

Jornada Formativa, febrer de 2025

Els nous avenços en els tractaments, i el Pla estratègic de recerca pediàtrica 2021-2025

Després de l'assemblea general de socis del dissabte 22 de febrer, va tenir lloc la ja tradicional Jornada Formativa de l'entitat, que tracta d'oferir al conjunt dels associats les últimes novetats en el coneixement científic sobre la malaltia, així com les noves iniciatives que es proposen en l'àmbit mèdico-sanitari.

Per a aquesta ocasió, l'Associació va creure oportú convidar a aquesta Jornada Formativa als professionals que estan duent a terme interessants línies de recerca entorn dels nous moduladors i especialment en la projecció dels assajos clínics en marxa que poden acabar llançant nova llum sobre els tractaments del futur immediat.

Van ser presents en la primera part de la xerrada, el Dr Antonio Álvarez i la Dra Almudena Felipe, per a ampliar informació sobre les noves estratègies en la recerca i els tractaments innovadors que s'aplicaran arran dels resultats dels últims assajos clínics en els quals ha participat la Unitat de la Vall d'Hebrón. I també, una bona part de malalts de FQ seleccionats específicament per a garantir la seguretat dels nous fàrmacs i la seva efectivitat en la millora de les condicions de vida dels afectats i la cronificació de la malaltia. Tot això, mentre no es resolen definitivament les deficiències genètiques que s'estan affrontant amb les noves recerques sobre teràpia gènica, que s'estan duent a terme.

La Dra Almudena Felipe, que va ser qui més es va estendre en la xerrada, va posar sobre la taula alguns dels objectius sobre les noves línies de recerca entorn dels nous CFTRm i els nous tractaments sobre RNAm, així com tots aquells assajos clínics sobre teràpia gènica en previsió, alguns dels quals requeriran un ingrés hospitalari limitat (d'entre 3 i 5 dies) amb administracions per ne-

**La Jornada Formativa va servir,
un cop més, per mostrar el nivell
d'implicació dels
professionals mèdico-sanitaris
en la lluita contra la FQ**

amb el suport de:



Ajuntament de L'Hospitalet



La Dra. Almudena Felipe durant la Jornada

La Dra Almudena Felipe va posar l'accent en la importància dels assajos clínics com un eix d'avenç en el nous tractaments

bulització, i els criteris d'inclusió dels quals seran persones afectades que tenen una o dues mutacions (en funció del tipus d'assaig sigui de mRNA, de DNA o de oligonucleòtids) o que no responen als tractaments dels nous moduladors. Els assajos de mRNA i de DNA estaran en Fase 1, mentre que el de oligonucleòtids ja està en Fase 2.

La Dra Felipe, a la qual vam tenir l'honor de seguir en la càpsula informativa 4, del maig passat, explicant bona part del seu treball vinculat a la tesi doctoral que està desenvolupant, va comentar així mateix els treballs duts a terme amb la teràpia de fagos i també els requisits per a la participació en els diversos assajos clínics en marxa i, sobretot, els seus avantatges: rebre tractaments, en general de molt bona resposta abans que estiguin disponibles en el mercat farmacològic; augmentar les opcions de tractament; rebre un control molt estret de les respostes, cosa que significa ajuda als nous pacients i, en última instància, la contribució dels participants a la consolidació de la recerca mèdica en molt diversos aspectes i en línies molt precises.

Acabada la dissertació de la Dra Almudena Felipe, va prendre la paraula el Dr Antonio Moreno per a parlar del Pla Estratègic de recerca pediàtrica 2021-2025 de la Vall d'Hebrón, desenvolupat pel VHIR (Institut de Recerca de la Vall d'Hebrón). El Dr. Moreno

és el director associat del Hub de Recerca Pediàtrica que és l'organisme que ha de permetre promocionar la recerca en els estadis d'infància i adolescència i que ja pot presentar una xifra d'èxit que garanteixen la seva consolidació. Concretament, 30 grups del VHIR participen ara mateix en la recerca pediàtrica, dels quals 5 són exclusivament pediàtrics, amb 353 publicacions habilitades, amb un 3.025 factor

d'impacte total i amb 167 participacions en assajos clínics fins a la data.

Les línies estratègiques que es van presentar, eren justament la creació del Hub de Recerca Pediàtrica que converteixi el campus de la Vall d'Hebrón en un referent de primer nivell; la creació d'una unitat d'Assajos Clínics Pediàtrics i de Teràpies Pediàtriques Avançades; la promoció del talent, el coneixement i les infraestructures per a la recerca al campus, en l'àmbit de la pediatria; l'impuls de la cultura d'innovació i la transferència de coneixement a la societat; el foment de la participació activa dels pacients i la potenciació de les aliances estratègiques tant públiques com privades; l'exercici del mecenatge i la intercol·laboració en xarxes de referència que facilitin la transmissió del coneixement i el suport tècnic i de recursos.

Precisament, sobre la base d'aquesta última línia estratègica de col·laboració amb els organismes socials tant públics com privats, és on la Associación està disposada a posar novament un



El Dr Antonio Álvarez presentant la Dra Almudena Felipe a l'inici de la Jornada Formativa d'aquest any

granet de sorra intentant la mediació amb organismes financers o vinculats, per aconseguir recursos suficients que converteixin la proposta de Hub pediàtric en una autèntica realitat. Aquest va ser el compromís que es va posar de manifest també en aquesta Jornada, juntament amb l'agraïment per l'interès demostrat al llarg dels anys a càrrec de l'equip mèdic del campus de la Vall d'Hebrón i els equips de recerca de referència.

La ACFQ disposada a mediar per aconseguir els recursos necessaris per tal que el Hub pediàtric de la Vall d'Hebrón arribi a bon port



El Dr. Antonio Moreno durant la seva xerrada

Jornada Formativa, febrero de 2025

Los nuevos avances en los tratamientos y el Plan estratégico de investigación pediátrica 2021-2025

Tras la asamblea general de socios del sábado 22 de febrero, tuvo lugar la ya tradicional Jornada Formativa de la entidad, que trata de ofrecer al conjunto de los asociados las últimas novedades en el conocimiento científico sobre la enfermedad así como las nuevas iniciativas que se proponen en el ámbito médico-sanitario.

Para esta ocasión, la Asociación creyó oportuno invitar a esta Jornada Formativa a los profesionales que están llevando a cabo interesantes líneas de investigación en torno a los nuevos moduladores y especialmente a la proyección en los ensayos clínicos en marcha que pueden acabar arrojando nueva luz sobre los tratamientos del futuro inmediato.

Estuvieron presentes en la primera parte de la charla, el Dr Antonio Álvarez y la Dra Almudena Felipe, para ampliar información sobre las nuevas estrategias en la investigación y los tratamientos innovadores que se van a aplicar a raíz de los resultados de los últimos ensayos clínicos en los que ha participado la Unidad del Valle Hebrón. Y también, una buena parte de afectados de FQ seleccionados específicamente para garantizar la seguridad de los nuevos fármacos y su efectividad en la mejora de las condiciones de vida de los afectados y la cronificación de la enfermedad. Todo ello, mientras no se resuelven definitivamente las deficiencias genéticas que se están afrontando con las nuevas investigaciones sobre terapia génica, que se llevan a cabo.

La Dra Almudena Felipe, que fue quien más se extendió en la charla, puso sobre la mesa algunos de los objetivos sobre las nuevas líneas de investigación en torno a los nuevos CFTRm y a los nuevos tratamientos sobre RNAm, así como todos aquellos ensayos clínicos sobre terapia génica en previsión, algunos de los

**La Jornada Formativa sirvió,
una vez más, para mostrar el
nivel de implicación de los
profesionales médico-sanitarios
en la lucha contra la FQ**

amb el suport de:



Ajuntament de L'Hospitalet



La Dra. Almudena Felipe durante la Jornada

La Dra Almudena Felipe puso el acento en la importancia de los ensayos clínicos como un eje de avance en los nuevos tratamientos

cuales requerirán un ingreso hospitalario limitado (de entre 3 y 5 días) con administraciones por nebulización y cuyos criterios de inclusión serán afectados que tienen una o dos mutaciones (en función del tipo de ensayo sea de mRNA, de DNA o de oligonucleótidos) o que no responden a los tratamientos de los nuevos moduladores. Los ensayos de mRNA y de DNA estarán en Fase 1, mientras que el de oligonucleótidos ya está en Fase 2.

La Dra Felipe, a la que tuvimos el honor de seguir en la cápsula informativa 4, de mayo pasado, explicando buena parte de su trabajo vinculado a la tesis doctoral que está desarrollando, comentó asimismo los trabajos llevados a cabo con la terapia de fagos y también los requisitos para la participación en los diversos ensayos clínicos en marcha y, sobre todo, sus ventajas: recibir tratamientos, en general de muy buena respuesta antes de que estén disponibles en el mercado farmacológico; aumentar las opciones de tratamiento; recibir un control muy estrecho de las respuestas, lo que significa de ayuda a los nuevos pacientes y, en última instancia, la contribución de los participantes a la consolidación de la investigación médica en muy diversos aspectos y en líneas muy precisas.

Terminada la disertación de la Dra Almudena Felipe, tomó la palabra el Dr Antonio Moreno para hablar del Plan Estratégico de investigación pediátrica 2021-2025 de la Vall d'Hebrón desarrollado por el VHIR (Institut de Recerca de la Vall d'Hebrón). El Dr. Moreno es el director asociado del Hub de Investigación Pediátrica que es el organismo que ha de permitir promocionar la investigación en los estadios de infancia y adolescencia y que ya puede presentar una cifras de éxito que garantizan su consolidación. Concretamente, 30 grupos del

VHIR participan ahora mismo de la investigación pediátrica, de los cuales 5 son exclusivamente pediátricos, con 353 publicaciones habilitadas, con un 3.025 factor de impacto total y con 167 participaciones en ensayos clínicos hasta la fecha.

Las líneas estratégicas que se presentaron, eran justamente la creación del Hub de Investigación Pediátrica que convierta el campus del Valle Hebrón en un referente de primer nivel; la creación de una unidad de Ensayos Clínicos Pediátricos y de Terapias Pediátricas Avanzadas; la promoción del talento, el conocimiento y las infraestructuras para la investigación en el campus, en el ámbito de la pediatría; el impulso de la cultura de innovación y la transferencia de conocimiento a la sociedad; el fomento de la participación activa de los pacientes y la potenciación de las alianzas estratégicas tanto públicas como privadas; el ejercicio del mecenazgo y la intercolaboración en redes de referencia que faciliten la transmisión del conocimiento y el soporte técnico y de recursos.



El Dr Antonio Álvarez presentando a la Dra Almudena Felipe en el comienzo de la Jornada Formativa de este año

Precisamente, en base a esta última línea estratégica de colaboración con los organismos sociales tanto públicos como privados, es donde la Asociación está dispuesta a poner nuevamente un granito de arena intentando la mediación con organismos financieros o vinculados, para conseguir recursos suficientes que conviertan la propuesta de Hub pediátrico en una auténtica realidad. Ese fue el compromiso que se puso de manifiesto también en esta Jornada, junto con el agradecimiento por el interés demostrado a lo largo de los años por el equipo médico del campus del Valle Hebrón y los equipos de investigación de referencia.

**La ACFQ dispuesta a mediar
para conseguir los recursos
necesarios para que el Hub
pediátrico del Valle Hebrón
llegue a buen puerto**



El Dr. Antonio Moreno durante su charla