



RESUMEN ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN APOYADOS POR LA APU

CENTRO DE INVESTIGACIÓN: HOSPITAL UNIVERSITARIO NIÑO JESÚS. MADRID

AÑO: 2017

NOMBRE DE LOS PROYECTOS:

1.- INVESTIGACIÓN EN LEUCEMIAS AGUDAS INFANTILES.

2.- CELYVIR EN TUMORES SÓLIDOS INFANTILES.

3.- NUEVO ENSAYO CLINICO CON CELYVIR EN COMBINACIÓN CON QUIMIOTERAPIA PARA SARCOMAS INFANTILES.

BREVE DESCRIPCIÓN DE RESULTADOS DEL AÑO (no más de cinco o seis líneas):

1.- El proyecto de las leucemias está permitiendo centralizar todas las recaídas de España, de manera que los de alto riesgo que pueden ser candidatos a participar en un ensayo clínico abierto no tienen problemas para entrar porque nos encargamos de recoger una muestra (es un criterio de inclusión y no todos los centros españoles pueden cumplirlo si están solos). También estamos casi en situación de ofrecer a todas las recaídas leucémicas españolas la posibilidad del seguimiento de la enfermedad mediante el método de elección que siguen en Alemania o Inglaterra, por ejemplo, y que nos piden si queremos participar en protocolos internacionales. En un par de meses más de trabajo lo tendremos a punto. Además estamos creando una base de muestras para que en el futuro, los investigadores interesados en recaídas leucémicas puedan tener este material tan valioso.

2.- El proyecto de investigación sobre Celyvir nos está abriendo los ojos sobre aspectos importantes de este tratamiento. Después de hacer estudios complejos de proteómica tenemos dos moléculas que parecen muy importantes a la hora de que el tratamiento funcione. La persona que está haciendo la tesis doctoral sobre este proyecto se va a pasar una temporada en un laboratorio experto en una de estas proteínas para corroborar la importancia de estos hallazgos. De confirmarse nos daría la posibilidad de producir un Celyvir optimizado para todos los niños. Además tenemos cada vez más información sobre qué cantidad de virus oncolíticos debemos usar, como debemos cultivar las células mesenquimales para que funcionen mejor, y cómo combinar Celyvir

C / Miguel Corral Aragón nº 12, Portal G, 1ºD Colmenar Viejo 28770 Madrid

Teléfonos: 616283255 / 636947253 / 659403323

Correo electrónico: info@asociacionpablougarte.es - asociacionpablougarte@gmail.com

www.asociacionpablougarte.es



RESUMEN ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN APOYADOS POR LA APU

con otras terapias para que los niños se beneficien más. Y todo esto lo queremos incorporar al nuevo ensayo clínico (3).

3.- El proyecto sobre el nuevo ensayo clínico de Celyvir está en fase de escritura. Vamos a incorporar todos los conocimientos posibles derivados del proyecto 2 (combinar Celyvir con quimioterapia o con irradiación a dosis bajas, disminución de la dosis de Celyvir). Vamos a tener el apoyo del consorcio SCREN, que es un grupo financiado por el Instituto Carlos III que asume parte de la gestión de los ensayos clínicos académicos, no comerciales, y no cobra por ello. Y con la ayuda de otro proyecto vamos a incluir niños con tumores cerebrales.

RESUMEN ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN APOYADOS POR LA APU

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	3	
Número de líneas de investigación no apoyadas por la APU que se han cerrado por falta de fondos.	0	
Número de líneas de investigación cerradas que requerirían apoyo para continuar.	0	
Numero de Objetivos parciales concretos conseguidos de acuerdo a los convenios	50%	
Resultados obtenidos, tanto esperados como no esperados	SI	
Objetivos para el nuevo año.	SI	
¿Se han obtenido conclusiones positivas?	SI	
En general, ¿está satisfecho con la marcha del proyecto?	SI	

Comentarios sobre las líneas de investigación

Como se ha comentado anteriormente, en dos proyectos se ha continuado el trabajo de años anteriores y se han obtenido resultados concretos. Algunos se relacionan únicamente con el proyecto, otros se pueden ofrecer a otros centros de España. El tercer proyecto, el nuevo ensayo clínico, está en fase inicial de preparación de los documentos necesarios para conseguir la aprobación del ensayo por parte de la Agencia de Medicamentos. Es importante subrayar que este proyecto incorporará algunos de los resultados de la investigación que hemos hecho en el proyecto 2.

RESUMEN ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN APOYADOS POR LA APU

2. SOBRE EL RECURSO ECONÓMICO.

PREGUNTA	NÚMERO SI/NO	comentarios
Cantidad en euros donada por la APU al proyecto	85.500€	
Cantidad utilizada en personal	80%	
Cantidad utilizada en material	20%	
¿Tiene salida todo el recurso económico?	SÍ	
¿Es necesario mayor recurso?	NO	
¿Más recurso económico implicaría mejor investigación?	SÍ	
¿La investigación deriva en mejores precios en los tratamientos de los ensayos?	SÍ	
En general, ¿está satisfecho con la cantidad aportada por la APU al proyecto?	SÍ	
¿Cree que hay algún otro proyecto que la APU podría financiar, teniendo en cuenta la forma de financiar y las cantidades que la APU aporta?	SI	

Comentarios sobre el recurso económico

El uso principal que nuestro grupo le da al dinero que nos aporta APU es para contratación de personal. Tenemos ahora mismo dos personas contratadas exclusivamente para dedicarse a los proyectos 1 y 2, y gracias a estas dos personas el trabajo sale adelante. Siempre podríamos hacer más con más recursos, como todo el mundo, pero no nos quejamos. De hecho, en estos días estamos ultimando con APU el inicio de otro proyecto nuevo por el que queremos conseguir un nuevo recurso de personal para investigación, con la capacidad de ser

RESUMEN ANUAL DE ACTIVIDADES DE EQUIPOS DE INVESTIGACIÓN APOYADOS POR LA APU

aprovechado por más de un equipo de investigación. Y para el año próximo tenemos ideas nuevas de las que APU recibirá noticias.

3. SOBRE EL PERSONAL DE LOS EQUIPOS.

PREGUNTA	NÚMERO SI/NO	comentarios
¿Es suficiente el personal actual que forma el equipo?	SÍ	
¿Cuántas personas están contratadas subvencionadas por la APU?	2	
¿Es necesario la renovación/contratación de personal?	NO	
¿Más personal implica mejor investigación?	SÍ	
Número de cursos efectuados durante el año.	1	
¿Es necesaria la realización de cursos?	SÍ	
En general, ¿está satisfecho con la cantidad y calidad del personal del proyecto?	SÍ	

Comentarios sobre el personal.

Como hemos señalado en el comentario anterior tenemos ahora mismo dos personas a tiempo completo gracias a APU, y es fundamental para el trabajo del grupo. Mientras tengamos el apoyo de APU podremos tener este recurso de personal. El grupo funciona bien. Estamos siempre presentándonos a diversas convocatorias, en las que también solicitamos personal. Es muy difícil hoy día dar continuidad laboral a los investigadores en los centros públicos como el hospital. Dentro de las necesidades del personal que trabaja con nosotros está la de una formación continuada en muchas cuestiones relacionadas con la investigación, por eso deben asistir a cursos y reuniones específicas.

4. SOBRE LA UTILIZACIÓN PRÁCTICA DE LOS ESTUDIOS.

PREGUNTA	NÚMERO SI/NO	comentarios
Número de pacientes que se han beneficiado del proyecto	12	
Incremento / decremento de pacientes respecto al año anterior	Incremento	
Se han desarrollado nuevos Elementos, pruebas o herramientas para diagnóstico	SÍ	
¿Se obtienen mejoras en el diagnóstico precoz de la enfermedad?	NO	
Variación en el precio del diagnóstico gracias a la investigación	SÍ	
Mejoras en tratamientos	SI	
¿Se han modificado tratamientos en base a los resultados?	SÍ	
¿Han sido efectivos los cambios de tratamiento?	SI	
¿Se realizan ensayos clínicos?	SI	
Incremento respecto al año anterior	SÍ	
¿Se ha incrementado la esperanza de vida de los pacientes con este proyecto?	NO	
En general, ¿está satisfecho con la utilidad práctica del proyecto?	SI	

Comentarios sobre la utilización práctica de los estudios.

Uno de los aspectos más importantes de este año es el hecho de que resultados de un proyecto de investigación básico van a ser adoptados en el nuevo ensayo clínico que estamos escribiendo. Esta es la mejor manera de mejorar los tratamientos, mediante la investigación. Todavía estamos lejos de poder decir que hemos sido capaces de aumentar la esperanza de vida de nuestros pacientes, pero sí podemos afirmar que algunos de ellos han presentado un claro beneficio clínico gracias a nuestra investigación.

5. SOBRE LOS RESULTADOS.

PREGUNTA	NÚMERO SI/NO	comentarios
Número de publicaciones editadas	7	
Número de artículos publicados	5	
Relaciones con otros equipos nacionales o internacionales	SI	
Patentes obtenidas	0	
Críticas publicadas a los trabajos	0	
En general, ¿está satisfecho con los resultados del proyecto?	SI	
¿Estaría dispuesto a compartir resultados positivos que ayuden a niños con otros equipos de la APU con la debida confidencialidad?	SI	

Comentarios sobre los resultados.

Además de los artículos en revistas científicas y en los congresos a los que han acudido miembros del equipo, muy importante dentro del apartado de resultados son todos aquellos que permiten tener cada vez más claras las ideas sobre las que gravitan los proyectos, y que no siempre son motivo de publicación. Gracias a este tipo de resultados se pueden plantear nuevas hipótesis, y con ellas nuevos proyectos más avanzados, algunos de los cuales consiguen financiación en las convocatorias adecuadas.

Respecto al tema de compartir resultados, nuestro grupo colabora con otros equipos financiados por APU: Dr. Javier García Castro, Dr. Javier Alonso, Dr. Lucas Moreno. Y nuestro proyecto en Leucemia está en colaboración con muchos equipos en toda España.