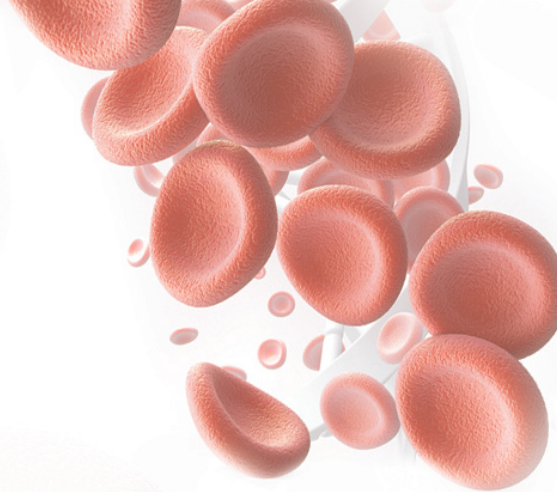
Paseo de la Castellana, 191.  
28046, Madrid.

PROGRAMA

**XIII**

CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS





# PATROCINIOS

PROGRAMA

## XIII

CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS



BIOMARIN®

CSL Behring





# AVALES Y RECONOCIMIENTOS CIENTÍFICOS

- **Concedido el aval de:**



**SETH**

Sociedad Española  
de Trombosis y Hemostasia



**FEHH**

- **Solicitada acreditación de actividad de formación continuada de profesión sanitaria:**



PROGRAMA

**XIII**

CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS



# SECRETARÍA TÉCNICA



**Real Fundación  
VICTORIA EUGENIA**

**Real Fundación Victoria Eugenia**  
Instituto de Salud Carlos III  
C/ Sinesio Delgado, 4. 28029 Madrid

Para ampliar la información del curso puede ponerse en contacto con  
nosotros por correo electrónico: [rfve@rfve.org](mailto:rfve@rfve.org)

**¡NO OLVIDES SEGUIRNOS EN  
NUESTRAS RRSS!**



**@rfve\_hemofilia**



**@RFVE\_hemofilia**



**Real Fundación Victoria Eugenia**



**@realfundacionvictoriaeugen6052**

PROGRAMA

**XIII**

CURSO INTERNACIONAL  
DE FORMACIÓN CONTINUADA  
EN HEMOFILIA Y OTRAS  
COAGULOPATÍAS