

Únase a nosotros en una reunión externa centrada en el paciente sobre el desarrollo de fármacos para la enfermedad de Wilson

Nos enorgullece anunciar que la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (FDA) asistirá a nuestra **reunión virtual sobre la enfermedad de Wilson, centrada en el paciente, que se celebrará el jueves 29 de enero de 2026 de 10 a. m. a 3 p. m. ET (Hora del este de EEUU).**

Esta es una oportunidad histórica para que la comunidad de la enfermedad de Wilson hable directamente con la FDA, los desarrolladores de productos, los médicos y los investigadores académicos sobre lo que realmente significa vivir con esta enfermedad y cómo es un tratamiento significativo desde la perspectiva del paciente y de sus cuidadores.

¿Qué es una reunión EL-PFDD?

Una reunión EL-PFDD es una oportunidad única que sitúa a los **pacientes, a sus familias y a otros cuidadores directos en el centro** de las conversaciones sobre el desarrollo de medicamentos. Gracias a impactantes historias de primera mano, la FDA, los desarrolladores de productos, los médicos y los investigadores académicos obtienen información sobre:

- La realidad diaria de vivir con la enfermedad de Wilson.
- Necesidades más importantes no cubiertas.
- Objetivos y prioridades personales de tratamiento.

Su opinión puede ayudar a la FDA, a los desarrolladores de productos médicos, a los médicos y a los investigadores académicos a tomar decisiones mejor informadas durante el desarrollo de medicamentos y la revisión de las solicitudes de comercialización de posibles tratamientos, lo que dará forma a decisiones que afectarán a toda la comunidad de la enfermedad de Wilson.

Cómo participar

Estamos buscando una amplia variedad de voces de todo el espectro de la enfermedad de Wilson, entre las que se encuentran pacientes, padres y madres, cuidadores y personas con diferentes manifestaciones de la enfermedad y en diferentes etapas de diagnóstico o tratamiento. Necesitamos identificar a las personas que quieran participar a través de vídeo.

Actualmente buscamos a **20 personas** (pacientes o cuidadores) para que participen de una de las dos maneras siguientes:

- Pueden **grabar un breve vídeo** de 5 minutos en el que compartan su experiencia (se les proporcionará orientación).
- Pueden **hablar en directo** durante el evento virtual como «iniciador de conversación».

No se trata de defender un único tratamiento, sino de garantizar que las voces de nuestra comunidad guíen el desarrollo de fármacos en el presente y en el futuro.

Si está interesado/a en participar, rellene nuestra [encuesta antes del viernes 4 de julio de 2025](#).

Otras formas de participar

Habrà otras oportunidades para que la comunidad de pacientes y cuidadores en general comparta sus opiniones durante la reuni3n de la EL-PFDD, entre las que se incluyen:

- Participar en la videollamada durante la reuni3n virtual.
- Participar en las preguntas del cuestionario durante la reuni3n virtual.
- Enviar comentarios por escrito antes, durante y despu3s de la reuni3n para incluirlos en nuestro informe «la voz del paciente».

En los pr3ximos meses proporcionaremos m3s detalles.

Juntos, podemos garantizar que se escuchen las experiencias, los retos y las esperanzas de las personas que viven con la enfermedad de Wilson. **Únase a nosotros virtualmente el 29 de enero de 2026, de 10 a 16 h. ET (Hora del este de EEUU)** para formar parte de este importante momento para nuestra comunidad.

Si tiene alguna pregunta, no dude en ponerse en contacto con nosotros en info@wilsonsdisease.org.

Preguntas m3s frecuentes: Reuni3n externa de desarrollo de fármacos centrada en el paciente.

¿Qué es una reuni3n EL-PFDD?

Una reuni3n EL-PFDD (Externally-Led Patient-Focused Drug Development) es una oportunidad única para que **los pacientes, sus familias y otros cuidadores directos compartan sus experiencias directamente con la FDA, los desarrolladores de productos médicos, los médicos y los investigadores académicos**. El objetivo es ayudar a las personas implicadas en el desarrollo de tratamientos a comprender mejor el impacto en la vida real de la enfermedad de Wilson y lo que m3s importa a los pacientes y sus familias.

¿Por qué es importante esta reuni3n para la comunidad de la enfermedad de Wilson?

Las reuniones de desarrollo de fármacos centrado en el paciente y dirigido externamente (EL-PFDD) ofrecen a la **FDA** y a otras partes interesadas clave, como los **desarrolladores de productos médicos, los proveedores de atenci3n sanitaria y otros socios**, una valiosa oportunidad para escuchar directamente a los **pacientes, sus**

familiares, cuidadores y defensores. Estas reuniones se centran en los **síntomas que más preocupan a los pacientes, el impacto de la enfermedad en la vida diaria y la experiencia con los tratamientos actuales.** Esta información puede contribuir a **fundamentar las decisiones y la supervisión de la FDA durante el desarrollo de medicamentos y la revisión de las solicitudes de comercialización.**

+ ¿Quién puede participar en la reunión?

Estamos buscando una amplia representación de todo el espectro de la enfermedad de Wilson, incluyendo pacientes, padres y madres, cuidadores y personas con diferentes manifestaciones de la enfermedad y en diferentes etapas de diagnóstico o tratamiento. Necesitamos identificar a las personas que quieran participar a través de vídeo. Actualmente, estamos buscando personas que quieran participar de la siguiente manera:

- **Grabando un vídeo de 5 minutos** (se les ayudará con una guía).
- **Uniéndose a la reunión en directo** a través de Zoom como «iniciador de la conversación».

Si desea compartir su perspectiva en vídeo o en directo a través de Zoom, rellene esta [Encuesta de Interés en Participar](#).

+ ¿Cómo puedo prepararme para compartir mi historia?

Si ha sido seleccionado para participar en la reunión a través de vídeo, le proporcionaremos:

- **Sugerencias y asesoramiento** para elaborar sus declaraciones y presentaciones en vídeo.
- Orientación y guía para los participantes que hablen en directo.
- Le orientaremos para que se centre en lo más importante: su experiencia, sus necesidades y sus esperanzas de mejorar los tratamientos.

Si no ha sido seleccionado para participar en la reunión por vídeo o en directo a través de Zoom, ¡no se preocupe! Toda la comunidad está invitada a asistir y compartir virtualmente durante la reunión en directo. Su voz será escuchada. Esté atento al anuncio de un seminario web comunitario en el que compartiremos más información sobre la participación en la reunión en directo del EL-PFDD.

+ ¿Por qué la enfermedad de Wilson es adecuada para este tipo de reunión?

La enfermedad de Wilson cumple los objetivos de una reunión EL-PFDD:

- Es una enfermedad **crónica que altera la vida de quienes la padecen.**
- Los síntomas y su impacto varían mucho y **no siempre se tienen en cuenta en los ensayos clínicos.**
- **Las opciones de tratamiento son limitadas** y muchas conllevan graves efectos secundarios.

- Afecta tanto a niños como a adultos y puede tener un grave impacto en la vida diaria.

Estos factores hacen que las opiniones de **pacientes y cuidadores sean especialmente valiosas** a la hora de desarrollar fármacos.

+ ¿La FDA asistirá y escuchará?

Sí, asistirá virtualmente. Además de revisar el material de la reunión, escuchará las historias y utilizará esta información para **comprender lo que los pacientes necesitan y valoran** en los nuevos tratamientos. Aunque la FDA no respalda ni dirige esta reunión, reconoce la importancia de estas voces en el proceso regulatorio.

+ ¿Quieres ver cómo es una reunión virtual de la EL-PFDD?

Puedes consultar las grabaciones y materiales de otras organizaciones de enfermedades raras que han organizado reuniones virtuales EL-PFDD.

Si tienes curiosidad por saber qué esperar, te animamos a explorar las grabaciones y materiales de otras organizaciones de enfermedades raras que han organizado reuniones virtuales EL-PFDD. Estos ejemplos muestran cómo se comparten las historias de los pacientes, cómo fluye la conversación y el poderoso impacto que pueden tener estas reuniones.

<https://swallowingdisorderfoundation.com/dysphagia-meeting/>

<https://ntsad.org/events/gm2pfdd/>

<https://rettpfdd.org/>

+ ¿Quién puede asistir a la reunión de la EL-PFDD?

Está abierta a todo el mundo. Esta reunión virtual está abierta a **toda la comunidad** de la enfermedad de Wilson, es decir:

- Pacientes y cuidadores
- También podrán asistir familiares y defensores.
- Médicos e investigadores.
- Representantes de la industria.
- Responsables políticos y reguladores.
- Cualquier persona interesada en aprender más sobre la enfermedad de Wilson.

Dado que se trata de una **comunidad global**, estamos explorando la posibilidad de **ofrecer servicios de traducción** en directo para garantizar un acceso y una participación más amplios. Queremos que todo el mundo, independientemente de su ubicación o idioma, tenga la oportunidad de participar, escuchar y ser escuchado.

Tanto si comparte su historia como si simplemente asiste para escuchar y aprender, su presencia contribuye a reforzar nuestra voz colectiva.

+ ¿Pueden participar personas no residentes en EE. UU.?

Por supuesto. Agradecemos la participación de toda la comunidad **mundial** de la enfermedad de Wilson. Si habla inglés, puede participar en la **encuesta de participación** por vídeo, que nos ayuda a recabar una amplia gama de experiencias de pacientes y cuidadores.

Más cerca del evento, también tendrá la oportunidad de **enviar comentarios** por escrito que podrán incluirse en el informe oficial Voice of the Patient (**La voz del paciente**), compartido con la FDA. Y, por supuesto, le invitamos a asistir y participar virtualmente en la Reunión de Desarrollo de Medicamentos Centrados en el Paciente Dirigida Externamente (EL-PFDD), ¡independientemente de dónde viva!

+ ¿Cómo puedo participar virtualmente el día del evento?

La reunión de la EL-PFDD sobre la enfermedad de Wilson se celebrará virtualmente a través de una retransmisión en directo por internet el **jueves 29 de enero de 2026, de 10:00 a 15:00, ET (Hora del este de EEUU)** lo que facilitará la participación de personas de todo el mundo.

Cuando se acerque la fecha del evento, abriremos un proceso de inscripción gratuito para que los participantes puedan inscribirse y recibir el enlace a la retransmisión en directo y la información del evento. Tanto si quiere escuchar como si quiere compartir su historia en directo a través de la videollamada, en forma de comentarios escritos o participar en las encuestas, **podrá participar plenamente desde cualquier lugar** con conexión a Internet. Nos hemos comprometido a que la reunión sea accesible para nuestra **comunidad mundial** y estamos estudiando la posibilidad de ofrecer **servicios de traducción** en directo en varios idiomas para facilitar la participación. Le daremos más detalles sobre cómo inscribirse y participar a medida que se acerque la fecha.

+ ¿Qué ocurre después de la reunión?

Crearemos varios recursos, entre ellos:

- Una **grabación** de la reunión, que estará disponible en el sitio web de la WDA y en el canal de YouTube.
- También habrá una **transcripción** escrita de la reunión, que estará disponible en el sitio web de la WDA.
- También crearemos un **informe de la voz del paciente** (VOP) que resumirá la reunión, así como los comentarios por escrito recibidos de la comunidad de la WDA.

Estos materiales se compartirán con la FDA y se pondrán a disposición del público en [este sitio web](#) para apoyar futuras investigaciones y el desarrollo de medicamentos.

+ ¿Cómo puedo participar y obtener más información?

Seguiremos compartiendo actualizaciones y formas de participar. Por el momento:

- **Reservase la fecha:** 29 de enero de 2026, de 10 a 15 h. ET (Hora del este de EEUU)
- **Inscríbese** para recibir nuestros correos electrónicos haciendo clic en el botón «Únase a nuestra lista de correo electrónico» que encontrará en la parte superior de nuestra página web: <https://wilsondisease.org/>.
- Si tiene preguntas o ideas, póngase en contacto con nosotros enviando un correo electrónico a info@wilsonsdisease.org.

Su experiencia puede ayudar a orientar el futuro de la atención de la enfermedad de Wilson y dar esperanza a otras personas de la comunidad.