ÍNDICE

Prólogo	5
<i>Eva Bermejo-Sánchez, Científico Titular, Jefe de Área, Instituto de Investigación de Enfermedades Raras, Instituto de Salud Carlos III.</i>	
Introducción	9
<i>Juan Carrión Tudela, Presidente, FEDER y Fundación FEDER.</i>	
La “Carga” de las enfermedades raras en España.....	17
<i>Verónica Alonso Ferreira, Científico Titular, Instituto de Investigación de Enfermedades Raras, Instituto de Salud Carlos III.</i>	
<i>Manuel Posada de la Paz, Director, Instituto de Investigación de Enfermedades Raras, Instituto de Salud Carlos III.</i>	
Enfermedades raras en España: aspectos regulatorios	35
<i>César Hernández García, Jefe de Departamento de Medicamentos de Uso Humano, Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), Madrid.</i>	
Acceso y financiación de medicamentos para enfermedades raras: ¿precisa de singularidad?.....	57
<i>Juan Manuel Fontanet Sacristán, Gerencia de Armonización Farmacoterapéutica, Área del Medicamento, Servei Català de la Salut (CatSalut).</i>	
<i>Josep Torrent-Farnell, Director del Área del Medicamento, Servei Català de la Salut (Catsalut).</i>	
<i>Caridad Pontes García, Gerente, Armonización Farmacoterapéutica, Área del Medicamento, Servei Català de la Salut (Catsalut).</i>	
Consideraciones económicas de los Medicamentos Huérfanos en España.....	81
<i>Álvaro Hidalgo Vega, Profesor de Teoría Económica y responsable del Área de Fundamentos del Análisis Económico, Universidad de Castilla-La Mancha y; Presidente, Fundación Weber.</i>	
Acceso y utilización de medicamentos para enfermedades raras en el contexto de la farmacia hospitalaria	109
<i>María Dolores Edo Solsona, Farmacéutica especialista, Servicio de Farmacia, Hospital Universitari i Politècnic La Fe.</i>	
<i>José Luis Poveda Andrés, Director del Área Clínica del Medicamento y Jefe de Servicio de Farmacia, Hospital Universitari i Politècnic La Fe.</i>	

La estrategia de enfermedades raras del Sistema Nacional de Salud.....	127
<i>Paloma Casado Durández, Subdirectora General de Calidad e Innovación, Dirección General de Salud Pública, Calidad e Innovación, Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad.</i>	
El abordaje integral de las enfermedades raras.....	145
<i>Encarna Guillén Navarro, ExConsejera de Sanidad de la Región de Murcia y miembro del Comité de Expertos de FEDER. Jefa de Sección de Genética Médica, Servicio de Pediatría, Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca. Instituto Murciano de Investigación Biosanitaria (IMIB-Arrixaca). Universidad de Murcia. CIBERER-ISCIII.</i>	
Pacientes, participación e innovación terapéutica.....	159
<i>Daniel-Aníbal García Diego, Presidente, Federación Española de Hemofilia (FEDHEMO).</i>	
Avances en diagnóstico y terapia en enfermedades raras.....	179
<i>Mónica A. López Rodríguez, Coordinadora, Grupo de Trabajo de Enfermedades Minoritarias de la Sociedad Española de Medicina Interna (SEMI).</i>	
El futuro de la investigación en enfermedades raras en España.....	199
<i>Pablo Daniel Lapunzina Badía, Director Científico del CIBERER, Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras, ISCIII, Madrid, España, e INGEMM, Instituto de Genética Médica y Molecular, IdiPAZ, Hospital Universitario La Paz, Madrid, España.</i>	