

Martes 13 de abril - 17h. CET

SEMINARIO:

Terapia Génica en Enfermedades Neuromusculares

CON LA PARTICIPACIÓN DE:

Dr. Andrés Nacimiento: Hospital Sant Joan de Déu - Universitat de Barcelona y CIBERER.

Dr. Jordi Díaz-Manera: John Walton Muscular Dystrophy Research Centre- Newcastle University, Hospital de Sant Pau y CIBERER.

Manuel Rego Collazo: Presidente de Federación ASEM y del Consejo Asesor de Pacientes del CIBERER.

#academiaCIBERER

Inscripción abierta hasta el 7 de abril de 2021
a las 24h. CET (hora de Madrid)

Formulario inscripción:



<https://forms.office.com/r/nqxHqtpgEB>

Objetivo:

La “Academia CIBERER de pacientes” tiene como objetivo contribuir a la capacitación de las personas afectadas por enfermedades raras y sus familias, de manera que quienes estén interesados puedan formarse en aspectos relevantes.

Estructura:

Andrés Nascimento

En los últimos años, estamos siendo testigos y en parte protagonistas de los avances en la terapia génica en algunas enfermedades neuromusculares que debutan en la infancia. Debemos destacar los resultados observados en los pacientes con la forma grave de atrofia muscular espinal, logrando demostrar seguridad y efectividad, al cambiar de forma drástica la historia natural de los pacientes y consiguiendo su aprobación por la FDA (2019) y la EMA (2020). Los logros y aprendizajes en este proceso han abierto el camino para otras enfermedades como la distrofia muscular de Duchenne y algunas miopatías congénitas. Hablaremos de los principales ensayos clínicos, los retos a superar y la necesidad de seguir investigando, los diferentes aspectos de seguridad, limitaciones de acceso, efecto a largo plazo. Apenas estamos dando los primeros pasos y quedan muchos interrogantes quedan por responder en el camino.

Jordi Díaz-Manera

En esta sesión vamos a discutir las nuevas estrategias que se están diseñando para el tratamiento de enfermedades neuromusculares genéticas en adultos. Estamos asistiendo a una auténtica revolución con el diseño de nuevos ensayos clínicos basados en terapia génica utilizando adenovirus asociados para liberar una copia sana del gen del que el paciente es deficitario. Existen una serie de ventajas respecto a su uso en pacientes pediátricos pero también un larga lista de dificultades que deben ser discutidas y consideradas. Plantearemos cuáles son los problemas actuales y qué soluciones se plantean, al igual que hablaremos de las particularidades de los nuevos ensayos que están por llegar al campo de las enfermedades neuromusculares de origen genético en adultos.

A quién van dirigidos:

Estos seminarios se plantean para todas aquellas personas afectadas por algún tipo de enfermedad rara y sus familias, independientemente de las causas de la misma, especialmente a quienes tienen enfermedades neuromusculares

