



RESÚMENES PROYECTOS INTRAMURALES 2017

1. Servicio de Endocrinología, Crecimiento y Metabolismo

Dr. Gabriel Á. Martos Moreno

Título: Evaluación de la eficacia, efectos metabólicos y seguridad en la modificación de proporciones del contenido de macronutrientes en la dieta para el tratamiento de la obesidad en adolescentes.

Se pretende evaluar los efectos antropométricos, metabólicos, hormonales y sobre la cantidad y distribución de grasa corporal de una alimentación con restricción de carbohidratos, en comparación con una dieta sin restricción, en adolescentes obesos y la evolución de los cambios inducidos a medio plazo. Se recogerán muestras biológicas (ADN, suero y plasma) en distintos momentos de la intervención para su futuro estudio en las líneas innovadoras de investigación en desarrollo (genética, genómica, metabolómica, nutrigenómica) con el objetivo de buscar de potenciales biomarcadores de patología asociada y predictores de respuesta terapéutica.

2. Servicio de Oncología

Dra. África González Murillo

Título: Inmunoterapia celular adoptiva con linfocitos. Estudio de la angre de cordón umbilical como fuente de linfocitos T madre memoria (Tscm).

Una estrategia poco desarrollada en el cáncer infantil es la inmunoterapia, que se refiere en líneas generales a la posibilidad de utilizar la capacidad del sistema inmune para atacar y eliminar las células tumorales. En un tipo de inmunoterapia se emplean moléculas que bloquean la actividad de ciertas proteínas que limitan la potencia de las respuestas inmunitarias en los tumores, como son el anti-PD1, anti PD-L1 o el anti-CTLA-4. Otro tipo de inmunoterapia es la transferencia celular adoptiva (adoptive cell transfer, ACT), en la que la medicina son linfocitos autólogos expandidos (linfocitos infiltrantes de tumor, TILs, o en una estrategia de receptores antigénicos quiméricos, CARs). Una de las limitaciones en la infusión de linfocitos expandidos tiene que ver con el agotamiento en la actividad y persistencia de los mismos. En este proyecto nos planteamos caracterizar un pequeño compartimento de células T memoria con características de células madre, linfocitos Tscm, dentro de la población de linfocitos presente en la sangre de cordón umbilical, y analizar las mejores condiciones de cultivo para expandirlas sin que sus características “stem” se vean disminuídas.

3. Patología neuroinmune

Dr. José Hinojosa Mena Bernal

Título:Terapia celular, una esperanzadora alternativa terapéutica en las patologías neurológica y neuroquirúrgica de la edad pediátrica.

Las enfermedades neurológicas y neuroquirúrgicas constituyen entidades pediátricas con gran morbilidad en la vida de niños y adolescentes. Una respuesta inflamatoria se determina como base fisiopatológica en muchas de ellas, ya sea por participación de linfocitos B, T, células gliales o macrófagos. Las opciones terapéuticas de las que se disponen son limitas y en ocasiones ineficaces. Las células madre mesenquimales (más conocidas como mesenchymal stem cells (MSC)), representan una prometedora opción terapéutica en este tipo de enfermedades, basándose en su efecto inmunomodulador capaz de frenar la neurodegeneración que se



produce, y quizá, aunque discutido, efecto regenerador. Este proyecto pretende la aplicación en pediatría, mediante uso compasivo, y partiendo de la propia experiencia prometedora en dos pacientes con epilepsia refractaria, de evidenciar la seguridad, tolerabilidad y efectividad de esta terapia en enfermedades neurológicas que implican una situación secuelar o de deterioro progresivo. Se seleccionaran pacientes pediátricos con daño cerebral adquirido, epilepsias, enfermedades neurometabólicas y traumatismo cráneo-encefálico moderado- grave, que cumplan criterios de inclusión y ninguno de exclusión. Tras firmar el consentimiento informado, obtener y preparar las MSC, se procederá a la infusión intraarterial/intravenosa e intratecal de las mismas, realizándose controles clínicos, electrofisiológicos y radiológicos para confirmar los objetivos establecidos en términos de mejoría motora y/o cognitivo-conductual.

4. Psiquiatría y Psicología Clínica

Dra. Montserrat Graell Berna

Título: Presentación clínica y diagnóstico DSM-5 de los trastornos de alimentación de inicio temprano (6-13 años).

En este estudio retrospectivo, se seleccionan los/as niños/as entre 6 y 13 años de edad con diagnóstico de TCA que hayan realizado tratamiento en la Unidad de Trastornos del Comportamiento Alimentario desde mayo de 2007 hasta enero 2017 (tamaño muestra estimado: 300). Se recoge información de las historias clínicas. Análisis estadístico de tipo LCA (Latent Class Analysis - Análisis de Clases Latentes) utilizando cuatro variables: Miedo a ganar peso, distorsión de la imagen corporal o del propio peso, ejercicio físico excesivo y quejas somáticas (según criterio de expertos y evidencia de literatura revisada). De esta forma detectaremos patrones característicos de cada categoría, y así validar la clasificación diagnóstica DSM-5 de los TCA de niños de edad escolar.

5. Farmacia

Dra. Maite Pozas del Río

Título: Proyecto cooperativo para la reducción del riesgo relacionado con la quimioterapia en Onco-Hematología Pediátrica.

Con este proyecto pretendemos implantar un programa de Conciliación de la Medicación (CM), entendiendo como tal el proceso formal y estandarizado de obtener la lista completa de la medicación previa de un paciente, compararla con la prescripción activa, y analizar y resolver las discrepancias encontradas, para garantizar que los pacientes reciben todos los medicamentos de su tratamiento crónico, adecuados a la actual situación del paciente y a la nueva prescripción realizada en el ingreso hospitalario.

6. Patología neuroinmune

Dra. Anna Duat Rodríguez

Título: Estudio de biomarcadores vasculares en el síndrome de Sturge-Weber.

El síndrome de Sturge-Weber (SWS) es un trastorno vascular congénito del grupo de enfermedades neurocutáneas, clásicamente conocido como "angiomas encéfalo-trigeminal". En los últimos años se ha avanzado en el conocimiento de la fisiopatología de dicha enfermedad, lo que ha ayudado a orientar mejor los estudios de investigación actuales, que se basan en el conocimiento de la existencia de un trastorno vascular subyacente. La determinación de marcadores de proliferación vascular en sangre u orina podría resultar útil



para valorar la progresión de la enfermedad, o la respuesta a medidas terapéuticas, como sugieren estudios llevados a cabo en los últimos años. Se ha demostrado una elevación en orina de marcadores como metaloproteinasas de matriz (MMPs), factor de crecimiento fibroblástico básico (bFGF, FGF2) y factor de crecimiento endotelial vascular (VEGF) en pacientes con tumores y malformaciones vasculares, y dicho aumento parece correlacionarse con la extensión de la lesión y su evolución clínica. La determinación seriada de dichos marcadores en nuestros pacientes, y su correlación con su estado clínico evolutivo nos ayudaría a determinar su utilidad de cara a predecir el pronóstico y con ello, la necesidad de un abordaje terapéutico más intensivo y precoz.

7. Servicio de Cuidados Intensivos Pediátricos

Dra. Gema de Lama Caro-Patón

Título: Valor diagnóstico y pronóstico de los marcadores biológicos en sangre y líquido cefalorraquídeo en pacientes con daño cerebral agudo establecido secundario a diferentes etiologías y en pacientes críticos con riesgo de lesión cerebral.

Con este proyecto se pretende establecer el poder diagnóstico de los biomarcadores en sangre y líquido cefalorraquídeo (LCR) en pacientes que no puedan ser evaluados clínicamente de manera precisa para un diagnóstico y tratamiento precoz en caso de complicaciones, tratando de evitar complicaciones derivadas de un diagnóstico y tratamiento tardío.

Además, se pretende establecer el poder pronóstico de estos biomarcadores en pacientes con daño cerebral agudo de cualquier etiología para para adecuación del tratamiento en cada caso de manera individualizada, conocimiento lo más óptimo posible de la evolución y entrega de información correcta, fiable y precisa a las familias.

8. Inmunidad de Mucosa Gastrointestinal (Sección Gastroenterología y Nutrición Pediátricas)

Dra. Gloria Domínguez Ortega

Título: Esofagitis eosinofílica (EEo) y microbiota esofágica. Caracterización del patrón de la microbiota esofágica y estudio de biomarcadores de linfocitos intraepiteliales duodenales en pacientes con EEo.

La Esofagitis eosinofílica (EEo) es una enfermedad inmunomediada que afecta funcional e histológicamente al esófago y donde el sistema inmune de la mucosa intestinal y la inmunidad sistémica están implicados en la patogenia de la enfermedad. El estudio pretende describir el patrón de la microbiota esofágica y duodenal y caracterizar los linfocitos intraepiteliales duodenales en pacientes pediátricos con esofagitis eosinofílica (EEo) . Para ello se tomarán biopsias esofágicas y duodenales y se procesarán mediante técnicas específicas de estudio de microbioma, citometría de flujo y biología molecular. Se analizarán estadísticamente los hallazgos biológicos y clínicos. Nuestro proyecto puede ser útil en la identificación de nuevas dianas terapéuticas o marcadores biológicos de la enfermedad.

9. Servicio de Oncología

Dra. Blanca Herrero Velasco

Título: Registro y unidad de seguimiento de supervivientes a largo plazo de cáncer infantil en el Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús.



El proyecto consiste en la creación de un Registro y una Unidad de Supervivientes a largo plazo de Cáncer Infantil en el Servicio de Oncología del Hospital Infantil Universitario del Niño Jesús.

En este servicio se diagnostican unos 100 pacientes al año, con una supervivencia en torno al 80% a los 5 años. La población diana de este proyecto será de más de 1500 supervivientes tratados desde 1990.

La Unidad de Supervivientes a largo plazo será una unidad multidisciplinar para atender de forma integral las necesidades médicas y psicosociales de los supervivientes de un cáncer pediátrico. Estos pacientes precisan un seguimiento tanto de la enfermedad oncológica como de las complicaciones derivadas de su tratamiento.

La unidad tiene un objetivo científico con el desarrollo de distintos estudios en los supervivientes (secuelas, calidad de vida, segundos tumores...)

10. Enfermería

Dña. Pilar Herrero

Título: Humanización y atención integral al paciente pediátrico que participa en ensayos clínico en fase precoz.

Analizar, definir e impulsar las actuaciones e iniciativas dirigidas a proporcionar al paciente incluido en un Ensayo Clínico y a su familia una atención integral y personalizada durante todo el proceso de la enfermedad, ofrecerles la mejor calidad sanitaria y psicosocial, teniendo en cuenta su complejidad y vulnerabilidad.

11. Farmacia

Dra. Margarita Cuervas-Mons Vendrell

Título: Impacto de la conciliación de medicación en la disminución de problemas relacionados con los medicamentos en pacientes pediátricos ingresados en un hospital.

El proyecto implica la introducción de nuevas tecnologías para mejorar el circuito farmacoterapéutico. A nivel nacional no hay herramientas informáticas que gestionen la quimioterapia de forma integral y orientada al paciente pediátrico. Oncólogos, farmacéuticos y enfermeras han formado un grupo cooperativo para el diseño, desarrollo y adaptación de soluciones tecnológicas para la prescripción, validación, elaboración y administración de quimioterapia adaptadas al paciente pediátrico.

Los objetivos del proyecto son:

- Desarrollar e implantar un sistema que permita la prescripción electrónica de quimioterapia
- Desarrollar un sistema de control de calidad en la preparación de citostáticos para niños, que incluya el control gravimétrico del producto acabado.
- Adaptar a la población pediátrica la administración asistida mediante código de barras.

Es un proyecto innovador y pionero; no existe ninguna unidad en España exclusiva para seguimiento de supervivientes de cáncer infantil. Es un colectivo desconocido para la sociedad, con pocos recursos a su alcance. En ellos es fundamental realizar estrategias de promoción de la salud.



El objetivo no es sobrevivir a un cáncer infantil, la meta es vivir, y hacerlo de la mejor manera posible.