



# Terapias avanzadas: del laboratorio al paciente y a la sociedad



**16.Jun - 17.Jun 2022**

**Cód. 004-22**

**Mod.:**

Presencial

**Edición**

2022

**Tipo de actividad**

Curso de Verano

**Fecha**

16.Jun - 17.Jun 2022

**Ubicación**

Palacio Miramar

**Idiomas**

Español

**Validez académica**

20 horas

**DIRECCIÓN**

**Julio Arrizabalaga Aguirreazaldegui**, Biodonostia, Director Científico

**Lorea Blazquez Garcia**, IIS Biodonostia - Investigadora Principal Ramón y Cajal e Ikerbasque

**Comité Organizador**



## Descripción

Las terapias avanzadas son medicamentos altamente innovadores que se basan en el uso de genes (terapia génica), células (terapia celular) o tejidos (ingeniería tisular) para prevenir o tratar diversas enfermedades. Tienen un alto potencial para constituir tratamientos personalizados y están revolucionando la medicina, ya que permiten desarrollar nuevas estrategias terapéuticas para el tratamiento de enfermedades que hasta la fecha no disponen de tratamientos eficaces.

El presente Curso de Verano tiene como finalidad dar una visión global de las terapias avanzadas: qué son y cómo están cambiando y van a cambiar el panorama terapéutico en los próximos años. Se hará un especial hincapié en el ecosistema del País Vasco, qué estrategias se están desarrollando para ser pioneros en este campo.

## Objetivos

Dar una visión global de las terapias avanzadas para el público general y especializado.

Presentar la estrategia que se está desarrollando a nivel nacional y autonómico en el campo de las terapias avanzadas.

Exponer qué terapias avanzadas aprobadas se están aplicando en la actualidad a nivel estatal y autonómico.

Conocer qué terapias avanzadas se están desarrollando en el ámbito de la investigación preclínica y clínica a nivel estatal y autonómico.

Visibilizar el ecosistema tecnológico e industrial del País Vasco en relación al desarrollo de las terapias avanzadas.

Discutir los posibles dilemas éticos que pueden implicar las terapias avanzadas en un futuro.

## Colaboradores específicos del curso



# Programa

16-06-2022

09:00 - 09:30	Inauguración institucional. Orden de intervención:  <b>Gotzone Sagardui Goikoetxea</b>   Gobierno Vasco / Eusko Jaurlaritza - Consejera de Salud <b>Julio Arrizabalaga Aguirreazaldegui</b>   IIS Biodonostia - Director Científico <b>Lorea Blazquez García</b>   Hospital Universitario Donostia e IIS Biodonostia - Investigadora Principal Ramón y Cajal e Ikerbasque <b>Representante de la Fundación Cursos de Verano UPV/EHU</b>
09:30 - 10:00	“La evolución de las Terapias Avanzadas en el Hospital Universitario Donostia / IIS Biodonostia”  <b>Julio Arrizabalaga Aguirreazaldegui</b>   IIS Biodonostia - Director Científico
10:00 - 10:30	“RIS3 y Terapias Avanzadas en el País Vasco”  <b>Ander Izeta Permisán</b>   IIS Biodonostia - Responsable del grupo de Ingeniería de Tejidos
10:30 - 11:00	“Vectores no virales para terapias avanzadas”  <b>Iraida Loinaz</b>   CIDETEC - Directora del Área de Nanomedicina
11:00 - 11:30	Pausa café
11:30 - 13:30	Mesa Redonda: “Terapias avanzadas en oncología y hematología”  Immunoterapia en cáncer  <b>Carlos Panizo</b>   Hospital Universitario Donostia - Jefe de Servicio de Hematología y Hemoterapia  CART cells para tumor solido  <b>Francisco De Asís Palazón García</b>   CIC-Biogune - Responsable del grupo de Inmunoncología  Terapia Génica para la Anemia de Fanconi  <b>Paula Rio Galdo</b>   CIEMAT - Investigadora Principal  La producción de vectores lentivirales para terapia genica  <b>Gurutz Linazasoro Cristobal</b>   ViveBiotech - CEO  El uso de las células madre mesenquimales en la regeneración ósea de pacientes pediátricos.  <b>Clara I. Rodriguez Lopez</b>   IIS Biocruces Bizkaia - Responsable del Grupo Células Madre y Terapia Celular  Apertura de la mesa y moderadora de las preguntas  <b>Sara Arévalo Lobera</b>   Jefa de Unidad de Gestión Clínica de Oncología de Gipuzkoa  Cierre de la mesa y moderadora de las preguntas  <b>Maria Ángeles García Fidalgo</b>   IIS Bioaraba - Directora Científica
13:30 - 15:30	Pausa

15:30 - 17:30

Mesa Redonda: "Terapias avanzadas basadas en el uso de ARN"

Apertura de la mesa y moderadora de las preguntas

**Lorea Blazquez Garcia** | IIS Biodonostia - Investigadora Principal Ramón y Cajal e Ikerbasque (Modera)

Vacunas de ARN para la COVID-19

**Pepe Alcamí Pertejo** | Instituto de Salud Carlos III - Director de la Unidad de Inmunopatología del SIDA

Vacunas de ARN contra el cáncer

**Puri Fortes** | CIMA Universidad de Navarra - Investigadora del Programa de Terapia Génica y Regulación de la Expresión Génica

Terapias de ARN para las enfermedades neuromusculares

**Virginia Arechavala Gomeza** | IIS Biocruces Bizkaia - Responsable del grupo de investigación en Enfermedades Neuromusculares

Advanced RNA therapies in inherited retinal dystrophies

**Alejandro Garanto** | Radboud University Medical Center - Investigador Principal en Desarrollo de Terapias Moleculares para Enfermedades Neurometabólicas y Sensoriales

Cierre de la mesa

**David Otaegui Bichot** | Hospital Universitario Donostia e IIS Biodonostia

---

## 17-06-2022

09:15 - 09:45

"Protonterapia: valor en salud y horizonte 2025-30"

**Felipe Calvo Manuel** | Clínica Universitaria Navarra - Responsable de la Unidad de Protonterapia.

---

09:45 - 10:45

"La edición del genoma: Bases moleculares y dilemas éticos"

**Lluís Montoliú** | Centro Nacional Biotecnología - Investigador del Dpto de Biología Celular y Molecular

---

10:45 - 11:15

Pausa café

---

11:15 - 13:15

Mesa Redonda: "Terapias avanzadas en otras aplicaciones clínicas"

Apertura de la mesa y moderadora

**Lorea Blazquez Garcia** | Hospital Universitario Donostia e IIS Biodonostia - Investigadora Principal Ramón y Cajal e Ikerbasque (Modera)

Terapia génica para enfermedades metabólicas

**Sara Marcó Costa** | Universidad Autónoma de Barcelona - Investigadora Principal del Centro de Biotecnología Animal y Terapia Génica (CBATEG)

Terapias avanzadas en enfermedades neurológicas

**Adolfo López de Munain Arregui** | Hospital Universitario Donostia, IIS Biodonostia, CIBERNED - Jefe Servicio Neurología. Responsable del Área de Neurociencias. Director

científico de CIBERNED

## Terapias avanzadas para enfermedades hepáticas

**Carmen Unzu Ezquerro** | Universidad de Navarra - Investigadora principal del Grupo de Terapia Génica para Enfermedades Hepáticas. Centro de Investigación Médica Aplicada (CIMA)

## Producción de vectores virales AAV para terapias avanzadas

**Javier Garcia Cogorro** | Viralgen vector core - CEO (**Participa via zoom**)

## Cierre de la mesa y moderadora

**Virginia Arechavala Gomeza** | IIS Biocruces Bizkaia - Responsable del grupo de investigación en Enfermedades Neuromusculares

---

13:15 - 13:45

## Cierre

**Itziar Pérez Irazusta** | Organización Sanitaria Integrada Donostialdea - Directora Gerente

**Marian Ibarrondo Unamunzaga** | Departamento de Salud del Gobierno Vasco / Eusko Jaurlaritza - Directora de Investigación e Innovación Sanitaria

**Nekane Murga Eizagaechearria** | Osakidetza - Coordinadora de Medicina Personalizada y de Precisión y Terapias Avanzadas (**Participa via zoom**)

---

## Dirigido por:



### **Julio Arrizabalaga Aguirreazaldegui**

Biodonostia, Director Científico

---

Especialista en Medicina Interna, cursó sus estudios en la UPV finalizando la Licenciatura de Medicina en 1981 y realizando la residencia en el Hospital Donostia entre 1983-87. Tesis doctoral "Historia Natural de la Infección por HTLV-III/LAV en heroinómanos del País Vasco en mayo de 1990". Apto Cum Laude por unanimidad. Diplomatura de Postgrado por la Universidad Autónoma de Barcelona en "Diseño de estudios sanitarios y estadística en Ciencias de la Salud". 1994-1997. Pertenece al Consejo editorial de la Revista Enfermedades Infecciosas y Microbiología Clínica desde 2004 hasta la actualidad. Ha sido miembro de juntas directivas de su especialidad tanto a nivel regional (Presidente SEINORTE 2001-2002) como nacional (Vocal GESIDA 1994-2000, y Vocal SEIMC 2002-2006). Miembro de Comités Científicos o/y Organizadores en Congresos y Reuniones tanto nacionales como internacionales (Internacional AIDS Conferences: Durban 2000, Barcelona 2002, Bangkok 2004).



### **Lorea Blazquez Garcia**

IIS Biodonostia - Investigadora Principal Ramón y Cajal e Ikerbasque

---

La Dra. Lorea Blázquez es investigadora principal del Área de Neurociencias en el Instituto de Investigación Sanitaria Biodonostia. Dirige el laboratorio "Procesamiento y terapias de ARN" (<https://www.rnatherapeuticslab.info>), centrado en el estudio del ARN para el desarrollo de nuevas estrategias diagnósticas y terapéuticas en diversas enfermedades humanas. Doctora en Genética por la UPV/EHU, durante su tesis caracterizó mutaciones no codificantes y desarrolló ARNs antisentido como una estrategia terapéutica en un trastorno neuromuscular. Posteriormente, se incorporó al grupo de la Dr. Fortes en el CIMA, donde utilizó métodos de silenciamiento génico basados en ARNs pequeños en modelos celulares y de ratón. En 2014, gracias a una beca Intra-Europea Marie Curie, se incorporó al grupo del Prof. Jernej Ule, primero en el Instituto de Neurología de la UCL y después en el Francis Crick de Londres, donde combinó herramientas de secuenciación y bioinformática para estudiar el procesamiento del ARN en el cerebro y su regulación por las proteínas de unión al ARN. En agosto de 2020, se incorporó a Biodonostia, financiada por los programas Ramón y Cajal e Ikerbasque Research Fellow, para establecer una línea de investigación independiente

## Profesorado



### Pepe Alcamí Pertejo

Universidad Autónoma de Madrid

---

Licenciado en Medicina por la Universidad Autónoma y Doctor en Medicina por la Universidad Complutense de Madrid. Realizó su especialidad en Medicina Interna y posteriormente se formó en Inmunología. Posteriormente, fue investigador asociado en la Unidad de Inmunología Viral del Instituto Pasteur. Actualmente, dirige la Unidad de Inmunopatología del SIDA en el Centro Nacional de Microbiología, que agrupa 20 investigadores y desarrolla líneas de investigación sobre los mecanismos patogénicos del VIH y la búsqueda de nuevos fármacos y vacunas. Es coordinador de la Red Española de Investigación en SIDA y participa en redes europeas de excelencia para el desarrollo de nuevas vacunas y fármacos frente al VIH/SIDA. Desde el año 2019 ejerce la Dirección Científica de la Unidad VIH en el Hospital Clinic de Barcelona. En 2020 dirigió el grupo de Análisis Científico de Coronavirus del Instituto de Salud Carlos III. Durante la pandemia su laboratorio estudió los anticuerpos inducidos por las vacunas frente a SARS-CoV-2. Es autor de más de 200 artículos indexados y más de 80 capítulos en libros y realiza una tarea importante como divulgador científico a través de Twitter @pepealcamí y YouTube en su canal "El maletín del Dr Pepe).



### Virginia Arechavala Gomeza

Instituto de Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, Jefa de Grupo, Grupo Enfermedades Neuromusculares

---

Es profesora Ikerbasque en el Instituto de Investigación Sanitaria Biocruces. Licenciada en Farmacia por la Universidad del País Vasco, realizó un Master en Immunofarmacología en la Universidad de Strathclyde en Glasgow y completó su tesis doctoral en King's College London, donde estudió el papel del gen SOD1 en la esclerosis lateral amiotrófica (ELA). Realizó estancias postdoctorales en Imperial College y University College London, donde participó en el desarrollo preclínico y los primeros ensayos clínicos de Eteplirsén, un oligonucleótido antisentido aprobado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne. Su mayor interés como responsable del grupo de Enfermedades Neuromusculares en Biocruces es el desarrollo de métodos sensibles para la evaluación de nuevas terapias como las moléculas de ARN para estas enfermedades. Además, es coordinadora de la Acción DARTER COST, desde donde promueve una mejora en la distribución de las terapias de ARN a sus tejidos diana.



### Sara Arévalo Lobera

HOSPITAL UNIVERSITARIO DONOSTIA

---



Licenciada en Medicina por la Universidad Autónoma de Madrid en el año 2000. Especialista en Oncología Médica desde 2005. Médico Adjunto de Oncología Médica en Hospital Universitario Donostia (OSI Donostialdea) desde 2005 con dedicación específica a los tumores digestivos y el cáncer hereditario. Responsable de la Unidad de Consejo Genético en Cáncer Hereditario en el Instituto Donostia de Oncohematología (IDOH, Hospital Universitario Donostia, OSI Donostialdea). Miembro del Grupo de Cáncer Hereditario de la Sociedad Española de Oncología Médica (SEOM). Miembro del Grupo Español de Tumores Digestivos (TTD). Miembro de los siguientes comités en el Hospital Universitario Donostia: - Comité de Innovación. - Comité de Genética. - Comité de Tumores Hepatobiliopancreáticos. - Comité de Tumores Colorrectales. - Comité de Tumores Gastroesofágicos. Actividad investigadora relacionada con ensayos clínicos e investigación básica centrada en cáncer de páncreas y cáncer hereditario.



### **Felipe Calvo Manuel**

---

El Dr. Calvo es especialista en Oncología radioterápica, Doctor en Medicina y Catedrático de Oncología de las universidades Complutense (en excedencia) y Navarra (en activo). Formado en el Hospital Universitario Puerta de Hierro, el Royal Marsden Hospital (Londres) y el Hahnemann University Hospital en Filadelfia. Ha sido director del Servicio de Oncología Radioterápica de la Clínica Universidad de Navarra y Jefe del Departamento de Oncología del Hospital Gregorio Marañón de Madrid. Desde 2019, es director del Departamento de Oncología de la Clínica Universidad de Navarra y Director Científico de la Unidad de Terapia de Protones en el campus de Madrid. Tiene 6 sexenios investigación y es autor de > 400 publicaciones científicas. Es miembro del Comité Científico de la European School of Oncology, Presidente Fundador de la Escuela Española de Oncología Radioterápica y Académico correspondiente de la Real Academia Nacional de Medicina. Durante su carrera ha recibido numerosos premios como la medalla Emmanuel van der Scheuren (2011), el Lifetime Achievement Award (2021) de la Sociedad Europea y Americana de Oncología Radioterapia respectivamente, y la Medalla de Oro de la Sociedad Española de Oncología Radioterapia.



### **Puri Fortes**

---

Licenciada en Ciencias Biológicas por la Universidad de Navarra (1990) y doctora en Ciencias por la Universidad Autónoma de Madrid (1994). Ha realizado estancias de investigación en el EMBL (Heidelberg). Desde 1999, es investigadora principal en la Universidad de Navarra y desde 2004 del CIMA Universidad de Navarra. Su línea de investigación se centra en (i) la identificación y análisis de RNAs largos no codificantes relacionados con el carcinoma hepatocelular y la infección con virus de la hepatitis B, (ii) la selección de RNAs funcionales para la regulación de la expresión génica y (iii) el estudio de los microRNAs y su aplicación en terapia génica. Es co-inventora de 4 patentes, ha participado en un ensayo clínico y más de 35 proyectos de investigación, siendo investigadora principal en 16 de ellos. Ha dirigido 9 tesis doctorales, 3 reconocidas con el Premios extraordinario de Doctorado de la Universidad de Navarra. Ha colaborado en la redacción de varios libros y ha participado en la publicación de más de 75 artículos científicos en revistas internacionales y en más de 150

comunicaciones a congresos nacionales/internacionales. Durante su carrera, ha participado en varios acuerdos con empresas para desarrollo y co-desarrollo.



## **Alejandro Garanto**

---

El Dr. Alejandro (Alex) Garanto es profesor asociado y jefe de grupo en los Departamentos de Pediatría y Genética Humana del hospital universitario Radboudumc en Nimega (Países Bajos). El Dr. Garanto se doctoró en 2011 por la Universidad de Barcelona, y tras una estancia postdoctoral en la misma universidad, se trasladó a Nimega para trabajar junto al Dr. Collin en el diseño y caracterización de oligonucleótidos antisentido (AONs) para distrofias hereditarias de la retina (DHR). Su primera diana terapéutica fue una mutación intrónica en el gen CEP290, y parte de este trabajo condujo a un ensayo clínico que se encuentra actualmente en fase 3. Además, junto con otros colaboradores, ha expandido el uso de AONs para otros genes causantes de DHR. Especialmente, para el gen ABCA4, en el que más de 25 mutaciones intrónicas patogénicas han sido identificadas y corregidas mediante el uso de AONs. Algunas de estas moléculas se encuentran en las últimas fases de caracterización antes de iniciar los correspondientes ensayos clínicos. Desde 2020, Alex es jefe de grupo, y su investigación se centra en el desarrollo de terapias moleculares, principalmente usando terapias basadas en ARN, para enfermedades neurometabólicas y sensoriales.



## **Javier Garcia Cogorro**

Director General y Socio de Columbus Venture Partners

---

Lcdo. Matemáticas por la Univ. Complutense de Madrid. MBA por ICADE. Experiencia en inversión de capital riesgo y en inversiones de empresas privadas del sector biofarmacéutico, ciencias de la vida y tecnologías médicas. Consejero de admon. de Artax Biopharma, Bioncotech e Inveready Biotech II y de la Alianza Nacional para la Salud de los Hispanos y la Fundación de Salud de las Américas. Inversor fundador y consejero admon. de Aura Biosciences. Trabajó en Eli Lilly. Ocupó puestos de gestión en el ámbito de TIC y desarrollo empresarial. Trabajó en desarrollo empresarial de unidad de negocio de BioMedicines, consiguiendo acuerdos de licencia de la cartera de fármacos contra enfermedades autoinmunes de Incyte, licencia de la solución de testosterona Axiron, adquisición de Alnara, compra de Cymbalta a Boeringher Ingleheim para recuperar el fármaco y la adquisición de Amyvid. Condujo a Lilly al 1º cierre de fondo de 140 millones con TVM con Lilly como socio comanditario estratégico.



## **Maria Ángeles García Fidalgo**

Bioaraba Osakidetza

---

Licenciada en Ciencias Físicas por la Universidad de Zaragoza y especialista en Radiofísica Hospitalaria, su formación en gestión sigue el “Modelo de Gestión Avanzada” de Euskalit y “Competencias Avanzadas en Gestión Sanitaria” de Osakidetza. La Dra. García Fidalgo comenzó su carrera profesional en el Ente Público en 1994. Desde 2012 ha ocupado el cargo de Jefa de Servicio de Física Médica y Protección

Radiológica del Hospital Universitario Araba. Además de formar parte de la Comisión de Innovación y de la Comisión de Garantía de Calidad en Radioterapia de la OSI Araba, es, desde 2015, Vocal del Comité Director de la Estrategia de Seguridad del Paciente de Osakidetza. En su trayectoria en investigación, M<sup>a</sup> Ángeles García Fidalgo ha sido investigadora principal en varios proyectos, del que destaca el "Desarrollo del KIT Biopsia guiada por imagen". El proyecto ha recibido numerosos premios, entre ellos el MIT Fipse Medical Innovation y el Prize Winner Internacional del Quality Innovation Award en 2017. Colaboradora en la realización de distintos libros, documentos y guías clínicas, es también evaluadora "Faculty" de Proyectos de Innovación en Salud para la selección de proyectos que participan en el Programa Idea2 Global del MIT.



---

### **Marian Ibarrodo Unamunzaga**

Marian Ibarrodo es directora de Investigación e Innovación Sanitaria del Departamento de Salud del Gobierno Vasco. Licenciada en Ciencias Biológicas por la Universidad del País Vasco (UPV), ha ocupado cargos como responsable de 'Invertir en el País Vasco' en la Agencia vasca de desarrollo empresarial (SPRI), directora de Innovación en el Parque Tecnológico de Vizcaya y directora de Marketing en el Centro Tecnológico GAIKER. Al frente del Departamento de Investigación e Innovación Sanitaria, Ibarrodo es responsable de "programar la política de investigación e innovación en materia de salud, así como la determinación de sus prioridades, y, asimismo, el impulso de la realización de proyectos de I+D+I".



### **Ander Izeta Permisán**

IIS Biodonostia

---

Obtuvo su Doctorado en Biología (2000) por la Universidad Autónoma de Madrid. Actual Presidente Electo de la Sociedad Española de Terapia Génica y Celular (SETGyC), lidera el Grupo de Ingeniería Tisular del Instituto de Investigación Sanitaria Biodonostia (2010). Desde 2021 dirige la Unidad de Terapias Avanzadas de la OSI Donostialdea - Hospital Universitario de Donostia (Donostia-San Sebastián), unidad de referencia en terapias con células CAR-T para el País Vasco. Su investigación se centra en la biología de células madre adultas, la regeneración de tejidos y la bioimpresión 3D.



---

### **Gurutz Linazasoro Cristobal**

Neurólogo. Fundador y presidente ejecutivo de VIVE bioTECH SL. Director del Programa de Terapias Avanzadas en Parkinson y Alzheimer en Policlínica Gipuzkoa. Miembro de la Junta Directiva de ASEBIO y del Basque Health Cluster. Ha publicado más de 150 artículos científicos y 6 libros. Ha participado como investigador principal en más de 60 ensayos clínicos. Ha recibido en 3 ocasiones el Premio Parkinson España y el Premio de Investigación Científica en Parkinson 2009. Galardonado con el Premio Korta 2021 por el Gobierno Vasco. Colabora en "El Diario Vasco" con la sección "El árbol de la Ciencia".



---

### **Iraida Loinaz**

La Dra. Iraida Loinaz es licenciada en química y doctora en Química Orgánica por la Universidad del País Vasco. Actualmente es directora de CIDETEC Nanomedicina y colabora como investigadora

asociada al IIS Biodonostia. Ha centrado su carrera en la síntesis y caracterización de biomateriales, con especial atención al desarrollo de sistemas de liberación de fármacos, hidrogeles y superficies bioactivas. La Dra. Loinaz es inventora de ocho patentes, ha publicado más de 40 artículos científicos y ha coordinado 3 proyectos financiados por la UE. En los últimos años, se ha centrado en los procesos de innovación en el CIDETEC y ha participado activamente en la creación de dos empresas de nueva creación.



## **Adolfo López de Munain Arregui**

Hospital Universitario Donostia, JEFE DE SECCIÓN NEUROLOGÍA

---

Jefe del Servicio de Neurología del Hospital Donostia, Profesor Asociado del Departamento de Neurociencias de la Facultad de Medicina de la UPV/EHU y director del área de Neurociencias en Biodonostia. También es investigador principal y actual Director del Centro de Investigación Biomédica en Red sobre Enfermedades Neurodegenerativas (CIBERNED) y Director del Nodo de Donostia del Banco Vasco de Tejidos y ADN. El Dr. López de Munain combina su actividad clínica con la actividad investigadora. Su línea principal se centra en las enfermedades Neuromusculares y participa activamente en el diseño e implementación de otras líneas de investigación clínica y molecular en enfermedades neurodegenerativas. Ha supervisado a 20 estudiantes de doctorado, es autor de más de 300 artículos y 40 capítulos de libros, ha participado en 11 ensayos clínicos diferentes y ha licenciado 6 patentes. Además, es miembro activo de la Asociación Española de Genética Humana, la World Muscle Society y de la Sociedad de Estudios Vascos. También es miembro de las redes de investigación en Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA) y demencia REDELA, ALGESCO y DEGESCO, de la Asociación de Miastenia y de la Fundación LUZON.



## **Sara Marcó Costa**

---

Licenciada en Biotecnología por la Universitat Autònoma de Barcelona. Tras cursar el máster en Bioquímica, Biología Molecular y Biomedicina, realizó el doctorado en la misma especialidad desarrollando una aproximación de terapia génica basada en el uso de vectores adeno-asociados (AAV) para el tratamiento de la mucopolisacaridosis tipo IIIA (MPSIIIA), para el cual recibió el Premio extraordinario de doctorado (2015) y el XIV Premio de Investigación de la Fundació Dr. Esteve. Actualmente, trabaja como investigadora en el grupo de la Dra. Fàtima Bosch en el Centro de Biotecnología Animal y Terapia Génica, centrado en el estudio y desarrollo de aproximaciones de terapia génica usando vectores AAV para enfermedades metabólicas y neurodegenerativas raras o de alta prevalencia. Ha participado activamente en el proyecto público-privado entre la UAB i Esteve Pharmaceuticals, SA, a partir del cual cuatro productos de terapia génica han recibido la designación de medicamento huérfano por la EMA y la FDA. Recientemente, la aproximación de terapia génica para el tratamiento de la MPSIIIA está en ensayo clínico Fase I/II. Es miembro de las Sociedad de Terapia Genica y Celular americana y europea.



## **Lluís Montoliú**

---

Lluís Montoliú (Barcelona, 1963) es Licenciado y Doctor en Biología por la Universidad de Barcelona, investigador del Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC) y del Centro de Investigaciones Biomédicas en Red en Enfermedades Raras (CIBERER-Instituto de Salud Carlos III) en el Centro Nacional de Biotecnología en Madrid, del que es Vicedirector. Es el Director del nodo español del archivo europeo de ratones mutantes (EMMA/INFRAFRONTIER). Es profesor honorífico de la Universidad Complutense de Madrid. Ha trabajado en Barcelona, Heidelberg (Alemania) y Madrid. Investiga sobre enfermedades raras, como el albinismo, usando modelos animales (ratones) modificados genéticamente con las herramientas CRISPR de edición genética, de cuyo uso fue pionero en España. Ha sido miembro y Presidente del Comité de Ética del CSIC. Actualmente es el asesor de Presidencia del CSIC en temas de ética y de Science Europe. Ha fundado y presidido diversas sociedades científicas. Preside actualmente ESPCR y ARRIGE. Ha recibido numerosos premios por sus investigaciones y actividad divulgadora.



## **Nekane Murga Eizagaechearria**

---

Licenciada en Medicina y Cirugía por la Universidad del País Vasco, Doctora en Medicina, obteniendo premio mejor tesis doctoral ciencias de la salud ese año. Especialista en cardiología. Durante más de dos décadas ejerció la medicina en el Hospital Universitario de Basurto, Jefe de Sección. Entre 2007 y 2011 fue presidenta de la sección de Cardiología Clínica en la Sociedad Española de Cardiología (SEC), donde fue coordinadora nacional de grupo de Mujeres en Cardiología,. Vocal del Comité Ético y de Investigación del País Vasco. Desde 2013 imparte clases en la Universidad del País Vasco como profesora asociada al departamento de Medicina. En 2017 fue nombrada Directora de Planificación, Ordenación y Evaluación Sanitarias del Departamento de Salud del Gobierno Vasco. En 2019 pasó a ocupar la Consejería de Salud del Gobierno Vasco hasta 2020. Desde abril de 2021, es coordinadora de Medicina Personalizada y Terapias Avanzadas del Servicio Vasco de Salud (Osakidetza).



## **David Otaegui Bichot**

---

La trayectoria científica de David empezó con el estudio de las mutaciones y los polimorfismos genéticos y su relación con la esclerosis múltiple. Esta aproximación a la relación entre el porqué y el cómo le ha llevado a centrarse en el campo de la expresión génica y su regulación mediante mecanismos

epigenéticos (microRNA y otros RNA no codificantes) dirigiendo su investigación a una visión holística (en red) de la complejidad de la regulación y su implicación en la enfermedad, en concreto a través de las vesículas extracelulares, la relación de la microbiota con el sistema inmune, el cerebro y la remielinización. Desde 2007 dirige el grupo de investigación en esclerosis múltiple del Instituto Biodonostia. Es autor de más de 70 publicaciones científicas, 6 capítulos de libro, ha dirigido 8 tesis doctorales y es inventor en tres patentes. Está interesado en la divulgación de la ciencia y de los resultados científicos a la sociedad.



## **Francisco De Asís Palazón Garcia**

---

Asís Palazón es farmacéutico y bioquímico por la Universidad de Navarra. Su tesis doctoral en 2012, dirigida por el Prof. Ignacio Melero, contribuyó a la comprensión del mecanismo de acción de los anticuerpos terapéuticos agonistas anti-CD137, los enfoques combinatorios y la influencia de la oxigenación del tumor en la eficacia de las inmunoterapias. En 2012, se unió al laboratorio del Prof. Randall Johnson en la Universidad de Cambridge apoyado por una beca intraeuropea Marie Curie, con el objetivo de estudiar el papel de la hipoxia en las respuestas inmunes en el cáncer. En 2017, se incorporó a Medimmune (Cambridge, Reino Unido), contribuyendo a una serie de actividades preclínicas desde la identificación de dianas hasta la solicitud de IND en el campo de la inmuno-oncología. A principios de 2019, Asís se unió a CICbiogune como investigador principal donde lidera el laboratorio de inmunología e inmunoterapia del cáncer apoyado por una subvención ERC Starting (2018). El laboratorio tiene un enfoque central en la inmuno-oncología, específicamente en el descubrimiento de dianas y el desarrollo de fármacos, para explotar varias oportunidades que la vía de la hipoxia en las células T ofrece para el tratamiento del cáncer.



## **Carlos Panizo**

---

El Dr. Carlos Panizo realizó los estudios de Medicina y Cirugía en la Universidad de Navarra, y posteriormente los estudios de doctorado alcanzando los grados de licenciado y doctor en 1992 y 1998, respectivamente. En 2009 logró el reconocimiento por la ANECA como Profesor Contratado Doctor, y en 2012 el reconocimiento como Profesor Titular. Es Master en Dirección de Unidades Clínicas por la Universidad de Murcia e Instituto para la Mejora de la Asistencia Sanitaria. Ocupa en la actualidad el puesto de Secretario de la Asociación Vasco Navarra de Hematología (ASOVASNA), es miembro de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) y también pertenece al grupo de tratamiento de linfomas agresivos de GELTAMO. En la actualidad, ejerce sus funciones en el Servicio de Hematología del Hospital Universitario Donostia.



## **Itziar Pérez Irazusta**

OSI DONOSTIALDEA

---

La Dra. Perez-Irazusta ha sido médico de Urgencias en el Hospital Universitario Donostia (1998-2001) y técnico de la Unidad Docente de Medicina Familiar Y Comunitaria (MFyC) de Guipuzcoa (2001-2009). En 2009 fue nombrada directora médica de la OSI Bidasoa (2009-2012) y posterior Directora Gerente (2012-2019). Desde 2019 es la Directora Gerente de la OSI Donostialdea.



Licenciada en Ciencias Biológicas por la Universidad de Navarra (1990) y doctora en Ciencias por la Universidad Autónoma de Madrid (1994). Ha realizado estancias de investigación en el EMBL (Heidelberg). Desde 1999, es investigadora principal en la Universidad de Navarra y desde 2004 del CIMA Universidad de Navarra. Su línea de investigación se centra en (i) la identificación y análisis de RNAs largos no codificantes relacionados con el carcinoma hepatocelular y la infección con virus de la hepatitis B, (ii) la selección de RNAs funcionales para la regulación de la expresión génica y (iii) el estudio de los microRNAs y su aplicación en terapia génica. Es co-inventora de 4 patentes, ha participado en un ensayo clínico y más de 35 proyectos de investigación, siendo investigadora principal en 16 de ellos. Ha dirigido 9 tesis doctorales, 3 reconocidas con el Premio extraordinario de Doctorado de la Universidad de Navarra. Ha colaborado en la redacción de varios libros y ha participado en la publicación de más de 75 artículos científicos en revistas internacionales y en más de 150 comunicaciones a congresos nacionales/internacionales. Durante su carrera, ha participado en varios acuerdos con empresas para desarrollo y co-desarrollo.



### Clara I. Rodríguez Lopez

IIS Biocruces Bizkaia

---

La doctora Clara I. Rodríguez lidera el grupo de Células Madre y Terapia Celular del Instituto de Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia (Bilbao). Es doctora en Ciencias Biológicas por la Universidad Autónoma de Madrid (Centro de Biología Molecular Severo Ochoa) y continuó su formación postdoctoral durante 5 años en el National Cancer Institute, NIH, USA. Posteriormente realizó una breve estancia como investigadora en el Centro de Investigación Príncipe Felipe (Valencia). A continuación, inició su propio grupo de investigación en el Hospital Universitario Cruces (Bilbao), con un contrato de Investigador “Miguel Servet” (ISCIII) y fue distinguida con “Marie Curie International Reintegration Grant” por la Unión Europea. En la actualidad, lidera el Grupo de Células Madre y Terapia Celular del Instituto de Investigación Sanitaria Biocruces Bizkaia, el cual centra su actividad en el potencial de las células madre humanas para el estudio de la etiopatogenia de enfermedades y el desarrollo de nuevas estrategias terapéuticas. Es la investigadora principal del ensayo clínico nacional, multicéntrico e independiente de terapia celular (código:TERCELOI).



### Carmen Unzu Ezquerro

---

Carmen Unzu es doctora en Bioquímica por la Universidad de Navarra, donde se especializó en el desarrollo de vectores no integrativos para tratar enfermedades genéticas hepáticas. Durante su etapa postdoctoral en EPFL-UNIGE (Suiza), enfocó su trabajo en optimizar las terapias avanzadas ex vivo para enfermedades de hígado combinando vectores lentivirales con iPSC y desarrolló un protocolo nuevo para la expansión de progenitores hepáticos. Después, se incorporó al Grousbeck Gene Therapy Center, afiliado a Harvard Medical School (USA), para trabajar en la validación y nuevas aplicaciones de librerías sintéticas de vectores AAV. Durante los últimos tres años, la Dra. Unzu ha coordinado los programas preclínicos de terapia génica de hígado de la empresa biotecnológica Apic Bio (Cambridge, USA). En 2022, Carmen Unzu se incorporó al departamento de Terapia Génica del CIMA como Investigadora, donde estudia la inmunogenicidad de vectores AAV y explora nuevas estrategias para aumentar su seguridad para su uso en terapias avanzadas

# Precios matrícula

<b>PRESENCIAL</b>	<b>HASTA 16-06-2022</b>
General	80,00 EUR
<a href="#">Matrícula reducida general</a>	68,00 EUR
<a href="#">Exención de matrícula</a>	56,00 EUR
<a href="#">La Salud, un Compromiso con las Personas</a>	20,00 EUR
<a href="#">INVITADOS OSAKIDETZA</a>	0 EUR



# **Lugar**

## **Palacio Miramar**

Pº de Miraconcha nº 48. Donostia / San Sebastián

Gipuzkoa