



ASOCIACIÓN DE PADRES
DE NIÑOS ENFERMOS
DE NEUROBLASTOMA

¡QUEREMOS VER CRECER A LAS ESTRELLAS!

PROYECTOS 2017

Asociación de Familiares y Amigos de
Pacientes Enfermos de Neuroblastoma

Passeig Sant Joan de Deu 2, Hospital Sant Joan de Deu, Espai Associacions. 08950 Espluges de Llobregat. BARCELONA
651 742 538 • info@asociacion-nen.org • CIF G65402471

www.asociacion-nen.org



ASOCIACIÓN DE PADRES
DE NIÑOS ENFERMOS
DE NEUROBLASTOMA

¡QUEREMOS VER CRECER A LAS ESTRELLAS!

1. Datos de la entidad:

CIF: G65402471

Dirección: Paseo Sant Joan de Déu, nº2, 08950 Esplugues de Llobregat (Barcelona)

Teléfono: +34 651742538

Página web: www.asociación-nen.org

Nº Registro nacional de asociaciones: 43305

Fecha Inscripción: 31/10/2011

Declarada entidad de Utilidad Pública el día 7 de Julio de 2014

Junta Directiva:

Presidente	Joaquín José Molí Jaime
Secretaria	Belén Molí Jaime
Tesorera	Mariló Correro Sánchez
Vocal 1	Gloria García Castellví
Vocal 2	Anna clara carreras
Vocal 3	Joan Ribas Ansaldo
Vocal 4	Francisco Drobnic

2

2. Aportaciones a la Investigación 2017:

2.1_ **La epigenética en la patogénesis del Neuroblastoma: implicaciones clínicas y estrategias terapéuticas.**

- **Institución:** Laboratorio de Investigación de los Tumores del Desarrollo Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona
- **Investigadora principal:** Dra. Cinzia Lavarino
- **Financiación:** 24.000€. Beca NEN. Contratación de la investigadora Dra. Soledad Gómez.
- **Duración:** 2017 a 2019
- **Resumen del proyecto:** La patogénesis describe el origen y evolución de una enfermedad con todos los factores que están involucrados en ella. La epigenética es el conjunto de reacciones químicas y demás procesos que modifican la actividad del DNA sin alterar la secuencia. El objetivo de este proyecto es estudiar cambios epigenéticos que pueden contribuir al desarrollo y al comportamiento clínico de la enfermedad con el fin de identificar nuevas dianas terapéuticas.



ASOCIACIÓN DE PADRES
DE NIÑOS ENFERMOS
DE NEUROBLASTOMA

¡QUEREMOS VER CRECER A LAS ESTRELLAS!

2.2_ **Terapia de precisión. Estudio de las anomalías cromosómicas mediante tecnología de microarrays. Desarrollo de protocolos de tratamiento personalizados.**

- **Institución:** Laboratorio de Investigación de los Tumores del Desarrollo Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona.
- **Investigadora principal:** Dra. Cinzia Lavarino
- **Financiación:** 6.500€
- **Duración:** 2017 a 2019
- **Resumen del proyecto:** Las alteraciones genéticas provocan la proliferación celular incontrolada y la formación de tumores. Mediante tecnología microchip o array se realiza el estudio del genoma en su totalidad para aplicar más racionalmente los protocolos en un tratamiento más personalizado de los pacientes. Se investigan además nuevas anomalías genéticas relevantes para la enfermedad.

2.3_ **Celyvir: Viro-Inmunoterapia para niños con tumores metastásicos refractarios; Del laboratorio a la clínica**

- **Institución:** Fundación para la investigación biomédica del Hospital Universitario Niño Jesús e Instituto de Salud Carlos III de Madrid.
- **Coordinador científico:** Dr. Manuel Ramírez Orellana
- **Financiación:** 15.000€ Convenio de colaboración para la contratación del investigador Dr. Gustavo Melen.
- **Resumen del proyecto:** Celyvir terapia innovadora en fase de investigación desarrollada por el Hospital Universitario Niño Jesús y el Instituto de Salud Carlos III de Majadahonda (Madrid). Emplea virus casi inocuos para atacar el tumor, que se trasladan en células mesénquimas cultivadas previamente en laboratorio y pretende además provocar una reacción autoinmune en el paciente.

2.4_ **Nanopartículas para el tratamiento del Neuroblastoma.**

- **Institución:** Universidad de Navarra.
- **Investigador Principal:** Dra. María Blanco-Prieto.
- **Duración:** 2017
- **Aportación NEN 2017:** 12.000€
- **Resumen del proyecto:** Diseño, desarrollo y evaluación en cultivos celulares de nanopartículas cargadas con fármacos citostáticos eficaces en neuroblastoma con el fin de mejorar la eficacia y disminuir la toxicidad frente a tratamientos convencionales.



ASOCIACIÓN DE PADRES
DE NIÑOS ENFERMOS
DE NEUROBLASTOMA

¡QUEREMOS VER CRECER A LAS ESTRELLAS!

2.5_ Fisiopatología de las células madre cancerosas en Neuroblastoma pediátrico.

- **Institución:** Instituto de Biomedicina de Sevilla IbiS. Hospital Universitario Virgen del Rocío/CSIC/Universidad de Sevilla – Departamento de Fisiología Médica y Biofísica.
- **Investigador Principal:** Dr. Ricardo Pardal.
- **Importe anual:** 20.000€
- **Duración:** 2017 a 2019
- **Resumen del proyecto:** El grupo IBIS aborda en el proyecto "Fisiopatología de las células madre cancerosas en neuroblastoma pediátrico" el papel de las células madre en el neuroblastoma. Este proyecto, premiado por la AECC en el año 2012 en su convocatoria anual de ayuda al cáncer infantil, nace en el laboratorio, con la intención de convertirse en translacional. La investigación busca la caracterización de células madre cancerosas en los neuroblastomas pediátricos, y evaluación del posible uso de estas células como dianas terapéuticas en el tratamiento de las variantes más agresivas de la enfermedad. Avances: Se han descubierto células madre tumorales, en los neuroblastomas agresivos, que ayudan a la tumorigénesis, y se identificarán rutas moleculares que permitirían el bloqueo de la función de estas células madre.

4

2.6_ Desarrollo de Nanotransportadores inteligentes para terapia contra Neuroblastoma

- **Institución:** Universidad Complutense de Madrid. Grupo de Investigación de Biomateriales Inteligentes de la UCM GIBI-CIBER-BBN Dpto. Química Inorgánica y Bioinorgánica
- **Investigador Principal:** Dra. María Vallet Regi.
- **Importe anual:** 3.000€
- **Duración:** 2017 a 2019
- **Resumen del proyecto:** El proyecto desarrolla de una nueva terapia más eficaz y con menor toxicidad para el tratamiento de neuroblastoma. Se basa en la utilización de nanosistemas sensibles a campos magnéticos, capaces de transportar diferentes especies citotóxicas hacia la zona tumoral y una vez allí, liberarlas en respuesta a la aplicación de campos magnéticos alternos, inocuos para el organismo. Se estudia la eficacia terapéutica de estos dispositivos y si se produce un aumento en la mortalidad celular de NB en comparación con los tratamientos estándar.



ASOCIACIÓN DE PADRES
DE NIÑOS ENFERMOS
DE NEUROBLASTOMA

¡QUEREMOS VER CRECER A LAS ESTRELLAS!

2.7_ Identificación y validación de programas de Terapias inmunitarias, modelos pre clínicos y marcadores de respuesta terapéutica en tumor neuroblástico periférico.

- **Institución:** Fundación INCLIVA (Departamento de Patología de la Universidad de Valencia, Hospital Clínico de Valencia e Instituto Valenciano de Infertilidad)
- **Investigador Principal:** Dra. Rosa Noguera.
- **Presupuesto Total:** 203.000€
- **Duración:** 2017 a 2019
- **Aportación NEN 2017:** 57.000€
- **Resumen:** Se utilizarán técnicas genómicas de alto rendimiento y enfoques morfométricos avanzados para identificar mecanoterapias dirigidas a nuevos genes / elementos de los tejidos tumorales en neuroblastoma de alto riesgo (HR-NB) sin amplificación homogénea de MYCN (no homMNA).

Los innovadores datos tumorales genómicos y de análisis de imagen microscópica obtenidos, así como los derivados del modelo preclínico propuesto, proporcionarán información valiosa para diseñar nuevas estrategias terapéuticas para los pacientes afectados de neuroblastoma, otras neoplasias pediátricas y adultos con cáncer.

Es imprescindible para guiar la elección de la terapia y/o predecir con precisión su eficacia clínica, la validación de cualquier "impacto" identificado en las muestras de tejido tumoral neuroblástico con bases de datos genómicos y con modelos preclínicos robustos. Para ello, se desarrollará un clasificador basado en genes / regiones cromosómicas que unirá parámetros clínicos, alteraciones de la envoltura nuclear tumoral y la organización de la sustancia fundamental, las fibras de reticulina, los vasos sanguíneos así como el grado y tipo de infiltrado de células madre e inmunes, usando biopsias tumorales de pacientes y muestras de tumor derivadas de la experimentación animal.

Para el ensayo preclínico de compuestos terapéuticos relacionados con señales mecánicas de comunicación de las células tumorales y los elementos estructurales a su alrededor, se desarrollarán modelos animales con tumores injertados que permitirán determinar cómo los eventos genéticos y los patrones de rigidez de la matriz extracelular impulsan el comportamiento clínico agresivo asociado con este grupo de pacientes.



ASOCIACIÓN DE PADRES
DE NIÑOS ENFERMOS
DE NEUROBLASTOMA

¡QUEREMOS VER CRECER A LAS ESTRELLAS!

2.8_ Estudio de las kinesinas como nuevas dianas terapéuticas en neuroblastomas.

- Institución: Laboratorio de Investigación Traslacional en Cáncer de Niños y Adolescentes. Hospital Universitario de La Vall d'Hebrón de Barcelona.
- **Investigador Principal:** Dr. Miguel Segura
- **Presupuesto Total:** 192.500€
- **Importe 2017:** *Por asignar*
- **Duración:** 2017 a 2019
- **Resumen:** El proyecto propone validar una nueva diana terapéutica para los NB que no responden a los tratamientos habituales probando la eficacia de un nuevo medicamento que bloquea una de las principales proteínas esenciales para la división de las células (KIF11). Los primeros ensayos clínicos en tumores del adulto demuestran que es un fármaco seguro y que puede ser eficaz en tumores de crecimiento muy rápido como son los neuroblastomas de alto riesgo.

6

En Espulgues; a 30 de marzo de 2017

Joaquín Molí
Presidente