

EDITORIAL

¡Tu historia como Paciente puede cambiar las cosas!

Queridos lectores / lectoras:

Los pacientes y sus familias ya han compartido sus historias con nosotros. Puedes ver una selección de estas historias en nuestra nueva sección 'Historias de Pacientes' de nuestra página web y también en el [Canal YouTube](#) y en [Flickr](#).

¡Participa! ¡Envía tu propia historia con fotos, vídeos y por escrito!. ¡Participa en el [Concurso de Vídeo y Fotografía](#)! Comparte tu historia de lucha, incertidumbres, pena y logros. Cada paciente es único. Las personas con enfermedades raras son personas extraordinarias que tienen mucho que decir cuando comparten con otros su estrategia para llevar una vida normal. Cuenta tu experiencia para conseguir el diagnóstico, sobre cómo manejas tus cuidados diarios, cómo te las arreglas en el colegio, en casa o en el trabajo. Cuéntanos porqué tuviste que cambiarte de casa, dejar de trabajar o consultar a expertos en el extranjero. O simplemente cuéntanos un episodio de tu vida que creas es significativo para otros.

Cuenta tu 'Historia de Paciente' que proporcione ayuda a otros pacientes y familias. Cientos de Historias de Pacientes: una fuente necesaria de auto-ayuda y empoderamiento a otros pacientes y familias para encontrar su propia forma de llevar y tratar la enfermedad. Un buen vídeo o testimonio nos aporta tanto como un buen folleto informativo. Una buena foto o vídeo apela a las emociones más que las palabras.

Contad vuestras Historias de Pacientes para causar un mayor impacto en los políticos. Nosotros, las personas con enfermedades raras, no deberíamos distanciar la comunicación de nuestras emociones. Deberíamos usarlas. Las emociones son el núcleo de los valores humanos, tales como la empatía, el entendimiento y la tolerancia.

Todas las acciones de apoyo que emprende EURORDIS están basadas en las necesidades de los pacientes y familias. Lo hacemos a través de encuestas, consultas internas a miembros, grupos de trabajo o proyectos, además de consultar a las partes interesadas. Este trabajo racional es necesario para crear la credibilidad de nuestro análisis y nuestras propuestas. Sin embargo, el efecto adverso de este proceso colectivo es que al final, nuestro apoyo puede ser incorpóreo, perdiendo así el significado de lo que está en juego para las personas que padecen enfermedades raras. La defensa con hechos capturados en palabras abstractas, cifras o estadísticas no es lo suficientemente bueno. El apoyo es también a personas reales que cuentan su historia.

Cuando apelamos a los políticos para que aprueben políticas sanitarias centradas en los pacientes o pedimos ser integrados en la sociedad (con independencia de nuestras discapacidades), estamos dando al aspecto humano una importancia primordial sobre todas las demás consideraciones. Basamos nuestras recomendaciones de política en los principios de los derechos humanos y la justicia social. Las imágenes son tan importantes como las palabras. Convencer a los políticos, las Historias de Pacientes pueden ser más importantes que informes o documentos de posición, o al menos, un complemento esencial.

Yann Le Cam
Director Ejecutivo

Preparándonos para Polonia

La Conferencia Europea de Enfermedades Raras 2010 en Cracovia

Inscríbete ahora para la Conferencia Europea de Enfermedades Raras 2010 en Cracovia, que tendrá lugar los días 13 al 15 de mayo de 2010. El tema de la conferencia es “De la Política a los Servicios Eficaces para los Pacientes”. ¿Qué esperas de la conferencia? ¿Cuál es el programa? ¿En qué idiomas será? Sigue leyendo para enterarte...

“De la Política a los Servicios Eficaces para los Pacientes” es el tema de la próxima Conferencia Europea de Enfermedades Raras ([CEER](#)), que tendrá lugar los días 14 y 15 mayo 2010 en Cracovia, Polonia. El día 13 mayo, el día anterior a que oficialmente comience la Conferencia, EURORDIS celebrará la Asamblea General. También se celebrarán distintos talleres satélites el día 13 mayo en el mismo lugar, como el 10º Consejo de Alianzas Nacionales, el Taller Anual de Orphanet, y el Taller EuroPlan, que reunirá a autoridades sanitarias de los 27 Estados Miembros.

La bienal Conferencia Europea de Enfermedades Raras está organizada por EURORDIS y sus miembros, con la ayuda del Programa de Salud de la Comisión Europea. Es la conferencia más importante de Europa sobre la política de enfermedades raras y que ha reunido a más de 400 participantes en cada una de las tres últimas conferencias: CEER 2003 París, CEER 2005 Luxemburgo y CEER 2007 Lisboa.

Esta vez, la Universidad Jagiellonian de Cracovia en su impresionante de Auditorio Maximum dará la bienvenida a entre 400 y 600 participantes, procedentes de toda Europa, y del resto del mundo, para debatir los siguientes temas, que son de suma importancia para la comunidad de enfermedades raras:

Tema 1: Estrategias nacionales y planes para las enfermedades raras

Tema 2: Redes de Referencia Europeas y Centros de Especialización para las Enfermedades Raras
Tema 3: De la Ciencia de la mesa de trabajo a la cama
Tema 4: Información y Educación Médica
Tema 5: Escenarios Políticos para las enfermedades raras
Tema 6: La enfermedades raras en Europa Central y del Este
Tema 7: Servicios a los pacientes, familiares y cuidadores
Tema 8: El Comité Europeo de Enfermedades Raras

En general, habrá 24 sesiones diferentes sobre estos 8 temas, con la participación de 100 ponentes y moderadores y disponible en 2 a 5 idiomas (inglés, polaco, alemán, español y francés).

El comité del programa está formado por 6 representantes de pacientes y 7 profesionales sanitarios. Está presidido por Torben Gronnebaek, de [Rare Disorders Denmark](#), y el Prof. Josep Torrent I Farnell, de la Fundacio Dr Robert y miembro del Comité de Medicamentos Huérfanos ([COMP](#)).

‘Esperamos poder reunir a todas las partes interesadas en las enfermedades raras, académicos, profesionales sanitarios, industria, políticos y representantes de pacientes en el evento más importante del calendario europeo de las enfermedades raras,’ dice Torben Gronnebaek. ‘La Conferencia Europea es el único foro que incluye a todas las enfermedades raras de todos los países europeos. Abarca la investigación, el desarrollo de nuevos tratamientos, asistencia sanitaria, asistencia social, información, salud pública y apoyo a nivel nacional, europeo y regional.’

Un año después de la adopción de la [Comunicación de la Comisión sobre las Enfermedades Raras](#) y de la [Recomendación del Consejo para la Acción en el campo de las Enfermedades Raras](#), la CEER 2010 será la oportunidad de destacar el éxito, medir el progreso conseguido hasta la fecha y valorar los principales retos para los próximos años. ‘La CEER 2007 Lisboa trató sobre el diseño político. La CEER 2010 trata de la implementación de esa política,’ comenta Yann Le Cam, Director Ejecutivo de EURORDIS. ‘A lo largo de la Conferencia pondremos de relieve las medidas exitosas para compartir las mejores prácticas. También señalaremos aquellas áreas que necesiten mejores políticas para cumplir los objetivos de los estados miembros con las que se comprometieron cuando adoptaron la Recomendación del Consejo en junio de 2009.’

En la misma línea, la CEER 2010 de Cracovia discutirá importantes cuestiones relativas a la Comunicación de la Comisión y la Recomendación del Consejo, incluyendo la unificación, para su uso en común, del conocimiento y los recursos existentes: el valor añadido de los centros de especialización y las Redes de Referencia Europeas, además de las actividades internacionales de los Centros de especialización y su utilidad para las enfermedades muy raras.

La Conferencia también servirá para debatir sobre las prioridades en investigación y la asignación de los presupuestos, sobre todo cuando se trate

del acceso a medicamentos huérfanos, establecimiento del precio, reembolso y el mejor uso de los fondos para pruebas genéticas. Los participantes conocerán lo que está ocurriendo en investigación traslacional, en concreto en lo referente al Desarrollo de Medicamentos Huérfanos, Planes de Investigación Pediátricos y Terapias Avanzadas. La implicación de los pacientes en ensayos clínicos, en base de datos y registros, también formará parte de los debates.

La CEER será la oportunidad para revelar los recientes y futuros Planes Nacionales y Estrategias para las Enfermedades Raras, comparar medidas, y aprender de aquellos Estados Miembros que han progresado más en este campo.

Será la plataforma para lanzar el nuevo [Comité de Expertos en Enfermedades Raras de UE](#), que va a remplazar al Grupo de Trabajo de Enfermedades Raras de la Comisión Europea. Los participantes podrán reunirse con los miembros de este importante Comité y preguntarles por los planes que tienen para representar a la comunidad de enfermedades raras durante los tres años de mandato.

De acuerdo con el tema “Escenarios Políticos para las Enfermedades Raras”, que promueve el Proyecto POLKA, se organizarán diversos [Juegos Play Decide](#) en sesiones paralelas durante la Conferencia. También habrá una sesión de pósteres sobre proyectos relacionados con los “Servicios a los pacientes, familiares y cuidadores.”

La última sesión estará dedicada a las enfermedades raras en Europa Central y del Este. “La crucial posición de Polonia entre el Este y el Oeste, resulta el escenario ideal para que la CEER aborde la situación de las enfermedades raras en Europa del Este, que va a la zaga comparándolo con la mayoría del resto de Europa,” argumenta François Houyez Director de Política Sanitaria de EURORDIS. “20 años después de la caída del Muro, todavía existen muchos retos en el sector sanitario: mortalidad prematura, menor esperanza de vida, mayor número de enfermedades cardiovasculares, cánceres y otros retos de salud pública. Sin embargo, las enfermedades raras no deben ser olvidadas o dejadas de lado. Las enfermedades raras deben formar parte de las actuales decisiones en política social y sanitaria.”

“EURORDIS ha desarrollado un [Programa de Hermandad de Pacientes](#) para apoyar la participación de 50 a 80 representantes de pacientes de todos los países de Europa Central y del Este hasta Ucrania, Georgia, Armenia, Rusia y Turquía. Este programa significa un gran esfuerzo por reunir a los defensores de pacientes de toda Europa en un momento decisivo en el movimiento internacional de las enfermedades raras,” añade Yann Le Cam.

La CEER 2010 Cracovia forma parte del [Proyecto POLKA](#), que cuenta con la ayuda del Programa de Salud Pública de la DG Sanco y está financiado conjuntamente por CSL Behring, Novartis y Sigma Tau.

Para inscribirse: www.rare-diseases.eu

Las enfermedades raras han de tomarse en serio (ENSERio)

El primer estudio de necesidades sociosanitarias de los afectados de enfermedades raras en España

La Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) ha publicado un estudio que pone de relieve la realidad de las personas con enfermedades raras en España...

El pionero *Estudio sobre situación de Necesidades Sociosanitarias de las personas con Enfermedades Raras en España Estudio ENSERio* ha sido publicado por la Federación Española de Enfermedades Raras ([FEDER](#)). Es un importante Estudio porque traza una clara radiografía de la realidad de las personas afectadas por enfermedades raras en un país europeo.

El Estudio ENSERio ha investigado las experiencias y expectativas de los pacientes respecto al acceso al diagnóstico, tratamiento y servicios sociales. Está basado en entrevistas, grupos de discusión y en una encuesta llevada a cabo a 715 Pacientes de Enfermedades Raras (PER) en España. Confirma que la mayoría de los pacientes con enfermedades raras son huérfanos del sistema sanitario y no están bien integrados en la sociedad.

“El libro proporcionará a cada lector una idea de lo que significa vivir con una enfermedad raras. Es el resultado de un año de trabajo con las asociaciones de pacientes que pertenecen a FEDER que contestaron a nuestras encuestas y participaron en nuestros grupos de discusión en un intento de dilucidar la situación de los pacientes de enfermedades raras en nuestro país,” explica Claudia Delgado, Directora General de FEDER. “Es la primera vez que la perspectiva de los pacientes de enfermedades raras va más allá de la anécdota, al investigar las opiniones basadas en la experiencia de forma cuantitativa. Esperamos que este estudio sea el referente cuando hablemos de la situación de los pacientes de enfermedades raras en España y que sea una poderosa herramienta para determinar la política pública en este campo.”

Entre las conclusiones principales, el documento revela un alto grado de incertidumbre y serios retrasos en el diagnóstico (aunque un grupo de enfermedades raras han progresado en este sentido). En cuanto al tratamiento, muchas de las respuestas afirmaban que no podían acceder a todos los medicamentos recetados, sobre todo si son medicamentos huérfanos o medicamentos de uso compasivo. El estudio también destaca el hecho de que aunque los pacientes de enfermedades raras suelen ser dependientes para llevar a cabo su vida diaria, no se reconoce siempre su dependencia como una discapacidad por falta de conocimiento sobre su

enfermedad. Por lo tanto, hoy en día, en España muchos pacientes de enfermedades raras no reciben ayuda pública por discapacidad y la mayor parte de la ayuda (incluida la ayuda económica) la soporta la familia.

Hallazgos claves del Estudio ENSERio, incluyen:

- Tiempo de espera medio de 5 años para un diagnóstico final, que resulta en falta de ayuda o tratamiento (en 42% de los casos); tratamiento inadecuado (en 27% de los casos) y empeoramiento de la enfermedad (en 28% de los casos).
- Acceso limitado a los medicamentos prescritos.
- 1 de cada 2 PER viajó fuera de su provincia en los últimos 2 años en busca de diagnóstico o tratamiento.
- En la mayoría de los casos el cuidado diario corre a cargo de miembros de la familia sin ningún reconocimiento social.
- Los gastos relacionados con la enfermedad representan hasta el 20% de los ingresos anuales del paciente (no reembolsados por el Estado).
- 1 de cada 3 PER tiene discapacidad social, motora o intelectual que, en más de la mitad de los casos, es discapacitante.
- El 70% están registrados como 'discapacitados' pero sólo un tercio ha recibido ayudas adaptadas a sus necesidades. Su discapacidad no está bien valorada por las autoridades por la falta de conocimiento de la enfermedad.

“Gracias al Estudio ENSERio se conoce y está cuantificada la carga de trabajo y financiera que soportan los pacientes y sus familias,” argumenta el Dr. François Faurisson, Consejero de Investigación Clínica de EURORDIS y la fuerza motora de las encuestas EurordisCare. “Los resultados concuerdan con los que nos encontramos en otros países europeos. Las encuestas de EurordisCare2 revelaron las demoras diagnósticas que padecían muchos pacientes de enfermedades raras y en EurordisCare3 era obvio que los PER tienen serias dificultades para acceder a la asistencia sanitaria y a los servicios sociales que se adaptan a sus necesidades. Queda claro que aunque cada enfermedad rara tiene su propia especificación, las personas con enfermedades raras comparten experiencias similares y afrontan las mismas dificultades.”

Para poder ayudar a cambiar esta situación, FEDER ha puesto en práctica un plan de acción sofisticado que ayuda a las organizaciones de pacientes a usar los hallazgos del Estudio a la hora de concienciar a las autoridades.

El kit de Difusión incluye un informe ejecutivo, cartas preparadas, notas de prensa y presentaciones. Sugiere maneras en que pueden utilizarse estas herramientas, enviándolas a las autoridades locales, organizando campañas por e-mail o convocándoles a reuniones y conferencias.

“El kit de Difusión es una herramienta maravillosa que sirve para que las asociaciones saquen el mayor provecho de los resultados del Estudio ENSERio” explica Rosa Sánchez, Presidenta de FEDER. “Espero que os ayude a luchar y a llevar a cabo iniciativas similares vuestros país.”

Para más información (sólo en español):

[El Estudio ENSERio](#)

[Informe Ejecutivo](#)

[Kit de Difusión](#)

Investigación y Simposio Nikolas

Celebrado cada año desde 1989 en Grecia, el simposio Nikolas es un “comité de expertos” que reúne a padres, pacientes, médicos, investigadores que tienen un único objetivo: encontrar una cura para la histiocitosis, una enfermedad muy rara. Desde su comienzo, la investigación ha hecho grandes progresos pero todo comenzó con dos padres que descubren que su hijo padece una enfermedad rara...

Uno de los más importantes progresos cuando se trata de enfermedades raras es perfilar un sistema de clasificación que puedan usar todos los médicos del mundo como una base de datos común. En 1987, el Grupo de Redacción de la [Sociedad del Histiocito](#) publicó la primera amplia clasificación aceptada de enfermedades histiocíticas, y se establecieron firmes criterios de diagnóstico para estas enfermedades basadas en características clínicas e histiológicas. La [Histiocitosis](#) es un nombre general para un grupo de síndromes que involucran un aumento anormal en el número de células inmunitarias, denominadas histiocitos. Existen tres clases importantes de histiocitosis: histiocitosis de las células de Langerhans (LCH, en inglés), también llamada histiocitosis X, Síndrome de Histiocitosis maligna (ahora conocido como el linfoma de células-T) e Histiocitosis de células no-Langerhans (también conocido como síndrome hemofagocítico).

Cuando se hizo pública esta clasificación, Paul y Elizabeth Kontoyannis, padres de Nikolas diagnosticado de LCH unos años antes, deseaban promover el entendimiento de estas enfermedades enigmáticas y así se juntaron con médicos que tenían mentalidad de investigación y organizaron el primer Simposio Nikolas. “Empezamos por hablar con los mejores médicos de entonces en este campo, el Dr. Pritchard, el Dr. Favara, y el Dr. Chu. Juntos tuvimos la idea de crear una asociación con los mejores científicos, los mejores médicos, padres y pacientes. La palabra "simposio" tiene implícito el significado de amistad y fraternidad. El entorno social y el ambiente del simposio contribuyen a la relación y creación de redes, algo muy importante para las enfermedades raras. Al asociarnos con los mejores científicos e invitarles al primer simposio, conseguimos organizar una red a nivel mundial de contactos científicos y ahora constituyen la ‘Familia’ del Simposio Nikolas. Desde la creación, las reuniones se hacen para utilizar la motivación de los padres para ayudar a los pacientes, la especialización de los médicos que tratan estas enfermedades y para compartir su experiencia,” dice Paul Kontoyannis.

Al principio, los científicos eran reacios a participar en esos encuentros pero los médicos implicados en el proyecto consiguieron convencerles. Un consejo del padre de Nikolas para aquellas organizaciones de pacientes que quieran atraer a científicos interesados en "su" enfermedad: "Los científicos son humanos. Abrazarles. Tienen una vida muy frenética. Ayudarles a sentir que "vuestra" enfermedad es importante. Ser humanos con ellos."

El primer simposio se celebró en 1989 y allí se compartió la experiencia, se expusieron las dificultades que padres y pacientes tienen en la vida diaria y no se anduvieron por las ramas. El Simposio Nikolas estuvo centrado en la investigación y se hizo para descubrir una cura para la LCH. Así el primer tema fue: "LCH – ¿una enfermedad inmunológica? (Identificadas vías para la futura investigación y la importancia de determinar la clonalidad)."

Tres organizaciones trabajan codo con codo para el Simposio y sirven a las tres comunidades (pacientes y familias, investigadores clínicos, médicos): [Artemis](#), la organización griega de pacientes de histiocitosis, la fundación [Histiocytosis Research Trust](#) y el [Simposio Nikolas](#). "La fundación 'Histiocytosis Research Trust' (HR Trust) es una organización británica de padres con las mismas funciones que Artemis. Las tres organizaciones trabajan juntas. La HR Trust también cuenta con un comité científico de primera clase dirigido por el Profesor Beverley cuya principal función es evaluar de forma correcta la propuesta de investigación presentada. Las propuestas de investigación se financian con los esfuerzos comunes de HR Trust y Artemis," dice el Sr.Kontoyannis, presidente de las tres entidades.

Con financiación privada por parte de los padres y pacientes, el Simposio Nikolas ha catalizado la investigación. Las características clínicas y patológicas de la enfermedad se entienden sin duda mejor que en 1989. En 2005, la revista Nature publicó un artículo (entre los autores estaban los Profesores Beverley y Pritchard) explicando cómo se había inducido a la investigación de LCH mediante el Simposio Nikolas. Y el buen trabajo no ha terminado. "En la actualidad estamos financiando un proyecto de investigación llamado: 'Desarrollo de Terapia Génica para la Linfocitosis Hemofagocítica'. El proyecto corre a cargo de los Profesores Bobby Gaspar y Adrian Thrasher, del Instituto de Salud Infantil de la UCL (Londres) y ha sido sometido a investigación por nuestro consejo de evaluación de investigación. El director del Comité Científico de la fundación HR Trust, el Profesor Peter Beverley, ha participado en el establecimiento del comité de revisión de pares. El Profesor Beverley ha reclutado cuatro arbitadores científicos independientes para el comité. Es un programa conjunto de Grecia (Asociación Artemis /Simposio Nikolas), Reino Unido (Histiocytosis Research Trust) y Bélgica ([Langerhans Cell Histiocytose Belgium](#) v.z.w.)". De hecho, el buen trabajo continuará hasta que el lema del Simposio Nikolas se haga realidad: "En busca de una cura racional".

NOTICIAS EN BREVE

VI Conferencia Internacional sobre Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos en Buenos Aires (ICORD 2010)

Un encuentro global de cooperación internacional y políticas de enfermedades raras y medicamentos tendrá lugar en Buenos Aires, Argentina los días 18-20 de marzo, 2010.

La VI [Conferencia Internacional sobre Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos](#) (ICORD 2010) se reunirá por primera vez en el hemisferio sur de acuerdo con los progresos que ha generado la globalización en el desarrollo de actividades relacionadas con la investigación de las enfermedades raras y los productos huérfanos.

Este año, ICORD buscará la implicación de las organizaciones de pacientes en Latinoamérica. Para ello, cuenta con la gran ayuda de la [Fundación GEISER](#), que organiza el evento.

El Director Ejecutivo de EURORDIS Yann Le Cam ha sido nombrado Presidente de este foro único y como tal continuará con los esfuerzos hacia una mayor colaboración internacional.

Toda la información sobre la conferencia se encuentra en la [web de la conferencia ICORD 2010](#).

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Nuevas designaciones Enero 2010

Tratamiento de la asfixia perinatal
2-iminobiotina

Tratamiento del paludismo
Beta-artemeter / lumefantrina (polvo para suspensión oral)

Tratamiento del cáncer de páncreas
Brivudina

Tratamiento de la artritis idiopática juvenil de comienzo sistémico
Givinostat

Tratamiento de la neumonía causada por Pseudomonas aeruginosa serotipo O1
Anticuerpo monoclonal humano contra Pseudomonas aeruginosa serotipo IATS-O1

Tratamiento de la enfermedad de Huntington
Citrato de litio tetrahidrato (en una formulación de micelas inversas)

Tratamiento de la fibrosis pulmonar idiopática

Macitentan

Tratamiento de la hiperfenilalaninemia

Fenilalanina amoníaco-liasa recombinante pegilada

Tratamiento del glioma

Proteína recombinante de fusión constituida por la fracción extracelular del receptor CD95 fusionada a la fracción Fc de la inmunoglobulina humana IgG1

Tratamiento del carcinoma de esófago

Elafina humana recombinante

Tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica

Factor de crecimiento endotelial vascular recombinante humano

Tratamiento del síndrome de Netherton

Inhibidor recombinante de la calicreína

Tratamiento de la leucemia linfocítica crónica

Veltuzumab

Tratamiento de las malformaciones linfáticas congénitas

Células de Streptococcus pyogenes cepa SU tratadas con benzilpenicilina

Nuevas designaciones Febrero 2010

Tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda

Benzamida, 3-(2-imidazo[1,2-b]piridacina-3-iletinil)-4-metil-N-[4-[(4-metil-1-piperacil)metil]-3-(trifluorometil)fenil]

Tratamiento de la leucemia mieloide crónica

Benzamida, 3-(2-imidazo[1,2-b]piridacina-3-iletinil)-4-metil-N-[4-[(4-metil-1-piperacil)metil]-3-(trifluorometil)fenil]

Tratamiento del síndrome de Lesch-Nyhan

Ecopipam

Tratamiento de la polineuropatía desmielinizante inflamatoria crónica

Fingolimod

Tratamiento de la policitemia vera

Givinostat

Tratamiento de la enfermedad de Stargardt

Vector lentivírico que contiene el gen humano ABCA4

Tratamiento del linfoma de Hodgkin

Panobinostat

Tratamiento del linfoma difuso de células B grandes

Dimaleato de pixantrona

Tratamiento de la hemofilia B

Proteína recombinante de fusión que une el factor IX de coagulación humano con la albúmina humana

El tratamiento de la uveitis crónica no infecciosa

Anticuerpo monoclonal humano recombinante contra la interleucina (IL)-17A humana de clase IgG1/k

Tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne

ARN, [P-deoxy-P-(dimetilamina)] (2',3'- dideoxi -2',3'-imino-2',3'-seco) (2'a-5')(C-m5U-C-C-A-A-C-A-m5U-C-A-A-G-G-A-A-G-A-m5U-G-G-C-A-m5Um5U-m5U-C-m5U-A-G), P-[4-[[2-[2-(2- hidroxietoxi)etoxi]etoxi] carbonilo]-1-piperazinilo]-N,N-dimetilaminofosfonamida

Conferencia Europea de Genética Humana 2010

12-15 junio 2010

Gothenburg, Suecia

<https://www.eshg.org/eshg2010.0.html>

14ª Conferencia Internacional sobre la Enfermedad de Behçet

8-10 julio 2010

Londres, Gran Bretaña

<http://www.icbd2010.com/>

Conferencia Internacional Max Appeal sobre el síndrome de delección 22q11.2

29-31 julio 2010

Coventry, RU

www.22qdeletion.com