

Unidad Ensayos Clínicos Hospital Niño Jesús

Madrid, 20 de Septiembre de 2017
Jornada sobre Investigación Clínica en
Pediatría



Conflict of interest statement

Consulting or advisory role (including ALK inhibitors):
Novartis, AstraZeneca, Roche Genentech, Bayer, Amgen,
MundiPharma

Travel expenses: MundiPharma, Celgene, Amgen

My institution (not me) receives funding for conducting industry-sponsored clinical trials



Índice

1. Background, ¿Qué hemos hecho?
2. Nuestros Objetivos
3. ¿Qué hacemos?
4. Visión de futuro



Background

1. Hospital Infantil Universitario Niño Jesús

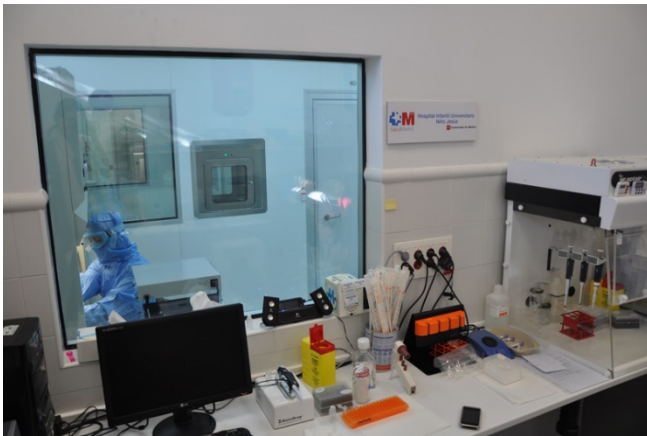


140 años de historia
Hospital de referencia en
Madrid y a nivel nacional
Prestigio por sus
profesionales, el “hospital
de los niños”



Background

2. Fundación de Investigación Hospital Niño Jesús



Fundada en 2008

Vehiculiza toda la investigación del hospital

2016: 24 proyectos financiados,
100 artículos...

Partner con IIS La Princesa

Sala Blanca (GMP facility AEMPS
accredited) para terapia celular
y génica

<http://fibhnjs.org/>



Ensayos en enfermedades raras

redacción médica

El primer medicamento para niños y adultos con esclerosis tuberosa



Buscar en Redacción

POLÍTICA SANITARIA ESPECIALIDADES CONOCIMIENTO EMPRESAS ESPACIO SOCIO SANITARIO AUTONOMÍAS OPINIÓN LA REVISTA



Llega a España el primer fármaco para niños y adultos con esclerosis tuberosa



 **neurologia.com**
Revista de Neurología / Formación Online

Inicio Revista Formación Noticias Agenda Categorías Quiénes Somos

Buscar en neurologia.com

Experiencia clínica del tratamiento de sustitución enzimática con idursulfasa

L.G. Gutiérrez-Solana

1	☐	Completed	LAL-AR-N-2005: Study Treatment for Children High Risk Acute Lymphoblastic Leukemia
2	☐	Completed	Safety and Efficacy of Repeated Infusion of CELYVIR in Children and Adults With Metastatic and Refractory Tumors.
3	☐	Terminated	Haploidentical Stem Cell Transplantation and IL-15 NK Cell Infusion for Paediatric Refractory Solid Tumours
4	☐	Completed	Physical Activity in Pediatric Cancer (PAPEC)
5	☐	Completed	Combined Inspiratory Muscle and 'Whole Muscle' Training in Children With Cystic Fibrosis
6	☐	Completed	Effects of a High Intensity Resistance Training in Muscular Strength, Agility, and Body Composition of Anorexia Nervosa Restricting Type Patients
7	☐	Terminated	Salvage Therapy With Chemotherapy and Natural Killer Cells in Relapsed/Refractory Paediatric T Cell Lymphoblastic Leukaemia and Lymphoma
8	☐	Completed Has Results	Clinical Trial of Expanded and Activated Autologous NK Cells to Treat Multiple Myeloma
9	☐	Active, not recruiting	Mesenchymal Stem Cell Based Therapy for the Treatment of Osteogenesis Imperfecta
10	☐	Completed	Tolerability of ALK Grass Tablet in Children
11	☐	Terminated	Trial to Evaluate the Effect of Plantago Ovata Husk in the Remission of Metabolic Syndrome in Children and Adolescents
12	☐	Completed	A Study of MHAA4549A in Combination With Oseltamivir Versus Oseltamivir in Participants With Severe Influenza A Infection
13	☐	Active, not recruiting Has Results	A Study of Bevacizumab (Avastin) in Combination With Temozolomide (TMZ) and Radiotherapy in Paediatric and Adolescent Participants With High-Grade Glioma
14	☐	Completed	First Year Growth Response Associated Genetic Markers Validation Phase IV

Clinicaltrials.gov completed trials:
fibrosis quística, alergia, sd.Down,
sd.metabólico, pubertad, psiquiatría...



Ensayos académicos en enfermedades raras

EM  ESPAÑA OPINIÓN INTERNACIONAL ECONOMÍA SOCIEDAD DEPORTES CULTURA CIENCIA

Inicio > Salud > **Enfermedades raras** > Cáncer > Nutrición

SALUD · Enfermedades raras

Anemia de Fanconi: así es el primer ensayo español de terapia génica

≡ **EL PAÍS**

Materia
III

[LUCHA CONTRA EL CÁNCER >](#)

El virus que libró a un niño del cáncer mejora para nuevos pacientes

Médicos y científicos de varios centros españoles desarrollan un tratamiento contra tumores infantiles que usa patógenos escondidos dentro de células del propio paciente



3. Unidad de Ensayos Clínicos

Nacimos en 2013

Acreditación ITCC (centro fase I desde
2015, HNJ y La Fe)

De 9 a >40 ensayos clínicos

>10 first-in-child

Excelente reclutamiento y acogida a nivel
nacional

Porftolio con predominio en onco-
hematología y trasplante

Expansión a todas especialidades desde
2017 (despacito...), gestionamos 31/38
fase I-II y 15/30 fase III



ASCO® Annual Meeting

McCormick Place | Chicago, Illinois

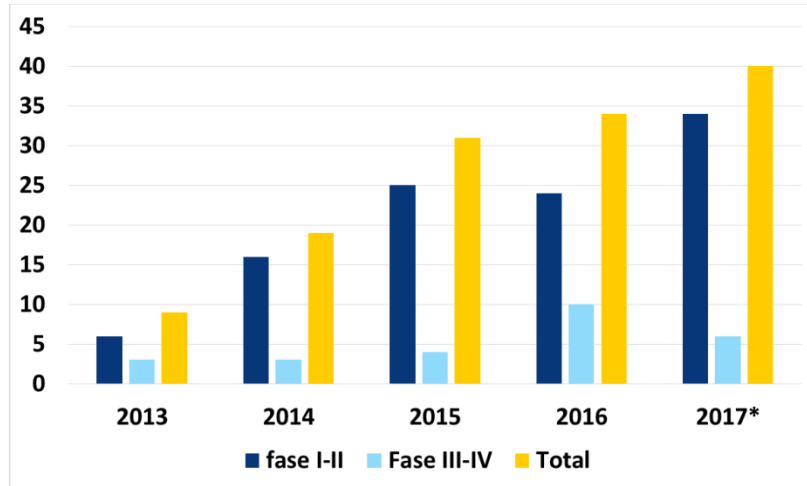
Phase 1/2 study of weekly *nab*-paclitaxel (*nab*-P) in pediatric patients (pts) with recurrent/refractory solid tumors (STs): Dose-finding and pharmacokinetics (PK).

Lucas Moreno, Michela Casanova, Julia C. Chisholm, Pablo Berlanga, Pascal B.



Objetivos en 2013

•Incrementar el portfolio de ensayos fase I-II



•Abrir ensayos first-in-child

Nab-paclitaxel, ceritinib, dabrafenib, TVEC, carfilzomib, atezolizumab, cobimetinib, decitabina, Celyvir, lenvatinib, fancolen, ibrutinib

•Ofrecer acceso a nuevos tratamientos

ENSAYOS CLÍNICOS		2013	2016
Cerebrales	Glioma de alto grado/Tronco	●	●
	Glioma de bajo grado		●
	Meduloblastoma		●
	Otros tumores cerebrales		●
Leucemia/linfoma	Leucemia linfoblástica		●
	Leucemia mieloblástica		●
	Linfoma		●
Tumores sólidos	Osteosarcoma		●
	Sarcoma de Ewing		●
	Rabdomiosarcoma	●	●
	Otros sarcomas	●	●
	Neuroblastoma		●
	Otros tumores sólidos		●
Hematología	Fanconi		●
	Trombopenia crónica		●
Tratamiento de soporte		●	●

•Liderar y atraer ensayos clínicos internacionales académicos

BEACON, eSMART, BIOMEDE, Bosu



Objetivos

1. Dar servicio a todas las especialidades pediátricas para realizar ensayos clínicos de alta calidad, facilitando la labor del investigador
2. Proporcionar acceso a nuevos tratamientos para pacientes con enfermedades raras y graves
3. Ser punta de lanza en Terapias Avanzadas (celular, génica, tisular) y ensayos first-in-child

<http://fibhnjs.org/ensayos-clinicos/>



¿Qué hacemos?

TODOS LOS ENSAYOS

1. Punto único de contacto para feasibility con rápido tiempo de respuesta
2. Acelerar puesta en marcha
3. Promotor de ensayos clínicos académicos
4. Consultoría y advisory role para todo el hospital

ON DEMAND

1. Data entry y data management
2. Study coordination, visitas de monitorización, database locks
3. Enfermería de investigación y manejo de muestras
4. Atención integral para ensayos first-in-child



Visión de futuro

Retos locales

- Acelerar set up
- Capacidad y crecimiento, espacios y personas
- Atraer investigadores
- Servicios centrales
- Métricas de calidad y benchmarking

Retos globales

- Más colaboración entre stakeholders (ensayos más fáciles)
- Trabajo en red (RECLIP)
- Financiación para realizar ensayos académicos nacionales e internacionales
- Compromiso, especialización, dedicación, métricas



Agradecimientos

Hospital Niño Jesús:

Onco-Hematología

- Luis Madero
- Julián Sevilla
- Manuel Ramírez
- Equipo de Onco-Hematología Pediátrica

• **Farmacia:** Silvia Martín Prado

• **Cuidados Paliativos,** Ricardo Martino

• **Servicios de Radiología, Anatomía Patológica y otras especialidades**

• Rosa Gómez de Merodio

Fundación para la Investigación Biomédica HNJ

- Sala Blanca y Labo. Oncología
- Verónica G^a Martínez
- Investigadores y compañer@s

Colaboradores:

SJD: Joana Claverol, Ofelia Cruz, Jaume Mora, Emili Bargalló

SIOPEN: Dominique Valteau-Couanet

ITCC: Birgit Geoerger, Michel Zwaan, Pam Kearns

Royal Marsden Hospital

• Andy Pearson, Lynley Marshall, Fernando Carceller

SEHOP

• Ana Fernández-Teijeiro y Junta Directiva

IIS La Princesa

A PACIENTES, PADRES Y FAMILIAS

