



PROYECTO ASOCIACIÓN PABLO UGARTE

Programa Clínico Internacional para el diagnóstico y tratamiento de los niños, adolescentes y adultos jóvenes con ependimoma

Resumen no-técnico

Coordinadora nacional: Ana Fernández-Teijeiro
Onco-Hematóloga pediátrica, HUVmacarena-Sevilla.



El ependimoma infantil es una enfermedad por la que se forman células malignas (cancerosas) en los tejidos del encéfalo y la médula espinal.

El encéfalo controla funciones vitales como la memoria y la capacidad de aprender, las emociones, y los sentidos (audición, vista, olfato, gusto y tacto). La médula espinal está compuesta por paquetes de fibras nerviosas que conectan el encéfalo con los nervios de la mayoría de las partes del cuerpo.

Programa Internacional para diagnóstico y tratamiento del ependimoma

Este programa se lleva a cabo dentro de un Estudio internacional en el que colaboran 15 países: Austria, Bélgica, República Checa, Dinamarca, Irlanda, Francia, Alemania, Italia, Holanda, Noruega, Eslovenia, España, Suiza, Suecia, Reino Unido.

El Sponsor es el Centre Léon Bérard (Lyon, Francia) y el Investigador principal–coordinador es el Dr Didier Frappaz. Se abrió en el año 2015.

¿Por qué se realiza este estudio entre tantos países?

La población necesaria para hacer un estudio del que se puedan extrapolar conclusiones es un número muy elevado de pacientes. Hablando de cáncer infantil, la incidencia es tan baja que no se pueden conseguir ni estudiar los datos obtenidos a menos que se realice un trabajo en común. La unión de tantos países da lugar a mayores posibilidades de estudio de un mayor número de muestras.

Así, el proyecto está abierto a pacientes con Ependimoma menores de 22 años en el momento del diagnóstico. El número de pacientes que se pretende reclutar es de un mínimo de 480 para el programa general, de los cuales 80 serán pacientes españoles.

Este estudio se realiza en concreto por las siguientes causas:

- Inconsistencia en la práctica clínica que se desarrolla en los diferentes centros.
- El número insuficiente de pacientes que ha habido en estudios precedentes.
- Para estudiar la biología del ependimoma y tratar de identificar nuevos biomarcadores de resultado clínico y nuevos objetivos terapéuticos.
- Para evaluación neuropsicológica y neurocognitiva.
- Registrar pacientes con metástasis y recaídas ya que no existen guías para el tratamiento de estos pacientes. El objetivo es observar las características moleculares específicas de la metástasis y comparar la biología del ependimoma de la recaída y el inicial, con el fin de crear una recomendación común entre todos los coordinadores nacionales.

- Registrar pacientes con ependimoma espinal ya que hay muy pocos estudios realizados con este tipo de pacientes.

Objetivos del estudio.

Este estudio se realiza para mejorar la precisión del diagnóstico básico del ependimoma y explorar diferentes estrategias terapéuticas en niños, adolescentes y adultos jóvenes.

- Objetivo principal: determinar si la evaluación de la enfermedad residual puede mejorar mediante una revisión centralizada mediante RMN post-operatoria y si esta revisión incrementa la tasa de resección completa comparado con controles históricos.
- Objetivo secundario: evaluar la tasa de indicación de una segunda cirugía en comparación con controles históricos.
- Objetivo exploratorio: Comprobar la hipótesis de que acontecimientos moleculares claves predicen el comportamiento clínico del ependimoma, y evaluar el valor pronóstico y predictivo de los biomarcadores dentro del marco del ensayo clínico

El estudio en España

En España hay 18 centros que colaboran en este proyecto. La coordinadora nacional es la doctora Ana Fernández-Teijeiro, del Hospital Universitario Virgen Macarena en Sevilla.





Algunas generalidades del estudio y necesidades de financiación.

La descripción del estudio define los diversos tratamientos que se realizarían a un paciente con endimoma (variable dependiendo de muchos factores del tumor), así como el seguimiento post tratamiento. Al ser tratamientos convencionales, no es necesaria financiación para llevarlos a cabo ya que se realizan en todos los hospitales con oncología pediátrica.

Sin embargo, el Programa SIOP Ependimoma II también contribuye a la identificación de biomarcadores de pronóstico dentro del estudio colaborativo BIOMECA. Para ello es necesaria la extracción de tejido tumoral y su mantenimiento fresco o en parafina, extracción de sangre y el envío de muestras en las mejores condiciones al centro de referencia para su estudio.

En concreto, **la financiación de la Asociación “Pablo Ugarte” estaría dirigida a:**

- Cuadernos del investigador.
- Reactivos de Anatomía patológica en Sevilla para la revisión centralizada.
- Envíos de preparaciones de muestras biológicas a Sevilla (Tejido tumoral congelado, preparaciones, sangre y LCR)
- Cobertura de parte proporcional de plataforma de envío telemático de imágenes (Para revisión centralizada por radiólogo, neurocirujanos y Oncólogo radioterápico).
- Monitorización y seguimiento del estudio por la Oficina de ensayos de la SEHOP.