

I WORKSHOP DE FORMACIÓN BIDIRECCIONAL CIBER-AEMPS:

TERAPIA Y EDICIÓN GÉNICA

UBICACIÓN:

Sede de la AEMPS

C/ Campezo nº 1, Edificio 8. 28022, Madrid.

MODALIDAD:

Presencial previa inscripción.

EQUIPO COORDINADOR:

Coordinadores científicos. Dr. Juan Bueren y Dra. Paula Río (CIBER) + Dr. Marcos Timón y Dr. Fernando Méndez (AEMPS).

Coordinadores técnicos: Plataforma de Desarrollo Tecnológico CIBER (Dr. Juan Luque y Beatriz Gómez) + Oficina de Apoyo a la Innovación AEMPS (Dra. Yoana Nuevo).

FECHA:

25 de marzo 2025.

Con la colaboración de:

PROGRAMA

10:30h. Presentación del Proyecto piloto de formación bidireccional en terapia y edición génica. Dr. Juan Luque (CIBER), Beatriz Gómez (CIBER) y Dra. Yoana Nuevo (AEMPS).

Bloque 1. Herramientas de terapia génica y edición génica (CIBER):

11:00 Aproximaciones de edición génica actualmente aplicables a la terapia de enfermedades humanas. Dra. Paula Río, CIEMAT/CIBERER/IIS-FJS, UAM, Madrid.

11:20 Estrategias para el estudio de sitios off target. Dra. Carla Fuster, Uniklinik Freiburg, Alemania.

11:35 Terapias CAR. Dr. Francisco Martín, GENYO.

11:55 Terapias génicas in vivo. Dra. Assumpció Bosch, UAB, Barcelona.

12:15 Discusión y preguntas.

Bloque 2. Procedimientos regulatorios en terapias avanzadas (AEMPS):

12:45 Guías generales de **calidad** aplicables a ensayos clínicos con medicamentos de terapia avanzada. Resaltando aspectos importantes y problemas habituales.

Dr. Pablo de Felipe, División de Productos Biológicos, Terapias Avanzadas y Biotecnología, AEMPS.

13:00 Guías generales de **preclínica** aplicables a ensayos clínicos con medicamentos de terapia avanzada. Resaltando aspectos importantes y problemas habituales.

Dra. Gloria Palomo, Dra. Leire Aguado y Dra. Ainara Elorza. División de Evaluación Preclínica (AEMPS).

13:15 Discusión y preguntas.

13:30 - 14:30 **Comida networking.**

14:40 Presentación de la actividad práctica y distribución de los grupos de trabajo.

Con la colaboración de:

Bloque 3. Seminarios sobre la calidad y preclínica en 3 casos prácticos:

14:45 - 15:30 Abordaje de la calidad en los siguientes casos prácticos:

- **Caso 1:** Terapia génica sistémica con un vector adenoasociado.
Dra. Laura Rodríguez y Dra. Teresa Cejalvo. División de Productos Biológicos, Terapias Avanzadas y Biotecnología, AEMPS.
- **Caso 2:** Terapia ex vivo mediante células CART generadas con vectores lentivirales.
Dra. Raquel Martín y Dr. David Ordóñez. División de Productos Biológicos, Terapias Avanzadas y Biotecnología, AEMPS.
- **Caso 3:** Edición génica ex vivo para eliminación de genes en células madre hematopoyéticas.
Dra. Esther Rincón y Dr. Juan Fernando Martínez. División de Productos Biológicos, Terapias Avanzadas y Biotecnología, AEMPS.

15:30 – 15:40 Reubicación en sala común.

15:40 - 16:25 Abordaje conjunto de la preclínica en los casos prácticos anteriores:

- **Caso 1:** Terapia génica sistémica con un vector adenoasociado.
- **Caso 2:** Terapia ex vivo mediante células CAR T generadas con vectores lentivirales.
- **Caso 3:** Edición génica ex vivo para eliminación de genes en células madre hematopoyéticas.

Dra. Gloria Palomo, Dra. Leire Aguado y Dra. Ainara Elorza. División de Evaluación Preclínica (AEMPS).

16:30 Conclusiones.

16:45 Final del workshop.

Con la colaboración de: