



## X<sup>th</sup> Conferencia ICORD, Ciudad de México, 15-16 Oct 2015

### Programa de la Conferencia

*Una década de descubrimientos y desafíos actuales en ER y DH.*

#### **DIA 1- jueves 15 Octubre**

**Sede: ISSSTE Buenavista, Ciudad de México**

|              |  |
|--------------|--|
| 08:00-08:30  | Inscripciones<br>Colecte sus audífonos para traducciones simultaneas.  |
| 08:30-09:00  | <b>Apertura (30 min)</b>   |
| 09:00-10:00  | <b>Sesión I: Estrategias Globales para las Enfermedades Raras</b><br>Moderador: Simon Day (CTCT, UK)<br><br>- John Forman (ICORD Presidente, Nueva Zelanda) – La visión de ICORD’s y la declaración de Yukiwariso.<br>- Nicola Magrini (OMS, Suiza)<br>- Ségolène Aymé (IRDIRC Secretaria Científica, Francia) – Actualización de IRDiRC<br>- Paloma Tejada (Eurordis, Suiza)- Internacional de Enfermedades Raras.  |
| 10:00-10:30  | Café   |
| 10:30-11:45  | <b>Sesión II: Actualización del Estado de las Enfermedades Raras en Latino América.</b><br>Moderadores: Virginia Llera (GEISER, Argentina) y David Peña (FEMEXER, México)<br><br>-Mikel Arriola (Comisión Federal para la Protección ante riesgos de Salud, COFEPRIS, México), Aspectos regulatorios y necesidades.<br>-Ignacio Burgos (ExSenador y Asesor del Ministerio de Salud, España), Progresos en la legislación regional.<br>- Alison Joslyn (Shire, Brazil), Desafíos y Oportunidades para las enfermedades raras y drogas huérfanas en América– Una perspectiva desde la industria.<br>-Virginia Llera (GEISER, Argentina), Acerca del Día Latino Americano de Enfermedades Raras. Construyendo una identidad regional. |
| 11.45 -12:30 | <b>Sesión III: La ética de la redistribución de recursos para las Enfermedades Raras</b><br>Moderador: John Forman (ICORD, Nueva Zelanda)<br><br><i>Conferencia Plenaria</i><br>Mariana Kruger (Universidad de Stellenbosch, Sudáfrica)  |
| 12.30-13:30  | Almuerzo   |
| 13:30-15:00  | <b>Sesión IV: Los errores innatos del metabolismo como modelos de Enfermedades Raras.</b><br>Moderador: Stephen Groft (NIH, EE.UU.)<br><br>Presentaciones y panel de discusión<br>- Stephanie Sacharow (Universidad de Harvard, EE.UU.), Perspectivas Medica. Breve introducción a los errores del metabolismo.<br>- Kelly du Plessis (Sociedad de Enfermedades Raras de Sudáfrica, Sudáfrica), Perspectivas de los pacientes.   |

|             |   |
|-------------|---|
|             | <p>- Luis Barrera (Universidad Javeriana, Colombia), Perspectiva desde la Investigación. Qué investigación se está haciendo?</p> <p>- Fernando Royo (Fundación Genzyme, España), Perspectiva de la Industria</p> <p>- Ezperanza Quiroz (Seguro Popular, Mexico), Perspectiva de las Autoridades</p> <p>- Panel de discusión con los presentadores. Desafíos Actuales, diferencias alrededor del mundo.</p>  |
| 15:00-15:30 | Café  |
| 15:30-16:15 | <p><b>Sesión V: Prevención</b><br/>Moderador: Manuel Posada (Instituto de Salud Carlos III, España)</p> <p>- José F Cordero (Universidad de Georgia, EE.UU.) – Prevención and defectos de nacimiento.</p> <p>- Domenica Taruscio (Instituto Superior de Salud, Italia) – Recomendaciones Europeas para las políticas de prevención primaria en anomalías congénitas</p>   |
| 16:15-17:45 | <p><b>Sesión VI: Sesión de Trabajos en Redes/Sesión de grupos de Discusión – Movilizando los descubrimientos de la Investigación a Diagnósticos y a Tratamientos: Oportunidades para Asociarse en Trabajos Colaborativos</b><br/>Moderadores Generales: Mario Alanís (COFEPRIS, México) y Emilio Roldan (SLADIMER, Argentina)</p> <p>Todos los participantes de la Conferencia son bienvenidos para participar en los grupos de discusión de su interés. (Consultar por servicios de traducción simultánea)</p> <p>Propuesta de temas para la discusión durante la celebración de los grupos de trabajo:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Comunicación: Función de los Medios sociales y de la Innovación social colaborativa ( Crowdsourcing) <ul style="list-style-type: none"> <li>• Educación de los hacedores de políticas, Agencias Regulatorias, Organizaciones de Subsidios, Identificación de Fuentes de Subsidios, y Reclutamiento de pacientes para estudios clínicos</li> </ul> </li> <li>2. Infraestructuras de Investigación <ul style="list-style-type: none"> <li>• Estudios de la Historia Natural de ERs, Registros de Pacientes, y Bancos de Bio-especímenes.</li> </ul> </li> <li>3. Cambios en el Ambiente Regulatorio. <ul style="list-style-type: none"> <li>• Aceptación de los riesgos y tolerancia de riesgos por Pacientes, Familia, y Medicos.</li> <li>• Aceleramientos en las Revisiones, Terapias de Vanguardia, Aceleramiento de las Aprobaciones, Prioridades y Revisiones de vía rápida.</li> </ul> </li> <li>4. Accesos a Diagnósticos e Intervenciones terapéuticas <ul style="list-style-type: none"> <li>• Pruebas Genéticas, y Genoma Completo, Exoma, y resultados de Secuenciadores de Próxima Generación.</li> <li>• Re-posicionamiento de Medicamentos existentes</li> </ul> </li> <li>5. Estableciendo Asociaciones de Investigación <ul style="list-style-type: none"> <li>• Industria, Fundaciones Privadas, Investigadores Académicos, Agencias Gubernamentales, y Programas de Investigación Translacional, Conferencias de Investigación.</li> </ul> </li> <li>6. Los Derechos a la Salud<br/>Legislación Internacional, Constituciones Nacionales, Legislación de Derechos Humanos, Filosofía de la Moral, y Políticas del Sistema de Salud – de cómo estos se combinan e influyen en el traslado hacia los cuidado de la salud, especialmente en poblaciones desfavorecidas y vulnerables.</li> </ol> |
| 17:45-19:30 | <p><b>Asamblea General de ICORD ( Solo para miembros de ICORD)</b><br/>En idioma inglés, sin traducción simultánea</p>  |

**DIA 2- Viernes 16 Octubre****Sede: ISSSTE Buenavista, Ciudad de México**

|             |  |
|-------------|--|
| 08:00-08:30 | Inscripciones<br>Colecte sus audífonos para traducciones simultaneas.  |
| 08:30-09:30 | <b>Sesión VII: La voz de los pacientes: Cooperación Internacional entre grupos de pacientes. ¿Porqué, Quienes y Cómo?</b><br>Moderador: Virginia Llera (GEISER, Argentina)<br><br>- Gema Chicano (EURORDIS, España)<br>- Natasha Bonhomme (Genetic Alliance, EE.UU.)<br>- David Peña (FEMEXER, México)   |
| 09:30-10:00 | Café   |
| 10:00-10:45 | <b>Sesión VIII: Construyendo un Programa de Enfermedades no Diagnosticadas para una red de trabajos global</b><br>Moderador: Yaffa Rubinstein (NIH, EE.UU.)<br><br><i>Conferencia Plenaria</i><br>Cynthia Tiff (Programa de Enfermedades no Diagnosticadas, NIH, EE.UU.)   |
| 10:45-12:00 | <b>Sesión IX: Sesión de Posters</b>  |
| 12:00-13:00 | Almuerzo   |
| 13:00-14:00 | <b>Sesión X: Ampliando el mundo - Incentivos para desarrollar DHs son necesitados en todo el mundo.</b><br>Moderador: Catarina Edfjäll (CSL Behring, Suiza)<br><br>-Catarina Edfjäll (CSL Behring, Suiza), Una breve actualización de los incentivos para DHs existentes en diferentes países y regiones.<br>- James Reese (Oficina de Investigaciones de productos Huérfanos, FDA, EE.UU.) Actualización de los cambios recientes en incentivos para el desarrollo de drogas para enfermedades raras en los Estados Unidos.<br>- Fernando Fon Méndez (Asociación Mexicana de Industrias de Investigación Farmacéutica, AMIIF) |
| 14.00-15:00 | <b>Sesión XI: Desarrollos y accesibilidad a los registros y bio-bancos internacionales.</b><br>Moderador: Domenica Taruscio (ISS, Italia)<br><br>- Yaffa Rubinstein (NIH, EE.UU.), El programa NIH/NCATS GRDR®- Registros globales de enfermedades raras. Guarda de los datos.<br>- Manuel Posada (Instituto de Salud Carlos III, España), Ontología Medical y actividades de registraciones. ¿Cuál es su valor agregado?<br>- Michelle Durborow (The Life Raft Group, EE.UU.), Presentación de Poster: El Registro de Pacientes Global Central y Banco de Tejidos.  |
| 15:00-15:30 | Café   |
| 15:30-17:00 | <b>Sesión XII: Ejemplos de colaboraciones exitosas en ERs. Progresos en los últimos 10 años en ERs y perspectivas futurísticas.</b><br>Moderadores: Désirée Gavhed (Instituto Karolinska, Suecia ) y Luis Barrera (Universidad Javeriana, Colombia)<br><br>- Rashmi Gopal-Srivastava (ORDR, NIH, EE.UU.) – La Red de trabajo d Investigaciones Clinicas en Enfermedades raras, RDCRN .<br>- Antoni Matilla Dueñas (Instituto de Ciencias de La Salud Germans Trias i Pujol, España) – Tla colaboración Latinoamericana RIBERMOV.   |

|             |   |
|-------------|---|
|             | <p>- Janine Lewis (GARD, EE.UU.), El Centro de Información de Genética y Enfermedades Raras (GARD): Doce años de mejoras al acceso de información y recursos en genética y/o enfermedades raras, de difícil hallazgo.</p> <p>- Daria Julkowska (Agencia Nacional de Investigaciones Francesa, Francia), Presentación de poster: Los esfuerzos de E-RARE hacia la inclusión de pacientes para las actividades de investigación y financiación para enfermedades raras.</p> |
| 17:00-17:10 | <b>El XI<sup>th</sup> ICORD. ICORD 2016 en Ciudad del Cabo, Sudáfrica.</b>  |
| 17:10-17:30 | <b>Conclusiones y Cierre de la Conferencia</b>  |
|             | Conferencia de Prensa: David Peña, Virginia Llera, John Forman  |