ICUFOR
Cursos de Formación Permanente Universitaria

Curso de Formación Permanente

Medicamentos Huérfanos y Medicamentos de Terapia Avanzada: Fundamentos para Profesionales Sanitarios

5 ECTS | 125 horas | Online, a tu ritmo

Formación acreditada por
Universidad de Vitoria-Gasteiz EUNEIZ



Acerca de ICUFOR

ICUFOR es un centro privado de formación online, Centro Acreditado y Autorizado por la Universidad EUNEIZ de Vitoria-Gasteiz. Diseñamos e impartimos Cursos de Formación Permanente universitarios, pensados para la actualización y la especialización de profesionales en activo.

Nuestros cursos se estudian a tu ritmo en un campus virtual propio y terminan con el diploma de la Universidad EUNEIZ y con certificados de ICUFOR verificables.

Centro acreditado
Universidad EUNEIZ

100 % online
Campus virtual propio

Equipo docente
Disponible todo el curso



Metodología de estudio

Campus virtual propio
Estudias desde cualquier lugar y dispositivo, sin horarios.

Aprendizaje autónomo, pero acompañado
Tú marcas el ritmo y nuestro equipo de docentes resuelve tus dudas y orienta tu estudio.

Contenido del curso en PDF
El material principal, para estudiarlo a fondo, tema a tema.

Abstract de cada tema
Su síntesis, para situarte al empezar y repasar al final.

Presentación con los aspectos clave
Lo esencial de cada bloque, para jerarquizar y fijar.

Cuestionarios de evaluación
De respuesta múltiple, uno por tema.



Campus virtual

Mis cursos
Tu progreso y el siguiente tema por estudiar

Materiales
Contenido en PDF, Abstract y presentación con los aspectos clave

Cuestionarios de evaluación
Tu nota y la revisión de tus respuestas

Equipo docente
Consulta por escrito, chat y asesor de IA a cualquier hora

Secretaría
Certificados en PDF con código de verificación

Pagos y facturas
Descarga de facturas en PDF



Presentación del programa



Curso de Formación Permanente en Medicamentos Huérfanos y Medicamentos de Terapia Avanzada: Fundamentos para Profesionales Sanitarios de ICUFOR te ofrece una oportunidad única para adentrarte en uno de los campos más innovadores y desafiantes de la biomedicina actual. Las enfermedades raras afectan a millones de personas en todo el mundo, y los avances en terapias génicas, celulares y de ingeniería tisular están transformando el panorama terapéutico de manera revolucionaria.

A lo largo de esta formación, explorarás desde la epidemiología y clasificación de las enfermedades raras hasta los complejos marcos regulatorios que rigen los medicamentos huérfanos en Europa y otras jurisdicciones internacionales.

Duración
125 horas

Créditos
5 Créditos ECTS

Metodología
Online

Matriculación
Permanente

Objetivos del curso

Definir las enfermedades raras y sus bases fisiopatológicas, clasificando sus criterios epidemiológicos y las necesidades terapéuticas no cubiertas en la actualidad.

Analizar las particularidades de la investigación y el desarrollo clínico en enfermedades raras, diferenciando los diseños de ensayos y los procedimientos regulatorios adaptados a poblaciones reducidas.

Describir los sistemas de transferencia génica y las tecnologías de edición del genoma, relacionando sus mecanismos de acción con las aplicaciones clínicas autorizadas y en desarrollo.

Dominar los requisitos de fabricación, control de calidad, trazabilidad y farmacovigilancia de las terapias avanzadas, aplicando las normas de correcta fabricación y las estrategias de gestión de riesgos y seguimiento a largo plazo.

Comprender el marco conceptual, histórico y regulatorio de los medicamentos huérfanos, identificando los criterios de designación y los incentivos establecidos en las principales jurisdicciones.

Distinguir los tipos de medicamentos de terapia avanzada, clasificando sus fundamentos científicos y el marco normativo que regula su autorización.

Conocer los fundamentos de la terapia celular somática y la ingeniería tisular, identificando los principales productos autorizados, sus indicaciones clínicas y las tecnologías emergentes de fabricación.

Analizar los modelos de acceso, financiación y evaluación económica de medicamentos huérfanos y terapias avanzadas, fundamentando las dimensiones éticas y los retos de sostenibilidad que afrontan los sistemas sanitarios.

Temario

01 Enfermedades raras: epidemiología, clasificación y necesidades terapéuticas no cubiertas

1.1. Definición y criterios de clasificación de las enfermedades raras
1.2. Epidemiología global y distribución poblacional de las enfermedades raras
1.3. Bases genéticas, moleculares y fisiopatológicas de las enfermedades raras
1.4. Impacto clínico, psicosocial y económico en los pacientes y sus familias
1.5. Necesidades terapéuticas no cubiertas y estrategias de abordaje

02 Medicamentos huérfanos: marco conceptual, histórico y regulatorio

2.1. Concepto y justificación de la categoría de medicamento huérfano en el contexto sanitario
2.2. Evolución histórica de la legislación sobre medicamentos huérfanos
2.3. Criterios y procedimiento de designación de medicamento huérfano en la Unión Europea
2.4. Incentivos regulatorios y económicos para el desarrollo de medicamentos huérfanos
2.5. Comparación internacional de marcos regulatorios y mecanismos de incentivo para medicamentos huérfanos
2.6. Limitaciones y controversias del sistema de incentivos vigente

Temario

03 Investigación, desarrollo y evaluación clínica de medicamentos huérfanos

3.1. Particularidades de la investigación preclínica en enfermedades raras
3.2. Desafíos del diseño de ensayos clínicos en poblaciones reducidas
3.3. Criterios de valoración clínica y medidas de resultado centradas en el paciente
3.4. Consideraciones éticas específicas de la investigación clínica en enfermedades raras
3.5. Evaluación de la relación beneficio-riesgo por las agencias reguladoras
3.6. Autorizaciones condicionales, en circunstancias excepcionales y procedimientos regulatorios acelerados
3.7. Generación de evidencia post-autorización y colaboración internacional en enfermedades raras

Temario

04 Medicamentos de terapia avanzada: fundamentos científicos, clasificación y marco regulatorio

4.1. Definición y alcance del concepto de medicamento de terapia avanzada en el contexto biomédico actual
4.2. Clasificación de los medicamentos de terapia avanzada según la normativa europea
4.3. Marco regulatorio europeo: el Reglamento (CE) n.º 1394/2007 y normativa complementaria
4.4. Criterios de clasificación y frontera regulatoria entre terapias avanzadas y otros productos biológicos
4.5. Regulación comparada de las terapias avanzadas en Estados Unidos, Japón y otros mercados
4.6. Convergencia y divergencia regulatoria internacional en el ámbito de las terapias avanzadas
4.7. Retos regulatorios actuales y propuestas de reforma del marco normativo europeo

Temario

05 Terapia génica: bases biológicas, sistemas de transferencia génica y aplicaciones clínicas

5.1. Fundamentos de la terapia génica: conceptos esenciales y evolución histórica
5.2. Vectores virales utilizados en terapia génica: características, selección y optimización
5.3. Sistemas de transferencia génica no virales y sus aplicaciones terapéuticas
5.4. Tecnologías de edición génica: CRISPR-Cas9, TALENs y nucleasas de dedos de zinc
5.5. Terapias génicas basadas en ARN: oligonucleótidos antisentido, ARN interferente y ARN mensajero terapéutico
5.6. Principales medicamentos de terapia génica autorizados y sus indicaciones clínicas
5.7. Seguridad a largo plazo e inmunogenicidad de las terapias génicas
5.8. Retos de la administración repetida y estrategias de redosificación

Temario

06 Terapia celular somática e ingeniería tisular: fundamentos, productos autorizados y aplicaciones clínicas

6.1. Bases biológicas de la terapia celular somática
6.2. Terapias con células T modificadas genéticamente
6.3. Otras terapias celulares somáticas avanzadas en desarrollo y autorizadas
6.4. Productos de ingeniería tisular: concepto, componentes y clasificación
6.5. Medicamentos de terapia avanzada combinados: integración de componentes celulares y dispositivos médicos
6.6. Aplicaciones clínicas emergentes y áreas terapéuticas en expansión

Temario

07 Fabricación, control de calidad y trazabilidad de los medicamentos de terapia avanzada

7.1. Requisitos de fabricación bajo normas de correcta fabricación (NCF/GMP) aplicados a terapias avanzadas
7.2. Procesos de fabricación específicos según el tipo de medicamento de terapia avanzada
7.3. Control de calidad y liberación de lotes
7.4. Trazabilidad, cadena de custodia y biovigilancia
7.5. Fabricación descentralizada y producción en el punto de atención sanitaria

08 Farmacovigilancia, gestión de riesgos y seguimiento a largo plazo de medicamentos huérfanos y de terapia avanzada

8.1. Farmacovigilancia específica aplicada a medicamentos huérfanos y de terapia avanzada
8.2. Planes de gestión de riesgos adaptados a las particularidades de las terapias avanzadas
8.3. Seguimiento a largo plazo de pacientes tratados con terapias génicas y celulares
8.4. Coordinación entre agencias reguladoras, centros de tratamiento y profesionales sanitarios en la vigilancia de seguridad

Temario

09 Acceso, financiación, evaluación económica y dimensiones éticas de los medicamentos huérfanos y de terapia avanzada

9.1. Evaluación de tecnologías sanitarias aplicada a medicamentos huérfanos y de terapia avanzada
9.2. Modelos de precio, financiación y sostenibilidad de estas terapias
9.3. Acceso equitativo y desigualdades geográficas en la disponibilidad de medicamentos huérfanos y terapias avanzadas
9.4. Dimensiones éticas de los medicamentos huérfanos y las terapias avanzadas
9.5. El papel del profesional sanitario en la información, prescripción, administración y seguimiento de estos medicamentos
9.6. Perspectivas futuras y retos emergentes para los sistemas sanitarios

Titulación y certificados

Diploma de la Universidad EUNEIZ

Al aprobar todos los cuestionarios de evaluación recibes el **diploma en formato digital** de Curso de Formación Permanente, con sus 5 créditos ECTS y 125 horas.

Certificados de ICUFOR

Se descargan en PDF desde la Secretaría del campus, con un código único y QR para verificarlos.



Universidad de Vitoria-Gasteiz EUNEIZ

Proceso de matriculación

1 **Pulsa «Matricularme» en la ficha del curso**
Completa tus datos personales y de facturación.

2 **Elige la forma de pago**
Tarjeta, PayPal o transferencia bancaria.

3 **Entra en el campus y empieza**
Recibes por correo tus datos de acceso y, en cuanto se confirma el pago, tienes el temario completo. La matrícula está abierta todo el año.

Matricúlate | Más información



Métodos de pago

Pago único
El precio se abona una sola vez, sin cuotas ni renovaciones.

Seguridad
Pago online en la pasarela de Stripe o de PayPal.

Flexibilidad
Tarjeta de crédito o débito, PayPal o transferencia.

Acceso inmediato
Con tarjeta o PayPal, el campus se activa al momento.

Simplicidad
Matrícula y pago en dos pasos.

Facturación
Facturas en «Pagos y facturas» del campus.



¿Por qué elegir ICUFOR?

01

Formación accesible

Formación universitaria rigurosa y acreditada, íntegramente online y compatible con tu trabajo.

02

Calidad universitaria

Cada curso está acreditado por la Universidad EUNEIZ, con su memoria académica y sus créditos ECTS.

03

Impulso a tu carrera

Contenidos de utilidad práctica y una titulación que suma en méritos, concursos y bolsas de empleo.

04

Especialización

Cada curso trata una única temática a fondo: combínalos y construye tu propio itinerario.

05

Atención de calidad

Consultas al equipo docente por escrito o por chat, y un asesor de IA a cualquier hora.

¿Por qué elegir ICUFOR?

06

Contenidos actualizados

Los cursos se revisan periódicamente para incorporar las novedades de cada ámbito.

07

El curso, por escrito

Cada tema en tres formatos: contenido en PDF, Abstract y presentación con los aspectos clave.

08

Autónomo, pero acompañado

Tú decides tu ritmo y nuestro equipo de docentes resuelve tus dudas y orienta tu estudio.

09

Enseñanza adaptada

Sin horarios ni conexiones obligatorias: seis meses para terminar, ampliables si lo necesitas.

10

Estudio sencillo e intuitivo

Un campus virtual propio, sin instalar nada y accesible desde cualquier dispositivo.

¿Necesitas más información?

Te contamos cómo funciona el curso, los plazos y la titulación, sin compromiso.

www.icufor.com

info@icufor.com

+34 858 895 080

+34 746 044 519

Formación acreditada por Universidad de Vitoria-Gasteiz EUNEIZ

