En referencia al progreso de nuestro proyecto, financiado parcialmente por APU, ponemos en vuestro conocimiento el resumen de actividad, actualizado en Diciembre 2019:

1- Logros

- "Reedición" **ficha de paciente** y creación de **nueva base de datos interna** (pacientes y donantes). Colaboración Servicio Informática La Fe
- **Mantenimiento de bases de datos**

  Interna

  GETMON

  Consellería /ONT/CSUR

  EBMT

- Contratación empresa externa **INGECAL** (9000€). Cuatro reuniones
- **Revisión protocolos TPH** y adecuación a formato JACIE (en curso)
- Creación **documento base** JACIE (hecho)
- **Descripción puestos de trabajo** (hecho)
- Programa de **formación continuada** (en curso)
- **ENSAYOS CLÍNICOS**

  - ESTUDIO DE UN SOLO GRUPO PARA EVALUAR LA EFICACIA DE UVADEX® (METOXSALENO) SOLUCIÓN ESTÉRIL EN CONJUNTO CON EL SISTEMA DE FOTOFÉRESIS CELLEX® DE THERAKOS® EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON ENFERMEDAD DEL INJERTO CONTRA EL HUÉSPED AGUDA (EICHA) REFRACTARIA A ESTEROIDES.

  - ESTUDIO EN FASE I/II, DE UN SOLO GRUPO Y EN ABIERTO QUE EVALÚA LA SEGURIDAD Y LA EFICACIA DE ITACITINIB EN COMBINACIÓN CON CORTICOSTEROIDES PARA EL TRATAMIENTO DE LA ENFERMEDAD DEL INJERTO CONTRA HUÉSPED EN FASE AGUDA NO TRATADA CON CORTICOSTEROIDES EN SUJETOS PEDIÁTRICOS.

  - ESTUDIO DE FASE III, ALEATORIZADO, ABIERTO Y MULTICÉNTRICO DE RUXOLITINIB FRENTE A LA MEJOR TERAPIA DISPONIBLE EN PACIENTES CON ENFERMEDAD DE INJERTO CONTRA HUÉSPED AGUDA Y REFRACTARIA A CORTICOSTEROIDES EN TRASPLANTE ALOGÉNICO DE PROGENITORES HEMATOPOYÉTICOS.

  - ENSAYO ABIERTO, MULTICENTRICO, DE FASE 2 QUE EVALUA LA EFICACIA Y SEGURIDAD DE DARATUMUMAB EN PACIENTES PEDIATRICOS Y JOVENES ADULTOS ENTRE .1 Y . 30 ANOS CON LEUCEMIA LINFOBLASTICA AGUDA O LINFOMA LINFOBLASTICO DE PRECURSORES DE CELULAS B Y T EN RECAI DA O REFRACTARIOS AL TRATAMIENTO: **2 pacientes incluidos en el ensayo**

- ENSAYO FASE III, DE REGISTRO, MULTICÉNTRICO, ALEATORIZADO, DE TRASPLANTE DE NICORD®, CÉLULAS MADRE Y PROGENITORAS DERIVADAS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL EXPANDIDAS EX VIVO, FRENTE A SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL NO MANIPULADA EN PACIENTES CON NEOPLASIAS HEM ATOLÓGICAS MALIGNAS

- ENSAYO ADAPTATIVO DE FASE 3 ALEATORIZADO, ABIERTO Y CONTROLADO PARA INVESTIGAR LA EFICACIA, SEGURIDAD Y TOLERABILIDAD DEL ANTICUERPO BITE® BLINATUMOMAB COMO TRATAMIENTO DE CONSOLIDACIÓN FRENTE A LA QUIMIOTERAPIA DE CONSOLIDACIÓN CONVENCIONAL EN SUJETOS PE DIÁTRICOS CON LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA (LLA) DE PRECURSORES B EN PRIMERA RECAÍDA DE ALTO RIESGO: **1 paciente incluido en el ensayo**

- ESTUDIO DE FASE I/II, MULTICÉNTRICO, ABIERTO, A UN SOLO BRAZO, DE RUXOLITINIB AÑADIDO A CORTICOSTEROIDES EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON ENFERMEDAD AGUDA DE INJERTO CONTRA HUÉSPED DE GRADO II-IV TRAS TRASPLANTE ALOGÉNICO DE CÉLULAS MADRE HEMATOPOYÉTICAS.

- ESTUDIO DE FASE II, MULTICÉNTRICO, ABIERTO, DE UN SOLO BRAZO, DE RUXOLITINIB AÑADIDO A CORTICOSTEROIDES EN SUJETOS PEDIÁTRICOS CON ENFERMEDAD DE INJERTO CONTRA HUÉSPED CRÓNICA MODERADA Y GRAVE TRAS TRASPLANTE ALOGÉNICO DE CÉLULAS MADRE.

- A PHASE I/II STUDY OF INOTUZUMAB OZOGAMICIN AS A SINGLE AGENT AND IN COMBINATION WITH CHEMOTHERAPY FOR PEDIATRIC CD22-POSITIVE RELAPSED/REFRACTORY ACUTE LYMPHOBLASTIC LEUKEMIA: **2 pacientes no pudieron incluirse, uno por fallo de screening y otro por no disponibilidad de slot.**

- PROTOCOLO NOPHO-DBH AML 2012 ESTUDIO DE INVESTIGACIÓN PARA EL TRATAMIENTO DE NIÑOS Y ADOLESCENTES CON LEUCEMIA MIELOIDE AGUDA DE 0 A 18 AÑOS.

2- Visión de futuro

- Mantenimiento de la actividad de **registro**
- **ACREDITACIÓN JACIE: calidad, mejora de la supervivencia.** Durante el último año, la actividad trasplantadora de nuestra Unidad se ha incrementado en un 100%. En lo que va de año, hemos realizado dieciséis trasplantes alogénicos (uno haploidéntico, de SCU, siete de donantes no emparentados idénticos y siete de donantes emparentados idénticos. El personal médico (dos adjuntos) de la Unidad sigue siendo el mismo, lo que dificulta nuestra dedicación a temas no asistenciales pese a que sean prioritarios. Pendiente ampliación de plantilla en negociación con la gerencia/ dirección del hospital. Queda pendiente la designación de la persona responsable de calidad, prioridad que atenderemos lo antes posible.
- **Investigación clínica y divulg*a*ción**

Publicaciones:

Haploidentical transplantation in high-risk pediatric leukemia: A retrospective comparative analysis on behalf of the Spanish Working Group for Bone Marrow Transplantation in Children (GETMON) and the Spanish Grupo for Hematopoietic Transplantation (GETH). Antonio Pérez-Martínez, Cristina Ferreras, Antonia Pascual, Marta Gonzalez-Vicent, Laura Alonso ,

Isabel Badell , José María Fernández Navarro et al; 17 October 2019. https://doi.org/10.1002/ajh.25661

Blinatumomab and Inotuzumab for B-Cell precursor acute lymphoblastic leukemia in children: A retrospective study from the Leukemia Working Group of the Spanish Society of Pediatric Hematology and Oncology (SEHOP). José Luis Fuster, Águeda Molinos-Quintana, Carolina Fuentes, José María Fernández, et al.

Executive summary of clinical practice guideline for the management of invasive diseases caused by Aspergillus: 2018 Update by the GEMICOMED-SEIMC/REIPI. García-Vidal C, Alastruey-Izquierdo A, Aguilar-Guisado M, Carratalà J, Castro C, Fernández-Ruiz M, Aguado JM, Fernández JM, et al.

Artículo y comunicaciones:

Gammablobulina Antitimocítica (ATG): Tolerancia y manjeo de los efectos secundarios en nuestra serie. Tolerancia y manejo de los efectos secundarios de nuestra serie. Graciela Gómez Silva, Alejandra Ferrada Gascó, Elena Martínez Chillaron, Carolina Fuentes Socorro, José María Fernández Navarro. XII Congreso Nacional de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas. Mayo 2019.

¿Qué papel tiene el trasplante de Progenitores hematopoyéticos en el tratamiento del Síndrome de Chediak-Higashi? Mireia Ariño Torregrosa, José María Fernández Navarro, Carolina Fuentes Socorro, Sara Izquierdo Sebastià, Mª Carmen Gil De Santivañes. XII Congreso Nacional de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas. Mayo 2019.

Sandra Carreño ha participado activamente en la extracción de datos

- **CAR-T : Terapia celular**

Hemos elaborado conjuntamente con el servicio de Hematología de adultos, los circuitos, vías y guías clínicas imprescindibles para obtener la acreditación del Ministerio, no autorizada en el momento actual para pacientes menores de 18 años. Formamos parte de la Unidad CART del Hospital.

3- Tareas pendientes

- **Avances importantes; el trabajo no ha concluido**
- **Mejoría de la supervivencia:**
    - **Terapia celular CART (corto plazo)**

- recursos humanos

- aglutinación del equipo

- integración en red con otros servicios

- **Estándar de calidad: Acreditación JACIE**