

## INDICADORES PARA SEGUIMIENTO ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN

**CENTRO DE INVESTIGACIÓN:** INSTITUTO DE INVESTIGACIÓN BIOCRUCES

**AÑO:** 2015

**NOMBRE DEL PROYECTO:** ESTUDIO PROSPECTIVO INTERNACIONAL DE MEDULOBLASTOMA RIESGO ESTÁNDAR CLÍNICO EN NIÑOS MAYORES DE 3 A 5 AÑOS CON PERFIL BAJO DE RIESGO BIOLÓGICO (PNET5 MB-LR) O PERFIL MEDIO DE RIESGO BIOLÓGICO (PNET5 MB -SR) SIOP PNET5

Para contestar solo SI, NO o un número, y en su caso comentarios. Son 5 tablas.

### 1. SOBRE LAS LÍNEAS DE INVESTIGACIÓN

PREGUNTA	NÚMERO SI/NO	comentarios
Líneas de investigación apoyadas por la APU	2	Tumores cerebrales
Líneas de investigación que se han cerrado por falta de fondos	0	No procede
Numero de Objetivos parciales concretos para el año de acuerdo a los convenios	4	- Puesta a punto B-catenina y MYC/MYCN - Entrenamiento Marvin data base - Aprobación CEIC del Ensayo clínico (EC) de 20 centros nacionales - Contratos 20 centros nacionales (en curso)
Resultados obtenidos, tanto esperados como no esperados	3	Pendiente la apertura del EC en pacientes a incluir. Sí se han realizado interconsultas del mismo (ver comentarios).
Número de secuencias de genoma estudiadas	1	Beta catenina
¿Se han obtenido conclusiones positivas?	sí	Pte valorar en el marco del EC
En general, ¿está satisfecho con la marcha del proyecto?	SÍ	(ver al final)



# INDICADORES PARA SEGUIMIENTO ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN

## **Comentarios sobre las líneas de investigación**

Dado el tiempo dedicado a la logística del EC, tanto a nivel internacional por una nueva enmienda que ha precisado actualizar parte de la documentación previa con las correcciones oportunas y a nivel nacional, por las peculiaridades de los diferentes CEIC autonómicos que exigen sus formatos de investigación, al no existir una plataforma común de EC.

## INDICADORES PARA SEGUIMIENTO ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN

### 2. SOBRE EL RECURSO ECONÓMICO.

PREGUNTA	NÚMERO SI/NO	comentarios
Cantidad en euros donada por la APU al proyecto	1600/mes	9 meses en 2015
Cantidad utilizada en personal	1242,1/mes	8 meses 2015 + 2 pagas correspondientes
Cantidad utilizada en material	0	Formativo
¿Tiene salida todo el recurso económico?	SÍ	
¿Es necesario mayor recurso?	Sí	Aumentar la jornada laboral del biólogo contratado ya formado, con la entrada de pacientes del EC
¿Más recurso económico implicaría mejor investigación?	Sí	Permite realizar estudios más ambiciosos
¿La investigación deriva en mejores precios en los tratamientos de los ensayos?	Sí	En estudio. Si se consigue reducir QT y RT, sí
En general, ¿está satisfecho con la cantidad aportada por la APU al proyecto?	Sí	Deseable ampliación, por el nº de hospitales implicados

### Comentarios sobre el recurso económico

### 3. SOBRE EL PERSONAL DE LOS EQUIPOS.

PREGUNTA	NÚMERO SI/NO	comentarios
¿Es suficiente el personal actual que forma el equipo?	SÍ	Deseable ampliación de jornada
¿Cuántas personas están contratadas subvencionadas por la APU?	1	Titulado Superior a tiempo parcial
¿Es necesario la renovación/contratación de personal?	SÍ	Fundamental
¿Más personal implica mejor investigación?	SÍ	Permite crear grupos interdisciplinares
Número de cursos efectuados durante el año.	10	- Reuniones SIOP, SIOPE y SEHOP - Sesiones anatomo-patológicas y de grupo - Entrenamiento MARVIN - Curso Biobancos
¿Es necesaria la realización de cursos?	SÍ	Es obligatoria la formación para la realización del EC
En general, ¿está satisfecho con la cantidad y calidad del personal del proyecto?	SÍ	Deseable ampliar jornada laboral del personal contratado

#### Comentarios sobre el personal.

En este ensayo clínico, es necesario contar con un biólogo y un patólogo adscritos a esta línea de investigación, además de los oncólogos pediátricos, para llevar a cabo los estudios biológicos obligatorios para inclusión de pacientes en el ensayo. Se han confeccionado documentos suplementarios para los diferentes hospitales implicados (Hojas de información a los padres o tutores y al paciente por edades HIP, Consentimientos informados CI, protocolos de actuación, manual del investigador, etc. Con la traducción correspondiente de los originales y algunos de elaboración propia).

## INDICADORES PARA SEGUIMIENTO ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN

### 4. SOBRE LA UTILIZACIÓN PRÁCTICA DE LOS ESTUDIOS.

PREGUNTA	NÚMERO SI/NO	comentarios
Número de pacientes tratados	0	Actualmente estamos gestionando la apertura del EC. Se han realizado inter-consultas para facilitar el tratamiento de los MB, sin poder incluir los pacientes de momento.
Incremento / decremento de pacientes respecto al año anterior	-	No aplicable
Elementos, pruebas o herramientas nuevas para diagnóstico	SÍ	- Secuenciación - Estudios de FISH - Metilación del ADN
¿Se obtienen mejoras en el diagnóstico precoz de la enfermedad?	SÍ	Los resultados no se conocerán hasta la finalización del EC
Inversión necesaria para el diagnóstico individual	-	En estudio
Variación en el precio del diagnóstico gracias a la investigación	-	En estudio. Si se consigue reducir QT y RT, sí
Mejoras en tratamientos	SÍ	Tratamiento más personalizado en función de marcadores biológicos de riesgo
¿Se han modificado tratamientos en base a los resultados?	SÍ	Cuando finalice el EC
¿Han sido efectivos los cambios de tratamiento?	-	En estudio
¿Se realizan ensayos clínicos?	SÍ	
Incremento respecto al año anterior	-	No aplicable
¿Se ha incrementado la esperanza de vida de los pacientes con este proyecto?	-	En estudio, objetivo prioritario del EC
En general, ¿está satisfecho con la utilidad práctica del proyecto?	SÍ	



# INDICADORES PARA SEGUIMIENTO ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN

## **Comentarios sobre la utilización práctica de los estudios.**

Gracias al soporte económico facilitado para este proyecto, se ha podido contratar a una bióloga que ha puesto a punto los estudios biológicos necesarios para la incorporación de pacientes de nuestro país en el ensayo clínico internacional PNET5 MB. Además, se ha encargado de la logística del ensayo a nivel de la AEMPS y de los CEICS, efectuando las labores de CRO (*Contract Research Organization*) en este periodo.

### 5. SOBRE LOS RESULTADOS.

PREGUNTA	NÚMERO SI/NO	comentarios
Número de publicaciones editadas	-	No procede
Número de artículos publicados	-	No procede (prohibido hasta finalización del EC)
Relaciones con otros equipos nacionales o internacionales	SÍ	Se trata de un EC internacional en el que participan 16 países europeos. A nivel nacional, se coordina la participación de 20 hospitales de referencia
Patentes obtenidas	-	Se trata de un EC institucional
Críticas publicadas a los trabajos	NO	No procede
En general, ¿está satisfecho con los resultados del proyecto?	SÍ	
¿Estaría dispuesto a compartir resultados positivos que ayuden a niños con otros equipos de la APU con la debida confidencialidad?	SÍ	Objetivo de esta colaboración ya emprendido en las interconsultas

### Comentarios sobre los resultados.

Durante la anualidad 2015 las actividades realizadas con cargo a la financiación obtenida han consistido en:

- 1) Se ha proseguido con la investigación en tumores cerebrales pediátricos.
- 2) La tramitación del Ensayo Clínico (EC), con código PNET5 MB se ha iniciado gracias a que vuestro soporte económico ha permitido financiar desde Mayo 2015 a una doctora en Biología con conocimientos previos en este tipo de estudios. Hasta el momento se ha encargado de la logística de dicho EC, actuando como CRO. Se ha conseguido la aprobación para dicho EC, de la Agencia Española del Medicamento (AEMPS) y de los Comités de Ética e Investigación Clínica de 20 centros hospitalarios mayores del país.
- 3) Ha sido realizada la puesta a punto de la parte molecular del ensayo clínico.



## INDICADORES PARA SEGUIMIENTO ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN

- 4) Se ha potenciado la ampliación de los estudios moleculares de la línea de investigación de meduloblastomas (estudios de metilación de genes, arrays y secuenciación masiva).
- 5) La financiación obtenida ha facilitado la asistencia a reuniones de trabajo del grupo internacional y nacional del Meduloblastoma, donde se han discutido estrategias de mejora futura para los casos de mayor riesgo.
- 6) En la reunión prevista de la International *Society Pediatric Neurooncology* (IPSNO), la más importante en tumores cerebrales que sólo se realiza cada dos años, participaremos en los grupos de trabajo de meduloblastomas de SIOP Europa que se centrarán en el EC PNET5 MB, y con 3 comunicaciones al congreso.