

Propuesta de Memoria Académica

1. Ficha Técnica

Título del Programa

State of the Art in Dystrophic Epidermolysis Bullosa: Self-Assessment Program.

Código del Proyecto

CME.SoA.DER.DEB.ESP

Entidad Organizadora / Proveedor Educativo

Hygeia Learning Hub.

Fuente Científica Exclusiva

Contenidos altamente seleccionados y adaptados de las publicaciones oficiales de la British Association of Dermatologists (BAD): British Journal of Dermatology (BJD), Clinical and Experimental Dermatology (CED) y Skin Health and Disease (SHD). Además de otros contenidos multimedia de BAD y guías de la de la Academia Española de Dermatología y Venereología (AEDV), la European Academy of Dermatology and Venereology (EADV), incluyendo guías de manejo clínico neonatal e informes de posicionamiento terapéutico (IPT) del Ministerio de Sanidad.

Modalidad de Impartición

Formación 100% Online (E-learning interactivo a través de aula virtual responsive) + Webinar de Apertura en Directo.

Fechas Previstas de Edición

De Octubre 2026 a Mayo 2027 (Plataforma interactiva abierta durante un periodo de 8 meses).

Acreditación

Créditos de Formación Continuada (CFC) de la Comisión de Formación Continuada del Sistema Nacional de Salud (SNS) para las profesiones sanitarias (Medicina: Dermatología y Pediatría; y Farmacia Hospitalaria).

Avales Científicos

- Academia Española de Dermatología y
- Venereología (AEDV) y Grupo Español de Dermatología Pediátrica (GEDP).

Patrocinio / Soporte Educativo (Unrestricted Educational Grant)

Programa concebido para ser financiado a través de una beca formativa no condicionada (Unrestricted Educational Grant) otorgada por la industria biotecnológica de vanguardia. Las entidades patrocinadoras no intervendrán bajo ningún concepto en el diseño pedagógico, la definición curricular, la selección de los autores y docentes, ni en el desarrollo del contenido científico independiente del programa, garantizando la total imparcialidad exigida por el SNS.

2. Presentación del Curso

El programa formativo "State of the Art in Dystrophic Epidermolysis Bullosa: Self-Assessment Program" surge como una iniciativa puramente científica, de excelencia y actualización médica continua impulsada por Hygeia Learning Hub. Su propósito es dar respuesta al mayor cambio de paradigma en la historia de las genodermatosis raras: la llegada de la primera terapia génica tópica (beremagén geperpavec) capaz de tratar la causa subyacente de la Epidermolisis Bullosa Distrófica (EBD).

Se trata de un curso de actualización clínica altamente especializado, estructurado en formato de e-learning interactivo asíncrono, diseñado para acompañar al médico especialista (dermatólogo y pediatra) y al farmacéutico hospitalario en la adopción clínica de esta compleja innovación. A través de una rigurosa curaduría científica, el programa desglosa un currículum pedagógico de tres módulos estratégicos.

El recorrido académico se inicia con la biología molecular de la enfermedad y el diagnóstico genético de las mutaciones en COL7A1. Prosigue con el análisis exhaustivo de la revolución de las terapias génicas mediadas por vectores virales (VHS-1), detallando los estrictos protocolos de priorización de heridas, bioseguridad, reconstitución farmacéutica y dosificación. Finalmente, culmina en el indispensable enfoque humanista: la EBD conlleva una carga de sufrimiento extrema. El programa dotará a los facultativos de herramientas

para la toma de decisiones éticas, el manejo compasivo del dolor pediátrico, la instrucción de las familias para el entorno domiciliario y la prevención del *Burnout* profesional.

El programa se inaugurará formalmente con un Seminario Web (Webinar Kick-off) de alto nivel, y se desarrollará bajo una metodología educativa de alto impacto que prioriza los casos clínicos narrativos, los debates sobre controversias científicas (Critical Debate) y los resúmenes de aplicabilidad inmediata (Practice Insights).

3. Justificación de la Actividad

Hasta hoy, el manejo de la EBD se ha limitado a cuidados paliativos, tratamiento sintomático del dolor, control de infecciones y prevención de complicaciones letales como el Carcinoma de Células Escamosas (CCE). La inminente consolidación de las terapias génicas exige una actualización profunda y de alto rigor científico, justificando este programa en tres dimensiones críticas:

- **Dimensión Molecular y Farmacéutica:** El uso de organismos modificados genéticamente (OMG) como vectores virales requiere un conocimiento técnico avanzado. Los servicios de Farmacia Hospitalaria deben dominar la reconstitución celular, los protocolos de preparación bajo campana de bioseguridad con EPIs específicos y la logística de la cadena de frío, mitigando cualquier riesgo de exposición.
- **Dimensión Clínica:** La aplicación de la terapia génica tópica altera por completo las decisiones terapéuticas. Es imperativo que el dermatólogo clínico aprenda a priorizar heridas candidatas según la estricta limitación de dosis semanal, y que domine la modificación de las pautas de limpieza, comprendiendo la prohibición de agentes virucidas para no inactivar el tratamiento. Asimismo, la vigilancia epidemiológica continua del CCE sigue siendo obligatoria.
- **Dimensión Humanista e Integral:** La posibilidad de delegar el tratamiento al entorno domiciliario traslada una enorme responsabilidad médica a la familia. El facultativo debe capacitarse en técnicas de educación sanitaria empática para instruir a los cuidadores, abordando simultáneamente el duelo crónico de estas familias y protegiendo su propia salud mental frente a la fatiga por compasión.

4. Objetivos de la Actividad

4.1 Objetivo General

Capacitar a los médicos especialistas (Dermatología, Pediatría) y Farmacéuticos Hospitalarios en el diagnóstico molecular avanzado de la Epidermólisis Bullosa Distrófica, la prescripción, reconstitución y bioseguridad de terapias génicas tópicas, así como en el abordaje humanista del dolor y la prevención del *Burnout* clínico.

4.2 Objetivos Específicos

De Conocimiento Molecular y Diagnóstico:

- Comprender la fisiopatología celular derivada de las mutaciones en el gen COL7A1 y la ausencia de fibrillas de anclaje funcionales.
- Integrar el fenotipado y genotipado en la selección adecuada de pacientes candidatos a terapia génica desde el nacimiento.

De Manejo Clínico y Bioseguridad:

- Dominar los protocolos de preparación farmacéutica y manipulación de vectores virales no replicativos (VHS-1) para evitar la contaminación cruzada o inactivación viral.
- Aplicar correctamente el cálculo de dosis semanal máxima basada en la edad del paciente y la superficie lesional.
- Instaurar protocolos de priorización de heridas crónicas y modificar las pautas de antisepsia (eliminando virucidas) previas a la aplicación en "rejilla".
- Reconocer la importancia de la monitorización continua para la detección precoz del Carcinoma de Células Escamosas (CCE).

De Habilidades Humanísticas y de Comunicación:

- Identificar los signos tempranos de Fatiga por Compasión en los servicios que atienden patologías pediátricas devastadoras.
- Desarrollar habilidades de comunicación clínica para educar a familiares en la administración domiciliar segura y el manejo del riesgo.
- Abordar el manejo multidimensional del dolor y el sufrimiento emocional del núcleo familiar.

5. Estructura y Contenidos Académicos

El programa consta de tres módulos formativos diseñados bajo una lógica de progresión académica secuencial. Cada módulo cuenta con la estructura interactiva uniforme del modelo *State of the Art*:

Seminario Web Inaugural (Kick-off)

- **Formato:** Webinar interactivo en directo de 45 minutos.
- **Ponencia (30 min):** "Reescribiendo la Piel: El salto de los cuidados paliativos a la Terapia Génica en DEB". (KOL Internacional invitado - Miembro de EB Clínet / DEBRA Internacional).
- **Interacción (15 min):** Sesión de preguntas y respuestas (Q&A) moderada.

Módulo 1: Fisiopatología Genética y Manifestaciones Clínicas

Objetivo: Comprender las bases moleculares del Colágeno Tipo VII, el diagnóstico genético y la caracterización clínica de la fragilidad dérmica.

- **Executive Brief:** "Más allá de la ampolla: El defecto estructural del gen COL7A1".[1]
- **Scientific Core:** Biología molecular de la EBD (Dominante vs. Recesiva). Criterios diagnósticos y manifestaciones extra-cutáneas. [2]
- **Critical Debate:** "Correlación Genotipo-Fenotipo: ¿Predice la mutación la gravedad y el riesgo oncológico (CCE)?".[3]
- **Further Readings:** Consensos internacionales sobre clasificación de genodermatosis con fragilidad cutánea (BAD/EADV). [4]
- **Practice Insights:** Algoritmo de sospecha clínica neonatal y confirmación genética rápida. [5]
- **Clinical Cases:** Neonato con ausencia extensa de piel al nacer (Aplasia cutis congénita) asociada a EBD. [6]
- **Self-Assessment:** Cuestionario interactivo sobre biomarcadores y diagnóstico diferencial. [7]
- **Multimedia:** Videocápsula 3D del anclaje dermoepidérmico y la formación de la ampolla. [8]

Módulo 2: La Revolución de las Terapias Génicas Tópicas y Redosificables

Objetivo: Capacitar al clínico y al farmacéutico en la farmacología, manejo logístico, bioseguridad y aplicación clínica de beremagén geperpavec.

- **Executive Brief:** "Vectores virales en la consulta: De la reconstitución farmacéutica a la herida". [9]
- **Scientific Core:** Análisis de la evidencia pivotal (fase 3) y estudios de extensión abierta. Mecanismo de acción in vivo de los vectores VHS-1 no replicativos. [10]
- **Critical Debate:** "El reto de la antisepsia: Balanceando el control de la infección frente a la viabilidad del vector viral". [11]
- **Further Readings:** Informes de posicionamiento terapéutico y guías de administración de terapias génicas in vivo. [12]
- **Practice Insights:** Protocolo *Step-by-Step*: Reconstitución OMG, cálculo de dosis máxima semanal, técnica en "rejilla" y priorización clínica de heridas. [13]
- **Clinical Cases:** Paciente pediátrico (5 años) con múltiples heridas extensas. Toma de decisiones clínicas sobre qué heridas tratar para no exceder la dosis semanal máxima. [14]
- **Self-Assessment:** Cuestionario sobre dosificación, reconstitución biológica y contraindicaciones. [15]
- **Multimedia:** Video-tutorial clínico: Preparación en campana de bioseguridad (Servicio de Farmacia) y técnica de aplicación médica. [16]

Módulo 3: Humanismo, Co-cuidado y Bienestar en EBD (El Sello Hygeia)

Objetivo: Abordar la carga psicológica de la enfermedad, la capacitación clínica del entorno familiar y la prevención del Burnout en los especialistas.

- **Executive Brief:** "Curar al que cuida: El impacto emocional de la toma de decisiones en Piel de Mariposa".
- **Scientific Core:** Evaluación del Dolor Total. Riesgos psicosociales en el núcleo familiar. Fisiopatología del estrés crónico y Fatiga por Compasión en el médico.
- **Critical Debate:** "Delegación domiciliaria: Beneficios de la autonomía vs. Riesgos de bioseguridad y cumplimiento terapéutico".

- **Further Readings:** Literatura sobre el impacto en la calidad de vida en genodermatosis severas.
- **Practice Insights:** Herramientas de comunicación médica para instruir a padres en la gestión de riesgos en casa. Descompresión clínica pos-consulta.
- **Clinical Cases (Role Play en Video):** Simulación filmada (8 min): Especialista abordando a una familia para la transferencia de la responsabilidad del tratamiento domiciliario, gestionando las dudas sobre toxicidad y expectativas de curación.
- **Self-Assessment:** Casos prácticos sobre identificación de *Burnout* y comunicación de pronóstico.
- **Multimedia:** Análisis de caso: El desgaste emocional del facultativo ante el duelo crónico pediátrico.

6. Dirección Académica e Institucional

Editor Jefe del Módulo 1 (Fisiopatología Genética y Manifestaciones Clínicas)

- **Dr. Fernando Larcher.** Jefe del Grupo de Ingeniería Tisular y Terapias Avanzadas en el CIEMAT / Miembro del CIBERER.
- *Rol:* Experto de vanguardia en la biología molecular de la enfermedad y terapias avanzadas.

Editor Jefe del Módulo 2 (Terapias Génicas Tópicas y Redosificables)

- **Dr. Raúl de Lucas Laguna.** Jefe de Sección de Dermatología Pediátrica en el Hospital Universitario La Paz (Madrid) — Centro CSUR de referencia nacional.
- *Rol:* Referente clínico nacional con experiencia directa en el manejo de la patología y la innovación terapéutica.

Editora Jefe del Módulo 3 (Humanismo, Co-cuidado y Bienestar en EBD)

- **Dra. Asunción Vicente Villa.** Jefa de Sección de Dermatología Pediátrica del Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona) — Centro CSUR de referencia nacional.
- *Rol:* Máxima autoridad en humanización clínica pediátrica, cuidado integral y ética asistencial en genodermatosis.

7. Público Objetivo

El programa está dirigido estrictamente a los facultativos implicados en la prescripción, validación y seguimiento de pacientes con EBD y terapias avanzadas:

- **Dermatólogos y Dermatólogos Pediátricos:** Especialistas prescriptores responsables del diagnóstico, indicación terapéutica, priorización clínica de heridas y vigilancia oncológica (CCE).
- **Pediatras:** Facultativos responsables del manejo sistémico integral del neonato/lactante afectado y el acompañamiento familiar temprano.
- **Farmacéuticos Hospitalarios:** Indispensables para garantizar la correcta validación, recepción, almacenamiento (cadena de frío) y reconstitución bajo normativas estrictas de bioseguridad (OMG).

8. Metodología y Sistema de Evaluación

8.1 Metodología Docente (UX y Navegación en el LMS)

El programa formativo se aloja en el aula virtual interactiva y de diseño responsive de Hygeia Learning Hub. Al tratarse de una metodología asíncrona de e-learning, el facultativo puede conciliar la adquisición de conocimientos con su intensa actividad clínica. El flujo de navegación está estructurado de manera estrictamente secuencial: el especialista progresa a través del currículum visualizando los materiales obligatorios de cada módulo. El acceso al examen final está bloqueado hasta que el sistema registre la visualización del 100% del *Scientific Core* y la superación de los *Self-Assessments* intermedios.

8.2 Sistema de Evaluación Integral

Cumpliendo rigurosamente con los requisitos regulatorios establecidos por la Comisión de Formación Continuada (CFC) del Sistema Nacional de Salud, el curso implementa:

- **Evaluación Formativa Continua (Self-Assessments Intermedios):** Al finalizar cada módulo, el especialista debe responder a un cuestionario interactivo con retroalimentación científica basada en la evidencia.
- **Evaluación Sumativa Final (Examen de Acreditación):** Examen final asíncrono online de opción múltiple, seleccionado aleatoriamente a partir de un banco de ítems que valida la asimilación de los contenidos moleculares, farmacológicos y clínicos.

- **Criterio de aprobación:** Se requiere una tasa mínima de aciertos del 80%. El participante dispone de un máximo de 2 intentos.
- **Encuesta de Calidad y Satisfacción:** Obligatoria para confirmar la utilidad clínica, la calidad científica y la absoluta ausencia de sesgo comercial en los contenidos.
- **Acreditación y Diplomas:** Una vez superado, el facultativo podrá descargar su Diploma Oficial acreditativo en PDF con el desglose de los créditos CFC otorgados para su especialidad médica y los avales institucionales correspondientes.

Referencias y Bibliografía

1. *Justificación:* Contextualiza la enfermedad alejándola del mero manejo sintomático de heridas para enfocarla como un fallo estructural en el anclaje dermoepidérmico. Comprender la base molecular exacta es el prerrequisito innegociable para que el facultativo asimile posteriormente cómo y dónde actuará la nueva terapia génica.

Referencia: Has C, Bauer JW, Bodemer C, Bolling MC, Bruckner-Tuderman L, Diem A, Fine JD, et. al. Consensus reclassification of inherited epidermolysis bullosa and other disorders with skin fragility. Br J Dermatol. 2020 Oct;183(4):614-627. doi: 10.1111/bjd.18921. Epub 2020 Mar 11. PMID: 32017015.

2. *Justificación:* Profundiza en la correlación genotipo-fenotipo. El clínico debe diferenciar claramente cómo una mutación sin sentido frente a una truncada determina la ausencia total o parcial de colágeno VII, ya que esto dicta la gravedad clínica, las complicaciones sistémicas esperables y la urgencia del abordaje terapéutico temprano.

Referencia: Pathmarajah P, Eid E, Nazaroff J, So J, Mittal V, Harris N, Li S, Lucky AW, Gorell ES, Peoples KG, et. al.. Functional genotype classification groups distinguish disease severity in recessive dystrophic epidermolysis bullosa. Br J Dermatol. 2025 Apr 28;192(5):917-925. doi: 10.1093/bjd/ljaf015. PMID: 39790012; PMCID: PMC12036767.

3. *Justificación:* Aborda la controversia oncológica, vital en EBD. El Carcinoma de Células Escamosas (CCE) es la principal causa de mortalidad en adultos jóvenes con EBDR. El facultativo debe integrar que la terapia génica trata las heridas, pero no exime de una vigilancia dermatológica estricta, debiendo descartar malignidad antes de aplicar vectores virales.

Referencia: Mellerio JE, Pillay EI, Sollesta K, Thiel KE, Zimmerman G, McGrath JA, Martinez AE, Jeffs E. Milestone events in recessive dystrophic epidermolysis bullosa: findings of the PEBLES study. Clin Exp Dermatol. 2025 May 23;50(6):1125-1131. doi: 10.1093/ced/llaf009. PMID: 39874247.

4. *Justificación:* Proporciona el marco normativo internacional. Estandarizar la práctica clínica española con las directrices europeas asegura que el diagnóstico, la clasificación de la fragilidad cutánea y el manejo basal del paciente cumplan con los criterios de calidad exigidos por las agencias reguladoras para terapias huérfanas.

Referencia: Fine JD, Bruckner-Tuderman L, Eady RA, Bauer EA, Bauer JW, Has C, Heagerty A, et. al. Inherited epidermolysis bullosa: updated recommendations on

diagnosis and classification. J Am Acad Dermatol. 2014 Jun;70(6):1103-26. doi: 10.1016/j.jaad.2014.01.903. Epub 2014 Mar 29. PMID: 24690439.

5. *Justificación:* Traduce la teoría genética a la urgencia clínica del paritorio o la consulta pediátrica. Dota al especialista de un protocolo secuencial de actuación rápida para sospechar, derivar a unidades CSUR, biopsiar y confirmar genéticamente la enfermedad desde el primer día de vida, evitando secuelas irreversibles.

Referencia: Sánchez-Jimeno C, Escámez MJ, Ayuso C, Trujillo-Tiebas MJ, Del Río M; en representación de la Cátedra de la Fundación Jiménez Díaz de Medicina Regenerativa y Bioingeniería Tisular, DEBRA-España y de otros profesionales sanitarios. Genetic diagnosis of epidermolysis bullosa: recommendations from an expert Spanish research group. Actas Dermosifiliogr (Engl Ed). 2018 Mar;109(2):104-122. English, Spanish. doi: 10.1016/j.ad.2017.08.008. Epub 2017 Nov 26. PMID: 29180129.

6. *Justificación:* Entrena el juicio clínico ante escenarios neonatales extremos. Un recién nacido con ausencia extensa de piel supone un reto vital inminente. El caso práctico obliga al médico a aplicar algoritmos de estabilización, manejo inicial del trauma parental y toma de decisiones previas a cualquier terapia avanzada.

Referencia: Chiaverini C, Charlesworth A, Fernandez A, Barbarot S, Bessis D, Bodemer C, Bursztejn AC, et.al. Aplasia cutis congenita with dystrophic epidermolysis bullosa: clinical and mutational study. Br J Dermatol. 2014 Apr;170(4):901-6. doi: 10.1111/bjd.12741. PMID: 24252097.

7. *Justificación:* Herramienta de validación obligatoria para el crédito CFC. Asegura que el especialista ha interiorizado los signos patognomónicos, sabe interpretar los paneles genéticos y puede descartar otras genodermatosis. Este cribado cognitivo es esencial antes de autorizar la prescripción de fármacos biotecnológicos de altísimo impacto económico.

8. *Justificación:* Convierte conceptos moleculares abstractos en imágenes clínicas procesables. El soporte visual es indispensable para que el médico comprenda de forma tangible la morfología de la ampolla y visualice el nicho tisular exacto donde el gen COL7A1 entregado por el vector viral deberá restaurar las fibrillas de anclaje.

Referencia: Basado en ilustraciones revisadas por pares de: Bardhan A, Bruckner-Tuderman L, Chapple ILC, Fine JD, Harper N, Has C, et. al. Epidermolysis bullosa. Nat Rev Dis Primers. 2020 Sep 24;6(1):78. doi: 10.1038/s41572-020-0210-0. PMID: 32973163.

9. *Justificación:* Prepara al clínico para un cambio de mentalidad radical. Pasar de recetar pomadas a prescribir Organismos Modificados Genéticamente (OMG) exige comprender la biología del virus del herpes simple tipo 1 (VHS-1) no replicativo, su incapacidad de integración genómica y su papel como mero vehículo de entrega génica.
Referencia: Larcher F, Del Río M. Innovative therapeutic strategies for recessive dystrophic epidermolysis bullosa. *Actas Dermosifiliogr.* 2015 Jun;106(5):376-82. English, Spanish. doi: 10.1016/j.ad.2015.01.007. Epub 2015 Mar 18. PMID: 25796272.
10. *Justificación:* Constituye el núcleo duro de la medicina basada en la evidencia del curso. Es imperativo que el facultativo analice críticamente el ensayo fase 3 (NEJM), comprendiendo las variables de eficacia (cierre completo de heridas a 6 meses) y farmacodinamia, para justificar la indicación clínica de beremagén geperpavec.
Referencia: Guide SV, Gonzalez ME, Bağcı IS, Agostini B, Chen H, Feeney G, Steimer M, et.al. Trial of Beremagene Geperpavec (B-VEC) for Dystrophic Epidermolysis Bullosa. *N Engl J Med.* 2022 Dec 15;387(24):2211-2219. doi: 10.1056/NEJMoa2206663. PMID: 36516090.
11. *Justificación:* Aborda el mayor riesgo de fracaso terapéutico en la práctica real. La costumbre clínica de usar antisépticos virucidas (clorhexidina, povidona) durante las curas destruirá el vector viral antes de que actúe. Este debate es vital para reeducar a médicos y enfermería en nuevos protocolos de limpieza inocuos para el OMG.
Referencia: Paller AS, Guide SV, Ayala D, Gonzalez ME, Lucky AW, Bagci IS, Marinkovich MP. Practical considerations relevant to treatment with the gene therapy beremagene geperpavec-svdt for dystrophic epidermolysis bullosa. *J Dermatolog Treat.* 2024 Dec;35(1):2350232. doi: 10.1080/09546634.2024.2350232. Epub 2024 May 9. PMID: 38724041.
12. *Justificación:* Ancla la innovación científica a la realidad regulatoria y de Farmacia Hospitalaria española. El clínico debe conocer las indicaciones aprobadas, las limitaciones de financiación y los criterios de exclusión de la agencia reguladora para realizar una prescripción responsable y administrativamente viable.
Referencia: Ministerio de Sanidad (AEMPS). (2026). Informe de Posicionamiento Terapéutico de beremagén geperpavec (Vyjuvek) para el tratamiento de heridas en pacientes con EBD (IPT-458/V1/29052026).
13. *Justificación:* Dota al facultativo de la habilidad técnica para dosificar correctamente. Al estar la dosis limitada semanalmente por la edad y el tamaño de la lesión, el clínico debe aprender a calcular los Plaque-Forming Units (PFUs), aplicar el gel en técnica de

"rejilla" y manejar logísticamente la cadena de frío.

Referencia: Marinkovich MP, Paller AS, Guide SV, Gonzalez ME, Lucky AW, Bağcı IS, Agostini B, et. al. Long-Term Safety and Tolerability of Beremagene Geperpavec-svdt (B-VEC) in an Open-Label Extension Study of Patients with Dystrophic Epidermolysis Bullosa. *Am J Clin Dermatol.* 2025 Jul;26(4):623-635. doi: 10.1007/s40257-025-00942-y. Epub 2025 Apr 12. Erratum in: *Am J Clin Dermatol.* 2025 Jul;26(4):637. doi: 10.1007/s40257-025-00956-6. PMID: 40220208; PMCID: PMC12227497.

14. *Justificación:* Entrena la toma de decisiones clínicas complejas mediante el triaje de heridas. En pacientes con gran superficie corporal afectada que superan la dosis máxima permitida, el médico debe aprender a priorizar qué lesiones tratar (por cronicidad, riesgo de infección o afectación articular) y cuáles posponer para la siguiente semana.

Referencia: Yamada MM, Siegel LH. Off-Label Use of Double-Dose Beremagene Geperpavec (B-VEC) in the Treatment of Recessive Dystrophic Epidermolysis Bullosa: A Promising Clinical Case. *Pediatr Dermatol.* 2026 Jan-Feb;43(1):222-223. doi: 10.1111/pde.70065. Epub 2025 Sep 30. PMID: 41025539.

15. *Justificación:* Filtro de seguridad ineludible. Valida que el especialista y el farmacéutico hospitalario dominan las medidas de bioseguridad, el uso de Equipos de Protección Individual (EPI), el descarte de pacientes con CCE activo en la zona de aplicación y el manejo de contingencias ante derrames accidentales del producto.
16. *Justificación:* Mitiga el riesgo de errores de medicación mediante aprendizaje visual. Una herramienta dirigida específicamente a Farmacia Hospitalaria y enfermería, demostrando paso a paso la reconstitución de la suspensión viral en el gel excipiente bajo condiciones asépticas y normativas estrictas de bioseguridad.

Referencia: European Medicines Agency (EMA). European Public Assessment Report (EPAR): Vyjuvek (beremagene geperpavec). Procedure No. EMEA/H/C/006330/0000. EMA/98574/2025. Amsterdam: EMA; 2025.

17. *Justificación:* Sitúa al "paciente oculto" (la familia) en el centro de la intervención médica. Reconoce que la EBD secuestra el tiempo y la salud mental del entorno debido a las extenuantes horas diarias de vendajes. Conciencia al facultativo de que el bienestar del cuidador es un pilar indispensable para la adherencia al tratamiento.

Referencia: Korte EWH, Baardman R, Pool G, Duipmans JC, van den Akker PC, Bolling MC. Navigating the diagnostic journey of epidermolysis bullosa: a qualitative study of the lived experiences and needs of parents and patients. *Br J Dermatol.* 2024 Oct 17;191(5):737-745. doi: 10.1093/bjd/ljae242. PMID: 38860499.

18. *Justificación:* Evidencia que el dolor en EB trasciende lo físico; es nociceptivo, psicológico y existencial. Instruye al clínico en que el deterioro psicosocial sostenido aumenta la morbimortalidad, haciendo imperativo integrar el soporte en salud mental como parte de la estrategia terapéutica junto a la curación de las heridas.

Referencia: Arias-Merino G, Benito-Lozano J, Gómez-Martínez M, Villaverde-Hueso A, Linertová R, Alonso-Ferreira V. Health-related quality-of-life evaluation in epidermolysis bullosa: a scoping review. *Br J Dermatol.* 2025 Oct 17;193(5):856-864. doi: 10.1093/bjd/ljaf274. PMID: 40663702.

19. *Justificación:* Pone sobre la mesa un dilema ético y logístico crítico. Permitir que los padres administren la terapia génica en casa favorece la calidad de vida y la conciliación familiar, pero asume riesgos de bioseguridad y fallos de antisepsia. El médico debe aprender a sopesar qué familias son candidatas para esta delegación.

Referencia: Paller AS, Guide SV, Ayala D, Gonzalez ME, Lucky AW, Bagci IS, Marinkovich MP. Practical considerations relevant to treatment with the gene therapy beremagene geperpavec-svdt for dystrophic epidermolysis bullosa. *J Dermatolog Treat.* 2024 Dec;35(1):2350232. doi: 10.1080/09546634.2024.2350232. Epub 2024 May 9. PMID: 38724041.

20. *Justificación:* Enseña a objetivar el sufrimiento. Proveer al especialista de herramientas psicométricas y cuestionarios validados para que puedan medir clínicamente si la terapia génica, más allá de reepitelizar una herida, está devolviendo movilidad, reduciendo el prurito crónico y mejorando el descanso nocturno del paciente.

Referencia: Salamon G, Strobl S, Field-Werners U, Diem A, Schwieger-Briel A, Pope E. Psychometric Properties of the Instrument for Scoring Clinical Outcomes of Research for Epidermolysis Bullosa patient score (iscorEB-p): a patient-reported outcome measure. *Br J Dermatol.* 2024 Jun 20;191(1):75-81. doi: 10.1093/bjd/ljae019. PMID: 38261404.

21. *Justificación:* Capacitación en soft skills fundamentales. El facultativo debe aprender técnicas de comunicación asertiva para educar a padres aterrados sobre cómo manipular material genéticamente modificado, usar guantes, desechar residuos biológicos y evitar el contacto accidental con los ojos, sin generar pánico ni rechazo al tratamiento.

Referencia: Sangha N, MacLellan AN, Pope E. Psychosocial impact of epidermolysis bullosa on patients: A qualitative study. *Pediatr Dermatol.* 2021 Jul;38(4):819-824. doi: 10.1111/pde.14656. Epub 2021 Jun 21. PMID: 34152033..

22. *Justificación:* Simulación práctica de la entrevista clínica más difícil: el reajuste de expectativas. Enseña al médico cómo lidiar con la frustración parental cuando descubren que la "terapia génica" no es una cura definitiva sistémica, sino un tratamiento de mantenimiento continuo, asegurando la alianza terapéutica a largo plazo.
Referencia: Basado en recomendaciones de Patient Support Programs de DEBRA International y consensos de enfermería especializada.
23. *Justificación:* Protección directa del equipo médico (Sello Hygeia). Obliga al dermatólogo y al pediatra a mirarse al espejo mediante un cuestionario reflexivo. La exposición continua al sufrimiento y dolor pediátrico severo genera fatiga por compasión, y detectarla a tiempo previene el absentismo y asegura la calidad asistencial.
24. *Justificación:* Cierre humanista del programa. Un documental corto diseñado para validar las emociones del equipo asistencial, demostrando que la institución comprende el trauma de la "segunda víctima" y reforzando que el autocuidado médico es el primer paso indispensable para poder cuidar a pacientes con genodermatosis severas.

Anexo.

Estructura curso State of the Art

Acreditación y avales

- Programa dotado de créditos de Formación Continuada (CFC) del Sistema Nacional de Salud (SNS)
- Contenidos de las sociedades médicas internacionales correspondientes
- Avalados por las sociedades médicas nacionales correspondientes.

Estructura del curso

- El programa contendrá 3 o más módulos de especialidades relevantes seleccionadas.
- **Presentación del programa: (Opcional).** Seminario web de 45 minutos con: una presentación de 30 minutos del programa por parte del editor jefe o un ponente invitado, y 15 minutos de preguntas y respuestas. -Experto internacional-.
- **Cada módulo contiene:**
 - *Executive Brief:* Introducción al módulo en texto + podcast.
 - *Scientific Core:* artículos completos que incluyen puntos clave.
 - *Critical Debate:* artículos con cuestiones clínicas y controversias actuales.
 - *Further readings:* Resúmenes con enlaces a PubMed o a las revistas correspondientes, si son de acceso libre.
 - *Practice Inside:* cómo aplicar en la práctica la información presentada. Un resumen práctico en forma de «mensajes para llevar a casa».
 - *Clinical Cases:* una selección de casos con preguntas y respuestas para practicar los conceptos teóricos
 - *Self-Assessment:* preguntas y respuestas interactivas.
 - *Multimedia:* Material audiovisual complementario.
- **Certificado de participación con los créditos otorgados.**