

## 3<sup>er</sup> FORO DE PACIENTES CON PKD / 3<sup>rd</sup> PKD PATIENTS FORUM

Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (Avenida Menéndez Pelayo, 65. Madrid)  
Madrid, 29 de mayo de 2019 / Madrid, May 29<sup>th</sup>, 2019

*Traducción simultánea disponible / On-line language translation available*

- 10:45 **Bienvenida / Welcome**  
Jose-Carlos Segovia (CIEMAT/CIBERER–IIS-FJD, Madrid); Jose-Luis López-Lorenzo (FJD, Madrid); Julián Sevilla (HIUNJ, Madrid); Juan Bueren (CIEMAT/CIBERER, Madrid); Jonathan Schwartz (Rocket Pharma, USA)
- 11:00 **La enfermedad y su tratamiento / PKD disease and its treatment**  
Julián Sevilla, MD PhD, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús
- 11:30 **PKD en Europa / PKD in Europe**  
Paola Bianchi, PhD, Ospedale Maggiore Policlinico, Italy
- 11:50 **PKD en España / PKD in Spain**  
Marta Morado, Madrid. Spain
- 12:10 **PAUSA CAFÉ / COFFEE BREAK**
- 12:30 **Transplante autólogo de progenitores hematopoyéticos / Autologous Hematopoietic Progenitor's Transplant**  
José-Luis López-Lorenzo, MD, Fundación Jiménez Díaz, Madrid
- 13:00 **Ensayo clínico de terapia génica para la Beta-Talasemia / Gene Therapy Clinical Trial for Beta-Thalassemia**  
Giuliana Ferrari, MD PhD, HSR-TIGET. Milan. Italy
- 13:30 **Estudios preclínicos para el tratamiento de PKD mediante terapia génica / Preclinical Studies for the treatment of PKD by Gene Therapy**  
Susana Navarro, PhD, CIEMAT/CIBERER–IIS-FJD, Madrid, Spain
- 14:00 **COMIDA / LUNCH BREAK**
- 15:00 **Ensayo clínico de terapia génica para PKD / Gene Therapy Clinical Trial for PKD**  
Jose-Carlos Segovia, PhD, CIEMAT/CIBERER – IIS-FJD, Madrid, Spain

Free attendance upon registration. To register please contact Antonio Cantarell ([antonio.cantarell@ciberisciii.es](mailto:antonio.cantarell@ciberisciii.es))

Additional contacts:

José Carlos Segovia ([jc.segovia@ciemat.es](mailto:jc.segovia@ciemat.es)); Jonathan Schwartz ([js@rocketpharma.com](mailto:js@rocketpharma.com))



- 15:30 **La experiencia desde el paciente / The patient's experience**  
Patient or patient relative short talk
- 15:50 **Iniciativa de Rocket Pharma para apoyar el ensayo clínico de terapia génica PKD / Rocket Pharma initiative to support PKD gene therapy clinical trial**  
Jonathan Schwartz, MD, Rocket Pharmaceuticals. New York. USA
- 16:10 **CONCLUSIONES / DISCUSSION**
- 17:00 **FIN DEL FORO Y REFRIGERIO / END OF PATIENT FORUM AND REFRESHMENT**

#PKDAY3



Free attendance upon reservation. To register please contact Antonio Cantarell ([antonio.cantarell@ciberisciii.es](mailto:antonio.cantarell@ciberisciii.es))

Additional contacts:

José Carlos Segovia ([jc.segovia@ciemat.es](mailto:jc.segovia@ciemat.es)); Jonathan Schwartz ([js@rocketpharma.com](mailto:js@rocketpharma.com))