POST-WS

# R@REVIEW 2023

INNOVACIÓN EN ENFERMEDADES LISOSOMALES

**VIII EDICIÓN**

sanofi

INSCRIPCIONES AL
**STREAMING ONLINE**
EN LA WEB DE R@REVIEW 2023

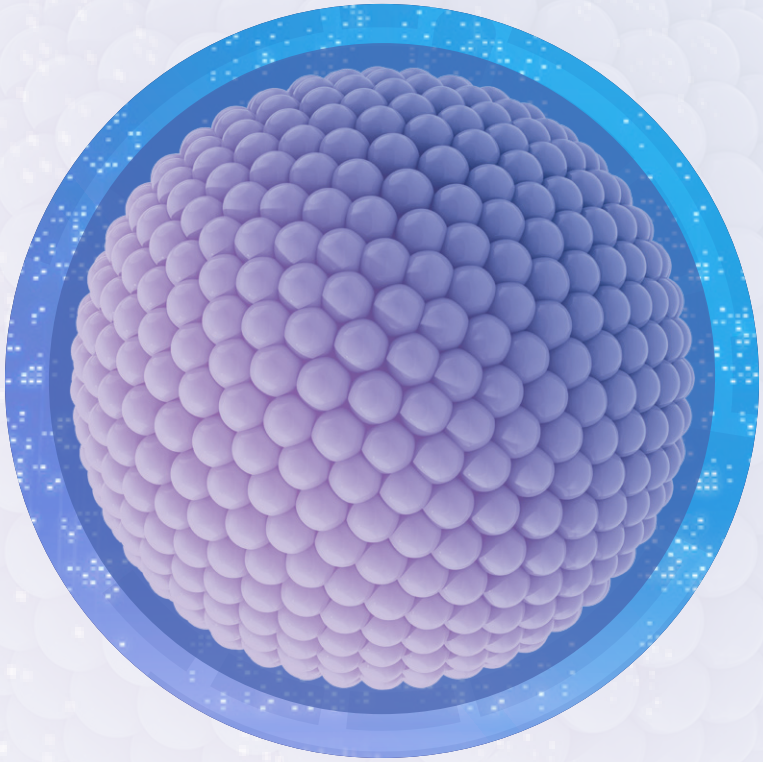
**21-22 ABRIL**
**NH EUROBUILDING**
MADRID

@RARASREALES #RAREVIEW23

**SALAS MADRID 1-2**

# BIENVENIDOS

Las enfermedades lisosomales son afecciones metabólicas congénitas que producen la acumulación de sustratos en diversos órganos y tejidos como resultado de deficiencias enzimáticas. **Conseguir un diagnóstico precoz y un tratamiento temprano son los retos principales en el abordaje de estas patologías** ya que, en muchos casos, se puede frenar la evolución de la enfermedad y mejorar el bienestar del paciente.



Como cada año, Sanofi celebra el **POST-WS RAREVIEW**, una reunión multidisciplinar que recoge los aspectos más relevantes presentados en el **WORLDSymposium** de EE.UU. sobre **Enfermedades Raras de Depósito Lisosomal**, abordando las novedades presentadas en torno a la investigación, diagnóstico y tratamiento de las mismas.

Esta edición, que se celebrará en formato híbrido, se centrará en el **diagnóstico diferencial de las patologías lisosómicas** más relevantes, fomentando el intercambio de experiencias entre los profesionales sanitarios mediante la realización de talleres participativos. Además, se hará una mención especial a las **comunicaciones orales españolas** presentadas en el Congreso.

POST-WS

# R@REVIEW 2023

INNOVACIÓN EN ENFERMEDADES LISOSOMALES

**VIII EDICIÓN**

sanofi

REGÍSTRATE EN LA WEB DE **R@REVIEW 2023**

- Inscripciones al **STREAMING ONLINE**
- **Información logística**
- Biografías de los **ponentes**
- **Diagnóstico** Enfermedades Lisosomales
- **Vídeos talleres**
- **Vídeo-grabación post-evento**

treelogy MEDICAL MARKETING

Solicitada la acreditación a la Comisión de Formación Continuada de las Profesiones Sanitarias de la Comunidad de Madrid-Sistema Nacional de Salud con fecha 26/01/2023. Enseñanza no reglada y sin carácter oficial. Los créditos de formación continuada no son aplicables a los profesionales que estén formándose como especialistas en Ciencias de la Salud.

Puede consultarse información sobre la acreditación de formación continuada sanitaria en: www.madrid.org.

# VIERNES, 21 DE ABRIL

17:00 **INTRODUCCIÓN Y BIENVENIDA.** SANOFI

17:10 **TENDENCIAS ACTUALES EN ENFERMEDADES LISOSOMALES**

MODERADORAS: DRA. MIREIA DEL TORO RIERA Y DRA. MARTA MORADO ARIAS

17:15 **LISOSOMA.** DR. ALBERTO ORTIZ ARDUÁN

17:35 **CRIBADO.** DR. DOMINGO GONZÁLEZ-LAMUÑO LEGUINA

17:55 **BIOMARCADORES.** DRA. MONTSERRAT MORALES CONEJO

18:15 **DISCUSIÓN**

18:35 **DESCANSO CAFÉ**

19:05 **EVALUACIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS: MÁS ALLÁ DEL COSTE**

MODERADORES: DR. JORGE GÓMEZ CEREZO Y DR. JORDI DÍAZ MANERA

DR. JOSÉ LUIS POVEDA ANDRÉS. *Jefe de Servicio de Farmacia. Hospital Universitario La Fe, Valencia*

DR. JUAN MANUEL FONTANET SACRISTÁN. *Gerencia del Medicamento. Área Asistencial. Servicio Catalán de Salud (CatSalut)*

DR. ANTONIO GONZÁLEZ-MENESES LÓPEZ

DR. ANTONIO RIERA MESTRE. *Cap de Servei de Medicina Interna. Hospital Universitari de Bellvitge - IDIBELL, Barcelona*

DANIEL DE VICENTE CORBEIRA. *Presidente ASMD España. Junta Directiva FEDER*

19:50 **CONCLUSIONES Y CIERRE DEL DÍA**
DR. JORGE GÓMEZ CEREZO

# SÁBADO, 22 DE ABRIL

09:00 **APERTURA Y MODERACIÓN.** DRA. MONTSERRAT MORALES CONEJO Y DR. DOMINGO GONZÁLEZ-LAMUÑO LEGUINA

09:10 **ENFERMEDADES LISOSOMALES (I)**

- 09:10 **POMPE.** DR. JORDI DÍAZ MANERA
- 09:40 **MPS.** DRA. MIREIA DEL TORO RIERA Y DR. ANTONIO GONZÁLEZ-MENESES LÓPEZ
- 10:10 **FABRY.** DR. ALBERTO ORTIZ ARDUÁN
- 10:40 **DISCUSIÓN**

11:00 **DESCANSO CAFÉ**

11:30 **ENFERMEDADES LISOSOMALES (II)**

MODERADORES: DR. ALBERTO ORTIZ ARDUÁN Y DR. ANTONIO GONZÁLEZ-MENESES LÓPEZ

- 11:30 **GAUCHER.** DRA. MARTA MORADO ARIAS
- 12:00 **ASMD.** DR. JESÚS VILLARRUBIA ESPINOSA
- 12:30 **OTRAS ENFERMEDADES LISOSOMALES.** DRA. MIREIA DEL TORO RIERA Y DR. JORGE GÓMEZ CEREZO
- 13:00 **DISCUSIÓN**

13:20 **COMUNICACIONES ORALES ESPAÑOLAS WORLDSYMPOSIUM 2023** (10 minutos por ponencia + 10 minutos de discusión)

MODERADORES: DRA. MONTSERRAT MORALES CONEJO Y DR. JESÚS VILLARRUBIA ESPINOSA

- ***PBXs: New pharmacological chaperones to increase α-galactosidase A activity in Fabry disease cellular models***
  DRA. SAIDA ORTOLANO. *Galicia Sur Health Research Institute, Vigo*
- ***Twice weekly dosing with sebelipase alfa rescues severely ill infants with Wolman disease***
  DRA. MARÍA JOSÉ DE CASTRO LÓPEZ. *Hospital Clínico Universitario de Santiago de Compostela*
- ***Study of miRNA expression profiles depending on the severity of bone involvement in patients with Gaucher disease***
  DRA. IRENE SERRANO GONZALO. *Fundación Española para el Estudio y Terapéutica de la Enfermedad de Gaucher y Otras Lisosomales, Zaragoza*

14:00 **CONCLUSIONES Y CIERRE.** DRA. MARTA MORADO ARIAS

# COMITÉ CIENTÍFICO

**DR. JORDI DÍAZ MANERA**
*John Walton Muscular Dystrophy Research Center. NewCastle University, UK.*

**DR. JORGE GÓMEZ CEREZO**
*Servicio de Medicina Interna. Hospital Universitario Infanta Sofía, Madrid.*

**DR. DOMINGO GONZÁLEZ-LAMUÑO LEGUINA**
*Unidad de Nefrología y Metabolismo Infantil. Hospital Universitario Marqués de Valdecilla, Santander.*

**DR. ANTONIO GONZÁLEZ-MENESES LÓPEZ**
*Unidad de Dismorfología y Metabolismo. Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla.*

**DRA. MARTA MORADO ARIAS**
*Servicio de Hematología y Hemoterapia. Hospital Universitario La Paz, Madrid.*

**DRA. MONTSERRAT MORALES CONEJO**
*Unidad de Enfermedades Minoritarias y Errores Congénitos del Metabolismo. Hospital Universitario 12 de Octubre, Madrid.*

**DR. ALBERTO ORTIZ ARDUÁN**
*Servicio de Nefrología. Hospital Universitario Fundación Jiménez Díaz, Madrid.*

**DRA. MIREIA DEL TORO RIERA**
*Unidad de Enfermedades Metabólicas Hereditarias. Servicio de Neurología pediátrica. Hospital Universitario Vall d'Hebron, Barcelona.*

**DR. JESÚS VILLARRUBIA ESPINOSA**
*Servicio de Hematología y Hemoterapia. Hospital Universitario Ramón y Cajal, Madrid.*

sanofi

POST-WS 2023
R@REVIEW
INNOVACIÓN EN ENFERMEDADES LISOSOMALES
VIII EDICIÓN