Informe Actividad Científica 2023

Fundación para la Investigación Biomédica
Hospital Infantil Universitario Niño Jesús

Telf. 91 503 59 00
Avenida Menéndez Pelayo, 65
28009 Madrid
www.fibhnjs.org
fibhnjs@salud.madrid.org

CAPÍTULO 1: Introducción 4

1. Carta de presentación 4

CAPÍTULO 2: Estructura organizativa 6

1. Órganos rectores 6
2. Personal de gestión 7

CAPÍTULO 3: Áreas de investigación 9

1. Áreas y líneas de investigación 9

CAPÍTULO 4: Comité Ético de Investigación con Medicamentos 35

1. Miembros del Comité de Ética de la Investigación con Medicamentos (CEIm) 35
2. Actividad Comité Ético Investigación en Medicamentos 36

CAPÍTULO 5: Actividad científica 38

3. Proyectos de investigación activos 38
4. Concesión de proyectos públicos a otras instituciones cuyo centro de realización es el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús 59
5. Consorcios, redes y plataformas nacionales e internacionales 59
6. Comisiones Nacionales de Investigación 62
7. Premios de Investigación 62
8. Ensayos clínicos y estudios observacionales 64

CAPÍTULO 6: Producción Científica 68

a. Total publicaciones y factor de impacto 68
b. Listado de publicaciones 71

Actividad de innovación y transferencia de resultados 90

a. Proyectos de innovación 90
b. Patentes 92
c. Contratos de transferencia tecnológica 93

CAPÍTULO 7: Infraestructuras científicas 95

1. Unidad de Fabricación de Medicamentos en Terapias Avanzadas (Sala Blanca) 95
2. Unidad de ensayos clínicos 97

CAPÍTULO 8: Difusión y comunicación 102

Anexo I: Ensayos clínicos y estudios observacionales 114

CAPÍTULO 1

INTRODUCCIÓN

CAPÍTULO 1: Introducción

1. Carta de presentación

Con un gran placer y enorme satisfacción presentamos la memoria de la Fundación de Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (FIBHNJS) de 2022. Esta memoria representa el esfuerzo de todos los integrantes de nuestro hospital y de la FIBHNJS en desarrollar nuestros conocimientos médicos y científicos, con el objetivo prioritario de mejorar el tratamiento de los niños y adolescentes enfermos mediante la investigación traslacional y la investigación básica.

La FIBHNJS, con el fin de promover, organizar y gestionar la investigación científica, innovación y traslación de conocimiento en nuestro hospital, es esencial para que todos los que lo deseen, puedan desarrollar sus proyectos de investigación. La mejora en los protocolos de actuación puestos en marcha en la FIBHNJS en los últimos años, así como un incremento en los integrantes de los servicios de gestión, ha ayudado a impulsar decididamente un aumento considerable en la actividad investigadora. De hecho, la solicitud de ayudas en la gestión de transferencia de conocimiento, patentes, acuerdos nacionales e internacionales, y la captación de fondos públicos y privados, así como los servicios de bioestadística y de traducción al inglés, son cada vez más demandados en nuestra institución, representando una señal relevante del gran interés en desarrollar la investigación e innovación. Es menester proseguir en esta dirección, con el objetivo de que nuestra institución no solo sea de referencia en pediatría clínica, sino también en la investigación pediátrica en todas sus especialidades.

El incremento en la investigación e innovación desarrolladas durante el último año es fruto del trabajo y compromiso de muchos y es de justicia expresar mi sincero agradecimiento a todos los Investigadores y Servicios Clínicos que han contribuido al avance de la investigación, traslación, comunicación y enseñanza científicas de nuestra Fundación y Hospital.

En los próximos años tenemos un reto muy importante, como es el conseguir hacer el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús el centro de un Instituto de Investigación Pediátrico acreditado por la Comunidad de Madrid y el Instituto de Salud Carlos III. Por consiguiente, estamos empeñados en nuestro compromiso de ayudar y apoyar a todos aquellos con interés en la investigación, incluyendo no solamente a los investigadores consolidados, sino también a los investigadores emergentes y a los que están empezando sus primeros pasos en el apasionante mundo de la investigación científica. Conseguir este reto es esencial para poner nuestra institución en el lugar que se merece y, para ello, necesitamos la ayuda de todos.

Atentamente,

Dra. Julie Ann Chowen King,

Presidenta de la Comisión Científica

CAPÍTULO 2

ESTRUCTURA ORGANIZATIVA

CAPÍTULO 2: Estructura organizativa

1. Órganos rectores

❖ Patronato

El Patronato es el órgano de gobierno y administración de la Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Niño Jesús de Madrid (FIBHNJS).

Es el encargado de nombrar y cesar al Director y Secretario, aprobar el Plan General de Investigación y de Calidad, establecer las directrices de carácter general y la planificación estratégica. La función fundamental es definir, actualizar y adaptar la misión y espíritu de la Fundación a los tiempos y necesidades pediátricas actuales.

Miembros del Patronato:

Presidente: D. Julio Vicente Zarco Rodriguez

Vicepresidenta: Dª. Maria Luz de los Martiles Almingol

Vocal: Dr. Jesús Argente Oliver

Vocal: Dra. María Ángeles García Teresa

Vocal: D. Jesus Martín Lazaro

Vocal: Dra. Julie Ann Chowen King

Secretaria: Dª Emma Méndez Calleja

❖ Comisión científica

La Comisión Científica de la Fundación de Investigación Biomédica (FIB) del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús está compuesta por 13 investigadores clínicos y básicos.

El objetivo general de esta Comisión consiste en promover la investigación e innovación que se lleva a cabo en nuestra institución trabajando estrechamente con los administradores de la FIB.

Esta Comisión es responsable de planificar la política científica, las actividades y la formación, así como de la monitorización de la calidad de la investigación de la institución, asesorando a quienes lo requieran sobre política científica de la institución, política y convocatorias de financiación pública y privada.

La Comisión científica informa a la Junta Directiva de la FIB de los avances científicos alcanzados y los planes estratégicos de futuro.

Miembros de Comisión Científica:

Presidente: Dra. Julie Ann Chowen King

Vocal: Dr. Manuel Ramírez Orellana

Vocal: Dra. África González Murillo

Vocal: Dr. Alberto García Salido

Vocal: Dr. Vicente Barrios Sabador

Vocal: Dra. Laura María Frago Fernández

Vocal: Dr. Álvaro Lassaletta Atienza

Vocal: Dra. Rosa Ana Muñoz Codoceo

Vocal: Dra. Ana Lourdes Luis Huertas

Vocal: Dr. Andrés Castillo Sanz

Vocal: Dra. Alba Rubio San Simón

Vocal: Dra. Verónica Cantarín Extremera

Vocal: Dra. Rosa María Egea-Gámez

2. Personal de gestión

La composición de la oficina de gestión es de la siguiente manera:

- Dirección: Dña. Emma Méndez Calleja
- Contabilidad: Dña. Nerea de Cruz Pisuerga
- Gestor de Recursos Humanos: Dña. Ángela Buitrago Llorente
- Gestor de Ensayos Clínicos: D. Manuel Cabrera Moreno
- Gestor de proyectos privados, acuerdos y convenios: Dña. Laura Aranzasti Hervás
- Soporte científico y gestor de proyectos públicos y de innovación: Dña. Marina Palou Gómez

CAPÍTULO 3

ÁREAS DE INVESTIGACIÓN

CAPÍTULO 3: Áreas de investigación

1. Áreas y líneas de investigación

1 Área de Enfermedades Sistemáticas y enfermedades raras

Jefe de servicio: Prof. Dr. Jesús Argente Oliver

Desde el año 1989 se inició el desarrollo de la investigación en esta área preferencial de la Pediatría, conformada por diversas enfermedades sistémicas y enfermedades raras tan relevantes en la Pediatría. Dirigida por el **Profesor Jesús Argente Oliver**, Jefe de Servicio Enfermedades Sistémicas y Enfermedades Raras y Catedrático de Pediatría de la Universidad Autónoma de Madrid.

Esta área se divide en 13 grupos más 4 grupos asociados:

Grupo 1: Obesidad infantil, anomalías genéticas y trastornos del crecimiento y la pubertad. Responsable**: Prof. Dr. Jesús Argente Oliver.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Establecimiento de las bases fisiopatológicas de las obesidades en la infancia.
- Desarrollo de las bases farmacológicas de las obesidades en la infancia y la adolescencia, incluyendo el empleo de leptina recombinante, liraglutide, semaglutide, setmelanotide, asociación de fentermina y topimarato, así como nuevos fármacos en fase de investigación en el momento actual.
- Investigación de diferentes programas de alimentación en los niños y adolescentes con obesidad monogénica, poligénica, sindrómica y debida a tumoraciones del sistema nervioso central.
- Análisis de nuevos genes involucrados en el crecimiento humano, tras el descubrimiento mundial por nuestro grupo de pacientes con mutaciones en los genes RNPC3 y PAPP- A2.

- Establecimiento de las bases diagnósticas en pacientes con hipocrecimiento armónico, mediante la investigación de dos nuevos factores, las papalisinas (PAPP-A y PAPP-A2) y las estaniocalcinas (STC1 y STC2).
- Desarrollo de programas internacionales para el establecimiento de las bases genéticas de los pacientes con pubertad precoz central. Hemos descrito mutaciones en los genes MKRN3 y DLK1. En la actualidad, hemos descrito mutaciones en un nuevo gen, MECP2, ligado al cromosoma X que requerirá amplia investigación traslacional.
- Valoración de las bases auxológicas para el conocimiento de la talla adulta en pacientes con pubertad precoz central tratados con análogos de GnRH.
- Aplicación de sistemas de infusión continua de insulina, preferentemente de asa cerrada, en pacientes con diabetes mellitus tipo 1.
- Investigación coordinada con el grupo de Neuroendocrinología en aspectos básicos desarrollados en su programa sobre la participación de los astrocitos y la glía en el control del metabolismo sistémico, con especial énfasis en la comunicación con los exosomas.

Su línea de investigación se centra en:

- Obesidad infantil.
- Crecimiento humano normal y patológico.
- Pubertad normal y patológica.
- Trastornos hormonales y del metabolismo en la infancia y la adolescencia y seguimiento de niños con endocrinopatías, patología del crecimiento y alteraciones metabólicas.

Grupo 2: Neuroendocrinología del metabolismo. Responsable: **Dra. Julie Ann Chowen.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Estudiar la respuesta metabólica a nutrientes específicos.
- Determinar los mecanismos centrales de detección y metabolismo de los diferentes ácidos grasos y como afectan a la ganancia de peso, enfocado en la importancia de los astrocitos en este fenómeno.
- Analizar como los astrocitos modulan a las neuronas hipotalámicas que controlan el metabolismo sistémico dependiendo de la situación nutricional/hormonal, con especial énfasis en la comunicación vía vesículas extracelulares/exosomas.
- Estudiar las bases neuroendocrinas en las diferencias entre los sexos en la respuesta a una dieta no adecuada.

Su línea de investigación se centra en:

- Neuroendocrinología del metabolismo.
- Papel de los astrocitos en el control de sistemas neuroendocrinas.
- Efecto del ambiente temprano sobre el metabolismo a largo plazo.
- Impacto de la nutrición sobre los sistemas neuroendocrinas.

Grupo 3: Enfermedades de base alérgica, mecanismos celulares y moleculares determinantes. Responsable: **Dra. María Dolores Ibañez Sandín.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Estudio de la microbiota intestinal en lactantes con alergia a leche de vaca, sus madres y sus abuelas.
- Estudio de biomarcadores de predisposición alérgica en recién nacidos (BIOPAL).
- Comprender las variables relevantes para medir en los estudios intervencionistas en el campo de la alergia a los alimentos.
- Investigación del perfil de sensibilización y reactividad clínica de los pacientes que debutan con alergia al marisco en diferentes áreas geográficas de España.
- Identificar modalidades de tratamiento de la alergia a leche mediante inmunoterapia con alimentos que reduzcan la frecuencia y la gravedad de los eventos adversos.
- Determinar la eficacia de los ensayos clínicos de inmunoterapia con alimentos.
- Investigar las causas involucradas en el complejo proceso de la prescripción de inmunoterapia con alérgenos aéreos en el tratamiento de la enfermedad alérgica respiratoria.
- Conocer los mecanismos moleculares involucrados en la reacción alérgica anafiláctica y no anafiláctica para poder mejorar la precisión diagnóstica.
- Investigación en asma infantil, estableciendo las guías clínicas para su tratamiento en el contexto de la Academia Europea de Alergia e Inmunología Clínica.

Su línea de investigación se centra en:

- Inmunoterapia con alimentos.
- Inmunoterapia con inhalantes.

- Asma.
- Microbiota y biomarcadores de enfermedades alérgicas y en recién nacidos.

Grupo 4: Enfermedad Inflamatoria intestinal, esofagitis y otras patologías digestivas. Responsable**: Dra. Rosa Ana Muñoz Codoceo.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Enfermedad de Crohn: mecanismos genéticos, transcriptómicos y celulares en respuesta a terapia celular.
- Acidemia orgánica: Tratamiento a largo plazo.
- Colitis ulcerosa: Eficacia y seguridad farmacológica.
- Enfermedad celíaca: Evolución clínica, auxológica y puberal.
- Enfermedades hepáticas: Respuesta inflamatoria.
- Fomentar unidades de excelencia interdisciplinares con acreditación por parte de sociedades científicas y/o estándares de calidad.
- Creación de Máster propio con la Universidad Autónoma de Madrid (departamento de Pediatría) en Gastroenterología y Nutrición Pediátrica.
- Impulsar la educación sanitaria proactiva a los padres y pacientes de las patologías crónicas atendidas.

Su línea de investigación se centra en:

- Enfermedad inflamatoria intestinal (EII).
- TCA niño pequeño, Metabolopatías, Disfagia.
- Esofagitis eosinofílica (EEo) y microbiota esofágica.
- TCA niño mayor, Enfermedad celíaca, Simulación/Seguridad del paciente.

Grupo 5: Enfermedades neurodegenerativas, neurometabólicas, neuroinmunologia, epilepsias del neurodesarrollo y daño cerebral adquirido infantil. Responsable: **Dra. Verónica Cantarín Extremera.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Identificación de dianas terapéuticas en epilepsia, encefalopatías genéticas y otros trastornos neurológicos.
- Terapias de medicina de precisión en las diferentes enfermedades de causa neurológica.

- Nuevos mecanismos fisiopatológicos de encefalopatías epilépticas y del neurodesarrollo: Estudios multigénicos, de funcionalidad e inflamatorios.
- Terapias avanzadas en enfermedades neurodegenerativas y neuroinmunes.
- Nuevos programas de neurorrehabilitación para el daño cerebral adquirido infantil.
- Trastornos de sueño en epilepsias, enfermedades neurocutáneas y síndrome de Rett.

Su línea de investigación se centra en:

- Neurodegenerativas, neurometabólicas y enfermedades mitocondriales.
- Epilepsia del neurodesarrollo.
- Trastorno del movimiento.
- Neuroictiosis.
- Neuroinmunología.
- Daño cerebral adquirido del niño y adolescente.
- Esclerosis tuberosa
- Epilepsias del neurodesarrollo.
- Síndrome de Rett.

Grupo 6: Patologías mentales graves y neurodesarrollo del niño y adolescente. Responsable: **Dra. Montserrat Graell Berna.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Investigación neuropsicológica del daño cerebral adquirido, epilepsia y enfermedades raras.
- Trastornos de alimentación y aspectos psicológicos y familiares de la obesidad.
- Investigación de aspectos metabolómicos en la anorexia nervosa.
- Generación de grupo emergente en trastornos del espectro autista y otros trastornos del neurodesarrollo.
- Desarrollar liderazgo en investigación en aspectos neuropsicológicos del daño cerebral adquirido, epilepsia y enfermedades raras en niños y adolescentes.

Su línea de investigación se centra en:

- Trastornos de la Conducta Alimentaria.
- Trastorno del Espectro del Autismo.
- Suicidio en niños y adolescentes.
- Psicofarmacología en niños y adolescentes.

Grupo 7: Nuevos modelos de asistencia pediátrica. Responsable: **Dra. Raquel Jiménez García.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Investigación de la inmunidad celular y humoral en pacientes con infección por coronavirus auspiciado por Asociación Española Pediatría.
- Aspectos clínicos de la Infección Osteoarticular Pediátrica.
- Aspectos clínicos de la Tuberculosis Pediátrica
- Investigación en Enfermedad de Kawasaki.
- Monitorización de pacientes ingresados en Hospitalización a domicilio (App UHAD).
- Buscar nuevas formas de atender a los niños y sus familias, humanizando al máximo la asistencia sanitaria y ofreciendo una atención integral que incorpore los avances científicos y de telemedicina más novedosos.
- Formar pediatras en la especialidad de Pediatría Interna Hospitalaria.

Su línea de investigación se centra en:

- Enfermedades infecciosas pediátricas.
- Patología respiratoria en niños: bronquiolitis, asma, neumonía.
- Nuevas formas de atención: hospitalización a domicilio pediátrica.
- Trastornos de la alimentación en niños y adolescentes.
- Traumatismo craneal leve.
- Niños con patología crónica y complejidad.
- Vacunación pediátrica en situaciones especiales.

Grupo 8: Nuevos abordajes de asistencia pediatrica en urgencias. Responsable: **Dra. Mercedes de la Torre Espí.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Atención clínica a pacientes con bronquiolitis, traumatismo craneal leve.
- Nuevas pruebas diagnósticas microbiológicas en los pacientes con fiebre sin foco: técnicas moleculares para el diagnóstico virológico rápido, análisis de perfil de expresión (microarrays) del mRNA mensajero.
- Atención ante pacientes inmunodeprimidos con fiebre.
- Investigación de la analgesia y sedación en procedimientos dolorosos.

Su línea de investigación se centra en:

- Enfermedades infecciosas y, específicamente, fiebre sin foco.
- Enfermedades infecciosas y fiebre en pacientes inmunodeprimidos, traumatismo craneoencefálico leve.
- Calidad asistencial, Implementación de buenas prácticas.
- Ecografía a pie de cama, simulación.
- Simulación.
- Analgesia y sedación para procedimientos dolorosos.
- Patología respiratoria, crisis asmática.

Grupo 9: Medicina intensiva pediátrica. Responsable**: Dra. Montserrat Nieto Moro.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Monitorización y seguimiento del paciente neurocrítico: biomarcadores y uso de sistemas clínicos de vigilancia.
- Inmunofenotipo del paciente crítico en procesos inflamatorios vinculados o no a infección.
- Biomarcadores en el daño respiratorio del paciente crítico.
- Investigación ecográfica a pie de cama en el paciente crítico.
- Incrementar las publicaciones internacionales y nacionales con alto índice de impacto derivadas del fomento de la investigación.
- Promover el intercambio de conocimientos científicos con otros profesionales sanitarios mediante jornadas, congresos.

- Impulsar el uso de tecnologías de la información para implantar un sistema de telemedicina que permita la atención y valoaración inicial de pacientes críticos en otros centros.

Su línea de investigación se centra en:

- Sedación y analgesia en paciente crítico pediátrico.
- Seguridad y eficacia de terapias celulares en contexto de daño neuronal grave y enfermedades neurodegenerativas.
- Optimización del uso de hemoderivados en el paciente crítico pediátrico.
- Monitorización y seguimiento del paciente neurocrítico pediátrico: descripción de biomarcadores y uso de sistemas clínicos de vigilancia.
- Desarrollo de nuevas herramientas farmacológicas en el tratamiento de las infecciones graves.
- Estudio del inmunofenotipo del paciente crítico pediátrico en el contexto de procesos inflamatorios vinculados o no a infección.
- Estudio de biomarcadores en el daño respiratorio del paciente crítico pediátrico.
- Integración del estudio ecográfico a pie de cama en el paciente crítico pediátrico.
- Estudio de hemostasia con tromboelastrografía en el paciente con terapia celular
- Estudio de parada cardiorrespiratoria hospitalaria.
- Mejora mediante la simulación de la atención del paciente oncológico grave.
- Sistema de Telemedicina interhospitalario para la atención del paciente pediátrico crítico.

Grupo 10: Farmacología y farmacovigilancia. Responsable: **Dra. Maite Pozas del Río.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Investigación de la medicación al ingreso en pacientes crónicos.
- Estudio de la vía subcutánea para el control de síntomas en el domicilio en pacientes con atención paliativa.
- Actualización sobre mezclas analgésicas por vía parenteral y espinal.
- Implantación de la trazabilidad en la elaboración de la quimioterapia por lectura de código de barras/datamatrix y control de pesada.

Su línea de investigación se centra en:

- Optimización del empleo de fármacos biosimilares mediante la determinación de niveles farmacocinéticos.
- Conciliación de la medicación en pacientes pediátricos.
- Atención farmacéutica al paciente paliativo pediátrico.
- Elaboración segura de quimioterapia.

Grupo 11: Afecciones dermatológicas en niños y adolescentes. Responsable: **Dr. Antonio Torrelo Fernández.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Optimización del empleo de fármacos biosimilares mediante la determinación de niveles farmacocinéticos.
- Relación entre la expresión de CD64 en monocitos y remisión clínica sin medicación en artritis idiopática juvenil.
- Evaluación de variables cognitivas, emocionales, somatosensoriales, motoras y bioquímicas y aplicación de ejercicio físico en niños con artritis idiopática juvenil.
- Lupus eritematoso sistémico de inicio juvenil: Registro JULES.
- Investigación de la uveítis no infecciosa de inicio en la edad pediátrica.
- Factores epidemiológicos, clínicos, analíticos y microbiológicos determinantes de la respuesta al tratamiento de la enfermedad de Kawasaki y el riesgo de desarrollar aneurismas en nuestro medio.

Su línea de investigación se centra en:

- Genodermatosis.
- Mastocitosis.
- Dermatitis atópica.
- Trastornos de la queratinización.

Grupo 12: Investigación en patologías neumológicas. Responsable**: Dr. Alejandro López Neyra.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Sistematización de la evaluación de los pacientes con patología respiratoria crónica.

- Investigación de los factores relacionados con el control del asma grave.
- Análisis de los factores relacionados con el éxito en el inicio y mantenimiento de la ventilación no invasiva domiciliaria.
- Valoración de la hipoventilación alveolar en pacientes con obesidad grave.

Su línea de investigación se centra en:

- Fibrosis quística.
- Ventilación domiciliaria.
- Asma.
- Ejercicio físico.
- Patología respiratoria del sueño.

Grupo 13: Investigación en cuidados de enfermería. Responsable: **Dra. Pilar Herreros López.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Investigación e innovación en cuidados pediátricos.
- Desarrollar un “mapa” de personal de enfermería con formación avanzada en investigación.
- Fomentar el trabajo de enfermería en red.
- Inclusión del personal de enfermería en los grupos de investigación multidisciplinares.
- Desarrollar la investigación en el personal de enfermería.
- Vincular la práctica clínica y la investigación.

Su línea de investigación se centra en:

- La figura de la enfermera consultora y referente en normalización de cuidados.
- Captación de las enfermeras interesadas en participar en grupos de investigación multidisciplinar/multicéntrica.
- Formación continuada en metodología de investigación.
- Normalización, estandarización e identificación de buenas prácticas que impulsen la excelencia profesional a través de la evidencia científica.

- Iniciativas para desarrollar y difundir la investigación en cuidados, con en el fin posibilitar una práctica profesional basada en la mejor evidencia científica disponible respetando los principios éticos.

- Patologías reumatológicas y sus afecciones pediátricas. **Grupo Asociado.**

  Su línea de investigación se centra en:

  - Enfermedades inflamatorias crónicas de base inmune.
  - Enfermedades sistémicas inmunes.
  - Síndromes autoinflamatorios.
  - Síndromes de fragilidad ósea.
  - Dolor crónico musculoesquelético.
  - Ecografía musculoesquelética en artropatías crónicas.

- Investigación en cardiopatías. **Grupo Asociado.**

  Su línea de investigación se centra en:

  - Miocardiopatía hipertrófica.
  - Insuficiencia cardiaca.
  - Toxicidad cardiaca en pacientes con Trametinib.
  - Cateterismos cardiacos.
  - Seguridad cardiaca en tratamiento con Setmelanotide.
  - Toxicidad cardiaca en pacientes con Neurofibromatosis 1, neurofibromas plexiformes en tratamiento con Selumetinib.
  - Evolución cardiológica de pacientes con Mucopolisacaridosis 2 y tratamiento enzimático sustitutivo intravenoso e intratecal.

- Investigación en oftalmopatías. **Grupo Asociado.**

  Su línea de investigación se centra en:

  - Control de miopía en niños.
  - Repercusión Oftalmologica de ciertos fármacos utilizados en la fibrosis quística y en Tumores cerebrales en la edad pediátrica.

- Investigación en nefrología. **Grupo Asociado.**

  Su línea de investigación se centra en:

  - Estudio molecular del paciente con síndrome Nefrótico idiopático.
  - Raquitismo Hipofosfatémico ligado a X.
  - Diagnóstico genético y análisis celular de pacientes pediátricos con enfermedades autoinmunes severas.

Su director, el Prof. Dr. Jesús Argente Oliver es Jefe de Servicio, Catedrático de Pediatría, Director del Departamento de Pediatría de la UAM, jefe de Grupo del CIBEROBN y responsable de su programa de obesidad infantil y Director del Laboratorio de Investigación del Servicio de Endocrinología. Es el único Departamento de Endocrinología Pediátrica nacional reconocido por la European Society for Paediatric Endocrinology (ESPE) para la formación clínica y básica en Endocrinología infantil. Este grupo mantiene una trayectoria ascendente en su producción científica y financiación de proyectos, nacionales y extranjeros, durante los últimos veinte años. Este grupo forma parte del Instituto de Investigación Sanitaria La Princesa.

Para el desarrollo de la actividad investigadora, este Servicio dispone de un Laboratorio de investigación constituido y reconocido como Unidad de Investigación acreditada por el Fondo de Investigación Sanitaria en el año 1997 y dispone de una infraestructura completa y moderna para la realización de proyectos de investigación subvencionados.

2 Área de Oncología, Hematología y Trasplante Pediatrico.

Jefe de servicio: Dr. Luís Madero López y el Dr. Manuel Ramírez Orellana

El área de Oncohematología se centra en la investigación del cáncer y de enfermedades hematológicas no malignas del niño y del adolescente. Es un área dirigida por **Dr. Luis Madero López y el Dr. Manuel Ramírez Orellana** Jefes de Servicio de Oncología, Hematología y Trasplante Pediátrico. Dentro de esta área hay que adscribir la creación del Laboratorio de Investigación del servicio y de la Unidad de Terapias Avanzadas.

Objetivos comunes como área de investigación son los siguientes:

- Entender las bases genéticas y los mecanismos moleculares y celulares responsables de las enfermedades oncohematológicas que afectan a niños y adolescentes.
- Desarrollar y aplicar nuevos métodos diagnósticos para estos enfermos que permitan su correcta clasificación y la elección de tratamientos optimizados a cada situación individualizada.
- Investigación traslacional de nuevas estrategias con medicamentos de Terapia Avanzada para enfermedades oncohematológicas infantiles.
- Liderar y/o participar en ensayos clínicos dirigidos a este grupo de pacientes, incluyendo académicos.

Esta área se divide en 5 grupos:

Grupo 14: Investigación en inmunidad, genética y nuevas tecnologías en cáncer infantil. Responsable: **Dr. Manuel Ramirez Orellana.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Identificar nuevos factores genéticos de predisposición a Leucemia Aguda Infantil.
- Describir la estructura global de las alteraciones cromosómicas en Leucemia Aguda Infantil y su posible valor etiológico y pronóstico.

- Estudiar determinantes moleculares del microambiente medular en leucemogénesis y resistencia al tratamiento.
- Entender las fases de la transición infantil-adulto del sistema inmune.
- Incorporar la modelización computacional a nuestros proyectos de investigación.
- Desarrollar medicamentos de inmunoterapia avanzada más seguros y eficaces.
- Aplicar estrategias de nanomedicina para tratamientos dirigidos.
- Incorporar las tecnologías next generation para el diagnóstico y seguimiento del cáncer infantil.

Su línea de investigación se centra en:

- Desarrollo de medicamentos de inmunoterapia avanzada.
- Estrategias de nanomedicina para tratamientos dirigidos.
- Factores genéticos de predisposición a Leucemia Aguda Infantil.
- Estructura del genoma en Leucemia Aguda Infantil.
- Papel del microambiente medular en leucemogénesis y resistencia al tratamiento.
- Transición infantil-adulto del sistema inmune. Modelización computacional.
- Tecnologías next generation para el diagnóstico y seguimiento del cáncer infantil.

Grupo 15: Investigación e Innovación en Enfermedades Hematológicas Pediátricas. Responsable: **Dr. Julián Sevilla Navarro.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Completar el desarrollo de la terapia génica con vectores lentivirales para la Anemia de Fanconi con el registro del medicamento huérfano en las agencias reguladoras.
- Completar el desarrollo de la terapia génica con vectores lentivirales para la Anemia por déficit de piruvatoquinasa con el registro del medicamento huérfano en las agencias reguladoras.
- Completar el desarrollo de la terapia génica con vectores lentivirales para la inmunodeficiencia por defecto de adhesión leucocitaria tipo I con el registro del medicamento huérfano en las agencias reguladoras.

- Analizar las rutas implicadas en el fallo medular de los pacientes afectos de fallo medular con el diagnóstico de Anemia de Fanconi que permitan el desarrollo de estudios para el reposicionamiento de nuevos fármacos.
- Buscar biomarcadores que permitan establecer diferencias entre aplasias adquiridas y hereditarias
- Buscar biomarcadores que permitan pronosticar la evolución de la trombocitopenia inmune primaria.

Su línea de investigación se centra en:

- Factores genéticos y predisposición en mielodisplasia y fallo medular hereditario.
- Papel del microambiente medular en el fallo medular.
- Trombocitopenias de base inmunológica, nuevos marcadores biológicos.
- Ensayos clínicos fase I/II en enfermedades hematológicas infantiles.
- Desarrollo de medicamentos de terapia avanzada para hematología.
- Reposicionamiento de fármacos en fallos medulares hereditarios.

Grupo 16: Neuro-Oncología pediátrica. Responsable**: Dr. Álvaro Lassaletta Atienza.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Optimizar la recogida de muestras de tumores cerebrales, líquidos cefalorraquídeos y sangre periférica de los pacientes para poder incorporarlos a los proyectos de investigación.
- Conseguir que todos los pacientes que llegan a la unidad de tumores cerebrales del Hospital Niño Jesús tengan un diagnostico histológico y molecular completo tanto del tumor como de la línea germinal incluyendo la secuenciación masiva y el metiloma.
- Desarrollar proyectos de investigación traslacional en tumores cerebrales en niños y adolescentes que puedan derivar en ensayos clínicos de nuevos tratamientos para estos pacientes.
- Integrar la investigación en la unidad multidisciplinar clínica de tumores cerebrales.
- Colaborar con grupos nacionales e internacionales en proyectos de neurooncología pediátrica.
- Difundir a nivel nacional e internacional los resultados de las investigaciones realizadas en este campo.

Su línea de investigación se centra en:

- Estudio de la biología de los gliomas de bajo grado en adolescentes y adultos jóvenes.
- Tratamiento con virus oncolíticos de tumores cerebrales pediátricos con mal pronóstico.
- Biopsia liquida en tumores cerebrales en niños y adolescentes.
- Nuevos fármacos dirigidos en el tratamiento de tumores cerebrales pediátricos.
- Diagnostico integrado del tumor cerebral pediátrico.
- Avances en el diagnóstico y tratamiento de los gliomas difusos de línea media.
- Ejercicio físico en niños y adolescentes con tumores cerebrales.

Grupo 17: Investigación clínica en cáncer infantil y desarrollo de nuevos fármacos. Responsable: **Dra. Alba Rubio San Simón.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Probar, mediante ensayos clínicos fase I,II,III y IV la eficacia y seguridad de nuevos tratamientos, con el objetivo de mejorar la supervivencia del cáncer infantil.
- Diseñar y poner en marcha nuevos ensayos clínicos académicos precoces y “first in child” en tumores pediátricos sólidos y hematológicos.
- Potenciar la caracterización molecular de los tumores pediátricos y el acceso a tratamientos dirigidos.
- Incrementar la calidad de vida de los supervivientes de cáncer pacientes.
- Realizar investigación farmacogenómica sobre la eficacia y tolerancia de los fármacos anticancerígenos.
- Fomentar la participación del paciente pediátrico y adulto joven en la investigación.

Su línea de investigación se centra en:

- Ensayos clínicos precoces.
- Desarrollo precoz de medicamentos en leucemia.
- Investigacion en sarcomas pediátricos.
- Inmunoterapia y terapias dirigidas en neuroblastoma.

- Trasplante e inmunoterapia / Medicina de precisión en cáncer pediátrico.
- Terapia de soporte y psicooncología.
- Investigación en salud de supervivientes de cáncer infantil y toxicidad a largo plazo.
- Medicina de precisión en cáncer pediátrico

Grupo 18: Investigación en medicamentos de terapia avanzada. Responsable: **Dra. África Gonzalez Murillo.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Desarrollo de medicamentos de Terapia Avanzada para cáncer infantil y su posterior optimización y adaptación según las Normas de Correcta Fabricación, en el contexto de la realización de ensayos clínicos.
- Programa de desarrollo de Celyvir: información de la eficacia de la medicina y de biomarcadores predictores de respuesta.
- Inmunoterapia Celular Adoptiva con Linfocitos Infiltrantes de Tumor (TILs); caracterización inmunofenotípica, clonal y funcional tanto del infiltrado inmune de dichas biopsias, como de los TILs expandidos in vitro.

Su línea de investigación se centra en:

- Desarrollo de medicamentos de terapia avanzada para tumores sólidos pediátricos.
- Combinación de diferentes estrategias de inmunoterapia para el tratamiento del cáncer infantil.
- Terapia celular adoptiva de células CAR-T.

3 Área de Enfermedades Inmunes

Jefe de servicio: Dr. Andrés Castillo Sanz y la Dra. Rosa M. Egea-Gámez.

El área de Cirugía e Innovavión Pediátrica está coordinada por **Dr. Andrés Castillo Sanz y la Dra. Rosa M. Egea-Gámez.** Ésta es una de las áreas con mayor presencia de investigación clínica. En este punto entran en juego los sistemas de información, digitalización, inteligencia artificial y big data. Sin embargo, el marcado carácter asistencial de muchos de sus integrantes, con elevada dedicación a los pacientes, puede convertirse en una amenaza a largo plazo para la actividad de I+D+i.

Objetivos comunes como área de investigación son los siguientes:

- El objetivo común de esta área es generar y validar herramientas de utilidad clínica para el diagnóstico, pronóstico y tratamiento de distintas patologías. Además, su carácter traslacional permite establecer colaboraciones con la mayoría de los servicios clínicos del Hospital Niño Jesús y con diversos grupos del Instituto.
- La misión de este Proyecto Científico Cooperativo (PCC) es promover la investigación coordinada de todos los grupos del IPIS-NJ en torno a las líneas prioritarias que tiene cada uno de ellos. Estas acciones científicas coordinadas, favorecen a su vez el desarrollo y la potenciación de los grupos de investigación implicados en ellas, asegurando la optimización de los recursos a través de servicios comunes y estructuras de gestión más eficientes, favoreciendo la traslación de los resultados al ámbito sanitario e industrial.
- Medicina personalizada y de precisión. Rreducir la carga sanitaria de las enfermedades mediante una gestión eficaz de las mismas aumentando la eficiencia de los tratamientos y reduciendo los efectos secundarios. Se basa en ser Predictiva, Preventiva, Personalizada y Participativa.
- La digitalización es un reto muy amplio, centrado en la accesibilidad e interoperabilidad de los datos sanitarios, la modernización de los sistemas de atención sanitaria, facilitar el acceso a la salud de crónicos, etc.

Esta área se divide en 7 grupos más 2 grupos asociados:

Grupo 19: Patología musculoesquelética y cirugía experimental. Responsable: **Dra. Rosa María Egea-Gámez.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Junto con el grupo de anestesia y reanimación se está desarrollando un protocolo ERAS (Enhance Recovery After Surgery), se trata de un programa multimodal diseñado para minimizar la disfunción de órganos en el post operatorio y devolver al paciente a la normalidad lo más rápido posible tras la realización de cirugía multinivel.
- Seguir investigando junto con el grupo de anestesia y reanimación que la utilización de medicamentos tales como magnesio, dexmedetomidina, dexametasona y

esmolol como complementos ahorradores de opioides alivia el dolor postoperatorio en cirugía de escoliosis idiopática del adolescente y reduce el uso de opioides sistemática en población pediátrica.

- Desarrollo de exo-esqueletos y terapia domiciliaria y hospitalaria con los mismos tras cirugía ortopédica en pacientes con parálisis cerebral infantil. En colaboración con distintos servicios del hospital como rehabilitación, fisioterapia, etc
- Estudio genético de pacientes con escoliosis idiopática del adolescente para analizar el riesgo de progresión de la deformidad o no, liderado por la unidad de Raquis del servicio de Cirugía Ortopédica y Traumatología.
- Utilización de prótesis mio-eléctricas en pacientes con agenesia unilateral de miembros superiores y evaluación de un programa de acompañamiento psicológico de pacientes con anomalías congénitas de los miembros superiores, en colaboración con el servicio de psiquiatría, psicología, fisioterapia, terapia ocupacional, etc
- Con la incorporación de nuevas tecnologías se pretende llevar a cabo una serie de estudios: Utilización de ecografía para valorar la madurez esquelética de los pacientes pediátricos. Realidad virtual para seguimiento de pacientes con escoliosis.

Su línea de investigación se centra en:

- Patología de cadera.
- Displasias y otros síndromes.
- Deformidad de columna pediátrica.
- Patología de pie.
- Neuro-ortopedia.
- Patología de miembro superior.
- Deformidades y Grandes alargamientos.
- Patología deportiva y artroscopia.
- Tumores e infecciones musculoesqueléticas.

Grupo 20: Investigación quirúrgica en oncología pediátrica. Responsable: **Dra. Ana Lourdes Luis Huertas.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Propuesta de proyecto colaborativo con el área: "Abordaje quirúrgico de patología musculoesquelética y cirugía experimental". Proyectos de perfeccionamiento y capacitación en cirugía microvascular experimental. Estudio de los efectos del tratamiento combinado de cirugía y braquiterapia en el control local de la enfermedad y su relación con posibles cambios inmunológicos a nivel molecular y celular.
- Propuesta de colaboración con el Área: "Investigación e innovación en radiodiagnóstico". Diseño y desarrollo de protocolos y proyectos basados en la realidad virtual e impresión 3D en la evaluación de la anatomía quirúrgica tumoral.
- Estudio de la cirugía asistida por fluorescencia en su comparación con los estudios de imagen prequirúrgicos convencionales (RM, TC ecografía).
- Inmunofluorescencia. Combinación de Inmunofluorescencia e inmunoterapia en el estudio de terapias diana en neuroblastoma en el modelo murino inmunocompetente de neuroblastoma.
- Investigaciones sobre la aplicación de braquiterapia en lecho quirúrgico, en relación a aspectos inmunológicos y aplicación de terapias avanzadas, en el ámbito de los tumores sólidos pediátricos.

Su línea de investigación se centra en:

- Modelo murino de trasplante ortotópico de neuroblastoma: Estudio de inmunofenotipo tumoral.
- Cirugía de Precisión Guiada por Imagen.

Grupo 21: Innovación en neurocirugía y cirugía de la epilepsia. Responsable: **Dra. Belén Rivero Martín.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Mejorar el diagnóstico de forma menos invasiva y precozmente de la hipertensión intracraneal subaguda o crónica.
- Conseguir demostrar la eficacia del estudio del cráneo con RM, pudiendo reducir la indicación de TAC´s.

- Cambiar el protocolo de seguimiento de los pacientes con craneosinostosis, empleando el seguimiento con fotogrametría u otra técnica de imagen tridimensional.
- Emplear procedimientos mínimamente invasivos en pacientes con epilepsia con indicación de realizar cirugías paliativas y demostrar la rentabilidad de realizar tratamientos con laser.
- Al incorporar la monitorización neurofisiológica intraoperatoria, queremos demostrar que mejora la morbilidad peroperatora en la resección de tumores cerebrales.
- Demostrar que alcanzar dianas cerebrales profundas con robot quirúrgico, es más eficaz y seguro que las técnicas convencionales.
- Continuar con el curso un estudio de respuesta de las distonias en pacientes con PCI a los implantes cerebrales profundos y aspiramos a demostrar seguridad y eficacia en pacientes con anorexia con una técnica similar.

Su línea de investigación se centra en:

- Epilepsia.
- Enfermedades secundarias a errores congénitos del metabolismo.
- Hipertensión intracraneal.
- Patología Craneofacial sinostosica y oncología.
- Presencia de biomarcadores en el daño cerebral.

Grupo 22: Nuevas terapias funcionales, rehabilitación y fisioterapia. Responsable**: Dra. María Teresa Vara Arias.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Desarrollo de exoesqueleto para tratamiento domiciliario de la marcha, protetizacion de pacientes con agenesia de miembro superior, tratamiento con exoesqueleto del re entrenamiento de la marcha.
- Colaboración en el proyecto de eficacia de tratamiento con células madre para el daño cerebral con el servicio de neurología.
- Desarrollo de exoesqueleto con MARSBIONIC y con el CSIC.
- Plan asistencial integral de las malformaciones congénitas incluyendo su posterior protetización.

Su línea de investigación se centra en:

- Fisioterapia Respiratoria.
- Prótesis de Miembro superior.
- Daño Cerebral y nuevas tecnologías.
- Calidad de Vida.

Grupo 23: Investigación e innovación en radiodiagnóstico. Responsable: **Dr. Miguel Ángel López Pino.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- En neuroimagen: análisis cuantitativo de la perfusión cerebral, spectroVIEW para el análisis de la espectroscopia cerebral y FiberTracking 3D para la valoración de la sustancia blanca.
- En imagen oncológica: análisis de difusión para la caracterización tumoral y valoración de la respuesta tumoral intratamiento, MOBIVIEW y Tumor Tracking para el análisis tumoral y su control evolutivo siguiendo los criterios de control tumoral (RECIST, WHO, carga tumoral).
- En imagen musculoesquelética: paquete de acumulación de ecos y evaluación avanzada de cartílago, para el estudio del desarrollo y patología pediátrica con afectación condral.
- Estudio de la médula ósea en el paciente pediátrico caracterizando sus modificaciones fisiológicas y sus alteraciones producidas por diferentes patologías (tumorales, inflamatorias y metabólicas), empleando técnica de difusión; como técnica alternativa a la medicina nuclear e incluso sustitutiva de la biopsia de médula ósea en algunos escenarios clínicos concretos.
- Colaboración en tesis doctoral de la Dra. Beatriz Corredor Andrés. Tesis acerca del estudio de factores de crecimiento periféricos para explicar la talla baja en pacientes con anemia de Fanconi.
- Estandarizar el estudio por imagen de los sarcomas óseo, proponiendo los protocolos de imagen y la técnica concreta para realizarlo. Este estudio se realiza a través del Proyecto “European guideline for imaging of primary Ewing Sarcoma and Osteosarcoma in the paediatric and adult sarcoma in the paediatric and adult population; joint statement by the FOSTER consortium, Euro Ewing Consortium, European Society of Pediatric Radiology, European Association of Nuclear Medicine (EANM) and European Society of Musculoskeletal Radiology (ESSR)”.

Su línea de investigación se centra en:

- Diagnóstico por imagen en tumores cerebrales pediátricos.
- Diagnóstico por imagen tumores musculoesqueléticos pediátricos.
- Diagnóstico por imagen en daño cerebral pediátrico.
- Diagnóstico por imagen en epilepsia.
- Resonancia magnética en neuroradiología pediátrica.
- Elastografía en patología pediátrica.
- Entero-resonancia magnética en enfermedad inflamatoria instestinal.
- Diagnóstico por imagen en facomatosis.

Grupo 24: Innovación y digitalización de la salud. Responsable: **Dr. Andres Castillo Sanz.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Promover y acelerar la innovación en el Hospital Infantil Niño Jesús a través de la colaboración con el resto de los grupos de investigación.
- Establecer, fomentar y mantener la innovación como una competencia básica dentro de los servicios hospitalarios y los grupos de investigación.
- Se busca implementar un Espacio de Datos Pediátricos que esté alineado con las próximas normativas europeas al respecto y en el que se puedan almacenar de forma inteligente los datos pediátricos producidos en los centros de SERMAS.
- Apoyar el diseño de aplicaciones que permitan una mejor interacción con los pacientes proporcionándoles la mejor información actualizada sobre su patología.
- Se están implementando prototipos de aplicación del estado del arte en Inteligencia Artificial, Big Data, Blockchain, Cloud Computing, Aprendizaje Federado, Procesamiento de Imágenes, Análisis Ómico y genético, entre otros.
- Transformacion digital en el sector sanitario como la accesibilidad e interoperabilidad de los datos sanitarios, la modernización de los sistemas de atención sanitaria, facilitar el acceso a la salud de crónicos, etc
- Medicina personalizada y de precisión. Reducir la carga sanitaria de las enfermedades aumentando la eficiencia de los tratamientos y reduciendo los efectos secundarios. Se basa en ser Predictiva, Preventiva, Personalizada y Participativa.
- El objetivo de esta área es lograr estos retos y pasa por innovar con el foco en el desarrollo de nuevas herramientas, tecnologías y soluciones digitales, y ser

capaces de integrar esta innovación en el ámbito de la salud y la atención sanitaria pediátrica

Su línea de investigación se centra en:

- Implementación de repositorios abiertos de datos clínicos pediátricos.
- Construcción de modelos de aprendizaje automáticos que permitan definir medicina pediátrica de precisión y personalizada.

Grupo 25: Anestesia y reanimación. Responsable: **Dr. Ernesto Martínez García.**

Objetivos científicos a alcanzar por el grupo:

- Ayudar a mejorar esa asistencia y cuidados por parte de todos los actores implicados en la anestesia pediátrica: profesionales, padres y madres.
- Incorporar los avances en monitorización: SNC, SNA, Hemodinámica, Respiratoria
- Incorporar los avances en técnicas de anestesia locoregional: nuevos bloqueos ecoguiados, crioanalgesia.
- Optimizar el manejo de la VIA AEREA DIFICIL, ANALGESIA MULTIMODAL o la VALORACIÖN DEL DOLRO AGUDO POSTOPERATORIO.
- Se están desarrollando protocolos ERAS (Enhance Recovery After Surgery): programa multimodal diseñado para minimizar la disfunción de órganos en el post operatorio y devolver al paciente a la normalidad lo más rápido posible.
- Optimizar manejo peroperatorio de patologías complejas como la MUCOPOLISACARIDOSIS niños en CUIDADOS PALIATIVOS.
- Participamos en el proyecto EUROFAST: A Multicentre Preoperative Fasting Audit.

Su línea de investigación se centra en:

- Ayuno Perioperatorio (Eurofast).
- Mucopolisacaridosis.
- Dolor Agudo Perioperatorio (Escalas Valoración).
- Dolor Agudo Perioperatorio (Cirugía Esoliosis).
- Manejo Vía Aérea Díficil (C-Mac).
- EC Naldemedine (efectos secundarios Opioides).

- Cuidados paliativos pediátricos. **Grupo Asociado.**

  Su línea de investigación se centra en:

  - Telemedicina
  - Medicación en atención domiciliaria
  - Capacitación de cuidadores

- Investigación en diagnóstico genético. **Grupo Asociado.**

  Su línea de investigación se centra en:

  - Genética clínica

Plataformas de apoyo a la Investigación.

- Unidad de Fabricación de Medicamentos de Terapia Avanzada. Sala Blanca.
- Unidad de Ensayos Clínicos y estudios observacionales.
- Unidad de Farmacología. Sala Blanca y Gestión de Medicación de Investigación.
- Unidad de Gestión.
- Anatomía patológica.

CAPÍTULO 4

COMITÉ ÉTICO DE INVESTIGACIÓN CON MEDICAMENTOS

CAPÍTULO 4: Comité Ético de Investigación con Medicamentos

1. Miembros del Comité de Ética de la Investigación con Medicamentos (CEIm)

El **Comité de Ética de la Investigación con Medicamentos (CEIm)** es un órgano independiente y de composición multidisciplinar cuya finalidad principal es la de **velar por la protección de los derechos, la seguridad y el bienestar de los sujetos que participen en un proyecto de investigación biomédica.**

Ofrece garantía pública al respecto mediante un dictamen sobre la documentación correspondiente del proyecto de investigación. El dictamen tiene en cuenta los puntos de vista de las personas legas (en particular de los pacientes o las organizaciones de pacientes), de los profesionales sanitarios y de los letrados.

El CEIm está acreditado, de acuerdo con los términos del real decreto 1090/2015, de 4 de diciembre, para evaluar y emitir un dictamen de un estudio clínico con medicamentos y en una investigación clínica con productos sanitarios.

El **CEIm del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús es, además, un comité específicamente pediátrico.** Su trabajo está especializado en la evaluación de estudios de investigación que implican la participación de personas menores de edad.

Composición a fecha 31.12.2023:

Presidenta García Teresa, María Ángeles. Pediatra. Servicio Cuidados Intensivos
Vicepresidenta Escribano Ceruelo, Eva. Pediatra. Servicio Pediatría
Secretario Técnico González de Pablo, Jesús. Graduado en Biología. Fundación para la Investigación Biomédica.
Vocal Álvarez-Coca González, Javier. Pediatra. Sección Neumología
Vocal Andión Catalán Maitane. Pediatra. Servicio Oncología
Vocal Avilés Martínez, María. DUE. Unidad Cuidados Paliativos
Vocal Bernaldo de Quirós Martín, Marta M. Farmacéutica de Atención Primaria
Vocal Espinoza Vega Manuel L. Médico Adjunto de la Sección de Urología Servicio de Cirugía Pediátrica
Vocal González Cervera Rosa. Médico especialista Análisis Clínicos. Servicio Análisis Clínicos
Vocal Gutiérrez Priego Silvia. Psiquiatra. Servicio Psiquiatría
Vocal Martín Prado, Silvia. Farmacéutica. Servicio Farmacia
Vocal Mejía Abril, Gina Paola. Farmacóloga Clínica. Hospital Universitario La Princesa
Vocal Pinedo García, Ígor. Licenciado en Derecho, experto en protección de datos
Vocal Rebollo del Barrio, Trinidad. Auxiliar Administrativo. Voluntariado. Representante de los intereses de los pacientes.
Vocal Rodríguez del Río Pablo. Médico Adjunto de la Sección de Alergia
Vocal Solís Muñiz Inés. Médico especialista en Radiodiagnóstico.

2. Actividad Comité Ético Investigación en Medicamentos

	ENSAYOS CLÍNICOS	OTROS ESTUDIOS	TOTAL
ENSAYOS CLÍNICOS APROBADOS	11		
ENSAYOS CLÍNICOS DENEGADOS	0		
ENSAYOS CLÍNICOS PENDIENTES	0		
TOTAL ENSAYOS CLÍNICOS	**11**		**11**
MODIFICACIONES RELEVANTES APROBADAS	49	10	
MODIFICACIONES RELEVANTES DENEGADAS	0	0	
MODIFICACIONES RELEVANTES PENDIENTES	1	1	
TOTAL MODIFICACIONES RELEVANTES	**50**	**11**	**61**
	ESTUDIOS OBSERVACIONALES CON MEDICAMENTOS	OTROS PROYECTOS	
OTROS ESTUDIOS APROBADOS	4	76	
OTROS ESTUDIOS DENEGADOS	0	0	
OTROS ESTUDIOS PENDIENTES	0	31	
TOTAL OTROS ESTUDIOS	**17**	**119**	**136**
REUNIONES CELEBRADAS	PRESENCIALES	NO PRESENCIALES	
ORDINARIAS	11		
EXTRAORDINARIAS	2		
TOTAL REUNIONES	**13**		**13**

CAPÍTULO 5

ACTIVIDAD CIENTÍFICA

CAPÍTULO 5: Actividad científica

3. Proyectos de investigación activos

Proyectos de investigación competitivos internacionales

1. **Título: IMI2 BEAMER - BEhavioral and Adherence Model for improving quality, health outcomes and cost-Effectiveness of healthcaRe**
   Acrónimo: 101034369 -BEAMER
   IP: Dr. Andrés Castillo Sanz
   Entidad Financiadora: Unión Europea, H2020.

2. **Título: Advanced Database for Biomaterials with Data Analysis and Visualisation Tools extended by a Marketplace with Digital Advisors.**
   Acrónimo: BIOMATDB
   IP: Dr. Andrés Castillo Sanz
   Entidad Financiadora: Unión Europea

3. **Título: Blood biomarkers to improve diagnosis and management of mild traumatic BRAIN Injury in vulnerable patients.**
   Acrónimo: BRAINI2
   IP: Dra. Belén Rivero
   Entidad Financiadora: Eit Health

4. **Título: Cyber securitY tooLbox for COnnected MEdical Devices**
   Acrónimo: CYLCOMED
   IP: Dr. Andrés Castillo Sanz
   Entidad Financiadora: H2020, Unión Europea

5. **Título: Saling up secure processing. Anonymization and generation of Health Data for EU cross border collaborative research and Innovation.**
   Acrónimo: SECURED
   IP: Dr. Andrés Castillo Sanz
   Entidad Financiadora: Unión Europea

EIT Health is supported by the EIT, a body of the European Union

European Commission

Proyectos de investigación competitivos nacionales

❖ Proyectos de investigación públicos

1. **Título: CelÓmica integrativa para la medicina de precisión en leucemia infantil: una acción eHealth coordinada para biodigitalización del cáncer (LEUKODOMICS)**
   Expediente: TED2021-132296B-C51
   IP: Dr. Manuel Ramírez Orellana
   Entidad Financiadora: Agencia Estatal Investigación

2. **Título: Validación clínica de la plataforma robótica Discover2Walk**
   Expediente: PDC2022-133898-C33
   IP: Dr. Ignacio Martínez Caballero
   Entidad Financiadora: Agencia Estatal Investigación

3. **Título: Astrocitos, exosomas y mirnas en la respuesta diferencial de los machos y hembras a acidos grasos especificos (AstroExoSex)**
   Expediente: PID2021-122653OB-I00
   IP: Dra. Julie Ann Chowen King
   Entidad Financiadora: Agencia Estatal Investigación

4. **Título: DITTCe. Dispositivo implantable para el tratamiento de tumores cerebrales mediante campos eléctricos / Implantable device for brain tumor treatment using electrical fields**
   Expediente: PLEC2022-009308
   IP: Dra. Cristina Saiz Ladera
   Entidad Financiadora: Agencia Estatal Investigación

5. **Factores psiconeuroinmunológicos en el origen y mantenimiento de los trastornos de la conducta alimentaria en población pediátrica**
   Expediente: PID2022-136588OB-C21
   IP: MAR FAYA
   Entidad Financiadora: Agencia Estatal Investigación

6. **Título: Nueva Generación de Inmunoterapias STAb y CAR-T Multidianas** Multidianas (Next Generation CARTMAD) NEXT_GEN_CART_MAD-CM (Programas de I+D en Biomedicina 2022)
   Expediente: P2022-BMD-7225
   IP: MANUEL RAMÍREZ ORELLANA
   Entidad Financiadora: Comunidad Autónoma de Madrid

7. **Título: Edición genética, una nueva estratégia terapeútica para la Anemia FANCONI.**
   Expediente: AC20/00066
   IP: Dr. Julián Sevilla Navarro
   Entidad Financiadora: Instituto de Salud Carlos III

8. **Título: BIOPAL – Estudio de biomarcadores predisposición álergica recién nacidos**
   Expediente: PI20/01366
   IP: Dra. María Dolores Paloma Ibañez Sandín
   Entidad Financiadora: Instituto de Salud Carlos III

9. **Título: Desarrollo preclínico de un sistema de administración nanoestructurado de acilceramida para rescatar la barrera cutánea en pacientes con ictiosis (LIPARCI)**
   Expediente: AC21_2-00031
   IP: Dra. Ángela Hernández Martín
   Entidad Financiadora: Instituto de Salud Carlos III

10. **Título: Estrategia nacional para la implementación de la medicina personalizada en niños y adolescentes con cáncer / SEHOP-PENCIL study- Personalised Medicine for Cancer in Children in Spain.**
    Expediente: PMP21-00088
    IP: Dra. Cristina Sain Ladera
    Entidad Financiadora: Instituto de Salud Carlos III

11. **Implicaciones de la ruta Fanconi en la respuesta al agonista no peptídico del receptor de la trombopoyetina (Eltrombopag) en el fallo medular (nuevas alternativas de tratamiento)**
    Expediente: PI22-00603
    IP: JULIÁN SEVILLA NAVARRO
    Entidad Financiadora: Instituto de Salud Carlos III

12. **"EXPLORER: Primer porfolio de dispositivos de uso doméstico destinado a la rehabilitación de pacientes afectados por trastornos de la marcha.**
    Expediente: PMPTA22-00138
    IP: IGNACIO MARTINEZ CABALLERO
    Entidad Financiadora: ISCIII-CDTI

13. **"EXPLORER: Primer porfolio de dispositivos de uso doméstico destinado a la rehabilitación de pacientes afectados por trastornos de la marcha.**
    Expediente: PMPTA22-00217
    IP: MARÍA TERESA VARA ARIAS
    Entidad Financiadora: ISCIII-CDTI

❖ Financiación de RRHH

1. **Contrato: Predoctoral**
   Expediente: FI20/00025
   Candidato: Lorena García García
   Tutor: Dr. Manuel Ramírez Orellana
   Financiador: Instituto de Salud Carlos III

2. **Contrato: Técnico de Laboratorio**
   Expediente: PEJ-2021-TL/BMD-22143
   Candidato: Veronica Santana
   Tutor: Álvaro Lassaleta Atienza
   Financiador: Comunidad de Madrid

3. **Contrato: Técnico de Laboratorio**
   Expediente: PEJ-2021-TL/BMD-22222
   Candidato: Sara Escudero Toranzo
   Tutor: Dr. Gustavo Melen Fajlich
   Financiador: Comunidad de Madrid

4. **Contrato: Ayudante de investigación**
   Expediente: PEJ-2021-AI/BMD-22411
   Candidato: Yessenia Molina Cabrera
   Tutor: Dr. Gustavo Melen Fajlich
   Financiador: Comunidad de Madrid

5. **Predoctoral Vinculado al PID2021-122653OB-I00-Astrocitos, exosomas y mirnas en la respuesta diferencial de los machos y hembras a acidos grasos especificos (AstroExoSex)**
   Expediente: PRE2022-103731
   IP: Dra. Julie Ann Chowen King
   Entidad Financiadora: Agencia Estatal Investigación.

❖ Proyectos de investigación privados

1. Título: Phase I/II ex vivo gene therapy clinical trial for rdeb using autologous skin equivalent grafts genetically corrected with a col7a1 - enconding sin retroviral vector (EBCURE)
   Expediente: PI18/00021
   IP: Dr. Manuel Ramírez Orellana
   Entidad Financiadora: CURE EB – SOHANA Research Foundation

2. Título: Terapia con células mesenquimales autologas de médula ósea en niños y adolescentes con saño cerebral adquirido: Viabilidad, seguridad y eficacia
   Expediente: PI18/00025
   IP: Dra. Verónica Cantarín
   Entidad Financiadora: Fundación Sin Daño

3. Título: INFLAM-APP-PED.
   Expediente: PI19 /00001
   IP: Dra. Rosa Ana Muñoz Codoceo
   Entidad Financiadora: UAH/Amazon Spain

4. Título: Evaluación de la estabilidad diagnóstica del trastorno del espectro del autismo en niño/as de 18 a 36 meses.
   Expediente: PI19/00010
   IP: Dra. María Goretti Morón Nozaleda
   Entidad Financiadora: Okaidi Spain

5. Título: Ensayo clínico fase ib para la administración de alocelyvir (células mesenquimales alogénicas + virus oncolíticos) en niños, adolescentes, y adultos jóvenes con meduloblastoma en recaída o progresión
   Expediente: PI19/00013
   IP: Dr. Álvaro Lassaletta
   Entidad Financiadora: Fundación CRIS

6. Título: Colaboración para el desarrollo del proyecto "Génomica del cáncer infantil"
   Expediente: CP20/00001
   IP: Dra. Cristina Saiz
   Entidad Financiadora: Juegaterapia.org

7. Título: Tratamiento de neuroblastoma basado en inmunoterapia dirigida mediante nanotransportadores específicos
   Expediente: PI20/00001
   IP: Dr. Manuel Ramírez
   Entidad Financiadora: Asociación NEN

8. Título: CUNINA: identification and functional analyses of germline and somatic mutations predisposing children in Spain to acute lymphoblastic leukemia
   Expediente: PI20/00005
   IP: Dr. Manuel Ramírez
   Entidad Financiadora: Fundación Unoentrecienmil

9. Título: Combinación de nanomedicina e inmunoterapia para el tratamiento neuroblastoma.
   Expediente: PI20/00008
   IP: Dr. Manuel Ramírez
   Entidad Financiadora: Fundación Neuroblastoma

10. Título: Avance terapias y tecnologías de procesamiento para desarrollo investigación terapéutica clínica basada en células y genes.
    Expediente: PI20/00012
    IP: Dr. Manuel Ramírez
    Entidad Financiadora: Orgénesis

11. Título: Mejorando la seguridad de la inmunoterapia oral en niños con alergia persistente a la leche de vaca
    Expediente: PI20/00013
    IP: Dr. Pablo del Río
    Entidad Financiadora: Sociedad Española Inmunología Clínica Y Asma Pediátrica

12. Título: Impacto de la remodelación de las instalaciones de la Unidad de Terapias Funcionales sobre los usuarios y trabajadores.
    Expediente: PI20/00015
    IP. José Mendez Caba
    Entidad Financiadora: Fundación Mutua Madrileña

13. Título: Identificación de biomarcadores inmunes para el desarrollo de nuevas terapias en osteorsarcoma pediátrico.
    Expediente: PI20/00017
    IP: Dr. Francisco Bautista
    Entidad Financiadora: GEIS

14. Título: ensayo clínico fase ib para evaluar la seguridad, tolerabilidad y la eficacia preliminar de ALOCELYVIR (celulas mesenquimales alogenicas + icovir-5) en niños, adolescentes y adultos jovenes con glioma difuso de la protuberancia (dipg) de nuevo diagnóstico
    Expediente: PI20/00018
    IP: Dr. Álvaro Lassaletta
    Entidad Financiadora: El sueño de Vicky, Asociación DIPG y FOI

15. Título: Acuerdo de colaboración para el proyecto implementación de la estrategia de tratamiento all together para leucemia linfoblástica aguda pediátrica en España.
    Expediente: PI20/00019
    IP: Dr. Manuel Ramírez
    Entidad Financiadora: Fundación unoentrecienmil

16. Título: Influencia de los polimorfirmos de los genes responsables del metabolismo del metotrexate en su toxicidad en pacientes pediátricos con cáncer.
    Expediente: PI21/00004
    IP: Dra. Alba Rubio San Simón
    Entidad Financiadora: Asociación deporte vs Cáncer Infantil

17. Título: Proyecto Atrapacrisis. Desarrollo de dispositivo portátil de detección de crisis epilépticas en niños.
    Expediente: PI21/00006
    IP: Dr. Víctor Soto Insuga
    Entidad Financiadora: Fundación La Caixa

18. Título: Estudio del microbioma y la inmunidad en los pacientes con ictiosis congénitas y otros trastornos relacionados de la queratinización.
    Expediente: PI21/00007
    IP: Dra. Ángela Hernández
    Entidad Financiadora: URIEL

19. Título: Papel del microambiente de la médula ósea en la recaída de niños con leucemia aguda
    Expediente: PI21/00009
    IP: Dr. Manuel Ramírez
    Entidad Financiadora: Asociación Oncológica Extremeña

20. Título: Infectious triggers and novel therapeutic opportunities in childhood B cell leukemia (Prevent)
    Expediente: PI21/00010
    IP: Dr. Manuel Ramírez
    Entidad Financiadora: AECC

21. Título: Proyecto Yes We Can (Terapia asistida con perro en intervención Terapeútica para los niños y niñas que han sufrido Daño Cerebral Adquirido)
    IP: Dra. Susana Cartas
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN SIN DAÑO

22. Título: Programa de intervenciones asistidas con caballos, Terapia Asistida con caballos
    IP: Álvaro Pérez-Somarriba
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN IRENE VILLA

23. Título: Coagulopatía en el paciente que recibe Terapia Car-T utilidad de la tromboelastometría rotacional fretne a las pruebas clásicas de coagulación
    Expediente: PI22/00003
    IP: Dra. Inés Leoz
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN FAMILIA ALONSO

24. Título: Diagnóstico y pronóstico del Daño Cerebral agudo en el paciente pediátrico y en paciente sometido a terapia Car-T
    Expediente: PI22/00004
    IP: Dra. Gema de Lama-Patón
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN FAMILIA ALONSO

25. Título: Estudio biomarcadores pronósticos en trombocitopenia inmune pediátrica: relaciones clínico-biológicas con el HLA, las poblaciones linfocitaria y destrucción plaquetaria
    Expediente: PI22-00006
    IP: Dra. Elena Sebastian
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN FAMILIA ALONSO

26. Título Título: Validación de tecnología citogenética de próxima generación en el ámbito clínico
    Expediente: PI22/00007
    IP: Dr. Manuel Ramírez
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN FAMILIA ALONSO

27. Título: Diagnóstico molecular integrado 3.0 para la caracterización completa de los gliomas difusos de línea media H3-K27M
    Expediente: PI22/00009
    IP: Dra. Cristina Saiz
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN BLANCA MORELL

28. Título: Ensayo clínico BIOMEDE 2.0 para niños con DIPG
    Expediente: PI22/00010
    IP: Dra. Alba Rubio
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN EL SUEÑO DE VICKY

29. Título: Biopsia líquida en tumores sólidos extracraneales
    Expediente: PI22/00012
    IP: Dra. Cristina Saiz
    Entidad Financiadora: PLANETA CORPORACIÓN

30. Título: Estudio de microbiota en los pacientes con la enfermedad de injerto-contra huesped y su implicación en el pronostico.
    Expediente: PI22/00011
    IP: Dra. Laura Palomino

Entidad Financiadora: PLANETA CORPORACIÓN

31. Título: Programa de detección y orientación para pacientes con TEA y dificultades en su alimentación: mejora de la calidad de vida
    Expediente: PI22/00014
    Entidad Financiadora: PEDRO DURAN

32. Valoración nutricional en pacientes pediátricos con una alergia gastrointestinal en seguimiento por un dietista-nutricionista
    Expediente: PI22/00016
    IP: Dra. Rosa Ana Muñoz Codoceo
    Entidad Financiadora: DANONE-NUTRICIA

33. Título: Optimización del manejo de la Vía Aérea Díficil en el paciente pediátrico
    Expediente: PI22/00018
    IP: Dra. Ana Moral
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN LA CAIXA

34. Título: Medición ecográfica de la vaina del nervio óptico. Marcador de hipertensión intracraneal en el paciente neurocrítico pediátrico
    Expediente: PI22/00019
    IP: Dr. Ernesto Martínez
    Entidad Financiadora: FUNDACIÓN LA CAIXA

35. Título: Realización de programas de formación, desarrollo e investigación de actividades especializadas en terapias asistidas con animales
    Entidad Financiadora: OFICINA INTERVENCIÓN ASISTIDA ANIMALES UNIVERSIDAD REY JUAN CARLOS

36. Título: Estudios genéticos y de tratamiento con terapia celular en niños y adolescentes con enfermedades neurológicas, especialemente con epilepsia refractaria
    Expediente: PI22/00020
    IP: Dra. Verónica Cantarín
    Entidad Financiadora: PLADUR GYPSUM

37. Título: Desarrollo de Terapias combinadas con inmunoterapia para tumores sólidos
    Expediente: PI22/00021
    IP: Dra. Alba Rubio
    Entidad Financiadora: ASOCIACIÓN PABLO UGARTE

38. Título: Implementación de una nueva modalidad asistencial que mejore la calidad de vida de los pacientes de la Unidad de Hospitalización a Domicilio (UHAD)
    Expediente: PI22/00022
    IP: Dra. Raquel Jímenez
    Entidad Financiadora: ALEXION

39. Título: Efecto de los fármacos modulares del CFTR en la condición física, función pulmonar e ionotest y mirnas de la fibrosis quística
    Expediente: PI22/00023
    IP: Dra. Patricia Fernández
    Entidad Financiadora: SOCIEDAD ESPAÑOLA NEUMOLOGIA PEDIATRICA

40. Título: PREMIO PROFESOR ALBERTO OEHLING. "Onset of Nut Allergy in a Pediatric Cohort: Clinical and Molecular Patterns in the AFRUSEN Study"
    Expediente: PI22/00024
    IP: Dra. María Dolores Ibañez Sandín
    Entidad Financiadora: SOCIEDAD ESPAÑOLA ALERGOLOGÍA E INMUNOLOGÍA CLÍNICA

41. Título: Trastornos de conducta de alimentación de la primera infancia con dispositivos de soporte artificial
    Expediente: PI22/00025
    IP: Dra. Rosa Ana Muñoz
    Entidad Financiadora: FRESENIUS KABI

42. Título: Proyectos de desarrollo de rehabilitación a pacientes con limitaciones funiconales o neurológicas a través del uso de robots
    IP: Andrés Castillo/ Carlos Martín
    Entidad Financiadora: INROBICS

43. Título: Mejora en aspectos sociales, comunicación, motóricos, autoestima, estado de ánimo, conductuales y de calidad de vida con el desarrollo de un laboratorio teatral para niños con enfermedades neurológicas
    IP: Víctor Soto
    Entidad Financiadora: 33 % CULTURA SIN LÍMITES

44. Título: Rotación formativa en investigación especialistas Post-MIR en Neuro-Oncología.
    Expediente: CP22/00003
    IP: Luís Madero
    Entidad financiadora: Fundación El Sueño De Vicky

45. Título: Rotación formativa en investigación especialistas Post-MIR en Oncología General y Oncología Adolescente.
    Expediente: CP22/00004
    IP: Luís Madero
    Entidad financiadora: Fundación Caico

46. Rotación formativa práctica especialistas pediátricos post-mir en oncología general
    Expediente: CP22/00002
    IP: Luis Madero
    Entidad Financiadora: Fundación Oncohematología Infantil

47. Titulo: Memmat A Phase II study of metronomic and targeted anti-angiogenesis therapy for children with recurrent/progressive medulloblastoma
    IP: Alvaro Lassaletta Atienza
    Entidad financiadora: Fundación el Sueño de Vicky

48. Titulo: Proyecto KIDS MADRID
    Expediente: PI19/00003
    IP: Julie Ann Chowen King
    Entidad financiadora: FIBHNJS

49. Título: Acuerdo para la prestación del servicio de asesorameinto y formación en nutrición en al Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitaio Niño Jesús de Madrid.
    IP: Rosa ana Muñoz Codoceo
    Entidad Financiadora: Nestle

50. Título: Colaboración estratégica en formación y telemedicina
    IP: Andres Castillo
    Entidad financiadora: Medlinetec

51. Título: Colaboración en el desarrollo de proyectos
    Entidad financiadora: Fundación Unidos en Red

52. Título: Utilización de prótesis mioeléctricas en niños con agenesia unilateral de miembros superiores
    Expediente: PI22/00002
    IP: Sergio Martinez
    Entidad Financiadora: Fundación Familia Alonso

53. Título: Caracterización de los ganglios linfáticos cervicales mediante elastografía cuantitativa (SWE).
    Expediente: PI22/00005
    IP: Teresa Cañas Macia
    Entidad Financiadora: Fundación Familia Alonso

54. Título: Tratamiento combinado de precisión para tumores sólidos infantiles
    Expediente: PI23/00001
    IP: Manuel Ramirez Orellana
    Entidad financiadora: Fundación Familia Alonso

55. Título: Diagnóstico molecular y resultado clínico de los gliomas de bajo grado en pacientes adolescentes y adultos jóvenes
    Expediente: PI23/00002
    IP: Alvaro Lassaletta Atienza

Entidad financiadora: Fundación el Sueño de Vicky

56. Título: Apoyo investigación en el servicio de psiquiatria Hospital Infantil Universitario Niño Jesús
    Expediente: PI23/00003
    IP: Montserrat Graell
    Entidad financiadora: Master Congresos

57. Título: Ensayo comparado tratamientos en amigdalitis estreptocócica.
    Expediente: PI23/00004
    IP: Jose Antonio Alonso Cadenas
    Entidad financiadora: ZARYLAB DIAGNÓSTICA

58. Título: Validación de una escala de predicción de hipertensión intracraneal crónica en edad pediátrica basada en alteraciones del nervio óptico y la silla turca.
    Expediente: PI23/00005
    IP: Ana Aransay
    Entidad financiadora: Fundación Familia Alonso

59. Título: Estudio de las bases patogénicas de la aplasia medular en la edad pediátrica: translación desde la patongenia a la terapeútica.
    Expediente: PI23/00006
    IP: Josune Zubicaray
    Entidad financiadora: FUNDACIÓN CANARIA ADRIAN HOTELES

60. Título: Rehabilitación infantil en tumores cerebrales.
    Expediente: PI23/00007
    IP: Susana Cartas Carrión
    Entidad financiadora: EL SUEÑO DE VICKY

61. Título: Estudio del microambiente inmune tumoral y los TILs expandidos que va a ser empleados como medicina de terapia avanzada.
    Expediente: PI23/00008
    IP: África Gonzalez Murillo
    Entidad financiadora: FUNDACIÓN ACS

62. Título: Abordaje multiómico para la búsqueda de factores genéticos implicados en la patogenia y/o susceptibilidad para el desarrollo de encefalitis de rasmussen.
    Expediente: PI23/00009
    IP: Verónica Cantarín Extremera
    Entidad financiadora: PLANETA CORPORACIÓN

63. Título: Uso de la citometria espectral en el estudio de los perfiles inmunes de tumores sólidos infantiles para la búsqueda de nuevos biomarcadores pronósticos y predictivos.
    Expediente: PI23/00010

IP: África González Murillo
Entidad financiadora: PLANETA CORPORACIÓN

64. Título: Estudio de la biopsia líquida pediátrica con tumores sólidos.
    Expediente: PI23/00011
    IP: Álvaro Lassaletta Atienza
    Entidad financiadora: FUNDACIÓN ONCOHEMATOLOGIA INFANTIL

65. Título: Colaboración en desarrollo formación enfermeras gestoras.
    Expediente: PI23/00012
    IP: Julia Pato
    Entidad financiadora: MEDTRONIC

66. Título: Validación de la detección cualitativa de paracetamol en orina en población pediátrica.
    Expediente: PI23/00013
    IP: Francessco Eclesia
    Entidad financiadora: RISEUP

67. Título: Uso de la citometria espectral en el estudio de los perfiles inmunes de tumores sólidos infantiles para la búsqueda de nuevos biomarcadores pronósticos y predictivos.
    Expediente: PI23/00014
    IP: África Gonzalez Murillo
    Entidad financiadora: PUMA IBERICA

68. Título: Colaboración en desarrollo investigación diabetes.
    Expediente: PI23/00015
    IP: Patricia Enes
    Entidad financiadora: MEDTRONIC

69. Título: Depleción de linfocitos T naïve (cd45ra+) como plataforma de trasplante alogénico HLA idéntico en pacientes pediátricos.
    Expediente: PI23/0016
    IP: Luis Madero López
    Entidad financiadora: FUNDACIÓN ALADINA

70. Título: Diagnóstico de síndromes de predisposición al cáncer en una unidad de adolescente y adultos jóvenes (AYA) mediante la implementación de estucios en línea germinal.
    Expediente: PI23/00017
    IP: Luis Madero López
    Entidad financiadora: FUNDACIÓN ONCOHEMATOLOGIA INFANTIL

71. Título: Uso de la citometria espectral en el estudio de los perfiles inmunes de tumores sólidos infantiles para la búsqueda de nuevos biomarcadores pronósticos y predictivos.
    Expediente: PI23/00018
    IP: Manuel Ramirez Orellana
    Entidad financiadora: FUNDACIÓN SEHOP

72. Título: Desarrollo de sistema y métricas en telemedicina en cuidados paliativos.
    Expediente: PI23/00019
    IP: Ricardo Martino
    Entidad financiadora: CONTIGO HEALTHCARE

73. Título: Radiografias. viaje al interior de un hospital.
    Expediente: PI23/00020
    IP: Victor Soto
    Entidad financiadora: JAZZPHARMA

74. Título: Estudio perceptions junior.
    Expediente: PI23/00021
    IP: Patricia Flores
    Entidad financiadora: YOU & US

75. Título: Trastornos alimentarios y de la ingesta de alimentos de inicio en edad pediátrica: estudio clínico y de seguimiento.
    Expediente: PI23/00022
    IP: Beatriz Martínez Nuñez
    Entidad financiadora: ASOCIACIÓN ESPAÑOLA PARA EL ESTUDIO DE LOS TCA

76. Título: Ensayo clínico abierto, fase i para evaluar la seguridad y respuesta clínica preliminar del uso de células madre mesenquimales alogénicas de médula ósea en niños y adolescentes con adrenoleucodistrofia ligada al cromosoma X forma cerebral
    Expediente: PI23/00023
    IP: Verónica Cantarín Extremera
    Entidad financiadora: FUNDACIÓN FAMILIA ALONSO

77. Título: Estimulación cerebral no invasiva. estimulación magnética transcraneal repetitiva. indicaciones y protocolos terapéuticos en daño cerebral.
    Expediente: PI23/00024
    IP: David Mansilla
    Entidad financiadora: FUNDACIÓN ACS

78. Título: Adhesión al programa “músicos por la salud”.
    IP: Sergio Martínez
    Entidad financiadora: MÚSICOS POR LA SALUD

79. Título: Participación proyecto “medical knowledge by extended systems (xrtransfer)
    Entidad financiadora: EXOLAB

80. Título: Acuerdo marco realización conjunta de actividades de cooperación
    Entidad financiadora: FUNDACIÓN BEPRO DEPORTE ESPAÑA.

orgenesis

uno
entre
cienmil
.org

FUNDACIÓN
IRENEVILLA

foi
Fundación Oncohematología Infantil

FUNDACION
ACS

DIPG
Unidos contra el DIPG

AETCA
Asociación Española para el Estudio de
los Trastornos de la Conducta Alimentaria

DEPORTE vs CÁNCER INFANTIL

bepro
deporte españa

SEHOP
SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE HEMATOLOGÍA Y ONCOLOGÍA
PEDIÁTRICAS

Fundación
"la Caixa"

aecc
Contra el Cáncer

Contigo
Health Care

33%
CULTURA SIN LÍMITES

Nestlé
HealthScience

Grupo Planeta

SEICAAP
Sociedad Española de Inmunología Clínica,
Alergología y Asma Pediátrica

FUNDACIÓN BLANCA MORELL
La sonrisa que nos une

Desde la Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús agradecemos a todas las entidades privadas, empresas y particulares que colaboran a través de donaciones con la financiación de la investigación biomédica pediátrica.

❖ Proyectos Intramurales

Proyectos activos de la convocatoria de 2019:

❖ Título: Integración técnicas ultra resolución epilepsia
IP: Dra. Eva Gutiérrez

❖ Título: Factores reguladores crecimiento en diabetes mellitus
IP: Dra. María Güemes

Proyectos activos de la convocatoria de 2022:

❖ Título: Sintonizando los canales celulares. Abordaje interdisciplinar clínico y genético en población pediátrica con encefalopatías secundarias a canalopatías y diseño de nuevos tratamientos individualizados
IP: Dr. Víctor Soto

❖ Título: Estudio de posibles causas y dianas en la Trombopenia Inmune Primaria (PTI) refractaria y crónica en pacientes pediátricos
IP: Dra. Elena Sebastián

Convocatoria 2023:

A continuación, se detallan los proyectos de investigación seleccionados en la convocatoria 2023, la cual ha sido posible su financiación gracias a los fondos recaudados por la **XI Edición de la Carrera "Corre por el Niño"** y a la colaboración de:

Título: Uso de la citometría espectral en el estudio de los perfiles inmunes de tumores sólidos infantiles para la búsqueda de nuevos biomarcadores pronósticos y predictivos.

Investigador Principal: África Gónzalez Murillo

Servicio: Investigación en medicamentos de terapia avanzada

Alrededor de 1.100 niños y adolescentes son diagnosticados de cáncer cada año en España acorde con el Registro Español de tumores infantiles (https://www.uv.es/rnti/). Los diferentes tipos de tumores sólidos suman cerca del 70% de los casos diagnosticados en España en pacientes de 0-14 años (RETI-SEHOP).
Empleando tratamientos actuales que se basan en el uso de quimioterapias, radioterapia y cirugía, la mejora de la supervivencia es escasa, sobre todo en pacientes pediátricos con tumores sólidos de alto riesgo. El desarrollo de nuevas terapias está siendo una realidad gracias al desarrollo de la medicina de precisión que permite el tratamiento de cánceres pediátricos basado en alteraciones moleculares concretas o diferentes estrategias de inmunoterapia. Sin embargo el número de pacientes pediátricos que se ven beneficiados por estas nuevas terapias es aún reducido comparado con la población adulta. La falta de investigación y conocimiento sobre la biología y el componente inmune en tumores pediátricos, es una de las causas de esta situación. Para encontrar nuevos biomarcadores pronósticos y predictivos de terapia, así como el desarrollo de nuevas dianas terapéuticas, especialmente terapias basadas en el uso células inmunes, es necesario tener un conocimiento profundo y detallado del componente inmune que está infiltrando los tumores sólidos infantiles, el microambiente inmune tumoral (tumor immune microenvironment, TIME). En adultos, el perfil inmune ya se emplea como biomarcador pronóstico, sin embargo esto no ocurre aún en cáncer pediátrico.

El microambiente tumoral es una red compleja y dinámica de células tumorales, fibroblastos, células endoteliales y células inmunitarias que evoluciona durante la progresión tumoral. El microambiente inmune tumoral (TIME) juega diferentes papeles en la tumorigénesis a través de células inmunes antitumorales (células T efectoras (incluidas las células T, NK, células dendríticas, macrófagos y neutrófilos) y protumorales (células T reguladoras (Tregs) y células mieloides supresoras de tumor (MDSC). El perfil inmune de tumores infantiles está muy poco caracterizado, debido principalmente a que la muestra es muy limitada. Frente a este problema, técnicas como la secuenciación masiva de ARNs ha permitido realizar una predicción in silico para estimar la abundancia de poblaciones inmunes a partir de una pequeña cantidad de material de partida. Esto suponía un importante ahorro de material frente a las técnicas clásicas de inmunofenotipado en células en viabilidad como la citometría convencional. El reciente desarrollo de la técnica de citometría espectral, en donde la muestra puede ser analizada para 20 parámetros a la vez, ha permitido el análisis de un gran número de poblaciones inmunes con un gasto mínimo de muestra. En este proyecto proponemos identificar perfiles inmunes concretos de las muestras analizadas que nos permita

encontrar poblaciones celulares que tengan un impacto en la evolución del paciente que nos sirvan para mejorar el diagnóstico y la predicción de repuesta. Además nos permitirá identificar poblaciones candidatas a ser utilizadas como medicamento en futuras inmunoterapias o poblaciones candidatas a ser dianas celulares de tratamientos futuros.

Título: Descripción de características citogenéticas en la recaída de la leucemia linfoblástica aguda pediátrica.

(Description of global cytogenomics features in childhood acute lymphoblastic leukemia relapse by optical genome mapping)

Investigadora Principal: Elena García Sanchez

Servicio: Investigación en inmunidad, genética y nuevas tecnologías en cáncer infantil

La leucemia linfoblástica aguda (LLA) es el cáncer más común en la población pediátrica. Aunque en los últimos 50 años las tasas de supervivencia en niños han alcanzado hasta el 80-90% debido a la combinación de nuevos tratamientos, un porcentaje del 10-20% de los pacientes fallece debido a la resistencia al tratamiento o procesos de recaída. Como consecuencia, la principal causa de muerte infantil por cáncer es la recaída de la LLA. En los últimos años, han tenido lugar grandes avances en la comprensión de la biología de recaída de la LLA pediátrica mediante estudios sobre el perfil genético y los mecanismos moleculares de las células leucémicas causantes de la recaída. Además de mutaciones en la secuencia del ADN, la LLA pediátrica se caracteriza por la presencia de alteraciones en la estructura de los cromosomas. Estas alteraciones son de distintos tipos: ganancia y pérdida de partes del cromosoma o cromosomas completos, duplicaciones e inversiones de regiones cromosómicas y translocación de partes del material genético de uno cromosoma a otro.

Estas aberraciones cromosómicas tienen como consecuencia la alteración de la función de los genes localizados en dichas regiones, favoreciendo el desarrollo de la enfermedad. Recientemente, el Mapeo Óptico del Genoma (MOG) ha surgido como una nueva tecnología capaz de describir todas estas aberraciones cromosómicas con una alta resolución permitiendo describir alteraciones que hasta la fecha no se podía debido a las limitaciones de las técnicas convencionales. Basándonos en estas premisas, en el presente proyecto proponemos analizar mediante MOG el perfil cromosómico de las células leucémicas durante la recaída de la LLA en la población pediátrica y describir si existen diferencias entre pacientes que recaen y los que no lo hacen. Para ello, utilizaremos muestras de pacientes pediátricos del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús en el momento del diagnóstico y la recaída. La identificación de tales diferencias nos permitirá incrementar nuestro conocimiento sobre los mecanismos de recaída de la LLA pediátrica y diseñar estrategias terapéuticas dirigidas para prevenirla o mejorar las condiciones de vida de los pacientes que la presenten.

Título: Pi-GST en orina como marcador de daño renal en pacientes con pielonefritis aguda.

Investigadora Principal: Carmen de Lucas Collantes.

Servicio: Investigación en Nefrología

La pielonefritis aguda (PNA) es una infección bacteriana que afecta al tejido renal. Se considera una de las enfermedades más frecuentes durante la infancia. Tiene riesgo de producir una infección grave en la fase aguda y, como secuela, dejar una cicatriz renal que, a largo plazo, ocasione hipertensión y/o insuficiencia renal crónica.

Actualmente disponemos de pocas pruebas complementarias que ayuden a detectar los pacientes que se encuentran en riesgo de desarrollar cicatrices y complicaciones a largo plazo después de una PNA. Una de ellas es la gammagrafía con DMSA en fase tardía, a los 4-6 meses del episodio agudo, aunque su realización no está exenta de riesgos y efectos secundarios.

Por ello se están investigando nuevos marcadores en orina que sirvan para detectar de forma fiable y sencilla, analizando sólo una muestra del fluido, qué pacientes con PNA desarrollarán cicatrices renales, evitando así la realización de otras pruebas más invasivas como el DMSA. La mayoría son proteínas que se desprenden del riñón dañado, como las glutatión S- transferasas del túbulo renal (GST).

Nuestro estudio sería uno de los primeros trabajos realizados exclusivamente en niños para estudiar los niveles del subtipo π (pi) de las GST en orina y relacionarlos con el riesgo de desarrollar cicatrices en el riñón pasados varios meses después de la infección. Si se demuestra que es una técnica útil y fiable antes que otros métodos de diagnóstico más invasivos y radiantes, podría utilizarse como un marcador para seleccionar en qué casos deberían realizarse el resto de las exploraciones y en qué casos podrían obviarse.

4. Concesión de proyectos públicos a otras instituciones cuyo centro de realización es el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús

A continuación, se informa de las solicitudes presentadas a convocatorias públicas competitivas que han sido **concedidas a otras instuciones** cuyas tareas y actividades llevan a cabo en el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús en el año 2023:

1. **Título: Identificacion de predictores de éxito de distintas estrategias nutricionales en adolescentes con obesidad y su aplicabilidad ante variantes genéticas.**
   Expediente: PI22-01820
   IP: Dr. Gabriel Ángel Martos Moreno
   Entidad Financiadora: Instituto de Salud Carlos III
   Centro de concesión: IIS La Princesa
   Centro de realización: Hospital Infantil Universitario Niño Jesús

5. Consorcios, redes y plataformas nacionales e internacionales

CIBER de Obesidad y nutrición (CIBEROBN):

- Prof. Dr. Jesús Argente Oliver. Jefe de grupo CB06/03/0022 desde su constitución.

CIBER de Enfermedades Raras (CIBERER):

- Dr. Julián Sevilla Navarro (Jefe de grupo clínico asociado GCV14ER19)
- Dra. Verónica Cantarín (Grupo clínico asociado GCV14ER6)

CIBER de Salud Mental (CIBERSAM):

- Dra. Montserrat Graell Berna (Personal adscrito al grupo CB/07/09/0023 del Dr. Celso Arango López).

RECLIP - Red Española de Ensayos Clínicos Pediátricos: La Dra. Alba Rubio San Simón forma parte del Comité Ejecutivo y el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús es un grupo clínico consolidado de esta red.

SEEP - Sociedad Española de Endocrinología pediátrica

- Prof. Dr. Jesús Argente Oliver (Coordinador Grupo de trabajo de Pubertad)

El investigador Dr. Julián Sevilla Navarro participa y colabora con la **Fundación Anemia de FANCONI.**

El Dr. Ernesto Martínez García del servicio de anestesiología y reanimación) participa en la **Red Española de investigación sobre dolor infantil (REDIN)**

La Dra. Alba Rubio San Simón de la Unidad de Ensayos Clínicos participa como vocal en la **Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP)**

Centros, Servicios y Unidades de Referencia (CSUR) - Son centros, servicios o unidades de referencia del Sistema Nacional de Salud que proporcionan asistencia a personas afectadas de una determinada patología a nivel nacional.

Las patologías que actualmente tiene reconocidas el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús son:

- **CSUR 27. Ortopedia infantil**
- **CSUR 31. Trasplante de progenitores hematopoyéticos alogénico infantil**

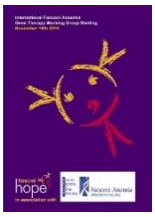
Connect4children (c4c) - Collaborative network for European Clinical Trials for children: La Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús pertenece a la red de investigación europea colaborativa de ensayos clínicos para niños.

Participación en el **consorcio internacional ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer)** como centro para ensayos clínicos fase I (first-in-child).

Participación en el **consorcio internacional SIOPEN (European Neuroblastoma Research Network)** como centro para ensayos clínicos en neuroblastoma.

European Society for Paediatric Endocrinology (ESPE).

- Prof. Dr. Jesús Argente Oliver. Director del grupo de trabajo de obesidad infantil



Participación del Dr. Julián Sevilla Navarro en el **European Working Group for MDS and SAA.**

Participación en la **Liga Internacional Contra la Epilepsia (ILAE- Europe).** Dra. María Ángeles Pérez Jiménez.

Participación en el **Grupo U-TASK (Pediatric Epilepsy Surgery - Europe).** Dra. María Ángeles Pérez Jiménez.

6. Comisiones Nacionales de Investigación

Dra. Julie Ann Chowen King. Gestora del área BIO, subárea BIF, de la División de Coordinación, Evaluación y Seguimiento Científico Técnico en la Agencia Estatal de Investigación.

7. Premios de Investigación

- **Premios Fundación SECOT** al servicio de Cirugía Ortopédica y Traumatología:
    - **Premio de Investigación Básica.** Título proyecto*: Inyección intraósea de células madre mesenquimales para el tratamiento de la osteonecrosis de la cabeza femoral inmadura y prevención de la deformidad cefálica. Estudio experimental en un modelo porcino*. Autores: Sergio Martínez-Álvarez, María Galán-Olleros, Daniel Azorín-Cuadrillero, Ángel Palazón-Quevedo, Manuel Ramírez-Orellana, Tomás Epeldegui-Torre, Francisco Forriol.
    - **Premio de Investigación Clínica.**Título proyecto: *Escoliosis en pacientes adolescentes con síndrome de Down: Correlación entre la magnitud de la curva y el nivel de deambulación funcional.* Autores: Rosa M. Egea-Gámez, María Galán-Olleros, Ignacio Martínez-Caballero, J Ignacio Serrano, Ana Ramírez-Barragán, Ángel Palazón-Quevedo, Rafael González-Díaz.
    - **Ayuda a Proyecto de Investigación en COT:** Título proyecto: *Alargamiento Óseo en 2 etapas con reutilización de un único Clavo IntraMedular telescópico en pacientes con Acondroplasia*. Autores: María Galán Olleros, Javier Alonso Hernández, Rosa María Egea Gámez, Carlos Miranda Gorozarri, Ángel Palazón Quevedo.
    - **Premio a los tres mejores trabajos publicados en la Revista Española de Cirugía Ortopédica y Traumatología.** Título*: Tenotomía intrapélvica del psoas y alargamiento del recto anterior como tratamiento del flexo fijo de rodilla en parálisis cerebral infantil.* Autores: I. Martínez Caballero, G. Chorbadjian Alonso, R.M. Egea-Gámez, A. Ramírez Barragán, M. Fraga Collarte.
    - **Premio al Mejor Médico Interno Residente de Cirugía Ortopédica y Traumatología** para la Dra. María Galán Olleros.
    - **Premio al Mejor Resultado en la Convocatoria European Board of Orthopaedics and Traumatology EBOT-SPAIN** para la Dra. María Galán Olleros.

- **Premio Profesor Alberto Oehlling en el Congreso de la Sociedad Española de Alergología e Inmunología Clínica (SEAIC)** para el Servicio de Alergología. El artículo premiado lleva por título "*Onset of Nut Allergy in a Pediatric Cohort: Clinical and Molecular Patterns in the AFRUSEN Study*", cuyos primeros firmantes son la **Dra. Dolores Paloma Ibáñez Sandín,** Jefa del Servicio de Alergología del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, y el **Dr. Pablo Rodríguez del Río**, adjunto de dicho Servicio

- El **Dr. Ricardo Martino**, Jefe de la Sección de **Cuidados Paliativos Pediátricos** del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, ha recibido una de las **Medallas de Oro** que otorga la institución humanitaria **Cruz Roja.**

- **Premio a la Mejor Tesis del Año en los XXII Premios Neumomadrid** que entrega la Sociedad Madrileña de Neumología y Cirugía Torácica. Tesis titulada *"Estudio de la eficacia del tratamiento a largo plazo con ácido docosahexanóico (DHA) sobre la inflamación pulmonar, sistémica e intestinal en pacientes con fibrosis quística".* **Dr. Alejandro López Neyra** (Sección de Neumología)

- **Premio de la Sociedad Madrileña de Neumología y Cirugía Torácica** para realizar un estudio en relación con el efecto de los nuevos moduladores de CTFR sobre la condición física, función pulmonar y calidad de vida en pacientes con fibrosis quística. El estudio será liderado por la **Dra. Patricia Fernández** (Unidad de Fibrosis Quística)

- **Premio EPF Sanitario Médico del Instituto de Investigación y Desarrollo Social de Enfermedades Poco Frecuentes (INDEPF)** a la **Dra. Mª Luz Ruiz-Falcó** (Neurología).

- **Primer Premio de Investigación del Colegio Oficial de Enfermería de Madrid (CODEM)** al equipo de Enfermería de los Servicios de Cuidados Paliativos del Hospital Infantil Niño Jesús, formado por Irene Martín Romero, Lourdes Chocarro González, Juan Manuel Vázquez Sánchez y María Avilés Martínez, por el trabajo *"Uso de la vía subcutánea en Cuidados Paliativos Pediátricos domiciliarios".*

- **Premios Best in Class (BIC)**. Galardonado el **servicio de Medicina Intensiva** del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús por su excelencia en la gestión y la mejora de la calidad asistencial. Dra. Monserrat Nieto, jefa del Servicio de Medicina Intensiva.

- **Premio de la Red de Investigación de la Sociedad Española de Urgencias Pediátricas** al estudio "Validación de la detección cualitativa de paracetamos en orina en población pediátrica". Dr. Francessco Ecclesia

- **Premio de la Asociación Española para el Estudio de los Trastornos de Comportamiento Alimentario** para el estudio "Trastornos alimnetarios y de la ingesta de alimentos de inicio de edad pediátrica: Estudio Clínico y de seguimiento". Dra. Beatriz Martínez Nuñez

8. Ensayos clínicos y estudios observacionales

En el año 2023 han estado vigentes un total de 149 ensayos clínicos y 43 estudios observacionales.

Servicio	Ensayos clínicos	Estudios observacionales
ALERGOLOGIA	2	1
CIRUGIA PEDIATRICA	2	3
DERMATOLOGIA	7	1
ENDOCRINOLOGIA	4	1
FARMACIA	0	1
GASTROENTEROLOGIA	7	5
ONCOLOGIA	69	12
HEMATO-ONCOLOGIA	25	8
NEUROLOGIA	12	5
NEUMOLOGIA	4	0
PEDIATRIA SOCIAL	1	1
PSQUIATRIA	3	1
REUMATOLOGIA	8	1
UCI	2	1
ANATOMIA PATOLOGICA	0	1

NEFROLOGIA	0	1
REHABILITACION	2	0
ANESTESIOLOGIA Y REANIMACION	1	0
TOTAL	**149**	**43**

Tabla 1.- *Ensayos clínicos y estudios observacionales vigentes en 2023.*

Gráfico 1.- *Ensayos clínicos distribuidos por servicios*

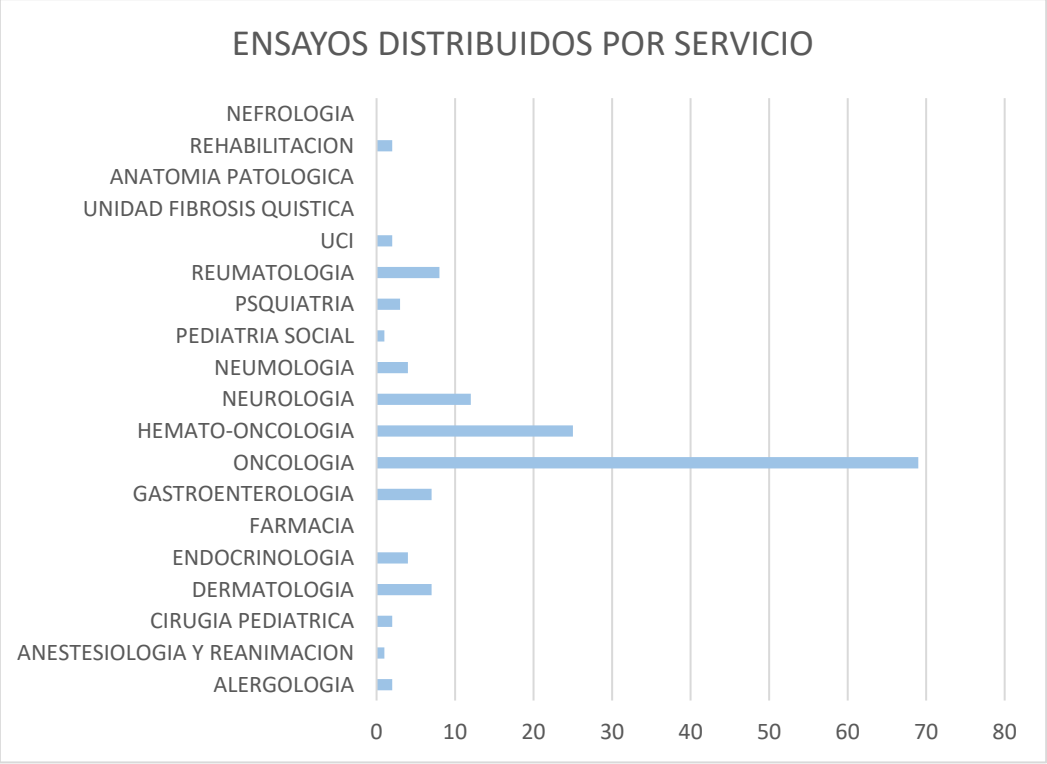
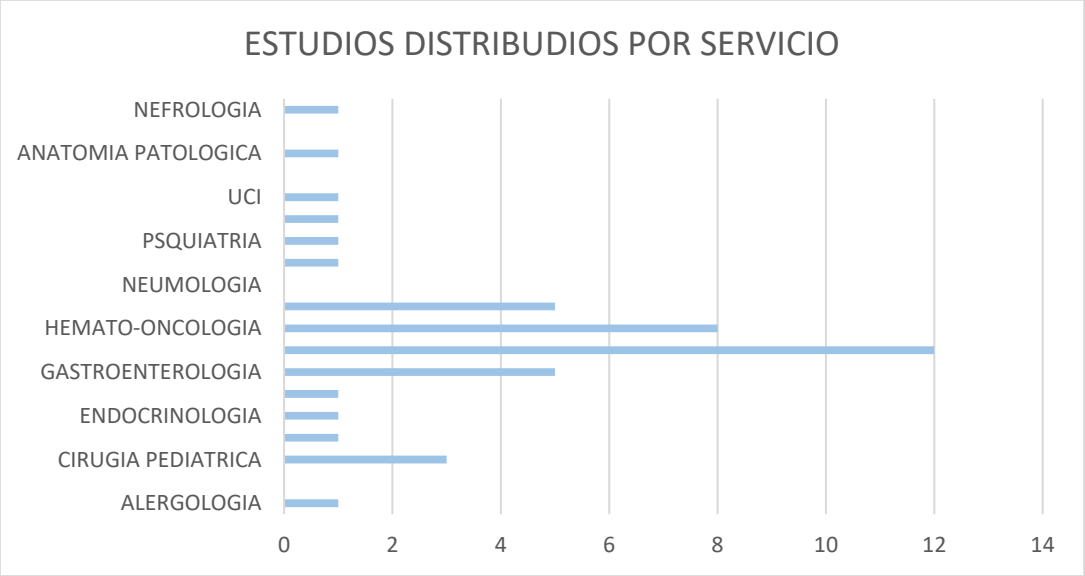
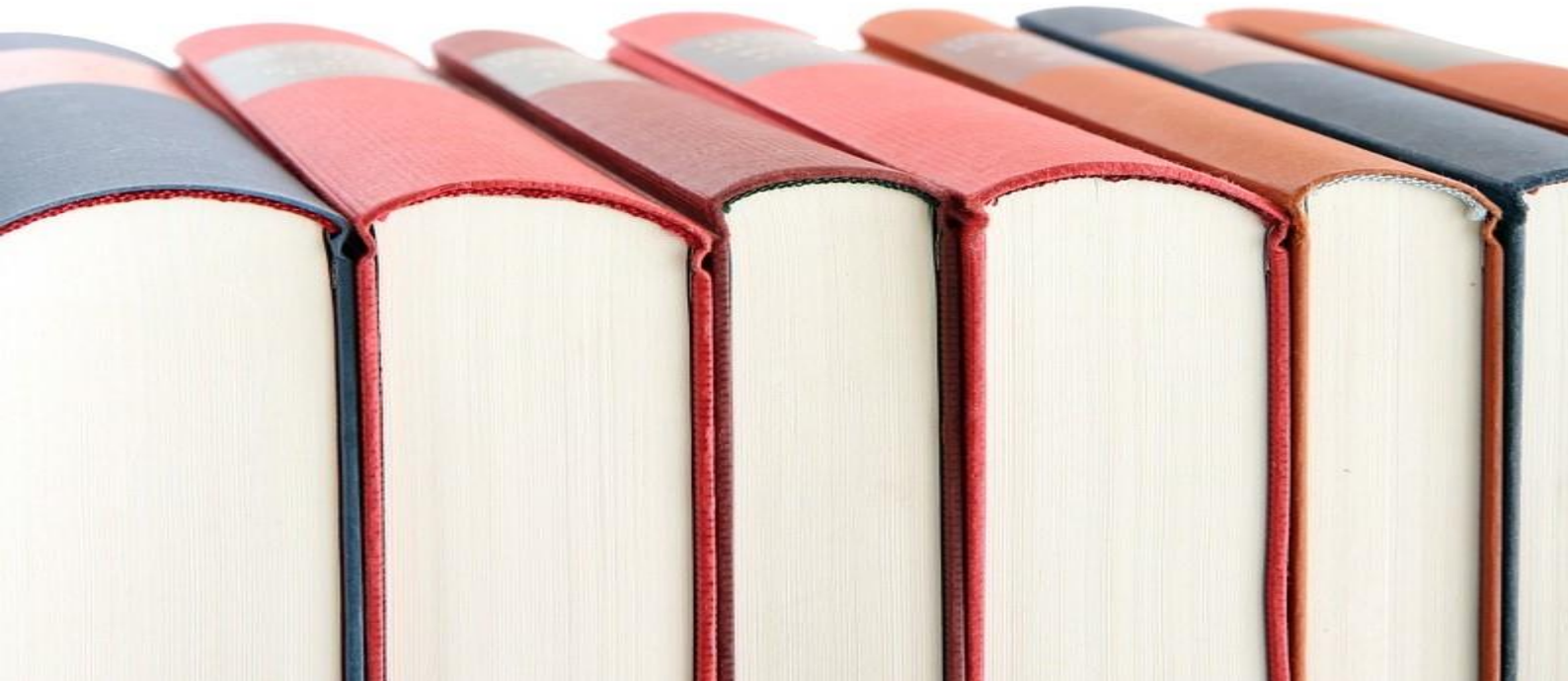


Gráfico 2.- *Estudios observacionales distribuidos por servicios*



CAPÍTULO 6

PRODUCCIÓN CIENTÍFICA



CAPÍTULO 6: Producción Científica

a. Total publicaciones y factor de impacto

Publicaciones Internacionales (nombre de la Revista)	Número total de artículos publicados en la revista	Factor de impacto de la revista	Factor de impacto acumulado (5 años)	CUARTIL Y DECIL
Acta Paediatrica	1	3,8	3	Q1
Acta Physiologica (Oxf)	1	6,3	5,6	Q1
American Journal of Emergency Medicine	1	3,6	2,9	Q1
American Journal of Medical Genetics Part A	1	2	2,5	Q3
Annals of Hematology	1	3,5	3,2	Q2
Archives of disease in childhood	2	5,2	4,3	Q1
BMC Palliative Care	1	3,1	3,7	Q2
Bone	1	4,1	4,5	Q2
Bone Marrow Transplant	1	4,8	4,7	Q1
British Journal of Dermatology	1	10,3	8,6	Q1
Cancers (Basel)	1	5,2	5,6	Q2
Children-Basel	1	2,4	2,6	Q2
Clinical Endocrinology & Metabolism	1	5,8	6,1	Q1
Clinical Spine Surgery	1	1,9	2	Q3
CNS Drugs	1	6	6,2	Q1
Current Opinion in Allergy and Clinical Immunology	1	2,8	3,1	Q1
Eating and Weight Disorders	1	2,9	3,4	Q3
Endocrine Connections	1	2,9	3,2	Q1
Endocrine Reviews	1	20,3	25,8	Q1
Epileptic Disorders	1	2,3	2,2	Q3
European Journal of Endocrinology	1	5,8	6,3	Q1
European Journal of Pediatrics	5	3,6	3,5	Q1
Exercise Immunology Review	1	7,3	6,7	Q1
Expert Review of Clinical Immunology	1	4,4	4,8	Q2
Frontiers in Endocrinology	2	5,2	5,9	Q1
Frontiers in Immunology	1	7,3	8	Q1
Frontiers in Molecular Biosciences	1	5	5,2	Q2
Frontiers in Pediatrics	2	2,6	3,2	Q2
Genetics in Medicine	1	8,8	8,9	Q1
Acta haematologica	1	2,4	2,2	Q3
International Journal of Dermatology	1	3,6	2,9	Q1
International Journal of Eating Disorders	1	5,5	5,4	Q2

International Journal of Environmental Research and Public Health	1	4,614	4,799	Q2
International Journal of Molecular Sciences	4	5,6	6,2	Q2
Journal of Allergy and Clinical Immunology In Practice	1	9,4	8,7	Q1
Journal of Bioethical Inquiry	1	2,4	2,1	Q2
Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism	3	5,8	6,1	Q1
Journal of Clinical Investigation	1	15,9	16,7	Q1
Journal of clinical medicine	3	3,9	4,1	Q2
Journal of Crohns & Colitis	1	8	8,7	Q1
Journal of Cutaneous Pathology	1	1,7	1,6	Q3
Journal of Dermatological Treatment	1	2,9	2,7	Q2
Journal of Endocrinological Investigation	1	5,4	4,6	Q1
Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology	1	9,2	7,2	Q1
Journal of Inherited Metabolic Disease	1	4,2	4,6	Q2
Journal of Investigational Allergology and Clinical Immunology	3	7,2	6,5	Q1
Journal of Medical Genetics	1	1,9	2,1	Q4
Journal of Pain and Symptom Management	1	4,7	4,8	Q2
Journal of Pediatric Endocrinology & Metabolism	1	1,4	1,5	Q4
Journal of Pediatric Health Care	1	2,8	2,3	Q2
Journal of Pediatric Orthopaedics	2	1,7	2,2	Q3
Journal of Rheumatology	1	3,9	4,2	Q2
JAMA Oncology	1	28,4	29,9	Q1
Lancet Diabetes and Endocrinology	2	44,5	38,8	Q1
Lancet Respiratory Medicine	1	76,2	52,5	Q1
Modern Rheumatology	1	2,2	2,5	Q4
Nature Communications	1	16,6	17	Q1
Nature Reviews Immunology	1	100,3	85,4	Q1
Neuro-Oncology	1	15,9	15,1	Q1
Neuroscience Letters	1	2,5	2,8	Q3
NeuroReport	1	1,7	1,7	Q4
Nutritional Neuroscience	1	3,6	4	Q3
Orphanet Journal of Rare Diseases	2	3,7	4,4	Q3
Pediatric Allergy and Immunology	1	4,4	4,5	Q1
Pediatric Blood & Cancer	2	3,2	3,1	Q2
Pediatric Dermatology	5	1,5	1,4	Q4
Pediatric Infectious Disease Journal	2	3,6	2,7	Q1
Pediatric Pulmonology	3	3,1	3	Q2

Pediatric Radiology	1	2,3	2,5	Q3
Pharmacological Research	1	9,3	9,8	Q1
PLOS Computational Biology	1	4,3	5,4	Q1
Science Advances	1	13,6	15,4	Q1
Science Progress	1	2,1	2,6	Q3
Scientific Reports	2	4,6	4,9	Q2
Ultraschall in der Medizin	1	3,4	4,8	Q2
World Allergy Organization Journal	3	5,1	4,8	Q2
World Journal of Pediatrics	1	8,7	5,1	Q1
Advance laboratory medicine	1	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Boletín Médico del Hospital Infantil de México	1	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Case Reports in Oncology	1	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Clinics in Shoulder and Elbow	1	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
JBJS Case Connector	1	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Spine Deformity 90	1	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Publicaciones Nacionales (nombre de la Revista)	**Número total de artículos publicados en la revista**	**Factor de impacto de la revista**	**Factor de impacto acumulado (5 años)**	**CUARTIL Y DECIL**
Anales de pediatría (English Edition)	7	2,377	1,981	Q3
Archivos de Bronconeumología	1	6,333	4,872	Q1
Emergencias	1	5,5	2,9	Q1
Endocrinologia Diabetes y Nutrición	1	1,9	1,8	Q4
Nefrologia.	1	2,6	2,5	Q3
Revista Clínica Española	2	2,9	1,8	Q2
Revista de Neurología	2	1,235	0,927	Q4
Actas Dermo-Sifiliográficas	2	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Cirugía Pediátrica	3	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Farmacia Hospitalaria	2	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Rehabilitacion	2	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Revista Española de Anestesiología y Reanimación	1	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
Revista Española de Cirugía Ortopédica y Traumatología	4	NO INDEXADA	NO INDEXADA	NO INDEXADA
TOTAL PUBLICACIONES	**142**	**650,959**	**608,779**	

b. Listado de publicaciones

1. **Physeal Migration During Knee-guided Growth With Tension Band Plates: Influence of Implant Position.**
   Galán-Olleros M, Sánchez Del Saz J, Miranda-Gorozarri C, Serrano JI, Egea-Gámez RM, Garríguez-Pérez D, Alonso-Hernández J, Martínez-Caballero I. J Pediatr Orthop. 2024 Feb 1;44(2):e174-e183. doi:10.1097/BPO.0000000000002583. Epub 2023 Dec 4. PMID: 38047324
2. **Asimetría escapular por agenesia congénita de trapecio unilateral: a propósito de un caso [Case report: Scapular asymmetry caused by congenital unilateral absence of trapezius]**
   Ciller Martínez M, Rodríguez Palero S, Vara Arias T, Cartas Carrión S, Escribano Pérez M, Ortiz Cabrera NV, Manzarbeitia Arroba P. 2024 Jan-Mar;58(1):100825. Spanish. doi: 10.1016/j.rh.2023.100825. Epub 2023 Dec 22. PMID: 38141278.
3. **Acute laryngitis in a paediatric emergency department before and after the COVID-19 pandemic. Has anything changed?**
   Añón-Hidalgo J, Trincado-Lamuño R, Esparza-Isasa E, Alonso-Cadenas JA, Andina-Martínez D. 2024 Jan;100(1):57-59. doi: 10.1016/j.anpede.2023.11.011. Epub 2023 Dec 5. PMID: 38057231.
4. **[Translated article] How do I plan adolescent idiopathic scoliosis surgery? Systematization of a preoperative planning method. Rev Esp Cir Ortop Traumatol.**
   Egea-Gámez RM, Galán-Olleros M, González-Menocal A, González-Díaz R. 2024 Jan-Feb;68(1):T73-T85. English, Spanish. doi: 10.1016/j.recot.2023.11.002. Epub 2023 Nov 21. PMID: 37981198.
5. **The Global ALPL gene variant classification project: Dedicated to deciphering variants.**
   Farman MR, Rehder C, Malli T, Rockman-Greenberg C, Dahir K, Martos-Moreno GÁ, Linglart A, Ozono K, Seefried L, Del Angel G, Webersinke G, Barbazza F, John LK, Delana Mudiyanselage SMA, Högler F, Nading EB, Huggins E, Rush ET, El-Gazzar A, Kishnani PS, Högler W. 2024 Jan;178:116947. doi: 10.1016/j.bone.2023.116947. Epub 2023 Oct 26. PMID: 37898381.
6. **Busulfan and subsequent malignancy: An evidence-based risk assessment**
   Long-Boyle JR, Kohn DB, Shah AJ, Spencer SM, Sevilla J, Booth C, López Lorenzo JL, Nicoletti E, Shah A, Reatz M, Matos J, Schwartz JD. 2024 Jan;71(1):e30738. doi: 10.1002/pbc.30738. Epub 2023 Oct 19. PMID: 37856098.
7. **Critical Stenosis Because of Vocal Cord Synechiae in a Child.**
   Suárez-Bustamante Huélamo M, Alonso-Cadenas JA, Guillén Lozada E, Retuerta Oliva A, Gaitero Tristán J, Leoz Gordillo I, de la Torre Espí M. 2024 Jan-Feb;38(1):86-89. doi: 10.1016/j.pedhc.2023.07.003. Epub 2023 Aug 19. PMID: 37598326.
8. **How do I plan adolescent idiopathic scoliosis surgery? Systematization of a preoperative planning method.**
   Egea-Gámez RM, Galán-Olleros M, González-Menocal A, González-Díaz R. 2024 Jan-Feb;68(1):73-85. English, Spanish. doi: 10.1016/j.recot.2022.11.006. Epub 2022 Nov 30. PMID: 36462724.
9. **Differential alternative splicing analysis links variation in ZRSR2 to a novel type of oral-facial-digital síndrome.**

Barrios V, Martín-Rivada Á, Martos-Moreno GÁ, Canelles S, Moreno-Macián F, De Mingo-Alemany C, Delvecchio M, Pajno R, Fintini D, Chowen JA, Argente J. 2023 Dec 23:dgad754. doi: 10.1210/clinem/dgad754. Epub ahead of print. PMID: 38141219.

10. **Increased IGFBP proteolysis, IGF-I bioavailability and pappalysin levels in children with Prader-Willi síndrome.**
    Barrios V, Martín-Rivada Á, Martos-Moreno GÁ, Canelles S, Moreno-Macián F, De Mingo-Alemany C, Delvecchio M, Pajno R, Fintini D, Chowen JA, Argente J. 2023 Dec 23:dgad754. doi: 10.1210/clinem/dgad754. Epub ahead of print. PMID: 38141219.
11. **Severe COVID-19 in patients with immune-mediated rheumatic diseases: A stratified analysis from the SORCOM multicentre registry.**
    Boteanu A, Leon L, Pérez Esteban S, Rabadán Rubio E, Pavía Pascual M, Bonilla G, Bonilla González-Laganá C, García Fernandez A, Recuero Diaz S, Ruiz Gutierrez L, Sanmartín Martínez JJ, de la Torre-Rubio N, Nuño L, Sánchez Pernaute O, Del Bosque I, Lojo Oliveira L, Rodríguez Heredia JM, Clemente D, Abasolo L, Bachiller-Corral J. 2023 Dec 22;34(1):97-105. doi: 10.1093/mr/roac148. PMID:36516217.
12. **Profiling the dysregulated immune response in sepsis: overcoming challenges to achieve the goal of precision medicine.**
    Cajander S, Kox M, Scicluna BP, Weigand MA, Mora RA, Flohé SB, Martin-Loeches I, Lachmann G, Girardis M, Garcia-Salido A, Brunkhorst FM, Bauer M, Torres A, Cossarizza A, Monneret G, Cavaillon JM, Shankar-Hari M, Giamarellos-Bourboulis EJ, Winkler MS, Skirecki T, Osuchowski M, Rubio I, Bermejo-Martin JF, Schefold JC, Venet F. 2023 Dec 21:S2213-2600(23)00330-2. doi: 10.1016/S2213-2600(23)00330-2. Epub a head of print. PMID: 38142698.
13. **Frequency and Predictive Factors of Hypoglycemia in Patients Treated With rhIGF-1: Data From the Eu-IGFD Registry**
    Bang P, Polak M, Bossowski A, Maghnie M, Argente J, Ramon-Krauel M, Sert C, Perrot V, Mazain S, Woelfle J. 2023 Dec 21;109(1):46-56. doi: 10.1210/clinem/dgad479. PMID: 37579214; PMCID: PMC10735455.
14. **Identifying subgroups of childhood obesity by using multiplatform metabotyping**
    Chamoso-Sanchez D, Rabadán Pérez F, Argente J, Barbas C, Martos-Moreno GA, Rupérez FJ. 2023 Dec 20;10:1301996. doi: 10.3389/fmolb.2023.1301996. PMID: 38174068; PMCID: PMC10761426.
15. **The N221D variant in PCSK1 is highly prevalent in childhood obesity and can influence the metabolic profile.**
    Guijo B, Argente J, Martos-Moreno GÁ. 2023 Oct 26;36(12):1140-1145. doi: 10.1515/jpem-2023-0395. PMID: 37877373.
16. **ALERGODATA: Sentinel Registry of Health Outcomes in Allergic Patients Treated. With Biological Therapies at Specialized Allergology Clinics in Spain.**
    Antolín Amérigo D, Colás C, Dávila I, Del Cuvillo A, Delgado Romero J, Domínguez-Ortega J, Jáuregui Presa I, Lázaro Sastre M, Montoro Lacomba J, Sala-Cunill A, Sanchez-Garcia S, Veleiro Pérez B, Vidal C, Valero Santiago AL. 2023 Dec 14;33(6):479-482. doi: 10.18176/jiaci.0908. Epub 2023 May 15. PMID: 37183958.
17. **Emergency department evaluation of transplanted children with COVID-19.**

Barreiro Pérez S, Molina Gutiérrez MÁ, Antoñanzas Bernar V, Storch-de-Gracia P, Mesa García S. 2023 Dec 12;77:87-90. doi: 10.1016/j.ajem.2023.12.007. Epub ahead of print. PMID: 38118387.

18. **Reduction in pappalysin-2 levels and lower IGF-I bioavailability in female adolescents with anorexia nervosa.**
    Barrios V, Martín-Rivada Á, Guerra-Cantera S, Campillo-Calatayud A, Camarneiro RA, Graell M, Chowen JA, Argente J. 2023 Dec 8:dgad713. doi: 10.1210/clinem/dgad713. Epub ahead of print. PMID: 38066647.
19. **DECTIN-1: A modifier protein in CTLA-4 haploinsufficiency**.
    Turnbull C, Bones J, Stanley M, Medhavy A, Wang H, Lorenzo AMD, Cappello J, Shanmuganandam S, Pandey A, Seneviratne S, Brown GJ, Meng X, Fulcher D, Burgio G, Man SM, de Lucas Collantes C, Gasior M, López Granados E, Martin P, Jiang SH, Cook MC, Ellyard JI, Athanasopoulos V, Corry B, Canete PF, Vinuesa CG. 2023 Dec 8;9(49):eadi9566. doi: 10.1126/sciadv.adi9566. Epub 2023 Dec 6. PMID: 38055819; PMCID: PMC10699772.
20. **Position statement on infection screening, prophylaxis, and vaccination of pediatric patients with rheumatic diseases and immunosuppressive therapies, part 3: precautions in situations of surgery, fever, and opportunistic infections.**
    Clemente D, Cuadros EN, Lovillo MC, Hernández JC, Martín SG, Silveira LF, Cruz MJL, Tagarro A, Rueda RMA, López López A, Aritziturri MS, Calvo C. 2023 Dec 4. doi: 10.1007/s00431-023-05295-4. Epub ahead of print. PMID: 38047962.
21. **NLRP1-associated autoinflammatory disease with epithelial dyskeratosis**
    Lemus-Arteaga K, Ballona-Chambergo R, Córdova-Calderón W, Ventura-León A, Torrelo A, Velásquez-Valderrama F. 2023 Dec 3. doi: 10.1111/pde.15464. Epub ahead of print. PMID: 38044752
22. **Medication reconciliation on admission in paediatric chronic patients: A multicentre study.**
    Cuervas-Mons Vendrell M, Iturgoyen Fuentes DP, Arrojo Suárez J, Jimenez Lozano I, Fernandez-Llamazares CM, Tristancho-Perez A, Yunquera Romero L, Martínez Roca C, Otero Villalustre C, García Robles A, Garrido Corro B, Rodríguez Marrodán B. 2023 Dec;99(6):376-384. doi: 10.1016/j.anpede.2023.11.008. Epub 2023 Nov 29. PMID: 38036314.
23. **Suspected ovarian teratoma with a simple X-ray.**
    Buendía López S, Peláez Mata DJ, Martín Boizas R, Sanz Villa N. 2023 Dec;99(6):451-452. doi: 10.1016/j.anpede.2023.08.017. Epub 2023 Nov 4. PMID: 37932160.
24. **Sustained Survival Benefit in Recurrent Medulloblastoma by a Metronomic Antiangiogenic Regimen: A Nonrandomized Controlled Trial**
    Peyrl A, Chocholous M, Sabel M, Lassaletta A, Sterba J, Leblond P, Nysom K, Torsvik I, Chi SN, Perwein T, Jones N, Holm S, Nyman P, Mörse H, Öberg A, Weiler-Wichtl L, Leiss U, Haberler C, Schmook MT, Mayr L, Dieckmann K, Kool M, Gojo J, Azizi AA, André N, Kieran M, Slavc I. 2023 Dec 1;9(12):1688-1695. doi: 10.1001/jamaoncol.2023.4437. PMID: 37883081; PMCID: PMC10603581.
25. **Comparison of amoxicillin administered twice and three times daily in children with acute otitis media.**
    Storch-De-Gracia P, Antoñanzas-Bernar V, Vergara-Muñoz B, Lamagrande-Casanova N, Di Campli-Zaghlul M, Suárez-Bustamante M, Añón-Hidalgo J, Maiques M. 2023

Dec;182(12):5599-5605. doi: 10.1007/s00431-023-05243-2. Epub 2023 Oct 10. PMID: 37816980.

26. **Lymphocytic variant hypereosinophilic síndrome successfully treated with hematopoietic stem cell transplantation: A treatment challenge.**
    Sebastián E, Andrés-Zallo L, González-Vicent M, Jara M, Molina B, Zubicaray J, Gálvez E, Orfao A, Sevilla J. 2023 Dec;70(12):e30698. doi: 10.1002/pbc.30698. Epub 2023 Sep 29. PMID: 37771280.
27. **Adaptation to a monography pediatric hospital of the recommendations for the early detection of active COVID-19 infection prior to hospital admission, performance of diagnostic tests and surgical procedures.**
    Del Rey de Diego P, Martínez García E, Tormo de Las Heras C, García Fernández E. 2023 Dec;70(10):608-609. doi: 10.1016/j.redare.2022.07.007. Epub 2023 Sep 6. PMID: 37678463.
28. **Spanish Pediatric Emergency Research Group (RISeuP-SPERG). Role of urine culture in paediatric patients with cancer with fever and neutropenia: a prospective observational study.** Alonso-Cadenas JA, Sancosmed Ron M, Herrero B, Lera Carballo E, Lassaletta A, Rodrigo R, de la Torre M 2023 Dec;108(12):982-986. doi: 10.1136/archdischild-2023-325992. Epub 2023 Aug 8. PMID: 37553208.
29. **Scoliosis in Adolescent Patients With Down Syndrome: Correlation Between Curve Magnitude and Functional Level.**
    Egea-Gámez RM, Galán-Olleros M, Martínez-Caballero I, Ramírez-Barragán A, Serrano JI, Palazón-Quevedo Á, González-Díaz R. 2023 Dec 1;36(10):E471-E477. doi: 10.1097/BSD.0000000000001495. Epub 2023 Jul 14. PMID: 37448188.
30. **Safety of baricitinib for the treatment of atopic dermatitis over a median of 1.6 years and up to 3.9 years of treatment: an updated integrated analysis of eight clinical trials.**
    Bieber T, Katoh N, Simpson EL, de Bruin-Weller M, Thaçi D, Torrelo A, Sontag A, Grond S, Issa M, Lu X, Cardillo T, Holzwarth K, Thyssen JP. 2023 Dec;34(1):2161812. doi: 10.1080/09546634.2022.2161812. PMID: 36546346.
31. **Thoracoscopy for Pediatric Thoracic Neurogenic Tumors-A European Multi-Center Study.**
    Lecompte JF, Sarnacki S, Irtan S, Piolat C, Scalabre A, Talon I, Rod J, Panait N, Rodesch G, Luis Huertas AL, Abbo O, Demarche M, Habonimana E, Ballouhey Q, Valteau-Couanet D, Guérin F. 2023 Nov 18;15(22):5467. doi: 10.3390/cancers15225467. PMID: 38001727; PMCID: PMC10670815.
32. **Madrid Newborn Sickle Cell Disease Cohort: clinical outcomes, stroke prevention and survival.**
    García-Morin M, Bardón-Cancho EJ, Beléndez C, Dulín E, Blanco-Soto P, Puertas-López C, Prieto-Medina M, Cervera-Bravo Á, Llorente-Otones L, Pérez-Alonso V, San-Román S, Vecilla-Rivelles C, López-Rubio M, Sebastián E, Bellón JM, Cela E. "2023 Nov 18. doi: 10.1007/s00277-023-05539-1. Epub ahead of print. PMID: 37980280.
33. **Neurodevelopmental status and adaptive behavior of pediatric patients with mucopolysaccharidosis II: a longitudinal observational study.**
    Muenzer J, Burton BK, Amartino HM, Harmatz PR, Gutiérrez-Solana LG, Ruiz-Garcia M, Wu Y, Merberg D, Alexanderian D, Jones SA. 2023 Nov 16;18(1):357. doi: 10.1186/s13023-023-02805-3. PMID: 37974184; PMCID: PMC10652632.

34. **Hypercapnia in hospitalized children and adolescents with anorexia nervosa as a predictive marker for readmission: a prospective study.**
    Viaño-Nogueira P, Aparicio-López C, Prieto-Campo Á, Morón-Nozaleda G, Camarneiro-Silva R, Graell-Berna M, de Lucas-Collantes C. 2023 Nov 3;28(1):94. doi: 10.1007/s40519-023-01624-6. PMID: 37921895; PMCID: PMC10624702.
35. **Accompaniment of minors during health care procedures**
    Felipe VS, Salinas Sanz JA, Barrios Miras E, Del Río Pastoriza I, Noriega Echevarría I, Alijas Merillas MJ, Moreno Madrid F, Peláez Cantero MJ, García Iñiguez JP, Riaño Galán I; Comité de Bioética de la Asociación Española de Pediatría. Echevarría I, Alijas Merillas MJ, Moreno Madrid F, Peláez Cantero MJ, García Iñiguez JP, Riaño Galán I. 2023 Nov;99(5):321-328. doi: 10.1016/j.anpede.2023.09.013. Epub 2023 Nov 17. PMID: 37977964.
36. **[Translated article] Medication reconciliation in pediatric hemato-oncologic patients: A multicenter study.**
    Vendrell MC, Fuentes DPI, Flaque MV, Poy MJC, Fernández-Llamazares CM, Del Vayo CÁ, Fernández CG, Roca CM, Gago YH, Robles AG, Corro BG. 2023 Nov-Dec;47(6):T261-T267. English, Spanish. doi: 10.1016/j.farma.2023.07.012. Epub 2023 Sep 15. PMID: 37716875.
37. **Mechanisms of ventilatory limitation to máximum exercise in children and adolescents with chronic airway diseases.**
    Donadio MVF, Barbosa MA, Vendrusculo FM, Ramirez TI, Santana-Sosa E, Sanz- Santiago V, Perez-Ruiz M. 2023 Nov;58(11):3293-3302. doi: 10.1002/ppul.26659. Epub 2023 Sep 6. PMID: 37671821.
38. **SARS-CoV-2 infection in children with cystic fibrosis: A cross-sectional multicenter study in Spain. New waves, new knowledge**
    Mondejar-Lopez P, Moreno-Galarraga L, de Manuel-Gomez C, Blitz-Castro E, Bravo-Lopez M, Gartner S, Perez-Ruiz E, Caro-Aguilera P, Sanz-Santiago V, Lopez-Neyra A, Luna-Paredes C, Garcia-Gonzalez M, Costa-Colomer J, Cols-Roig M, Delgado-Pecellin I, Castillo-Corullon S, Ruiz de Valbuena-Maiz M, Garcia-Marcos PW, Aguilar-Fernandez AJ, Martin-De Vicente C, Barajas-Sanchez MV, Mesa-Medina O, Bover-Bauza C, Figuerola-Mulet J, Garcia-Aviles B, Rodriguez-Saez MJ, Garcia-Magan C, Juarez-Marruecos P, Gutierrez-Martinez JR, Cortell-Aznar I, Gomez-Pastrana D, Velasco-Gonzalez MV, Barrio MI, Sanchez-Solis M, Asensio de la Cruz O, Pastor-Vivero MD. 2023 Nov;58(11):3195-3205. doi: 10.1002/ppul.26644. Epub 2023 Aug 17. PMID: 37589420.
39. **Short-term dietary intervention improves endothelial dysfunction induced by high-fat feeding in mice through upregulation of the AMPK-CREB signaling pathway.**
    González-Blázquez R, Gil-Ortega M, Alcalá M, González-Moreno D, Viana M, Chowen JA, Sanz-Gómez M, Fernández-Alfonso MS, Somoza B. 2023 Nov;239(3):e14023. doi: 10.1111/apha.14023. Epub 2023 Aug 8. PMID: 37553856.
40. **[Translated article] Management of vertebral metastases in the cervico-occipital junction.**
    González-Díaz R, Egea-Gámez RM, Ortega-García FJ, González-Menocal A, Galán-Olleros M. 2023 Nov-Dec;67(6):S505-S510. English, Spanish. doi: 10.1016/j.recot.2023.08.005. Epub 2023 Aug 3. PMID: 37541347.

41. **Staphylococcus aureus Bacteremia in the Pediatric Emergency Department and Predictors of Poor Outcome**
    Suárez-Bustamante Huélamo M, Alonso-Cadenas JA, Cortés BG, Goikoetxea IG, Hernández-Bou S, de la Torre Espí M; Bacteremia Study Working Group from the Infectious Diseases Working Group, Spanish Society of Pediatric Emergencies. 2023 Nov 1;42(11):954-959. doi: 10.1097/INF.0000000000004053. Epub 2023 Jul 24. PMID: 37523577.
42. **Multicentre study of medication reconciliation in paediatric onco-hematology.**
    Cuervas-Mons Vendrell M, Iturgoyen Fuentes DP, Villaronga Flaque M, Cabañas Poy MJ, Fernández-Llamazares CM, Álvarez Del Vayo C, Gallego Fernández C, Martínez Roca C, Hernández Gago Y, García Robles A, Garrido Corro B. 2023 Nov-Dec;47(6):261-267. English, Spanish. doi: 10.1016/j.farma.2023.06.004. Epub 2023 Jul 7. PMID: 37422402.
43. **Management of vertebral metastases in the cervico-occipital junction.**
    González-Díaz R, Egea-Gámez RM, Ortega-García FJ, González-Menocal A, Galán-Olleros M. 2023 Nov-Dec;67(6):505-510. English, Spanish. doi: 10.1016/j.recot.2023.04.011. Epub 2023 Apr 29. PMID: 37127085.
44. **Novel mediator in anaphylaxis: decreased levels of miR-375-3p in serum and within extracellular vesicles of patients.**
    Nuñez-Borque E, Fernandez-Bravo S, Rodríguez Del Rio P, Palacio-García L, Di Giannatale A, Di Paolo V, Galardi A, Colletti M, Pascucci L, Tome-Amat J, Cuesta-Herranz J, Ibañez-Sandin MD, Laguna JJ, Benito-Martin A, Esteban V. 2023 Oct 30;14:1209874. doi:10.3389/fimmu.2023.1209874. PMID: 37965316; PMCID: PMC10642912.
45. **Cerebral and cerebellar pseudoatrophy associated with valproic acid. Report of three pediatric cases.**
    Ordoño-Saiz MV, Púa-Torrejón RC, Justel-Rodríguez M, Arias-Vivas E, Heppe-Montero M, González-Alguacil E, Duat-Rodríguez A, Ruiz-Falcó-Rojas ML, García-Peñas JJ, Gutiérrez-Delicado E, Soto-Insuga V. 2023 Oct 16;77(8):197-201. English, Spanish. doi: 10.33588/rn.7708.2023186. PMID: 37807884.
46. **Idiopathic calcinosis cutis in an infant: The importance of a wait-and-see approach.**
    Stathopoulou A, Noguera-Morel L, Colmenero I, Sirvent-Cerdá S, Torrelo A, Hernández-Martín Á. 2023 Oct 12. doi: 10.1111/pde.15454. Epub ahead of print. PMID: 37827858.
47. **The effect of physical exercise on anticancer immunity.**
    Fiuza-Luces C, Valenzuela PL, Gálvez BG, Ramírez M, López-Soto A, Simpson RJ, Lucia A. 2023 Oct 4. doi: 10.1038/s41577-023-00943-0. Epub ahead of print. PMID: 37794239.
48. **Comparative study of mechanical vs. manual circumcision in the pediatric population: An alternative to the conventional technique?**
    Zamora Vidal B, Gómez Cervantes M, Ávila Ramírez LF, Rodríguez de Alarcón García J, Domínguez Amillo E, Guillén Redondo P, Soto Beauregard C. 2023 Oct 1;36(4):165-170. English, Spanish. doi: 10.54847/cp.2023.04.12. PMID: 37818898.
49. **Neuropsychiatric comorbidities and cognition in epilepsy with eyelid myoclonia: A retrospective pediatric case series.** Ballarà Petitbò M, González Alguacil E, Gutiérrez Delicado E, Ortiz Cabrera NV, Duat Rodríguez A, García Peñas JJ, Soto Insuga V. Oct;25(5):758-768. doi: 10.1002/epd2.20148. Epub 2023 Aug 19. PMID: 37584565.

50. **Microbial and immune faecal determinants in infants hospitalized with COVID-19 reflect bifidobacterial dysbiosis and immature intestinal immunity.**
    Gutiérrez-Díaz I, Sanz-Martinez M, Castro AM, Rodríguez-Belvís MV, Carreira N, Jiménez S, Mangas C, Queralt M, Herrador M, Martín-Masot R, Ferrer P, Navas-López VM, Espín B, Leis R, Díaz JJ, Delgado S. 2023 Oct;182(10):4633-4645. doi: 10.1007/s00431-023-05140-8. Epub 2023 Aug 9. PMID: 37555973; PMCID: PMC10587250.
51. **What to Expect When Systemic Treatment in Juvenile Idiopathic Arthritis Is Withdrawn?.**
    Nieto-González JC, Garulo DC, Boteanu A, Trives-Folguera L, García-Fernández A, Navarro PG, Robledillo JCL, Monteagudo-Saéz I. 2023 Oct;50(10):1326-1332. doi: 10.3899/jrheum.2022-1305. Epub 2023 Aug 1. PMID: 37527855.
52. **Characteristics and management of patients with SARS-CoV2 infection admitted to pediatric intensive care units: Data analysis of the Spanish national multicenter registry.**
    Slöcker Barrio M, Belda Hofheinz S, Guitart Pardellans C, García-Salido A, de Carlos Vicente JC, Cuervas-Mons Tejedor M, Hernández Yuste A, Jiménez Olmos A, Morteruel Arizcuren E, García-Besteiro M, Calvo Monge C, Rodríguez Rubio M, Roca Pascual D, Bermúdez Barrezueta L, Martínez Padilla C, Huidobro Labarga B, Oulego-Erroz I, Sanchíz Cárdenas S, Rey Galan C, Holanda Peña MS, González Navarro P, Cortés RG; Spanish Pediatric Intensive Care Society working group on SARS-Cov2 infection. 2023 Oct;58(10):2916-2929. doi: 10.1002/ppul.26613. Epub 2023 Jul 26. PMID: 37493137.
53. **Acute Suppurative Thyroiditis in Children: Clinical Decision-Making.**
    Gómez S, Mora C, López de Suso D, Escalada Pellitero S, Aragón P, Parrón M, Bartolomé-Benito M, Sanz-Santaeufemia FJ, Méndez-Echevarría A.
    2023 Oct 1;42(10):e384-e388. doi: 10.1097/INF.0000000000004024. Epub 2023 Jul 5.
    PMID: 37406270.
54. **Food Immunotherapy: Dissecting Current Guidelines and Navigating the Gray Zone.**
    Anagnostou A, Rodríguez Del Río P. 2023 Oct;11(10):3040-3046. doi: 10.1016/j.jaip.2023.06.038. Epub 2023 Jun 28. PMID: 37391019. 2023 Oct;11(10):3040-3046. doi: 10.1016/j.jaip.2023.06.038. Epub 2023 Jun 28. PMID: 37391019.
55. **Craniofacial features of POLR3-related leukodystrophy caused by biallelic variants in POLR3A,POLR3B and POLR1C.**
    Mirchi A, Guay SP, Tran LT, Wolf NI, Vanderver A, Brais B, Sylvain M, Pohl D, Rossignol E, Saito M, Moutton S, González-Gutiérrez-Solana L, Thiffault I, Kruer MC, Moron DG, Kauffman M, Goizet C, Sztriha L, Glamuzina E, Melançon SB, Naidu S, Retrouvey JM, Lacombe S, Bernardino-Cuesta B, De Bie I, Bernard G. 2023 Oct;60(10):1026-1034. doi: 10.1136/jmg-2023-109223. Epub 2023 May 16. PMID: 37197783; PMCID: PMC10579516.
56. **Gene therapy restores the transcriptional program of hematopoietic stem cells in Fanconi anemia.**
    Lasaga M, Río P, Vilas-Zornoza A, Planell N, Navarro S, Alignani D, Fernández-Varas B, Mouzo D, Zubicaray J, Pujol RM, Nicoletti E, Schwartz JD, Sevilla J, Ainciburi M, Ullate-Agote A, Surrallés J, Perona R, Sastre L, Prosper F, Gomez-Cabrero D, Bueren JA. 2023 Oct 1;108(10):2652-2663. doi: 10.3324/haematol.2022.282418. PMID: 37021532; PMCID: PMC10542844.

57. **The relapsed acute lymphoblastic leukemia network (ReALLNet): a multidisciplinary project from the spanish society of pediatric hematology and oncology (SEHOP).**
    Velasco P, Bautista F, Rubio A, Aguilar Y, Rives S, Dapena JL, Pérez A, Ramirez M, Saiz-Ladera C, Izquierdo E, Escudero A, Camós M, Vega-García N, Ortega M, Hidalgo-Gómez G, Palacio C, Menéndez P, Bueno C, Montero J, Romecín PA, Zazo S, Alvarez F, Parras J, Ortega-Sabater C, Chulián S, Rosa M, Cirillo D, García E, García J, Manzano-Muñoz A, Minguela A, Fuster JL. 2023 Sep 20;11:1269560. doi: 10.3389/fped.2023.1269560. PMID: 37800011; PMCID: PMC10547895.
58. **Correspondence.**
    Moreno-Artero E, Imizcoz T, Prieto C, Manrique R, González-Cañete M, Manrique M, Torrelo A. 2023 Sep-Oct;40(5):970. doi: 10.1111/pde.15334. PMID: 37767648.
59. **Familial central precocious puberty due to DLK1 deficiency: novel genetic findings and relevance of serum DLK1 levels.**
    Montenegro L, Seraphim C, Tinano F, Piovesan M, Canton APM, McElreavey K, Brabant S, Boris NP, Magnuson M, Carroll RS, Kaiser UB, Argente J, Barrios V, Brito VN, Brauner R, Latronico AC. 2023 Sep 1;189(3):422-428. doi: 10.1093/ejendo/lvad129. PMID: 37703313; PMCID: PMC10519858.
60. **Effectiveness and Tolerability of 12-Month Brivaracetam in the Real World: EXPERIENCE, an International Pooled Analysis of Individual Patient Records.**
    Villanueva V, Laloyaux C, D'Souza W, Faught E, Klein P, Reuber M, Rosenow F, Salas-Puig J, Insuga VS, Strzelczyk A, Szaflarski JP, Chinn C, Daniels T, Floricel F, Friesen D, Sendersky V, Besson H, Steinhoff BJ. 2023 Sep;37(9):819-835. doi: 10.1007/s40263-023-01033-4. Epub 2023 Sep 9. PMID: 37684497; PMCID: PMC10501958.
61. **Position statement on infection screening, prophylaxis, and vaccination in pediatric patients with rheumatic diseases and immunosuppressive therapies, part 2: infection prophylaxis.**
    Clemente Garulo D, Núñez-Cuadros E, Camacho Lovillo M, Calzada-Hernández J, Guillén Martín S, Fernández Silveira L, Lirola Cruz MJ, Tagarro A, Alcobendas Rueda RM, López López A, Satrustegi Aritziturri M, Calvo C. 2023 Sep;182(9):4271-4284. doi: 10.1007/s00431-023-05080-3. Epub 2023 Jul 13. PMID: 37439850; PMCID: PMC10570166.
62. **Experience With Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor in Patients With Cystic Fibrosis and Advanced Disease.**
    Carrasco Hernández L, Girón Moreno RM, Balaguer Cartagena MN, Peláez A, Sole A, Álvarez Fernández A, Felipe Montiel A, Olveira C, Olveira G, Gómez Bonilla A, Gómez Crespo B, García Clemente M, Solís García M, Quaresma Vázquez J, Blitz Castro E, Rodríguez González J, Expósito Marrero A, Diab-Cáceres L, Ramos Hernández C, Zamarrón de Lucas E, Prados Sanchez C, Blanco Aparicio M, López Neyra A, Sanz Santiago V, Luna Paredes C, Delgado Pecellín I, Asensio de la Cruz Ó, Quintana Gallego E. 2023 Sep;59(9):556-565. English, Spanish. doi: 10.1016/j.arbres.2023.05.017. Epub 2023 Jun 9. PMID: 37400317.
63. **Point shear-wave elastography for the diagnosis of veno-occlusive disease in children and young adults.**
    Cañas T, Suárez O, Rozas I, Escribano M, Molina B, González-Vicent M, Maciá A. Point shear-wave elastography for the diagnosis of veno-occlusive disease in

children and young adults. 2023 Sep;53(10):2013-2020. doi: 10.1007/s00247-023-05703-9. Epub 2023 Jun 30. PMID: 37389634.

64. **Uterus Transplantation as a Surgical Innovation.**
Pérez-Blanco A, Seoane JA, Pallás TA, Nieto-Moro M, Calonge RN, de la Fuente A, Martin DE. 2023 Sep;20(3):367-378. doi: 10.1007/s11673-023-10272-5. Epub 2023 Jun 29. PMID: 37382845; PMCID: PMC10624705.
65. **Pediatric Palliative Care at Home: A Prospective Study on Subcutaneous Drug Administration.**
García-López I, Chocarro-González L, Martín-Romero I, Vázquez-Sánchez JM, Avilés-Martínez M, Martino-Alba R. 2023 Sep;66(3):e319-e326. doi: 10.1016/j.jpainsymman.2023.05.011. Epub 2023 May 26. PMID: 37244525.
66. **Normal ossification of the glenoid mimicking a glenoid fracture in an adolescent patient: a case report.**
Galán-Olleros M, Egea-Gámez RM, Palazón-Quevedo Á, Martínez-Álvarez S, Suárez Traba OM, Pérez ME. 2023 Sep;26(3):306-311. doi: 10.5397/cise.2022.01151. Epub 2022 Nov 3. PMID: 36330717; PMCID: PMC10497921.
67. **Immune stress suppresses innate immune signaling in preleukemic precursor B-cells to provoke leukemia in predisposed mice.**
Isidro-Hernández M, Casado-García A, Oak N, Alemán-Arteaga S, Ruiz-Corzo B, Martínez-Cano J, Mayado A, Sánchez EG, Blanco O, Gaspar ML, Orfao A, Alonso-López D, De Las Rivas J, Riesco S, Prieto-Matos P, González-Murillo Á, Criado FJG, Cenador MBG, Ramírez-Orellana M, de Andrés B, Vicente-Dueñas C, Cobaleda C, Nichols KE, Sánchez-García I. 2023 Aug 24;14(1):5159. doi: 10.1038/s41467-023-40961-z. PMID: 37620322; PMCID: PMC10449887.
68. **The metabolic effects of resumption of a high fat diet after weight loss are sex dependent in mice.**
Guerra-Cantera S, Frago LM, Jiménez-Hernaiz M, Collado-Pérez R, Canelles S, Ros P, García-Piqueras J, Pérez-Nadador I, Barrios V, Argente J, Chowen JA. 2023 Aug 14;13(1):13227. doi: 10.1038/s41598-023-40514-w. PMID: 37580448; PMCID: PMC10425431.
69. **The shape of cancer relapse: Topological data analysis predicts recurrence in paediatric acute lymphoblastic leukaemia.**
Chulián S, Stolz BJ, Martínez-Rubio Á, Blázquez Goñi C, Rodríguez Gutiérrez JF, Caballero Velázquez T, Molinos Quintana Á, Ramírez Orellana M, Castillo Robleda A, Fuster Soler JL, Minguela Puras A, Martínez Sánchez MV, Rosa M, Pérez-García VM, Byrne HM. 2023 Aug 14;19(8):e1011329. doi: 10.1371/journal.pcbi.1011329. PMID: 37578973; PMCID: PMC10468039.
70. **Generalized Lymphatic Anomaly as a Differential Diagnosis of Lytic Lesions.**
Catani G, Waisberg F, Enrico D, Rodriguez A, Pflüger Y, Galluzzo ML, Centeno MDV, Colmenero I, Amat M, Paganini L, García Herrmann AF, Chacón M. 2023 Aug 9;16(1):597-603. doi: 10.1159/000530897. PMID: 37900803; PMCID: PMC10601723.
71. **Nivolumab with or without ipilimumab in pediatric patients with high-grade CNS malignancies: Safety, efficacy, biomarker, and pharmacokinetics-CheckMate 908.**
Dunkel IJ, Doz F, Foreman NK, Hargrave D, Lassaletta A, André N, Hansford JR, Hassall T, Eyrich M, Gururangan S, Bartels U, Gajjar A, Howell L, Warad D,

Pacius M, Tam R, Wang Y, Zhu L, Cohen K. 2023 Aug 3;25(8):1530-1545. doi: 10.1093/neuonc/noad031. PMID: 36808285; PMCID: PMC10398811.

72. **Polymorphisms indicating risk of inflammatory bowel disease or antigenicity to anti-TNF drugs as biomarkers of response in children.**
    Zapata-Cobo P, Salvador-Martín S, Velasco M, Palomino LM, Clemente S, Segarra O, Moreno-Álvarez A, Fernández-Lorenzo A, Pérez-Moneo B, Montraveta M, Sánchez C, Tolín M, Loverdos I, Fobelo MJ, Navas-López VM, Magallares L, García-Romero R, Sánchez-Hernández JG, Rodríguez A, Bossacoma F, Balboa MJ, Salcedo E, Sanjurjo-Sáez M, López-Fernández LA. 2023 Aug;194:106859. doi: 10.1016/j.phrs.2023.106859. Epub 2023 Jul 19. PMID: 37473877. 2023 Aug;194:106859. doi: 10.1016/j.phrs.2023.106859. Epub 2023 Jul 19. PMID: 37473877.
73. **Genomic analyses in Cornelia de Lange Syndrome and related diagnoses: Novel candidate genes, genotype-phenotype correlations and common mechanisms.**
    Kaur M, Blair J, Devkota B, Fortunato S, Clark D, Lawrence A, Kim J, Do W, Semeo B, Katz O, Mehta D, Yamamoto N, Schindler E, Al Rawi Z, Wallace N, Wilde JJ, McCallum J, Liu J, Xu D, Jackson M, Rentas S, Tayoun AA, Zhe Z, Abdul-Rahman O, Allen B, Angula MA, Anyane-Yeboa K, Argente J, Arn PH, Armstrong L, Basel-Salmon L, Baynam G, Bird LM, Bruegger D, Ch'ng GS, Chitayat D, Clark R, Cox GF, Dave U, DeBaere E, Field M, Graham JM Jr, Gripp KW, Greenstein R, Gupta N, Heidenreich R, Hoffman J, Hopkin RJ, Jones KL, Jones MC, Kariminejad A, Kogan J, Lace B, Leroy J, Lynch SA, McDonald M, Meagher K, Mendelsohn N, Micule I, Moeschler J, Nampoothiri S, Ohashi K, Powell CM, Ramanathan S, Raskin S, Roeder E, Rio M, Rope AF, Sangha K, Scheuerle AE, Schneider A, Shalev S, Siu V, Smith R, Stevens C, Tkemaladze T, Toimie J, Toriello H, Turner A, Wheeler PG, White SM, Young T, Loomes KM, Pipan M, Harrington AT, Zackai E, Rajagopalan R, Conlin L, Deardorff MA, McEldrew D, Pie J, Ramos F, Musio A, Kline AD, Izumi K, Raible SE, Krantz ID. 2023 Aug;191(8):2113-2131. doi: 10.1002/ajmg.a.63247. Epub 2023 Jun 28. PMID: 37377026; PMCID: PMC10524367.
74. **Neurocognitive outcomes in pediatric brain tumors after treatment with proton versus photon radiation: a systematic review and meta-analysis.**
    Lassaletta Á, Morales JS, Valenzuela PL, Esteso B, Kahalley LS, Mabbott DJ, Unnikrishnan S, Panizo E, Calvo F. 2023 Aug;19(8):727-740. doi: 10.1007/s12519-023-00726-6. Epub 2023 May 8. PMID: 37154861; PMCID: PMC10348930.
75. **A congenital folliculosebaceous cystic hamartoma on the nipple and areola.**
    Blicharz L, Colmenero I, Hernández-Martín A, Torrelo A. A congenital folliculosebaceous cystic hamartoma on the nipple and areola. 2023 Aug;62(8):e458-e460. doi: 10.1111/ijd.16701. Epub 2023 Apr 23. PMID: 37088963.
76. **Growth patterns and outcomes of growth hormone therapy in patients with acrodysostosis.**
    Ertl DA, Mantovani G, de Nanclares GP, Elli FM, Pereda A, Pagnano A, Sanchis A, Cueto-Gonzalez AM, Berrade S, León MC, Rothenbuhler A, Audrain C, Berkenou J, Knight N, Dolman K, Gleiss A, Argente J, Linglart A. 2023 Aug;46(8):1673-1684. doi: 10.1007/s40618-023-02026-2. Epub 2023 Feb 7. PMID: 36749450.
77. **Benefits of Paediatric to Adult Transition Programme in Inflammatory Bowel Disease: The BUTTERFLY Study of GETECCU and SEGHNP.**

Rubín de Célix C, Martín-de-Carpi J, Pujol-Muncunill G, Palomino LM, Velasco Rodríguez-Belvís M, Martín-Masot R, Navas-López VM, Ricart E, Casanova MJ, Rodríguez-Martínez A, Leo-Carnerero E, Alcaraz A, Mañosa M, Hernández V, Cobelas Cobelas MC, Sánchez C, Menchén L, Mesonero F, Barreiro-De Acosta M, Martinón-Torres N, Tejido Sandoval C, Rendo Vázquez A, Corsino P, Vicente R, Hernández-Camba A, Alberto Alonso JR, Alonso-Abreu I, Castro Millán AM, Peries Reverter L, Castro B, Fernández-Salgado E, Busto Cuiñas MM, Benítez JM, Madero L, Clemente F, Riestra S, Jiménez-Treviño S, Boscá-Watts M, Crehuá-Gaudiza E, Calvo Moya M, Huguet JM, Largo-Blanco EM, González Vives L, Plaza R, Guerra I, Barrio J, Escartín L, Alfambra E, Cruz N, Muñoz MC, Muñoz Pino MG, Van Domselaar M, Botella B, Monfort Miquel D, Rodríguez Grau MC, De La Mano A, Ber Y, Calvo Iñiguez M, Martínez-Pérez TJ, Chaparro M, Gisbert JP. 2023 Jul 21;12(14):4813. doi: 10.3390/jcm12144813. PMID: 37510928; PMCID: PMC10381381.

78. **RINT1 deficiency disrupts lipid metabolism and underlies a complex hereditary spastic paraplegia.**
Launay N, Ruiz M, Planas-Serra L, Verdura E, Rodríguez-Palmero A, Schlüter A, Goicoechea L, Guilera C, Casas J, Campelo F, Jouanguy E, Casanova JL, Boespflug-Tanguy O, Vazquez Cancela M, Gutiérrez-Solana LG, Casasnovas C, Area-Gomez E, Pujol A. 2023 Jul 17;133(14):e162836. doi: 10.1172/JCI162836. PMID: 37463447; PMCID: PMC10348772.
79. **Efficacy and safety of baricitinib in combination with topical corticosteroids in paediatric patients with moderate-to-severe atopic dermatitis with an inadequate response to topical corticosteroids: results from a phase III, randomized, double-blind, placebo controlled study (BREEZE-AD PEDS).**
Torrelo A, Rewerska B, Galimberti M, Paller A, Yang CY, Prakash A, Zhu D, Pontes Filho MAG, Wu WS, Eichenfield LF. 2023 Jul 7;189(1):23-32. doi: 10.1093/bjd/ljad096. PMID: 36999560.
80. **CHOICE international survey: Clusters of allergen immunotherapy prescription from French and Spanish cohorts.**
Rodriguez Del Rio P, Caimmi D, Rico Nieto P, Vidal C, Moreno C, González-Fernández MT, Tomás-Pérez M, Beristain A, Bosse I, Trinh HB, Casale TB, Demoly P, Calderon MA; CHOICE Survey Team. 2023 Jul 1;16(6):100791. doi: 10.1016/j.waojou.2023.100791. PMID: 37425343; PMCID: PMC10328986.
81. **Hemorrhagic cystitis following allogeneic hematopoietic stem cell transplantation: experience in a pediatric oncological institution.**
de la Puente S, Espinoza ML, Carrillo I, Rico C, Souto H, Acedo JA, Riñón C, Garcés C, Ramos P, Muñoz D, Zamora B, Espinosa R, Huertas AL, Rozas I, González M, Martín A, Alonso JL de la Puente S, Espinoza ML, Carrillo I, Rico C, Souto H, Acedo JA, Riñón C, Garcés C, Ramos P, Muñoz D, Zamora B, Espinosa R, Huertas AL, Rozas I, González M, Martín A, Alonso JL de la Puente S, Espinoza ML, Carrillo I, Rico C, Souto H, Acedo JA, Riñón C, Garcés C, Ramos P, Muñoz D, Zamora B, Espinosa R, Huertas AL, Rozas I, González M, Martín A, Alonso JL. 2023 Jul 1;36(3):128-134. English, Spanish. doi: 10.54847/cp.2023.03.13. PMID: 37417217.
82. **Clinical Features and Natural History of Paediatric Patients with Ulcerative Proctitis: A Multicentre Study from the Paediatric IBD Porto Group of ESPGHAN.**

Tal N, Tzivinikos C, Gasparetto M, Serban DE, Zifman E, Hojsak I, Ledder O, Yerushalmy Feler A, Rolandsdotter H, Aloi M, Bramuzzo M, Buderus S, Lionetti P, Norsa L, Norden C, Urlep D, Romano C, Shaoul R, Martinez-Vinson C, Karoliny A, De Greef E, Kang B, VIčková E, Alvisi P, Kori M, Tavares M, Weiss B, Hussey S, Qamhawi ME, Palomino Pérez LM, Henderson P, Parmar R, Miele E, Rinawi F, Lozano-Ruf A, Zamvar V, Kolho KL, Shouval DS; Pediatric IBD Porto Group of ESPGHAN. 2023 Jul 1:jjad111. doi: 10.1093/ecco-jcc/jjad111. Epub ahead of print. PMID: 37392064.

83. **An international Delphi study on the burden of allergic rhinoconjunctivitis and urticaria and the role of bilastine among current treatment options.**
Church MK, Canonica GW, Kuna P, Maurer M, Mösges R, Novak Z, Papadopoulos NG, Rodriguez Del Rio P; Delphi Study Group. 2023 Jul-Dec;19(7):813-820. doi: 10.1080/1744666X.2023.2214729. Epub 2023 May 24. PMID: 37191185.
84. **Erythema nodosum after COVID-19 vaccine: Report of two pediatric cases.**
Gonzalez-Canete M, Pinto-Pulido EL, Vega-Diez D, Rodriguez-Villa A, Moreno-Artero E, Andina Martinez D, Torrelo A. 2023 Jul-Aug;40(4):660-663. doi: 10.1111/pde.15205. Epub 2022 Nov 30. PMID: 36451284; PMCID: PMC9877859.
85. **Understanding pediatric palliative care within interdisciplinary palliative programs: a qualitative study.**
Rico-Mena P, Güeita-Rodríguez J, Martino-Alba R, Chocarro-Gonzalez L, Sanz-Esteban I, Palacios-Ceña D. 2023 Jun 24;22(1):80. doi: 10.1186/s12904-023-01194-5. PMID: 37355579; PMCID: PMC10290414.
86. **Clinical and Genetic Characterization of Familial Central Precocious Puberty. J.**
Tinano FR, Canton APM, Montenegro LR, de Castro Leal A, Faria AG, Seraphim CE, Brauner R, Jorge AA, Mendonca BB, Argente J, Brito VN, Latronico AC. 2023 Jun 16;108(7):1758-1767. doi: 10.1210/clinem/dgac763. PMID: 36611250.
87. **Transition of Adolescents With Severe Asthma From Pediatric to Adult Care in Spain: The STAR Consensu.**
Valverde-Molina J, Fernández-Nieto M, Torres-Borrego J, Lozano Blasco J, de Mir-Messa I, Blanco-Aparicio M, Nieto A, Figuerola Mulet J, Moure AL, Sánchez-Herrero MG, Sánchez-García S. 2023 Jun 15;33(3):179-189. doi: 10.18176/jiaci.0780. Epub 2022 Jan 14. PMID: 35029151.
88. **Clinical outcomes of efficacy in food allergen immunotherapy trials.**
Bartha I, Rodríguez Del Río P. 2023 Jun 1;23(3):239-245. doi: 10.1097/ACI.0000000000000905. Epub 2023 Mar 29. PMID: 37185829.
89. **Invasive bacterial infection in children with fever and petechial rash in the emergency department: a national prospective observational study.**
Storch-De-Gracia P, Fernández JL, Velasco R, Saez I, Rodrigo R, Yañez S, Castellarnau E, Gil E, Del Rio P, Garrido E, Castaño A, Perez Á, Cabrerizo M, Hernández M, Pérez JJ, de la Torre MJ, Nadal G, Martínez J, Sánchez-Tatay V. 2023 Jun;108(6):445-450. doi: 10.1136/archdischild-2022-325281. Epub 2023 Apr 4. Erratum in: Arch Dis Child. 2023 Aug;108(8):e13. PMID: 37019466.
90. **Novel compound heterozygous mutation in CTSC gene with response to ustekinumab.**
Latour-Álvarez I, Ortega-Ramírez J, Alonso-Serrano E, Torrelo A. 2023 Jun;37(6):e798-e800. doi: 10.1111/jdv.18938. Epub 2023 Feb 16. PMID: 36740595.

91. **Allowing Standing and Assisted Steps in a Patient With Renshaw Type IV Sacral Agenesis: A Case Report of a Novel Surgical Approach.**
    Martínez-Caballero I, Gabardo S, Galán-Olleros M, García Cruz G, Herraiz Ayllón M, Egea-Gámez RM. 2023 May 26;13(2). doi: 10.2106/JBJS.CC.22.00780. PMID: 37235695.
92. **Insights into the Gut Microbiota of Cow's Milk Allergic Infants: Analysis of Microbial Functionality and Its Correlation with Three Fecal Biomarkers.**
    Zubeldia-Varela E, Barker-Tejeda TC, Mera-Berriatua L, Bazire R, Cabrera-Freitag P, Ubeda C, Barber D, Francino MP, Rojo D, Ibáñez-Sandín MD, Pérez-Gordo M. Further. 2023 May 25;24(11):9247. doi: 10.3390/ijms24119247. PMID: 37298198; PMCID: PMC10252606.
93. **UMOD-related autosomal dominant tubulointerstitial kidney disease: an unfavourable novel mutation.**
    Viaño Nogueira P, de Lucas Collantes C, Ortiz Cabrera V, Urquía Renke A, Aparicio López C. 2023 May-Jun;43(3):378-380. doi: 10.1016/j.nefroe.2021.07.011. Epub 2023 Jul 22. PMID: 37487849.
94. **Clinical Unmet Needs and Treatment Patterns of Paediatric Psoriasis Patients: A Real-World Evidence Study in Spain. Actas Dermosifiliogr.**
    de Lucas R, Vicente A, Richardson C, Lucas J, Gillespie-Akar L, Gómez-Labrador L, Torrelo A. 2023 May;114(5):T382-T391. English, Spanish. doi: 10.1016/j.ad.2023.04.027. Epub 2023 Apr 23. PMID: 37088286.
95. **Growth and disease burden in children with hypophosphatasia.**
    Högler W, Linglart A, Petryk A, Kishnani PS, Seefried L, Fang S, Rockman-Greenberg C, Ozono K, Dahir K, Martos-Moreno GÁ. 2023 Apr 25;12(5):e220240. doi: 10.1530/EC-22-0240. PMID: 36917043; PMCID: PMC10160547.
96. **Clinical Unmet Needs and Treatment Patterns of Paediatric Psoriasis Patients: A Real-World Evidence Study in Spain.**
    de Lucas R, Vicente A, Richardson C, Lucas J, Gillespie-Akar L, Gómez Labrador L, Torrelo A. Clinical Unmet Needs and Treatment Patterns of Paediatric Psoriasis Patients: A Real-World Evidence Study in Spain. 2023 May;114(5):382-391. English, Spanish. doi: 10.1016/j.ad.2023.02.017. Epub 2023 Mar 11. PMID: 36907550.
97. **Is There a Relationship Between the Functional Level of Juvenile and Adolescent Patients With Down Syndrome and Hip Dysplasia?**
    Galán-Olleros M, Palazón-Quevedo Á, Egea-Gámez RM, Ramírez-Barragán A, Serrano JI, Martínez-Caballero I. 2023 May-Jun 01;43(5):e311-e318. doi: 10.1097/BPO.0000000000002370. Epub 2023 Feb 20. PMID: 36804878.
98. **Cutaneous lesions and mitochondrial hearing loss: A case report.**
    Moreno-Artero E, Imizcoz T, Prieto C, Manrique R, González-Cañete M, Manrique M, Torrelo A. 2023 May-Jun;40(3):534-536. doi: 10.1111/pde.15193. Epub 2022 Dec 16. PMID: 36524552.
99. **Management of spine deformity secondary to facioscapulohumeral dystrophy in pediatric patients. A case description and a literature review.**
    Egea-Gámez RM, Galán-Olleros M, González-Menocal A, González-Díaz R. 2023 May;11(3):765-772. doi: 10.1007/s43390-022-00614-5. Epub 2022 Dec 5. PMID: 36469220.

100. **Adverse events related to central venous catheters (CVC) and the influence of CVC characteristics on peripheral blood hematopoietic progenitor cell collection in children.**
Zubicaray J, Martin-Consuegra S, Nieto M, Albi G, Iriondo J, Sebastian E, Gálvez E, Molina B, González-Vicent M, de Pablo JG, Castillo A, Ramírez M, Madero L, Díaz MA, Sevilla J. 2023 Apr 21;11:1131905. doi: 10.3389/fped.2023.1131905. PMID: 37152327; PMCID: PMC10160364.

101. **Changes in Lipid Metabolism Enzymes in Rat Epididymal Fat after Chronic Central Leptin Infusion Are Related to Alterations in Inflammation and Insulin Signaling.**
Casado ME, Canelles S, Arilla-Ferreiro E, Frago LM, Barrios V. 2023 Apr 11;24(8):7065. doi: 10.3390/ijms24087065. PMID: 37108229; PMCID: PMC10138313.

102. **The Emotional Experience of Caring for Children in Pediatric Palliative Care: A Qualitative Study among a Home-Based Interdisciplinary Care Team.**
Rico-Mena P, Güeita-Rodríguez J, Martino-Alba R, Castel-Sánchez M, Palacios-Ceña D. 2023 Apr 9;10(4):700. doi: 10.3390/children10040700. PMID: 37189949; PMCID: PMC10136408.

103. **Recommendations for the measurement of sexual steroids in clinical practice. A position statement of SEQC^{ML}/SEEN/SEEP.**
Casals G, Costa RF, Rull EU, Escobar-Morreale HF, Argente J, Sesmilo G, Biagetti B. 2023 Mar 9;4(1):52-69. doi: 10.1515/almed-2023-0020. PMID: 37359897; PMCID: PMC10197192.

104. **Intraosseous injection of mesenchymal stem cells for the treatment of osteonecrosis of the immature femoral head and prevention of head deformity: A study in a pig model.**
Martínez-Álvarez S, Galán-Olleros M, Azorín-Cuadrillero D, Palazón-Quevedo Á, González-Murillo Á, Melen-Frajlich GJ, Ramírez-Orellana M, Epeldegui-Torre T, Forriol F. 2023 Apr-Jun;106(2):368504231179790. doi: 10.1177/00368504231179790. PMID: 37306235; PMCID: PMC10358557.

105. **Cost-effectiveness of omalizumab for the treatment of severe pediatric allergic asthma-Results of a real-life study in Spain.**
Nieto-Cid M, Garriga-Baraut T, Plaza-Martín AM, Tortajada-Girbés M, Torres-Borrego J, Lozano-Blasco J, Moreno-Galarraga L, Del Mar Folqué-Giménez M, Bosque-García M, Gaboli M, López-Neyra A, Rivas-Juesas C, Caballero-Rabasco MA, Freixa-Benavente A, Valdesoiro-Navarrete L, de Mir-Messa I, Ballester-Asensio E, Penín-Antón M, Romero-García R, Navarro-Morón J, Valenzuela-Soria A, Sánchez-Mateos M, Batlles-Garrido J, Sanz-Santiago V, de Atauri ÁG, Andrés-Martín A, Campos-Alonso E, Gómez-Pastrana D, Vázquez-Rodríguez E, Martínez-Pardo L, Del Río-Camacho G, Mazón-Ramos Á, Nieto-García A. 2023 Apr;34(4):e13942. doi: 10.1111/pai.13942. PMID: 37102393.

106. **Pediatric Allergy Committee, Spanish Society of Allergy and Clinical Immunology (SEIAC). Food Protein-Induced Enterocolitis Syndrome: Results of a Spanish Survey.**
Infante S, Argiz L, Cabrera-Freitag P, Fernández-de-Alba I, Moya B, Escudero C. 2023 Apr;33(2):134-136. doi: 10.18176/jiaci.0828. Epub 2022 Jun 16. PMID: 37071441.

107. **Do not do recommendations in different paediatric care settings.**
Arias Constanti V, Domingo Garau A, Rodríguez Marrodán B, Villalobos Pinto E, Riaza Gómez M, García Soto L, Hernández Borges Á, Madrid Rodríguez A. 2023

Apr;98(4):291-300. doi: 10.1016/j.anpede.2023.02.019. Epub 2023 Mar 21. PMID: 36941186.

108. **Feasibility and acceptability of a hospital-at-home program for adolescents with eating disorders: Making progress in community/family-based treatments.**
Morón-Nozaleda MG, Yáñez S, Camarneiro RA, Gutiérrez-Priego S, Muñoz-Domenjó A, García-López C, Adrados García S, Jiménez García R, Trujillo EM, Faya M, Graell M. 2023 Apr;56(4):790-795. doi: 10.1002/eat.23907. Epub 2023 Mar 18. PMID: 36932901.

109. **IgG antispike persistence and immunophenotype in children infected by SARS-CoV-2.**
García-Salido A, Flores-Pérez P, González-Murillo Á, Sánchez-Marcos E, Leoz-Gordillo I, Cano-Fernández J, Castillo-Robleda A, Nieto-Moro M, Jiménez-García R. 2023 Apr;112(4):805-812. doi: 10.1111/apa.16705. Epub 2023 Feb 17. PMID: 36772991.

110. **Atrophic macules containing mesenchymal cells are precursor lesions of osteoma cutis in Albright hereditary osteodystrophy.**
Torrelo A, Pericet L, Hernández-Sürmann I, Martos G, Mateos-Mayo A, Noguera-Morel L, Hernández-Martín A, Argente J, Colmenero. 2023 Apr;50(4):294-298. doi: 10.1111/cup.14397. Epub 2023 Feb 7. PMID: 36691934.

111. **Implantación de una unidad pediátrica de daño cerebral adquirido en fase subaguda en el sistema público de salud. Características epidemiológicas, clínicas y de evolución inicial de los pacientes atendidos [Implementation of a pediatric unit of acquired brain injury in subacute phase in the public health system. Epidemiological, clinical and initial evolution characteristics of the patients attended].**
Jiménez-Legido M, Cantarín-Extremera V, Vara-Arias MT, Rodríguez-Palero S, Cartas-Carrión SC, Esteso-Orduña B, Cámara Barrio S, Méndez-Caba J, Ruíz-Falcó Rojas ML. 2023 Apr-Jun;57(2):100740. Spanish. doi: 10.1016/j.rh.2022.03.005. Epub 2022 May 27. PMID: 35637029.

112. **Clinical and Sonographic Classification of Neurofibromas in Children with Neurofibromatosis Type 1 - A Cluster Analysis.**
García-Martínez FJ, Alfageme F, Duat-Rodríguez A, Andrés Esteban EM, Hernández-Martín A. 2023 Apr;44(2):e118-e125. English. doi: 10.1055/a-1640-9621. Epub 2021 Nov 24. PMID: 34820795.

113. **Guided Growth for the Treatment of Cubitus Varus in Children: Medium- to Long-Term Results.**
Martínez-Álvarez S, Galán-Olleros M, Alonso-Hernández J, Vara-Patudo I, Miranda-Gorozarri C, Palazón-Quevedo Á. 2023 Mar 31;12(7):2632. doi: 10.3390/jcm12072632. PMID: 37048715; PMCID: PMC10095142.

114. **Impact of muscular symptoms and/or pain on disease characteristics, disability, and quality of life in adult patients with hypophosphatasia: A cross-sectional analysis from the Global HPP Registry.**
Dahir KM, Kishnani PS, Martos-Moreno GÁ, Linglart A, Petryk A, Rockman-Greenberg C, Martel SE, Ozono K, Högler W, Seefried L. 2023 Mar 27;14:1138599. doi: 10.3389/fendo.2023.1138599. PMID: 37051203; PMCID: PMC10083387.

115. **Trunk Control Measurement Scale (TCMS): Psychometric Properties of Cross-Cultural Adaptation and Validation of the Spanish Version.**

López-Ruiz J, Estrada-Barranco C, Martín-Gómez C, Egea-Gámez RM, Valera-Calero JA, Martín-Casas P, López-de-Uralde-Villanueva I. 2023 Mar 15;20(6):5144. doi: 10.3390/ijerph20065144. PMID: 36982053; PMCID: PMC10049461.

116. **The Development of New Agents for Post-Hematopoietic Stem Cell Transplantation Non-Infectious Complications in Children.**
Ilan U, Brivio E, Algeri M, Balduzzi A, Gonzalez-Vincent M, Locatelli F, Zwaan CM, Baruchel A, Lindemans C, Bautista F. 2023 Mar 9;12(6):2149. doi: 10.3390/jcm12062149. PMID: 36983151; PMCID: PMC10054172.

117. **The Congenital and Acquired Mechanisms Implicated in the Etiology of Central Precocious Puberty.**
Brito VN, Canton APM, Seraphim CE, Abreu AP, Macedo DB, Mendonca BB, Kaiser UB, Argente J, Latronico AC. 2023 Mar 4;44(2):193-221. doi: 10.1210/endrev/bnac020. Erratum in: Endocr Rev. 2023 Jan 19;: PMID: 35930274; PMCID: PMC9985412.

118. **WAO consensus on DEfinition of Food Allergy SEverity (DEFASE).**
Arasi S, Nurmatov U, Dunn-Galvin A, Roberts G, Turner PJ, Shinder SB, Gupta R, Eigenmann P, Nowak-Wegrzyn A, Ansotegui IJ, Rivas MF, Petrou S, Tanno LK, Vazquez-Ortiz M, Vickery B, Wong G, Alvaro-Lozano M, Asaria M, Begin P, Bozzola M, Boyle R, Brough H, Cardona V, Chinthrajah RS, Cianferoni A, Deschildre A, Fleischer D, Gazzani F, Gerdts J, Giannetti M, Greenhawt M, Guzmán MA, Hossny E, Kauppi P, Jones C, Lucidi F, Monge Ortega OP, Munblit D, Muraro A, Pajno G, Podestà M, Rodriguez Del Rio P, Said M, Santos A, Shaker M, Szajewska H, Venter C, Warren C, Winders T, Ebisawa M, Fiocchi A. 2023 Mar 2;16(3):100753. doi: 10.1016/j.waojou.2023.100753. PMID: 36910595; PMCID: PMC9996094.

119. **Executive summary of the position statement of the Spanish Societies SEQC^{ML}/SEEN/SEEP. Recommendations for the measurement of sex steroids in clinical practice.**
Casals G, Ferrer Costa R, Urgell Rull E, Escobar-Morreale HF, Argente J, Sesmilo G, Biagetti B. 2023 Mar;70 Suppl 1:103-109. doi: 10.1016/j.endien.2023.03.004. Epub 2023 Mar 7. PMID: 36894451.

120. **El electroencefalograma: una prueba complementaria que no debe olvidarse realizar ante una primera crisis epiléptica. Réplica [The electroencephalogram: a complementary test that should not be forgotten to perform before a first seizure. Reply].**
Soto-Insuga V, González-Alguacil E, García-Peñas JJ. 2023 Mar 1;76(5):184. Spanish. doi: 10.33588/rn.7605.2023048. PMID: 36843180; PMCID: PMC10364029.

121. **Grupo de Estudio del registro MATUCIP de la Sociedad Española de Cuidados Intensivos Pediátricos (SECIP). Thrombotic microangiopathies in critically ill children: The MATUCIP registry in Spain.**
Bermúdez Barrezueta L, Belda Hofheinz S, Martínez De Azagra Garde A, Bobillo Pérez S, Nieto Faza M, Rodríguez Núñez A. 2023 Mar;98(3):194-203. doi: 10.1016/j.anpede.2023.02.006. Epub 2023 Feb 25. PMID: 36842880.

122. **Visitas a distancia para los pacientes con asma grave tras la pandemia de COVID-19: ¿cómo afrontar el reto? [Remote visits for severe asthma patients after the COVID-19 pandemic: How to address the challenge?]**
Sánchez-García S, Soto-Retes L, Chiner E, Cisneros C. 2023 Mar;223(3):188-191. Spanish. doi: 10.1016/j.rce.2023.01.009. Epub 2023 Feb 3. PMID: 36777238; PMCID: PMC9894769.

123. **Working Group. Remote visits for severe asthma patients after the COVID-19 pandemic: how to address the challenge?**
Sánchez-García S, Soto-Retes L, Chiner E, Cisneros C. 2023 Mar;223(3):188-191. doi: 10.1016/j.rceng.2023.01.004. Epub 2023 Feb 2. PMID: 36736728; PMCID: PMC9930084.

124. **Pathogenic variants of the coenzyme A biosynthesis-associated enzyme phosphopantothenoylcysteine decarboxylase cause autosomal-recessive dilated cardiomyopathy.**
Bravo-Alonso I, Morin M, Arribas-Carreira L, Álvarez M, Pedrón-Giner C, Soletto L, Santolaria C, Ramón-Maiques S, Ugarte M, Rodríguez-Pombo P, Ariño J, Moreno-Pelayo MÁ, Pérez B. 2023 Mar;46(2):261-272. doi: 10.1002/jimd.12584. Epub 2023 Jan 2. PMID: 36564894.

125. **Criteria used by health professionals on the selection of allergen immunotherapy in real clinical practice: Methodology.**
Caimmi D, Rodríguez Del Río P, Rico P, Vidal C, Moreno C, Casale TB, Demoly P, Calderón MA; CHOICE-Global Working Group. 2023 Feb 9;16(2):100749. doi: 10.1016/j.waojou.2023.100749. PMID: 36844393; PMCID: PMC9943859.

126. **Improving emergency department care of infants with acute bronchiolitis by reducing the use of unrecommended drugs: a quality-of-care initiative in a Spanish autonomous community.**
Andina Martínez D, Calderón Checa RM, Ferrero García Loygorri C, Arnaiz Diumenjo Y, Porto Abal R, Muñoz López C, Barrios Tascon A, Rodríguez Mesa M, Bautista Lozano D, Lagares Velasco A, Hernández Rupérez MB, Escobar Pirela HD, Sánchez Calderón A, Casado Verrier E, Rivas Crespo C, Prieto Martínez S, Ruiz González S, Joyanes Abancens B, Baro Huarte MG, García Herrero MÁ, Villares Alonso R, Stanescu S, Moreno Sánchez R, Gallego Fernández CS, De la Torre Espi M. 2023 Feb;35(1):31-38. English, Spanish. PMID: 36756914.

127. **Variability in the management of infants under 3 months with minor head injury in paediatric emergency departments.**
Alonso-Cadenas JA, Calderón Checa RM, Ferrero García-Loygorri C, Durán Hidalgo I, Pérez García MJ, Delgado Gómez P, Jiménez García R en nombre del Grupo de Trabajo del Traumatismo Craneoencefálico leve en los lactantes menores de 3 meses. 2023 Feb;98(2):83-91. doi: 10.1016/j.anpede.2022.10.010. Epub 2023 Feb 6. PMID: 36754719.

128. **Use of eculizumab in children with allogeneic haematopoietic stem cell transplantation associated thrombotic microangiopathy - a multicentre retrospective PDWP and IEWP EBMT study.**
Svec P, Elfeky R, Galimard JE, Higham CS, Dalissier A, Quigg TC, Bueno Sanchez D, Han Lum S, Faraci M, Cole T, Pichler H, Benítez-Carabante MI, Horakova J, Gonzalez-Vicent M, Yanir A, Fagioli F, Wölfl M, von der Weid N, Protheroe R, Krivan G, Speckmann C, James B, Avcin SL, Bertrand Y, Verna M, Riha P, Patrick K, Cesaro S, Kalwak K, Bierings M, Büchner J, Mellgren K, Prohászka Z, Neven B, Lankester A, Corbacioglu S. 2023 Feb;58(2):129-141. doi: 10.1038/s41409-022-01852-x. Epub 2022 Nov 4. PMID: 36333550.

129. **Effects of saturated versus unsaturated fatty acids on metabolism, gliosis, and hypothalamic leptin sensitivity in male mice.**

Fernández-Felipe J, Valencia-Avezuela M, Merino B, Somoza B, Cano V, Sanz-Martos AB, Frago LM, Fernández-Alfonso MS, Ruiz-Gayo M, Chowen JA. 2023 Feb;26(2):173-186. doi: 10.1080/1028415X.2022.2029294. Epub 2022 Feb 6. PMID: 35125071.

130. Burosumab for X-linked hypophosphatemia in children and adolescents: Opinion based on early experience in seven European countries.
Mughal MZ, Baroncelli GI, de Lucas-Collantes C, Linglart A, Magnolato A, Raimann A, Santos F, Schnabel D, Shaw N, Nilsson O. 2023 Jan 31;13:1034580. doi: 10.3389/fendo.2022.1034580. PMID: 36798486; PMCID: PMC9928183.

131. Association between HLA DNA Variants and Long-Term Response to Anti-TNF Drugs in a Spanish Pediatric Inflammatory Bowel Disease Cohort.
Salvador-Martín S, Zapata-Cobo P, Velasco M, Palomino LM, Clemente S, Segarra O, Sánchez C, Tolín M, Moreno-Álvarez A, Fernández-Lorenzo A, Pérez- Moneo B, Loverdos I, Navas López VM, Millán A, Magallares L, Torres-Peral R, García-Romero R, Pujol-Muncunill G, Merino-Bohorquez V, Rodríguez A, Salcedo E, López-Cauce B, Marín-Jiménez I, Menchén L, Laserna-Mendieta E, Lucendo AJ, Sanjurjo-Sáez M, López-Fernández LA. 2023 Jan 16;24(2):1797. doi: 10.3390/ijms24021797. PMID: 36675312; PMCID: PMC9861004.

132. Recent Advances in the Knowledge of the Mechanisms of Leptin Physiology and Actions in Neurological and Metabolic Pathologies.
Casado ME, Collado-Pérez R, Frago LM, Barrios V. 2023 Jan 11;24(2):1422. doi: 10.3390/ijms24021422. PMID: 36674935; PMCID: PMC9860943.

133. High-flow nasal cannula and non-invasive mechanical ventilation in pediatric asthma exacerbation: two-year prospective observational study in intensive care.
Delgado CS, García-Salido A, García-Teresa MÁ, Azagra-Garde AM, Leoz-Gordillo I, Caro-Patón GL, Nieto-Moro M. 2023;80(6):355-360. English. doi: 10.24875/BMHIM.23000070. PMID: 38150712.

134. Combined exercise intervention in a mouse model of high-risk neuroblastoma: effects on physical, immune, tumor and clinical outcomes.
Rincón-Castanedo C, Martín-Ruiz A, Zazo S, Luis Huertas AL, Valenzuela PL, Morán M, Fleck SJ, Santos-Lozano A, Ramírez M, Rojo F, Lucia A, González-Murillo Á, Fiuza-Luces C. 2023;29:86-110. PMID: 37358366.

135. Pediatric perianal Crohn's disease behavior in the era of biologic therapy.
De La Puente S, Espinosa Góngora R, Souto Romero H, Rico Espiñeira C, Luis Huertas AL, Garcés Visier C, Ramos Rodríguez P, Muñoz Hernández D, Espinoza Vega ML, Acedo Ruiz JA, Maruszewski P, Riñón C, Morató Robert P, Palomino L, Velasco M, Martín Vega A, Alonso Calderón JL. 2023 Jan 1;36(1):22-27. English, Spanish. doi: 10.54847/cp.2023.01.16. PMID: 36629345.

136. Correction to: Evaluation of the PECARN rule for traumatic brain injury applied to infants younger than 3 months and creation of a modified, age-specific rule.
Alonso-Cadenas JA, Calderón Checa RM, Rivas García A, Durán Hidalgo I, Cabrero Hernández M, Ruiz González S, Pérez García MJ, De Ceano-Vivas M, Delgado Gómez P, Antoñón Rodríguez M, Moreno Sánchez R, Martínez Hernando J, Muñoz López C, Ortiz Valentín I, Jiménez García R. 2023 Jan;182(1):201. doi: 10.1007/s00431-022-04732-0. Erratum for: Eur J Pediatr. 2023 Jan;182(1):191-200. PMID: 36469120.

137. Rare variants in the MECP2 gene in girls with central precocious puberty: a translational cohort study.

Canton APM, Tinano FR, Guasti L, Montenegro LR, Ryan F, Shears D, de Melo ME, Gomes LG, Piana MP, Brauner R, Espino-Aguilar R, Escribano-Muñoz A, Paganoni A, Read JE, Korbonits M, Seraphim CE, Costa SS, Krepischi AC, Jorge AAL, David A, Kaisinger LR, Ong KK, Perry JRB, Abreu AP, Kaiser UB, Argente J, Mendonca BB, Brito VN, Howard SR, Latronico AC. Lancet Diabetes Endocrinol. 2023 Aug;11(8):545-554. doi: 10.1016/S2213 8587(23)00131-6. Epub 2023 Jun 26. PMID: 37385287.

138. Molecular basis of normal and pathological puberty: from basic mechanisms to clinical implications.
Argente J, Dunkel L, Kaiser UB, Latronico AC, Lomniczi A, Soriano-Guillén L, Tena-Sempere M. Lancet Diabetes Endocrinol. 2023 Mar;11(3):203-216. doi: 10.1016/S2213-8587(22)00339-4. Epub 2023 Jan 5. PMID: 36620967.

139. Quality of life improvements following one year of setmelanotide in children and adult patients with Bardet-Biedl syndrome: phase 3 trial results.
Forsythe E, Haws RM, Argente J, Beales P, Martos-Moreno GÁ, Dollfus H, Chirila C, Gnanasakthy A, Buckley BC, Mallya UG, Clément K, Haqq AM. Orphanet J Rare Dis. 2023 Jan 16;18(1):12. doi: 10.1186/s13023-022-02602-4. PMID: 36647077.

140. The metabolic effects of resumption of a high fat diet after weight loss are sex dependent in mice.
Guerra-Cantera S, Frago LM, Jiménez-Hernaiz M, Collado-Pérez R, Canelles S, Ros P, García-Piqueras J, Pérez-Nadador I, Barrios V, Argente J, Chowen JA. Sci Rep. 2023 Aug 14;13(1):13227. doi: 10.1038/s41598-023-40514-w. PMID: 37580448 Free PMC article.

141. Regional specific effect of saturated vs unsaturated fat on leptin receptor signalling in mice brain areas regulating feeding.
Fernández-Felipe J, López LL, Cano V, Sánchez-Hita E, Belén Sanz A, Chowen JA, Del Olmo N, Ruiz-Gayo M, Merino B. Neurosci Lett. 2023 Jan 10;793:136996. doi: 10.1016/j.neulet.2022.136996. Epub 2022 Dec 5. PMID: 36481371.

142. Effect of a high-fat diet and leptin on STAT3 phosphorylation in hippocampal astrocytes.
Naranjo V, Merino B, Del Olmo N, Frago LM, Chowen JA, Ruiz-Gayo M, Cano González V. Neuroreport. 2023 Jan 14;34(1):30-37. doi: 10.1097/WNR.0000000000001855. Epub 2022 Dec 7. PMID: 36504039

Actividad de innovación y transferencia de resultados

a. Proyectos de innovación

1. **Título: Advanced Database for Biomaterials with Data Analysis and Visualisation Tools extended by a Marketplace with Digital Advisors**
   Acrónimo: 01058779-BIOMATDB
   Investigadores Principales: Dr. Andrés Castillo Sanz
   Entidad Financiadora: H2020, Unión Europea

2. **Título: BEhavioral and Adherence Model for improving quality, health outcomes and cost-Effectiveness of healthcaRe**
   Acrónimo: 101034369 -BEAMER
   Investigador Principal: Dr. Andrés Castillo Sanz
   Entidad Financiadora: H2020, Unión Europea.

3. **Título: Blood biomarkers to improve diagnosis and management of mild traumatic BRAIN Injury in vulnerable patients**
   Acrónimo: 220325 -BRAINI2
   Investigador Principal: Dra. Belén Rivero Martín
   Entidad Financiadora: EIT Health

4. **Título: Cyber securitY tooLbox for COnnected MEdical Devices**
   Acrónimo: 101095542-CYLCOMED
   Investigador Principal: Dr. Andrés Castillo Sanz
   Entidad Financiadora: H2020, Unión Europea.

5. **Título: CelÓmica integrativa para la medicina de precisión en leucemia infantil: una acción eHealth coordinada para biodigitalización del cáncer**
   Acrónimo: TED2021-132296B-C51 - LEUKODOMICS
   Investigador Principal: Dr. Manuel Ramírez Orellana
   Entidad Financiadora: Agencia Estatal de Investigación (AEI)

6. **Título: Validación clínica de la plataforma robótica Discover2Walk**
   Acrónimo: PDC2022-133898-C33 – DISCOVER2WALK
   Investigador Principal: Dr. Ignacio Martínez Caballero
   Entidad Financiadora: Agencia Estatal de Investigación (AEI)

7. **Título: Estrategia nacional para la implementación de la medicina personalizada en niños y adolescentes con cáncer / Personalised Medicine for Cancer in Children in Spain**
   Acrónimo: PMP21-00088 - SEHOP-PENCIL study
   Investigador Principal: Dra Cristina Saiz Ladera
   Entidad Financiadora: Instituto de Salud Carlos III (ISCIII)

8. **Título: Astrocitos, exosomas y mirnas en la respuesta diferencial de los machos y hembras a acidos grasos especificos (AstroExoSex).**

Acrónimo: PID2021-122653OB-I00
Investigador Principal: Dra. Julie Ann Chowen King.
Entidad Financiadora: Agencia Estatal de Investigación (AEI)

9. **Título: SECURED - Saling up secure processing. Anonymization and generation of Health Data for EU cross border collaborative research and Innovation (HORIZON-HLTH-2022-IND-13) Horizon Europe 2021-2027**
   Acrónimo: 101095717 – SECURED.
   Investigador Principal: Dr. Andres Castillo Sanz
   Entidad financiadora: Unión Europea.

10. **Título: EXPLORER: Primer porfolio de dispositivos de uso doméstico destinado a la rehabilitación de pacientes afectados por trastornos de la marcha**.
    Acrónimo: PMPTA 2022 - 00138
    Investigador Principal: Dr. Ignacio Martinez Caballero
    Entidad financiadora: ISCIII-CDTI

11. **Título: "EXPLORER: Primer porfolio de dispositivos de uso doméstico destinado a la rehabilitación de pacientes afectados por trastornos de la marcha.**
    Acrónimo: PMPTA 2022 - 00217
    Investigador Principal: Dra. María Teresa Vara Arias
    Entidad financiadora: ISCIII-CDTI

12. **Título: Nueva Generación de Inmunoterapias STAb y CAR-T Multidianas (Next Generation CARTMAD) NEXT_GEN_CART_MAD-CM (Programas de I+D en Biomedicina 2022)**
    Acrónimo: P2022-PMD-7225
    Investigador Principal: Dr. Manuel Ramirez Orellana
    Entidad financiadora: Comunidad Autonoma de Madrid.

13. **Título: DITTCe. DISPOSITIVO IMPLANTABLE PARA EL TRATAMIENTO DE TUMORES CEREBRALES MEDIANTE CAMPOS ELÉCTRICOS / IMPLANTABLE DEVICE FOR BRAIN TUMOR TREATMENT USING ELECTRICAL FIELDS**
    Acrónimo: PLEC2022-009308
    Investigador Principal: Dra. Cristina Sainz Ladera
    Entidad financiadora: Agencia Estatal de Investigación (AEI)

b. Patentes

1. **Ligands for enhanced imaging and drug delivery to Neuroblastoma cells**
   - Solicitantes:
     - Universidad Complutense de Madrid (UCM)
     - Fundación de Investigación Biomédica del Hospital La Princesa
     - Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (FIBHNJS)
   - Autores: María Vallet Regí, Alejandro Baeza García, Gonzalo Villaverde Cantizano, Rafael Castillo Romero, Manuel Ramírez Orellana, Gustavo Javier Melen Fraijlich, Arantzazu Alfranca González y África González Murillo.

2. **Células madre mesenquimales para ser usadas como vehículos de agentes terapéuticos - Celyvir_2 (Mesenchymal stem cells for use as vehicles for therapeutic agents)**
   - Solicitantes:
     - Fundación Oncohematología Infantil (FOI)
     - Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (FIBHNJS)
   - Autores: Manuel Ramírez Orellana, Gustavo Javier Melen Fraijlich, Lidia Franco Luzón y África González Murillo.

3. **Vectores lentivirales y usos de los mismos / LVs for the treatment of DBA patients**
   - Solicitantes:
     - Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT)
     - Centro de Investigación Biomédica en Red (CIBER)
     - Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz (FIIS-FJD)
     - Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (FIBHNJS)
     - Universidad de Bruselas. Université Libre de Bruxelles (ULB)
   - Autores: Juan Antonio Bueren Roncero, Susana Navarro Ordoñez, Yari Giménez Martínez, Manuel Palacios Pérez y Denis Fontaine.

4. **Gene Therapy for patients with Fanconi Anemia**
   - Solicitantes:
     - Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT)
     - Centro de Investigación Biomédica en Red (CIBER)
     - Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz (FIIS-FJD)
     - Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (FIBHNJS)
   - Autores: Juan A. Bueren, Paula Río, Susana Navarro, Julián Sevilla, Jose Carlos Segovia, África González, José Antonio Casado y Guillermo Guenechea.

5. **Compositions and methods for stem cell transplant**
   - Solicitantes:
     - Rocket Pharmaceuticals, Ltd
     - Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (FIBHNJS)
   - Autores: Brian Beard, Julian Sevilla Navarro, Gaurav Shah, Kinnari Patel.

c. Contratos de transferencia tecnológica

Acuerdo Rocket: Contrato con la empresa Rocket-Pharma (EEUU) para la comercialización de tres vectores lentivirales para el tratamiento de la anemia de Fanconi tipo A desarrollados en colaboración con CIBER, CIEMAT y Fundación Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz.

CAPÍTULO 7

INFRAESTRUCTURAS CIENTÍFICAS

CAPÍTULO 7: Infraestructuras científicas

1. Unidad de Fabricación de Medicamentos en Terapias Avanzadas (Sala Blanca)

La Unidad de Fabricación de Medicamentos en Terapias Avanzadas, la Sala Blanca, es una instalación especialmente diseñada, construida y validada para cumplir las Normas de Correcta Fabricación (NCF) conocidas en inglés como Good Manufacturing Practices (GMP), condición **necesaria para la fabricación de medicamentos de uso humano**. Estas normas son requisitos de calidad específicos para fabricantes de medicamentos. La implantación del sistema de gestión de la calidad afecta al personal, a locales y equipos, al sistema de documentación, a los procesos de producción, al control de calidad, a la retirada de productos del mercado y a inspecciones.

Actualmente **el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús cuenta desde comienzos de 2023** con una **Sala Blanca Integral de nueva generación**, la primera de este tipo en Europa, para la elaboración de terapias avanzadas. En ella se fabricará un fármaco contra el cáncer infantil que será evaluado en un ensayo clínico e irá destinado a niños con tumores sólidos avanzados.

Este equipamiento de nueva generación se suma a la Sala Blanca convencional que el Hospital Infantil tiene desde hace más de 10 años, la denominada Unidad de Fabricación de Medicamentos de Terapia Avanzada.

Los **Medicamentos en terapias avanzadas autorizados (MTA)** son medicamentos de uso humano basados en genes (terapia génica), células (terapia celular) o tejidos (ingeniería tisular).

Constituyen nuevas estrategias terapéuticas y su desarrollo contribuirá a ofrecer oportunidades para algunas enfermedades que hasta el momento carecen de tratamientos eficaces.

El marco legal vigente requiere también que los medicamentos en investigación de terapias avanzadas hayan sido elaborados por fabricantes autorizados.

Requiere el dictamen de un Comité Ético de Investigación con medicamentos, la conformidad de la dirección de los centros participantes y la autorización de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

Cuando la elaboración de estos medicamentos se realice en todo o en parte en instalaciones de centros vinculados al Sistema Nacional de Salud, dichas instalaciones deben contar con la certificación de cumplimiento de Normas de Correcta Fabricación, emitida por la Subdirección General de Inspección y Control de Medicamentos de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.

La **Sala Blanca** de la Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús **tiene la Certificación de Cumplimiento de Normas de Correcta Fabricación desde Abril 2010**, para los siguientes **medicamentos en terapias avanzadas autorizados (MTA)**:

- Células mesenquimales troncales adultas alogénicas/autólogas de medula ósea: aislamiento y expansión
- Células mesenquimales troncales adultas alogénicas/autólogas de tejido adiposo: aislamiento y expansión
- Células Natural Killer diferenciadas adultas alogénicas de sangre periférica estimuladas con IL-15: aislamiento y activación
- Células Natural Killer diferenciadas adultas autólogas/alogénicas de sangre periférica cocultivadas con línea celular K562: aislamiento y expansión
- Células mesenquimales troncales adultas alogénicas de tejido adiposo: aislamiento y expansión en matriz de fibrina
- Células mesenquimales troncales fetales alogénicas de cordón umbilical expandidas.
- Linfocitos infiltrantes de tumor (TILs) troncales adultos autólogos de tumor expandidos.
- Células endoteliales troncales (EPCs) adultas autólogas de sangre periférica expandidas.

2. Unidad de ensayos clínicos

Los ensayos clínicos son **estudios** que se llevan a cabo **en personas voluntarias para evaluar nuevas formas de luchar contra las enfermedades**, y que incluyen medicamentos, técnicas quirúrgicas, pruebas diagnósticas, etc.

La **Unidad de Ensayos Clínicos (UEC) del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús nace en 2013** y se concibe como una estructura multidisciplinar orientada a la investigación clínica en niños y adolescentes.

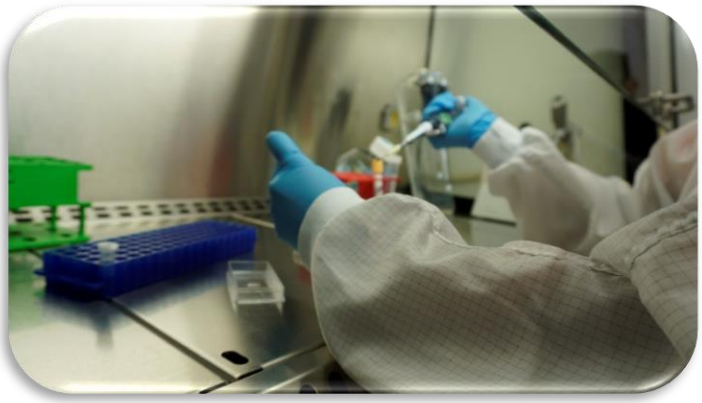
Desde esta unidad se **responde a necesidades no cubiertas de la población pediátrica**, con todas las garantías éticas y científicas con una alta calidad y seguridad para el paciente.

Durante sus inicios, y gracias a una colaboración con el Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas (2013-2016), se centró en el **desarrollo de ensayos en fase precoz en Onco-Hematología Pediátrica.** La Unidad fue acreditada como centro para fase I-II por el consorcio internacional ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer) y como centro para ensayos first-in-child en 2015.

La investigación es la esencia de la Unidad de Ensayos Clínicos y desde su creación el número de ensayos clínicos disponibles y el número de pacientes participantes ha ido incrementando de manera progresiva, lo que ha supuesto una mayor oferta de opciones terapéuticas para pacientes que antes no disponían de ellas.

El Hospital Infantil Universitario Niño Jesús es el núcleo básico, al que se une personal de la Fundación de Investigación del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, y otros grupos de investigación nacional e internacional.

Actualmente esta unidad es reconocida como **centro de referencia para la realización de ensayos clínicos pediátricos y con liderazgo internacional en la realización de ensayos clínicos con medicamentos y terapias avanzadas.**



Tiene como **objetivo dar respuesta a la necesidad de la sociedad** en materia de medicamentos seguros, efectivos y a la medida de los niños para contribuir a la mejora de su salud; así como favorecer y mejorar la equidad en el acceso a nuevos fármacos en ensayos clínicos en fase precoz para niños y adolescentes con enfermedades raras y graves sin alternativas terapéuticas.

En este tiempo, se han llevado a cabo numerosos ensayos clínicos en todas las fases, incluyendo, además, ensayos first-in-child en **tumores sólidos, síndrome de Rett, leucemias, síndrome de Hunter y deterioro cognitivo, trastornos genéticos raros de la obesidad, hematología no maligna, trasplante hematopoyético, esclerosis tuberosa que sufren crisis epilépticas, alergias, trastorno del espectro autista, tratamiento de la discinesia en la parálisis cerebral en niños y adolescentes entre otros.**

Contamos con el mejor equipo investigador y humano, cercano al niño enfermo y su familia y contribuimos al avance del **conocimiento científico en nuevos fármacos,** mediante una formación científica y asistencial orientada a la mejora continua y desde la Fundación nos encargamos de agilizar todas las gestiones administrativas para reducir al máximo el tiempo de gestión de los ensayos clínicos.

HITOS EN EL POSICIONAMIENTO INTERNACIONAL DE LA UNIDAD

La Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús (FIBHNJS) actúa como co-promotor nacional, promotor en exclusividad o promoción compartida con el investigador principal en los siguientes ensayos clínicos académicos nacionales e internacionales en oncología pediátrica, algunos de los cuales son estudios pioneros a nivel mundial:

- MEMMAT en meduloblastoma en recaída (Dr. Álvaro Lassaletta, coordinador nacional)
- ALOCELYVIR con quimio-radioterapia en tumores sólidos pediátricos en recaída (Dr. Manuel Ramírez Orellana, coordinador nacional).
- ALOCELYVIR en DIPG en primera línea o meduloblastomas en recaída (Dr. Álvaro Lassaletta, coordinador nacional).
- FANCOLEN en anemia de Fanconi (Dr. Julián Sevilla, coordinador nacional). Es el primer estudio mundial con esta terapia génica en pacientes con Enfermedad de Fanconi.
- CRISP Crizotinib en tumores sólidos y linfomas pediátricos en recaída (Dra. Alba Rubio, coordinadora nacional)
- ESMART en tumores sólidos y linfomas pediátricos en recaída (Dra. Alba Rubio, coordinadora nacional)
- BIOMEDE en glioma difuso de tronco (Dr. Álvaro Lassaletta, coordinador nacional). Primer estudio a nivel mundial en el que los pacientes con glioma difuso de tronco se someten a una biopsia del tumor y en función del análisis molecular y genético se asignan a un brazo terapéutico distinto con terapias dirigidas.
- BOSUTINIB en leucemia mieloide crónica (Dra. Alba Rubio, coordinadora nacional)
- BRIGATINIB en tumores ALK+ (Dra. Andión, coordinadora nacional)

El **Hospital Infantil Universitario Niño Jesús de Madrid (HNJS) es el centro líder de reclutamiento en pediatría en España de los siguientes Ensayos Clínicos**:

- EURONET-PHL C2
- UMBRELLA
- BEACON
- MEMMAT
- AloCelyvir
- AML-NOPHO 2012
- FANCOLEN
- NIRAPARIB/DOSTARLIMAB
- LENVATINIB
- TVEC

EQUIPO DE LA UNIDAD DE INVESTIGACIÓN CLÍNICA ASOCIADA

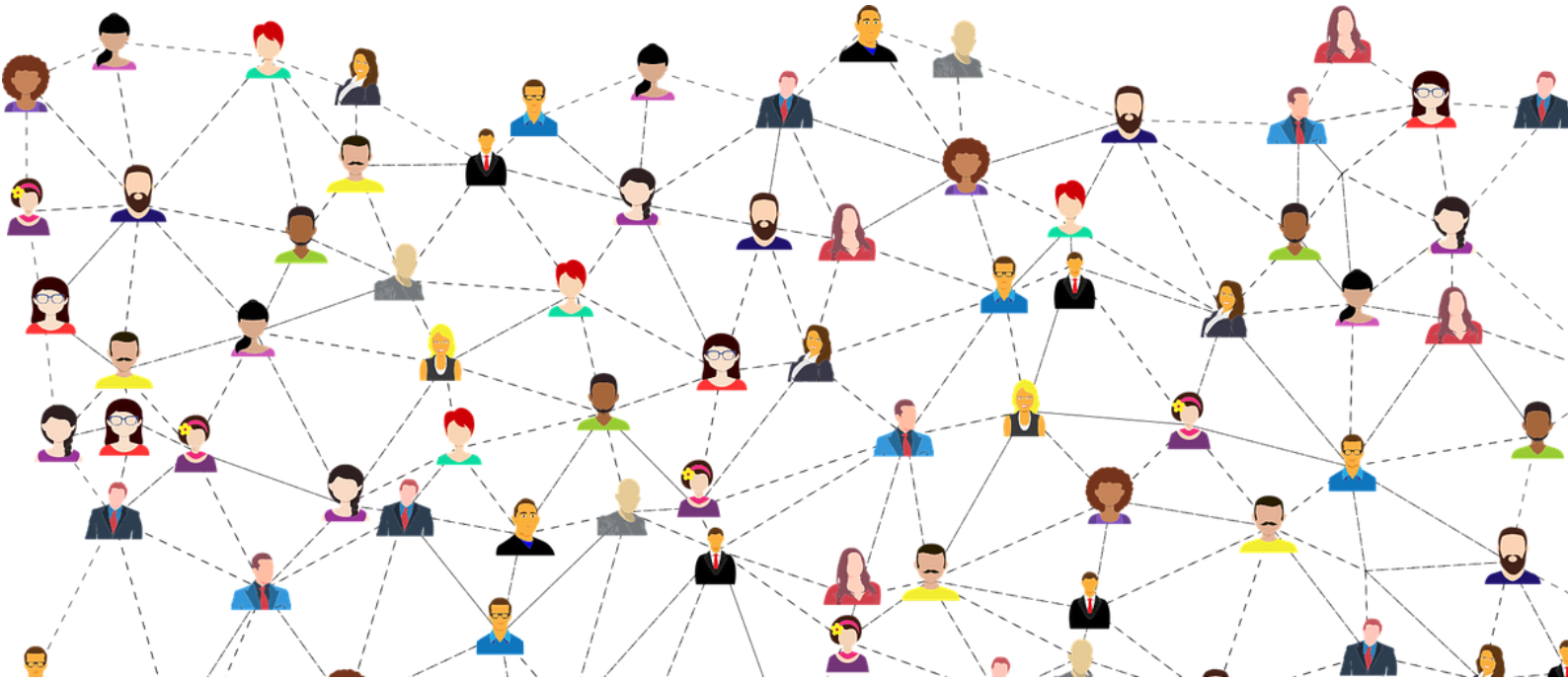
Responsable de la Unidad

Dra. Alba Rubio San Simón

- Investigadores de especialidades pediátricas
- **Coordinadoras de ensayos clínicos:**
  - Dña. Andrea Artigas
  - Dña. Esther Redondo
  - Dña. Nuria Ventosino
  - Dña. Cristina Calvo
- **Enfermeras de Investigación:**
  - Dña. María Méndez
  - Dña. María Gloria Millán
  - Dña. Betty Mercedes Illatopa
- **Farmacia**: Dra. Maria Teresa Pozas del Río
- **Gestión de contratos de la Fundación de Investigación:** D. Manuel Cabrera Moreno
- **Unidad de Calidad:** Dña. Rosa Gómez de Merodio

CAPÍTULO 8

DIFUSIÓN Y COMUNICACIÓN



CAPÍTULO 8: Difusión y comunicación

SPORT BARÇA REAL MADRID FÚTBOL MOTOR +DEPORTES SPORT TV ACTUALIDAD FDJ DIRECTOS INICIAR SESIÓN

Sociedad | Nacional Internacional Salud Cultura Shopping Vivienda Educar es todo

Un ensayo demuestra la eficacia de un nuevo fármaco en el tratamiento de un tipo de obesidad severa

- La investigación, liderada en España por el jefe de Endocrinología del madrileño Hospital Niño Jesús, el profesor Jesús Argente, muestra que el fármaco produce una pérdida significativa de peso en pacientes con síndrome de Bardet-Biedl, un trastorno genético raro

Una nueva esperanza para los pacientes con síndrome de Bardet-Biedl, un trastorno genético raro de la obesidad con síntomas tan diversos como alteraciones de visión, **trastornos renales y dificultades de aprendizaje**. Hasta la fecha no se disponía de ningún tratamiento para el sobrepeso en este colectivo. Ahora, un trabajo publicado en la prestigiosa revista científica *Lancet Diabetes Endocrinology*, ha mostrado que un fármaco -Setmelanotide- produce **una pérdida significativa de peso** en los pacientes. El estudio ha sido desarrollado por investigadores de **Canadá, Estados Unidos, Francia, Reino Unido** y España. En nuestro país, el investigador principal es el profesor **Jesús Argente,** jefe del Servicio de Pediatría y de Endocrinología del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús de Madrid.

TELECINCO

informativos TELECINCO | LO ÚLTIMO | SOCIEDAD | ECONOMÍA | SALUD | EL TIEMPO HOY | CURIOSAS | NACIONAL | INTERNACIONAL | CIENCIA | CULTURA | MÁS

PORTADA | INFORMATIVOS | SALUD

'Gemelos virtuales' de niños con leucemia para simular su respuesta al tratamiento, el nuevo avance del Hospital Niño Jesús

Redacción/Informativos Telecinco
09/02/2023 - 11:54h.

LA VANGUARDIA

Sociedad

NATURAL / BIG VANG / TECNOLOGÍA / SALUD / QUÉ ESTUDIAR / UNIVERSO JR / FORMACIÓN / VIVO SEGURO / PROGRESO / VIVO / CATALUNYA RELIGIÓ SUSCRÍBETE

CÁNCER INFANTIL

La terapia con perros puede moderar el dolor en el cáncer infantil en un 30 %

Madrid, 14 feb (EFE).- Las terapias asistidas con perros no curan pero sí moderan el dolor en el caso del cáncer pediátrico, un 30 % menos según cálculos de la cátedra Animales y Sociedad de la Universidad Rey Juan Carlos (URJC), que también observa alivio del miedo y la ansiedad en las unidades de cuidados intensivos para niños.

Kira es una perrita labrador de doce años que lleva once como perro de asistencia en el centro de rehabilitación de la Asociación Infantil Oncológica de Madrid (Asion) donde la terapia se centra en la rehabilitación después del cáncer y en la supervivencia que cada vez es mayor pero con secuelas que hay que trabajar.

El entrenador de Kira y psicólogo es Ignacio Clemente que cuenta a EFE como el perro no solo sirve en los 40 minutos o una hora de terapia, también a posteriori: "Creamos un recuerdo con la perrita plasmado en una foto a la que el paciente acude cuando viene el dolor, se evoca el recuerdo y el dolor es más liviano".

LA RAZÓN

MADRID VIVA

Disfruta Madrid | El tiempo | Tráfico

Madrid diseñan un implante para el tratamiento localizado de tumores cerebrales

El proyecto está dirigido, entre otras cosas, a combatir el glioblastoma, un cáncer muy agresivo que conlleva una esperanza de vida media de entre solo tres a seis meses

Imdea Materiales. FOTO: COMUNIDAD DE MADRID

EL MUNDO | España | Opinión | Economía | Internacional | Deportes | Cultura | Menú | SUSCRÍBETE 50% DTO. | Inicia sesión

Ciencia y Salud | Ciencia | Salud | Sostenibles

PREVENCIÓN

Arranca un estudio pionero para saber qué les ocurre a los largos supervivientes de cáncer pediátrico

Equipos multidisciplinares del Hospital Niño Jesús y el Ramón y Cajal analizarán la situación de estos pacientes que pueden triplicar a largo plazo el riesgo de eventos cardiovasculares provocados por los tratamientos oncológicos

La patología cardiovascular es la más frecuente en estos pacientes. UE

feder

Enfermedades raras | Quienes somos | Qué hacemos | Movimiento asociativo | Actualidad | Colabora

"El papel de las terapias avanzadas en las enfermedades raras" en el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús de Madrid

Inicio > Actualidad > Noticias > "El papel de las terapias avanzadas en las enfermedades raras" en el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús de Madrid

"El papel de las terapias avanzadas en las enfermedades raras" en el Hospital Infantil Universitario Niño Jesús de Madrid

Lunes 27 de Febrero de 2023 | Madrid

DÍA MUNDIAL

CCAA

Con la celebración del Día Mundial de las Enfermedades Raras, la Fundación para la Investigación Biomédica del Hospital Infantil Universitario Niño Jesús y la Comunidad de Madrid organizan una Jornada de la Estrategia Regional de Terapias Avanzadas bajo el nombre "El papel de las terapias avanzadas en las enfermedades raras"

EL TEATRO COMO TERAPIA PARA ENFERMEDADES NEUROLÓGICAS. EL ESPAÑOL. 26 marzo

DAVID CASTRO

En el centro, de blanco, el pequeño Curro en un ensayo.

El grupo planea una escena.

Jordi entra en la sala 'Duquesa' en una de las escenas.

PACIENTES INFANTILES

El madrileño Hospital Infantil Niño Jesús tiene un proyecto en el que dramaturgos profesionales y médicos comparten con menores con distintas enfermedades neurológicas experiencias teatrales

El teatro como terapia para enfermedades neurológicas

NIEVES SALINAS
Madrid

Bullicio en la sala Duquesa del madrileño Hospital Niño Jesús, inusitadamente tranquilo en una tarde de primavera y ensayos. Es martes y toca teatro. Por delante, dos horas en las que una quincena de niños y niñas, de entre 6 y 18 años, trabajan la actuación que, en julio, llevarán a la programación de los Veranos de la Villa. En la sala se habla de fantasmas y especuladores, se dan voltereetas, se baila, se dibujan escenas y se aplaude. Todo muy profesional. Los actores son pequeños pacientes del Servicio de Neurología del centro. Están Fer, Julina, Valeria, Marina, Curro, Enzo, Jordi... Felices y desinhibidos.

Algunos, por ejemplo, sufren las secuelas de un ictus. Sí, un ictus, a Sara Fernando Fresno, padre de Fer, 11 años, sorprendido de que, todavía, estrañe que un niño tan bien conocen para que los de fuera «que han tenido la suerte de no tener que venir, entren y conozcan las historias contadas por sus propios protagonistas. Que puedan contar al mundo lo que viven dentro», explica Inés Enciso. Por eso, en esta ocasión, los pequeños serán los encargados de relatarlas en los escenarios reales donde suceden esas historias de hospital (tantas, todos los días) ayudados por dramaturgos profesionales. En esta ocasión no saldrán a un teatro. El Niño Jesús será el propio escenario a donde se acercará el público. Será el 20 de julio, en el marco de los Veranos de la Villa. Además, el espectáculo se grabará para que se pueda ver luego a través de un código QR en el propio hospital.

Dice Inés Enciso que, cuando nació su hijo, todo el mundo de la

propios médicos los que le sugirie- Compañía Nacional de Danza. La pital se dieron cuenta de que el uso

LA VANGUARDIA

Madrid

MADRID

El Niño Jesús y el Gregorio Marañón incorporan dos exoesqueletos para niños de 3 a 12 años

• Estos mecanismos están diseñados para la rehabilitación de pacientes con daño cerebral o lesión medular

oksalud

OKSALUD

ÚLTIMAS NOTICIAS ACTUALIDAD MEDICAMENTOS PACIENTES FARMACIA NUTRICIÓN SALUD SEXUAL TELEMEDICINA FAMILIA INDUSTRIA

12 DE ABRIL: DÍA DE LAS PERSONAS CON EXTREMIDADES DIFERENTES

El Hospital Niño Jesús organiza talleres infantiles para aprender a manejar prótesis mioeléctricas

- ✓ Una nueva web permite que personas con discapacidad consigan un plan de vida independiente
- ✓ La agenesia o cuando hay dientes que nunca llegan a salir

6 meses 20€ + 2 billetes RENFE Suscríbete

ABC Sociedad

La Fundación Adrián Hoteles colabora con el Hospital Niño Jesús en una investigación biomédica

La Fundación Adrián Hoteles colabora con el Hospital Niño Jesús en una investigación biomédica

La fundación canaria financia el «Estudio de las bases patogénicas de la aplasia medular en edad pediátrica»

El exoesqueleto que permitió a Adolfo ponerse de pie por primera vez a los 9 años

oksalud

OKSALUD

ÚLTIMAS NOTICIAS ACTUALIDAD MEDICAMENTOS PACIENTES FARMACIA NUTRICIÓN SALUD SEXUAL TELEMEDICINA FAMILIA INDUSTRIA

NEUROCIRUJANO DEL HOSPITAL UNIVERSITARIO NIÑO JESÚS

Dr. Marcelo Budke: «La hemisferectomía elimina la epilepsia por completo en el 80% de los casos»

- Epilepsia: la importancia de detectarla a tiempo
- Epilepsia: ¿Qué es y cómo se debe actuar ante una crisis?

HOME INVESTIGACIÓN POLÍTICA BIC PROFESIÓN OPINIÓN HEMEROTECA MÁS

GACETA MÉDICA

Los Hospitales de La Princesa y el Niño Jesús, aliados en el tratamiento quirúrgico de la Enfermedad Inflamatoria Intestinal en niños y adolescentes

HAN INTERVENIDO CONJUNTAMENTE A UN ADOLESCENTE DE 13 AÑOS

La Unidad de Coloproctología del Hospital Universitario de La Princesa y el Servicio de Cirugía Pediátrica del Hospital Universitario Infantil Niño Jesús han realizado una colectomía total laparoscópica a un niño de 13 años con Enfermedad Inflamatoria Intestinal. Esta es una de las intervenciones que ambos centros han llevado a cabo conjuntamente desde que se estableció la alianza en el año 2019 entre ambos hospitales públicos de la Comunidad de Madrid.

En virtud de este acuerdo los cirujanos de la Unidad de Coloproctología del Servicio de Cirugía General del Hospital Universitario de La Princesa, Javier García Septiem y Ana Rodríguez Sánchez, muy experimentados en cirugía colorrectal laparoscópica en adultos, mantienen reuniones multidisciplinares con los facultativos del Servicio de Cirugía Pediátrica del Hospital Universitario Niño Jesús, y se desplazan a este último, si es necesario proceder a intervenciones quirúrgicas a niños o adolescentes que padecen Enfermedad Inflamatoria Intestinal. La alianza entre ambos servicios, junto con el asesoramiento de la Unidad de Enfermedad Inflamatoria Intestinal de La Princesa, acreditada como excelente, ofrecen la mejor de las asistencias a los pacientes aquejados de esta patología.

El equipo de HematologíayHemoterapia del Hospital Infantil UniversitarioNiñoJesús acaba de recibir el primer premio con su pionero trabajo en el campo de la terapiagénica de enfermedades del SistemaHematopoyético en el congreso 2023 de Trasplante y Terapia Celular de la Sociedad Americana de Trasplante y Terapia Celular y el Centro Internacional para la Investigación en Trasplante de Sangre Periférica y Médula ósea (2023 Transplantation & Cellular Therapy Meetings of ASTCT™ and CIBMTR®)

Además, su trabajo titulado “Terapia génica con lentivirus para pacientes pediátricos diagnosticados de AnemiadeFanconi subgrupo A” fue también reconocido como finalista en este mismo congreso

El equipo de Hematología y Hemoterapia lleva más de 10 años trabajando en el campo de las terapiasavanzadas y en concreto en la terapia génica de enfermedades monogénicas del sistema hematopoyético, en estrecha colaboración con el equipo de terapias innovadoras del CIEMAT y en los últimos años con Rocket Pharma, biotecnológica que adquirió los derechos para la explotación de todos estos estudios realizados en sus primeras fases con fondos provenientes de convocatorias públicas de proyectos de investigación del Ministerio de Sanidad de España o fondos Europeos.

¡Enhorabuena!

El proyecto del servicio de Neurología del HNJS “Radiografía(s); viaje al interior de un hospital. Desarrollo de un laboratorio teatrar para niños con #enfermedadesneurológicas” ha resultado #ganador del #premio en el I Certamen de #proyectosdehumanización de la Fundación Humans. En este proyecto participan el Dr. Víctor Soto, Dra. Elena González Alguacil, Dra. Anna Duat, Dra. Inés Enciso, Dra. Lucía Rodríguez, Dra. Patricia Extremera y Dr. Ángel Perabá. ¡Enhorabuena!

El Dr. Argente recibió el 1ª premio en investigación, en el 45 Congreso Sociedad Española de Endocrinología Pediátrica.

Julia Ruiz, reconocida por la *European Society Blood and Marrow Transplantation* (EBMT) por su contribución a la Enfermería en el área del trasplante y terapia celular

El Servicio de Neumología del Hospital Niño Jesús, premiado en la XLIV reunión de la Sociedad Española de Neumología Pediátrica.

La UCI del Hospital Niño Jesús premiada en el Congreso Nacional de la Sociedad de Cuidados Intensivos Pediátricos

Los doctores Miguel Ángel López Pino y Rafael González Díaz, entre los Mejores Médicos de España 2023

13 de julio de 2023. El diario digital "El Confidencial" ha elaborado un ranking de los Mejores Médicos de España en 2023 con el objetivo de poner en valor el sector sanitario y ofrecer un reconocimiento a los profesionales más prestigiosos dentro y fuera de nuestras fronteras en sus respectivas especialidades. Entre ellos figuran dos médicos del Hospital Niño Jesús: Rafael González Díaz y Miguel Ángel López Pino.

El Dr. Ricardo Martino premiado por su contribución a la humanización de la salud

13.11.2023. El Dr. Ricardo Martino, Jefe del Servicio de Cuidados Paliativos del Hospital Niño Jesús, ha sido galardonado, en los VIII Premios Humanizar, en la categoría Divulgación, *"por su liderazgo en el desarrollo de la cultura paliativa en la atención pediátrica"*.

ANEXOS

Anexo I: Ensayos clínicos y estudios observacionales

TITULO	PROMOTOR
EE.CC"Estudio Fase II de tratamiento con dasatinib en niños y adolescentes con leucemia mieloide crónica en fase crónica, recién diagnosticada o con leucemias Ph+, con resistencia o intolerancia a imatinib". (Dra. Alba Rubio San Simón)	Bristol-Myers Squibb International Corporation
EE.CC "Estudio intergrupo para niños o adolescentes con linfoma no-Hodking B o Leucemia Linfoblástica de Células B. Evaluación de eficacia y seguridad de rituximab en pacientes de alto riesgo – Fase II" – (Dra. Maitane Andión Catalán)	Institute Gustave Roussy
EE.CC "Estudio aleatorizado de Fase IIb con bevacizumab asociado a temozolomida ± irinotecán en niños y jóvenes con neuroblastoma resistente o recidivante. Ensayo BEACON-Neuroblastoma - (Dra. Alba Rubio San Simón)	Instituto La Fe (Valencia)
EE.CC"Estudio Fase II, multicéntrico, abierto, no controlado, para evaluar la eficacia y la seguridad de nilotinib oral en pacientes pediátricos con leucemia mieloide crónica (LMC) Ph+ en fase crónica (FC) de nuevo diagnóstico o con LMC Ph+ en FC o fase acelerada (FA), resistente o intolerante a imatinib o a dasatinib". (Dra. Alba Rubio San Simón)	Novartis Farmacéutica, S.A.
EE.CC "Estudio de extensión abierto de HGT-HIT-094 para evaluar la seguridad y el resultado clínico a largo plazo de la idursuldasa intratecal (IT) administrada junto Elaprase® en pacientes con síndrome de Hunter y deterioro cognitivo" - (Dr. Luis González Gutierrez Solana)	Shire Human Genetics, Inc

TITULO	PROMOTOR
EE.CC ”Estudio de fase Ib/II de carfilzomib en combinación con dexametasona, mitoxantrona, PEG-asparaginasa y vincristina (esquema de inducción de UK R3) en niños con leucemia linfoblástica aguda recurrente o resistente” – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Amgen SA
EE.CC “International Randomised Controlled Trial of Chemotherapy for the Treatment of Recurrent and Primary Refractory Ewing Sarcoma” – (Dra. Alba Rubio San Simón).	University of Birminghan
EE.CC “Estudio en fase temprana, multicéntrico, abierto, de la seguridad y farmacocinética de Atezolizumab (MPDL3280A) en pacientes pediátricos y adultos jóvenes con tumores sólidos previamente tratados” – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Genentech, Inc.
EE.CC "Ensayo adaptativo de fase 3 aleatorizado, abierto y controlado para investigar la eficacia, seguridad y tolerabilidad del anticuerpo BiTE® blinatumomab como tratamiento de consolidación frente a la quimioterapia de consolidación convencional en sujetos pediátricos con leucemia linfoblástica aguda (LLA) de precursores B en primera recaída de alto riesgo". (Dra. Alba Rubio San Simón)	Amgen SA
EE.CC “Estudio Prospectivo Internacional De Meduloblastoma (Mb) En Niños Mayores De 3 A 5 Años Con Perfil Wnt Biológico (Pnet 5 Mb – Lr Y Pnet5 Mb-Wnt-Hr), Perfil-Medio De Riesgo Biológico (Pnet 5mb- Sr), O Mutación Tp53, Y Registro Para Mb Que Ocurran En El Contexto De Predisposición Genética” – (Dr. Álvaro Lassaletta Atienza)	Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas
EE.CC “Estudio abierto, secuencial, de búsqueda de dosis ascendentes y repetidas de sarilumab administrado con inyección subcutánea (s. c.) a niños y adolescentes con edades comprendidas entre 2 y 17 años con artritis idiopática juvenil de curso poliarticular (AIJP), seguido de una fase de extensión” – (Dr. Daniel Clemente Garulo)	Sanofi-Aventis Recherche&Développment(Representada Por Sanofi-Aventis, S.A.)
EE.CC.: Estudio aleatorizado, abierto, de seguridad y eficacia de Ibrutinib en pacientes pediátricos y adultos jóvenes con Linfoma No Hodgkin de células maduras B en recaída o refractario. – (Dra. Maitane Andion Catalan)	Janssen-Cilag International N.V.

TITULO	PROMOTOR
EE.CC.: Estudio abierto, secuencial, de búsqueda de dosis ascendentes y repetidas de sarilumab administrado con inyección subcutánea (s. c.) a niños y adolescentes con edades comprendidas entre 1 y 17 años con artritis idiopática juvenil sistémica (AIJS), seguido de una fase de extensión. – (Dr. Juan Carlos López Robledillo)	Sanofi Aventis SAU
EE.CC "Estudio Fase I-II de Vinblastina en Combinación con Nilotinib en Niños, Adolescentes, y Adultos jóvenes con Glioma de bajo grado Refractario o Recurrente". (Dra. Alba Rubio San Simón)	Gustave Roussy (representado por la Fundació Sant Joan de Déu)
EE.CC "CH-IV International Collaborative Treatment Protocol for Children and Adolescents with Langerhans Cell Histiocytosis". (Dr. David Ruano Domínguez)	Children´s Cancer Research Institute
EE.CC "Ensayo Fase II abierto, basado en riesgo, adaptado a la respuesta, de nivolumab + brentuximab vedotina (N+Bv) en niños, adolescentes y adultos jóvenes con linfoma de Hodgkin clásico (LHc) CD30+ en recidiva/refractario (R/R) después del fracaso del tratamiento de primera línea, seguido de brentuximab + bendamustina (Bv+B)" – (Dra. Maitane Andión Catalan)	Bristol-Myers Squibb International Corporation
EE.CC "Ensayo Fase II de nab-paclitaxel para el tratamiento de tumores desmoides y tumores desmoplásicos de células pequeñas y redondas y sarcoma de Ewing en recaída múltiple o refractarios" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Grupo Español de Investigación (GEIS)
EE.CC "Ensayo Fase Ib/II de nivolumab en monoterapia y nivolumab en combinación con ipilimumab en sujetos pediátricos con neoplasias malignas primarias del SNC de alto grado." – (Dr. Álvaro Lassaletta Atienza)	Bristol-Myers Squibb International Corporation
EE.CC "Estudio clínico de Fase II de Pomalidomida (CC-4047) en monoterapia para niños y adultos jóvenes con tumores cerebrales primarios o recurrentes o progresivos". – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Celgene Corporation
EE.CC "Ensayo clínico aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la seguridad, tolerabilidad, la farmacocinética y la eficacia de una única infusión de bezlotoxumab (MK-6072, anticuerpo monoclonal humano	Merck Sharp & Dohme

TITULO	PROMOTOR
frente a la toxina B de C. difficile) en niños y adolescentes de 1 a menos de 18 años que reciben tratamiento antibacteriano para la infección por C. difficile (Modify III)" – (Dr. Alvaro Lassaletta Atienza)	
EE.CC "Estudio de Fase II abierto global para evaluar el efecto de dabrafenib en combinación con trametinib en pacientes niños y adolescentes con Glioma de Alto Grado (HGG) recidivante o refractario con mutación BRAF V600 positiva." - Dra. Alba Rubio San Simón	Novartis Farmacéutica, S.A.
EE.CC "Research study for treatment of children and adolescents with acute myeloid leukaemia 0-18 years" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Västra Götaland Regionen
EE.CC "Estudio aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo psicoactivo para evaluar la eficacia y la seguridad de esketamina intranasal en 3 dosis fijas (28 mg, 56 mg y 84 mg) junto con la asistencia integral convencional en la reducción rápida de los síntomas de trastorno depresivo mayor, incluida la ideación suicida, en pacientes pediátricos considerados en riesgo de suicidio inminente". – (Dra. Natalia Rodríguez Criado)	Janssen-Cilag, S.A.
EE.CC "Ensayo Fase I/II de bosutinib en pacientes pediátricos con leucemia mieloide crónica que son resistentes o intolerantes a al menos una terapia con inhibidor de tirosina kinasa, ITCC-054/AAML1621." – (Dra. Alba Rubio San Simón)	ERASMUS UNIVERSITY MEDICAL CENTRE
EE.CC "Estudio de Fase I, abierto y aleatorizado para evaluar la farmacocinética, la farmacodinámica y la seguridad de etrolizumab seguido de una extensión abierta y una vigilancia de la seguridad en pacientes pediátricos de 4 a menos de 18 años de edad con colitis ulcerosa de moderada a grave o enfermedad de Crohn de moderada a grave". (Dra. Marta Velasco Rodríguez-Belvis)	F.Hoffmann La Roche
EE.CC "IntReALL HR 2010 International Study for Treatment of High Risk Childhood Relapsed ALL 2010" (Dr. Alvaro Lassaletta Atienza)	Charité-University Medicine Berlin

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Ensayo abierto, multicéntrico, de Fase II que evalúa la eficacia y seguridad de Daratumumab en pacientes pediátricos y jóvenes adultos entre ≥1 y ≤30 años con leucemia linfoblástica aguda o linfoma linfoblástico de precursores de células B y T en recaída o refractarios al tratamiento" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Janssen-Cilag International N.V.
EE.CC "SIOP Ependimoma II - Programa clínico internacional para el diagnóstico y tratamiento de niños, adolescentes y adultos jóvenes con ependimoma" – (Dr. Alvaro Lassaletta Atienza)	Centre León Bérad
EE.CC "Estudio de Fase I/II, multicéntrico, abierto, a un solo brazo, de ruxolitinib añadido a corticosteroides en pacientes pediátricos con enfermedad aguda de injerto contra huésped de grado II-IV tras trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas" – (Dra. Marta González Vicent)	Novartis Farmacéutica, S.A.
EE.CC "Estudio multicéntrico de Fase 1/2 de aumento escalonado de la dosis, para evaluar la seguridad, la farmacocinética, la farmacodinámica y la eficacia de Quizartinib, en combinación con quimioterapia de reinducción y como tratamiento de mantenimiento con un solo agente, en pacientes pediátricos con MLA refractaria o en recaída de entre 1 mes y 18 años (y adultos jóvenes e hasta 21 años) con mutaciones de FLT3-ITD" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	DaIlchi Sankyo Inc
EE.CC "Estudio abierto, de brazo único, multicéntrico, para ampliar el acceso a emapalumab, un anticuerpo monoclonal anti-interferón gamma (anti-IFN#), y para evaluar su eficacia, seguridad, impacto en la calidad de vida y resultados a largo plazo en pacientes de pediatría con linfohistiocitosis hemofagocítica primaria" – (Dr. Julian Sevilla Navarro)	NovImmune, S.A.
EE.CC "Estudio de Fase Ib/II, multicéntrico, abierto, de un solo brazo y con varias cohortes para evaluar la seguridad y la eficacia de JCAR017 en pacientes pediátricos con LLA-B y LNH-B recidivante/resistente (TRANSCEND PEDALL)" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Celgene Corporation

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Biological Medicine for Diffuse Intrinsic Pontine Glioma (DIPG) Eradication". (Dra. Alba Rubio San Simon)	Gustave Roussy (representado por la Fundació Sant Joan de Déu)
EE.CC "Ensayo Clínico Fase 1/2 de un brazo para evaluar la seguridad y la eficacia del Mesilato de Eribulina en combinación con Irinotecán en niños con tumores sólidos refractarios o recurrentes" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Esai Limited
EE.CC "Estudio fase 3 aleatorizado, abierto, para evaluar la Eficacia, Seguridad y Farmacocinética del tratamiento de Golimumab, un anticuerpo humano monoclonal anti-TNFα, administrado por vía subcutánea en pacientes pediátricos con Colitis Ulcerosa activa de moderada a severa" – (Dra. Marta Velasco Rodríguez-Belvis)	Janssen-Cilag, S.A.
EE.CC "Ensayo clínico en Fase II para evaluar la eficacia de la infusión de células autólogas CD34+ transducidas con un vector lentiviral portador del gen FANCA (Medicamento Huérfano) en pacientes con anemia de Fanconi subtipo A" / "A Phase II Clinical Trial to Evaluate the Efficacy of the Infusion of Autologous CD34+ Cells Transduced with a Lentiviral Vector Carrying the FANCA Gene (Orphan Drug) in Patients with Fanconi Anemia Subtype A" – (Dr. Julián Sevilla Navarro)	Rocket Pharmaceuticals, Inc
EE.CC "Terapia génica para la Deficiencia de Adhesión Leucocitaria Tipo I (LAD-I): Ensayo clínico en Fase I para evaluar la seguridad y la eficacia de la infusión de células madre hematopoyéticas autólogas transducidas con un vector lentiviral que codifica el gen ITGB2" / "Gene Therapy for Leukocyte Adhesion Deficiency-I (LAD-I): A Phase I Clinical Trial to Evaluate the Safety and Efficacy of the Infusion of Autologous Hematopoietic Stem Cells Transduced with a Lentiviral Vector Encoding the ITGB2 Gene". - Dr. Julián Sevilla Navarro	Rocket Pharmaceuticals, Inc
EE.CC "Estudio de fase 2b, abierto y de un solo grupo para evaluar la farmacocinética, la eficacia, la seguridad y la tolerabilidad de letermovir en participantes pediátricos desde el nacimiento hasta menos de 18 años con riesgo de sufrir infección y/o enfermedad por CMV después de un trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas (TCMH)" – (Dra. Marta González Vicent)	Merck, Sharp&Dohme de España, S.A.

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Estudio prospectivo español de pacientes hematológicos pre y postrasplante hematopoyético que ingresan en unidades de cuidados intensivos: análisis de la práctica clínica, resultados en salud, factores pronósticos y utilización de recursos sanitarios." de Tipo EPA-SP". – (Dr. Alvaro Lassaleta Atienza)	GETH (Grupo Español de Trasplante Hematopoyético y Terapia Celular)
EE.CC "Estudio de fase 3, multicéntrico, aleatorizado, comparativo con placebo, con enmascaramiento doble y grupos paralelos, en el que se evalúa la farmacocinética, la eficacia y la seguridad de baricitinib en niños enfermos ambulatorios con dermatitis atópica moderada o grave"	Lilly, S.A.
EE.CC "Estudio de fase 3, multicéntrico, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia y la seguridad de apremilast (CC-10004) en pacientes pediátricos de 6 a 17 años con psoriasis en placas de moderada a grave". (Dra. Ángela Hernández Martín)	AMGEN Inc
EE.CC "Estudio clínico de fase 2/3, abierto, aleatorizado y con control activo para evaluar la seguridad, tolerabilidad, eficacia y farmacocinética de MK-7655A en participantes pediátricos desde el nacimiento hasta menos de 18 años de edad con infección bacteriana por gramnegativos confirmada o sospechada"- (Dra. Montserrat Nieto Moro)	Merck Sharp & Dohme Corp.
EE.CC "Ensayo de Fase pivotal 2 del anticuerpo Naxitamab (hu3F8) y factor estimulante de colonias de granulocitos y macrófagos (GM- CSF) en pacientes con Neuroblastoma de alto riesgo con enfermedad refractaria primaria o con respuesta incompleta al tratamiento de rescate en el hueso y / o médula ósea " – (Dra. Alba Rubio San Simon)	YmAbs Therapeutics
EE.CC "Estudio de fase I/II, abierto, multicéntrico para evaluar la seguridad, la tolerabilidad y la eficacia preliminar de Durvalumab en monoterapia o Durvalumab en combinación con Tremelimumab en pacientes pediátricos con tumores sólidos avanzados y neoplasias malignas hematológicas" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	AstraZeneca AB
EE.CC"Estudio de Fase II de terapia metronçomica dirigida contra la angiogénesis en niños con meduloblastoma recurrente/progresivo" – (Dr. Alvaro Lassaletta Atienza)	Medizinische Universität Wien (representada por (SOFPROMED)

TITULO	PROMOTOR
EE.CC.: Ensayo Fase I de escalado de dosis, multicéntrico, abierto, no aleatorizado, de Regorafenib (BAY 73-4506) en pacientes pediátricos con tumores sólidos malignos recurrentes o refractarios al tratamiento estándar.(Dra. Alba Rubio San Simon)	Bayer Hispania SA
EE.CC"Estudio de fase 3, multicéntrico, en el que se evalúan la seguridad y la eficacia a largo plazo de baricitinib en pacientes de entre 1 y menos de 18 años con artritis idiopática juvenil (AIJ) – (Dr. Daniel Clemente Garulo)	Lilly, S.A.
EE.CC "Estudio aleatorizado, con enmascaramiento doble y comparativo con un placebo, en el que se evalúan la eficacia, la seguridad y la retirada del tratamiento con baricitinib por vía oral en pacientes con artritis idiopática juvenil (AIJ) de entre 2 y menos de 18 años" – (Dr. Daniel Clemente Garulo)	Lilly, S.A.
EE.CC"Estudio de extensión multicéntrico y abierto para evaluar los efectos a largo plazo en pacientes pediátricos tratados con Tafinlar (dabrafenib) y/o Mekinist (trametinib)" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Novartis Farmacéutica, S.A.
EE.CC "Estudio en fase I/II de búsqueda de dosis y de la eficacia y seguridad de ibrutinib en pacientes pediátricos con enfermedad del injerto contra el huésped crónica (EICHc)" - (Dra. Marta González Vicent)	Pharmacyclics LLC
EE.CC "A phase I/II study of Inotuzumab Ozogamicin as a single agent and in combination with chemotherapy for pediatric CD22-positive relapsed/refractory Acute Lymphoblastic Leukemia, Study ITCC-059". – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Erasmus University Medical Center
EE.CC "Ensayo Doble Ciego, Aleatorizado, Controlado Con Placebo Y De Fase Ii/Iii Sobre La Eficacia Y La Tolerabilidad De Un Tratamiento Con Suspensión Oral De Budesonida En Comparación Con Placebo En Niños Y Adolescentes Con Esofagitis Eosinofílica". – (Dra. Gloria Domínguez Ortega)	DR. FALK PHARMA GMBH
EE.CC "LBL 2018 - Protocolo de tratamiento cooperativo internacional para niños y adolescentes con linfoma linfoblástico". – (Dra. Maitane Andión Catalan)	Sociedad Española de Hematologia y Oncologia Pediatrica

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Ensayo clínico Europeo basado en la estratificación terapéutica según las alteraciones moleculares presentes en los pacientes con tumores refractarios o en recaída" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Institute Gustave Roussy
EE.CC "Estudio sin enmascaramiento, comparativo con un tratamiento activo, en el que se evalúan la seguridad y la eficacia del tratamiento con baricitinib por vía oral en pacientes de entre 2 y menos de 18 años que presentan uveítis asociada con artritis idiopática juvenil activa o uveítis anterior crónica y anticuerpos antinucleares.". – (Dr. Daniel Clemente Garulo)	Lilly, S.A.
EE.CC "Estudio de fase 1/2, abierto y de un solo brazo que evalua la seguridad y eficacia del ponatinib para el tratamiento de leucemias o tumores sólidos recurrentes o refractarios en pacientes pediátricos" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Incyte Biosciences International Sárl
EE.CC "Ensayo de fase II, abierto, multicéntrico y no controlado de MK 3475 (pembrolizumab) en niños y adultos jóvenes con linfoma de Hodgkin clásico recién diagnosticado y respuesta insuficiente (precoz lenta) a la quimioterapia de primera línea (KEYNOTE 667)" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Merck Sharp&Dohme Corp.
EE.CC "Estudio De Fase I/Ii, Abierto, Multicéntrico, De Múltiples Brazos, para evaluar la seguridad, la tolerabilidad, la farmacocinética y la actividad preliminar de Idasanutlina en combinación con quimioterapia o venetoclax en el tratamiento de pacientes pediátricos y adultos jóvenes con leucemias agudas o tumores sólidos recidivantes/refractarios" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	F. Hoffmann-La Roche, Ltd.
EE.CC "Ensayo en Fase I/Ii, abierto, de escalada y expansión de la dosis de Entrectinib (Rxdx-101) en pacientes pediátricos con tumores del Snc primarios o sólidos localmente avanzados o metastásicos y/o que no tienen opciones de tratamiento satisfactorias" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	F. Hoffmann-La Roche, Ltd.
EE.CC " Estudio fase 2 de erdafitinib en sujetos con tumores sólidos avanzados y alteraciones en el gen FGFR". – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Janssen-Cilag International, N.V.

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "A Phase 2, Open-Label, Non-Comparative, Multicenter Study to Evaluate the Safety and Tolerability, Efficacy and Pharmacokinetics of Isavuconazonium Sulfate for the Treatment of Invasive Aspergillosis (IA) or Invasive Mucormycosis (IM) in Pediatric Subjects" - Dr. Alvaro Lassaletta Atienza)	Astellas Pharma Global Development, Inc
EE.CC "Ensayo estudio Protocolo para el seguimiento a largo plazo de pacientes tratados con linfocitos T modificados genéticamente." – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Celgene Corporation
EE.CC "Estudio de fase I, abierto, de grupos paralelos para investigar la seguridad, la tolerabilidad, la eficacia y la farmacocinética de olaparib en pacientes pediátricos con tumores sólidos". – (Dra. Alba Rubio San Simon)	AstraZeneca AB
EE.CC "Estudio aleatorizado, con enmascaramiento doble y comparativo con un placebo, en el que se evalúan la eficacia, la seguridad y la retirada del tratamiento con baricitinib por vía oral en pacientes con artritis idiopática juvenil de entre 1 y menos de 18 años" – (Dr. Daniel Clemente Garulo)	Lilly, S.A.
EE.CC "Estudio en fase 2, multicéntrico, abierto y aleatorizado para comparar la eficacia y la seguridad de Lenvatinib en combinación con Ifosfamida y Etopósido frente a Ifosfamida y Etopósido en niños, adolescentes y adultos jóvenes con Osteosarcoma recidivante o resistente (OLIE). – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Eisai Limited
EE.CC "Seguimiento a largo plazo: estudio clínico de fase I/II para evaluar la seguridad y la eficacia de la infusión de células CD34+ autólogas transducidas con un vector lentiviral portador del gen FANCA (medicamento huérfano) en pacientes con anemia de Fanconi subtipo A: FANCOLEN-I". – (Dr. Julian Sevilla Navarro)	Rockets Pharmaceuticals, Inc
EE.CC "Ensayo de cesta en fase II, multicéntrico y abierto para evaluar la actividad antitumoral y la seguridad de lenvatinib en niños, adolescente y adultos jóvenes con tumores malignos sólidos recidivantes o resistentes". – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Merck Sharp & Dohme Corp.

TITULO	PROMOTOR
EE.CC"Terapia génica para la deficiencia de adhesión leucocitaria Tipo I (LAD-I): Ensayo clínico en Fase I/II para evaluar la seguridad y la eficacia de la infusión de células madre hematopoyéticas autólogas transducidas con un vector lentiviral que codifica el gen ITGB2". – (Dr. Julian Sevilla Navarro)	Rocket Pharmaceuticals, Inc.
EE.CC"Terapia génica para la deficiencia de piruvato quinasa (PKD): un ensayo clínico de fase I para evaluar la seguridad de la infusión de células CD34 + autólogas transducidas con un vector lentiviral que contiene el gen de piruvato quinasa de glóbulos rojos (CoRPK) con optimización de codones en sujetos adultos y pediátricos con PKD" - (Dr. Julian Sevilla Navarro)	Rocket Pharmaceuticals, Inc.
EE.CC "Estudio de fase 1 en el que se evalúa LY3295668 erbumina, un inhibidor de la cinasa Aurora A, en monoterapia y en politerapia en pacientes con neuroblastoma recidivante o resistente al tratamiento" . (Dra. Alba Rubio San Simon)	Lilly, S.A.
EE.CC "Ensayo de ampliación a largo plazo sobre la setmelanotida (RM-493) para pacientes que han completado un ensayo con setmelanotida para el tratamiento de la obesidad asociada con defectos genéticos en etapa anterior del receptor MC4 en la vía leptina-melanocortina" – (Dr. Jesús Argente Oliver)	Rhythm Pharmaceuticals, Inc
EE.CC "Estudio de extensión de fase 3b, multicéntrico, abierto y a largo plazo de apremilast (CC-10004) en pacientes pediátricos de 6 a 17 años con psoriasis en placas de moderada a grave)". – (Dra. Ángela Hernández Martín)	Amgen Inc
EE.CC "Estudio de fase 1b de aumento de la dosis de abemaciclib en combinación con temozolomida e irinotecán (parte A) y de abemaciclib en combinación con temozolomida (parte b) en niños y adultos jóvenes con tumores sólidos recidivantes/resistentes al tratamiento" – (Dr. Alvaro Lassaletta Atienza)	Lilly, S.A.
EE.CC "Estudio de fase 1, multicéntrico, abierto, con intensificación de dosis y expansión de cohorte con Niraparib y Dostarlimab en pacientes pediátricos con tumores sólidos recurrentes o refractarios". – (Dr. Alvaro Lassaletta Atienza)	Glaxosmithkline, S.A.

TITULO	PROMOTOR
EE.CC " Estudio fundamental de fase 1/2, con un solo grupo, abierto, para evaluar la seguridad y la eficacia de ponatinib con quimioterapia en pacientes pediátricos con leucemia linfoblástica aguda (LLA) con cromosoma Filadelfia positivo (Ph+) que han recaído o son resistentes o intolerantes a un tratamiento previo con un inhibidor de la tirosina quinasa o que tienen la mutación T315I." – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Takeda Development Center Américas, Inc
EE.CC "Ensayo internacional de fase III en leucemia linfoblastica aguda positiva para cromosoma Filadelfia (LLA Ph+) de evaluacion de imatinib en combinacion con dos diferentes esquemas de quimioterapia citotóxica" – (Dra.Blanca Herrero Velasco)	FSEHOP
EE.CC " Estudio multicntrico, sin enmascaramiento, con un grupo de referencia con adalimumab, para evaluar la eficacia, seguridad, tolerabilidad y farmacocinética de ixekizumab por vía subcutánea en niños con los subtipos de artritis idiopática juvenil: artritis relacionada con entesitis (incluida la espondilitis anquilosante de aparición durante la infancia) y artritis psoriásica juvenil." – (Dr. Daniel Clemente Garulo)	Lilly, S.A.
EE.CC "Ensayo Clínico abierto, Fase II para evaluar la eficacia y seguridad del uso de eltrombopag en niños y adolescentes con Anemia de Fanconi (AF)." – (Dr.Julian Sevilla Navarro)	FIB HOSPITAL IU NIÑO JESÚS (Representada por Alpha Bioresearch, S.L.)
EE.CC “Estudio de Fase III, abierto y Multicéntrico para evaluar la eficacia y seguridad de DARVADSTROCEL en el tratamiento de la fistula perianal compleja en poblacion pediátrica con enfermedad de CROHN durante 24 semanas y un periodo de seguimiento extendido de hasta 52 semanas" – (Dr. Jose Lorenzo Alonso Calderon)	Takeda Development Center Américas, Inc
EE.CC "Infusion de Celulas natural Killer Aloreactivas o Estimuladas con IL-IS Ex Vivo tras trasplante haploidentico de progenitores hematopoyecticos en pacientes pediatricos con neoplasias Hematologicas" – PHINK – (Dra. Marta González Vicent)	Fundacion Investigacion Biomedica Hospital Univsersitario "La Paz"
EE.CC " Ensayo Clinico Plataforma en Fase Ii de Inmuno-Oncología de precisión con indicación tumor agnóstica para mutaciones somáticas específicas (TAPISTRY)" - (Dra. Alba Rubio San Simon)	Roche Farma SA

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Estudio fase I/II multicéntrico, abierto para evaluar la seguridad, farmacocinética y eficacia de ALECTINIB en pacientes pediátricos con tumores sólidos o del snc con fusión alk positiva, en los que el tratamiento previo ha resultado ineficaz o para los que no se dispone de un tratamiento adecuado" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Roche Farma SA
EE.CC "Estudio Fase 1/2 de bempegaldesleukin en combinación con nivolumab en niños, adolescentes y adultos jovenes con neoplasias malignas recidivantes o refractarias (PIVOT IO 0209" – (Dr. Alvaro Lassaletta Atienza)	Bristol – Myers Squibb Corporations
EE.CC "Ensayo fase I, de un solo brazo, secuencial, para evaluar el efecto de los alimentos sobre la seguridad y la farmacocinética de selumetinib después de dosis multiples en niños adolecentes con nerofibromas plexiformes (NP) asociados a neurofibromatosis tipo 1 (NF1)" – (Dr. Alvaro Lassaletta Atienza)	Astrazeneca AB
EE.CC "Ensayo clinico para evaluar la eficacia y seguridad de la adicion de la granolucitoafereses al tratamiento con infliximab en pacientes pediatricos con colitis ulcerosa corticorfesistente" – (Dra. Laura Maria Palomino Perez)	Adhoma Health Research
EE.CC "Estudio fase 2 y 3 desarrollo de un módulo para adolescentes y adultos jóvenes de 14 a 39 años y validación del EORTC QLQ-C030 con jóvenes de 12 a 17 años con cáncer" – (Betty Mecedes Illatopa)	European Organisation for Researh and Treatment of Cancer
EE.CC "Vyxeos® (daunorrubicina y citarabina liposomal) en combinación con clofarabina en niños con LMA recidivante/refractaria, estudio ITCC-092 – (Dra. Alba Rubio San SImon)	Erasmus University Medical Center
EE.CC"Estudio abierto sobre la seguridad y la eficacia del Cenobamato (YKP3089) en pacientes pediatricos con crisis de inicio parcial (Foc) – (Dr. Victor Miguel Soto Insuga)	Pharmaceutical Research Associates
EE.CC "Estudio de Induccion abierto y de mantenimiento de CP-690, 550 (TOFACITINIB) oral en niños con colitis ulcerosa moderada a gravemente activa" – (Dra. Marta Velasco Rodríguez-Belvis)	Pfizer SL

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Estudio abierto, de un solo grupo y 52 semanas de duracion, para investigar la eficacia y seguridad de mepolizyumab SC en participantes de 6 a 17 años de edad con sindrome hipereosinofilico" – (Dr. Julian Sevilla Navarro)	Glaxosmithkline, S.A.
EE.CC"Estudio en fase III de XEN496 complementario en pacientes pediatricos con encefalopatia epileptcia y del desarrollo asociada al gen KCNQ2" – (Dr. Victor Miguel Soto Insuga)	Xenon Pharmaceuticals INC
EE.CC "Estudio de prolongacion sin enmascaramiento con XEN496 en niños que padecen encefalopatia epiléptica y del desarrollo por KCNQ2" – (Dr. Victor Miguel Soto Insuga)	Xenon Pharmaceuticals INC
EE.CC "Estudio de Fase IB, abierto y unico brazo para evaluar la Farmacocinética, la Farmacodinamia y la Seguridad de TOCILIZUMAB en pacientes Pediatricos Hospitalizados con COVID-19" – (Dra. Montserrat Nieto Moro)	F. Hoffmann-La Roche, Ltd
EE.CC “Fase 1B de crizotinib en combinación o como agente único en pacientes pediátricos con tumores malignos positivos para ALK, ROS1 o MET” – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Erasmus Medical Center
EE.CC "Estudio en fase II, doble ciego y controlado con placebo de setmelanotide en pacientes con defectos genéticos específicos en la vía del receptor de la melanocortina 4, en dos etapas (preinclusion abierta seguida de retirada aleatorizada" – (Dr. Jesús Argente Oliver)	Rhythm Pharmaceuticals, Inc
EE.CC "Estudio en fase III, aleatorizado, doble ciego, controlado, para evaluar la eficacia y la seguridad de la terapia combinada con VX-121 en sujetos con fibrosis quística que son heterocigotos para la mutación F508del y una mutación de función mínima (F/MF)” – (Dr. Alejandro Lopez Neyra)	Vertex Pharmaceuticals Incorporated
EE.CC "Estudio Fase 1b, abierto, de un solo brazo de tratamiento con Epcoritamab en pacientes pediátricos con neoplasias de células B maduras recidivantes / refractarias" – (Dra. Maitane Andión Catalán)	AbbVie Spain, S.L.U.

TITULO	PROMOTOR
EE.CC" Estudio en fase III, multicentrico, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacacia y la seguridad de mitapivat en sujetos pediatricos con deficiencia de piruvato cinasa que no reciben transfusiones con regularidad, seguido de un periodo de extension abierto de 5 años" – (Dr. Julian Sevilla Navarro)	Agios Pharmaceuticals Inc
EE.CC "Estudio en fase III doble ciego, aleatorizado, controlado con placebo, para evaluar la eficacia y la seguridad de ELX/TEZ/IVA en sujetos con fibrosis quística de 6 años o más con una mutación de CFTR no F508 del que responde a ELX/TEZ/IVA" – "Dr. Alejandro Lopez Neyra)	Vertex Pharmaceuticals Incorporated
EE.CC "Estudio en Fase I/II de la seguridad, tolerabilidad, farmacocinética y eficacia preliminar de relatilimab más nivolumab en participantes pediátricos y adultos jóvenes con linfoma de Hodgking clásico y linfoma no Hodgkin recurrentes o resistentes" – (Dra. Maitane Andión Catalán)	Syneos Health UK Limited
EE.CC "Estudio abierto de fase III, multicentrico y de un año de setmelanotida en pacientes pediátricos de 2 a 6 años de edad con causas genéticas raras de obesidad" – (Dr. Jesús Argente Oliver)	Rhythm Pharmaceuticals, Inc
EE.CC "Ensayo clínico Multicéntrico, abierto y de un solo grupo para evaluar la farmacocinética, la seguridad y la eficacia de Nemolizumab (CD14152) en sujetos pediátricos (de 2 a 11 años) con dermatitis atópica de moderada a grave"- (Dr. Antonio Tórrelo Fernandez)	Galderma SA
EE.CC "Estudio abierto en fase III que evalúa la eficacia y la seguridad a largo plazo de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor en pacientes con fibrosis quística con genotipos que no son CFTR F508del" – (Dr. Alejandro Lopez Neyra)	Vertex Pharmaceuticals Incorporated
EE.CC "Estudio de Fase I/II de Brigatinib en pacientes pediátricos y adultos jóvenes con linfoma anaplásico de células grandes ALK+, tumores miofibroblastos inflamatorios u otros tumores sólidos" – (Dra. Maitane Andión Catalán)	Princess Maxima Center for Pediatric Oncology BV

TITULO	PROMOTOR
EE.CC. "Estudio fases 2/3, multicéntrico, aleatorizado, doble ciego para evaluar la eficacia, seguridad, farmacocinética y farmacodinamia de ozanimod oral (RPC1063) en pacientes pediátricos con colitis ulcerosa activa de moderada a grave con respuesta insuficiente al tratamiento convencional" – (Dra. Laura Maria Palomino Pérez)	Celgene Corporation
EE.CC "Estudio de fase II, abierto, de un solo grupo y con dosis repetidas, para evaluar la seguridad y tolerabilidad, la farmacocinética y la actividad antiviral de maribavir para el tratamiento de la infección por el citomegalovirus (CMV) en niños y adolescentes que han recibido un trasplante de células madre hematopoyéticas (HSCT) o un trasplante de órgano sólido " – (Dra. Blanca Molina Angulo)	Takeda Development Center America
EE.CC "Ensayo en fase III, doble ciego, aleatorizado y controlado con placebo del tratamiento adjuvante con ganaxolona (GNX) en niños y adultos con epilepsia relacionada con la esclerosis tuberosa (CET)" – (Dra. Beatriz Bernardino Cuesta)	Marinus Pharmaceuticals INC
EE.CC "Estudio de fase 2, aleatorizado, sin enmascaramiento, en el que se evalúa abemaciblib en combinación con irinotecán y temozolomida en participantes con sarcoma de Ewing recidivante o resistente al tratamiento" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Lilly, S.A.
EE.CC "Ensayo de Fase I/II abierto, de un solo grupo y dos partes para evaluar la seguridad, tolerabilidad, farmacocinética y actividad antitumoral de Glofitamab en combinación con quimio inmunoterapia en participantes pediátricos y adultos jóvenes con linfoma no nodgkin de células B maduras en recaída o refractario" – (Dra. Maitane Andión Catalán)	Roche Farma SA
EE.CC "TEMOKIDS - Estudio farmacocinético para evaluar la aceptabilidad y la seguridad en la población de Kimozo, una suspensión oral pediátrica de temozolomida" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Orphela Pharma SA

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Estudio de fase 2/3 multicéntrico, doble ciego y aleatorizado para determinar la eficacia y la seguridad de DNL310 frente a idursulfasa en participantes pediátricos con mucopolisacáridos neuronopatica o no neuronopatica de tipo II" – (Dra. Beatriz Bernardino Cuesta)	Denali Therapeutics
EE.CC "Estudio abierto multicéntrico fase 1/2 de Surufatinib en combinación con Gemcitabina en pacientes pediátricos adolescentes y adultos jóvenes con tumores sólidos recurrentes o refractarios" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Hutchemed LImited
EE.CC "Estudio en Fase I/II para evaluar PALBOCICLIB (IBRANCE) en combinación con IRINOTECAN Y TEMZOLOMIDA o en combinación con TOPOTECAN Y CICLOFOSFAMIDA en pacientes pediátricos con tumores sólidos recurrentes o resistentes al tratamiento" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Pfizer SL
EE.CC "Estudio propectivo, aleatorizado, abierto, en fase II para evaluar la superioridad de Inotuzumab Ozogamicina en monoterapia frente a ALLR3 para el tratamiento de induccion de la leucemia linfoblastica aguda infantil de precursores de células B en primera recidiva de alto riesgo" – Dra. Alba Rubio San Simon	Pfizer SL
EE.CC "Estudio de fase II, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia y la seguridad de la pimavanserina para el tratamiento de la irritabilidad asociada al trastorno del especto autista" – Dra. Silvia Gutierrez Priego	Acadia Pharmaceuticals
EE.CC "Estudio de extension abierto de 52 semanas para evaluar pimavanserina en niños y adolescentes con irritabilidad asociada al trastorno del espectro autista (TEA)" – (Dra. Silvia Gutierrez Priego)	Acadia Pharmaceuticals
EE.CC "Ensayo de fase I-II de sunitinib y/o nivolumab mas quimioterapia en sarcomas avanzados de tejidos blandos y oseos" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Grupo Español de Investigación (GEIS)

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Ensayo aleatorio de fase III de fludarabina/citarabina/gemtuzumab ozogamicina con o sin venetoclax en niños con LMA recidivante" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Princess Maxima Center for Pediatric Oncology BV
EE.CC "Estudio en fase II/III, multicentrico, aleatorizado, doble ciego, para evaluar la eficacia , la seguridad, la farmacocinetica y la farmacodinamica de ozanimod por via oral (RPC1063) en participantes pediatricos con enfermedad de Crohn de moderada a intensamente activa a una respuesta inadecuada al tratamiento convencional" – (Dra. Laura Maria Palomino Perez)	Celgene Corporation
EE.CC"Ensayo en monoterapia, aleatorizado, simple ciego (evaluador), de grupos paralelos para evaluar la farmacocinética y la seguridad de tralokinumab en niños (de 2 a<12 años) con dermatitis atópica de moderada a grave. – (Dr.Antonio Torrelo Fernández)	LEO-PHARMA A/S
EE.CC “Ensayo clínico fase III abierto, aleatorizado, controlado, de no inferioridad, para evaluar la eficacia y seguridad de pautas cortas ambulatorias de amoxicilina en niños con faringoamigdalitis aguda estreptocócica " – (Dr.Jose Antonio Alonso Cadenas)	Fundacion Para La Investigacion Biomedica Hospital Infantil Universitario Niño Jesus
EE.CC “Estudio en fase III y abierto para evaluar la seguridad y la eficacia a largo plazo del tratamiento combinado VX-121 en sujetos con fibrosis quística” – (Dr.Alejandro Lopez Neyra)	Vertex Pharmaceuticals Inc
EE.CC “Seguimiento a largo plazo: Estudio clínico de fase I/II para evaluar la seguridad y la eficacia de la infusión de RP-L102” – (Dr.Julian Sevilla Navarro)	Rocket Pharmaceuticals Inc
EE.CC " Ensayo multicentrico, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo, de 20 semanas de duracion, de EPX-100 (clemizol HCI), como tratamiento complementario en pacientes con sindrome de Dravet (ensayo ARGUS) – Dr.Victor Soto Insuga)	Epygenix Therapeutics INC

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Ensayo clínico fase IV, aleatorizado, abierto, de grupos paralelos para evaluar la retirada precoz de antibióticos en pacientes pediátricos oncohematológicos con neutropenia febril (estudio eSTOP)". – (Dra. Blanca Herrero Velasco)	Fundacion Hospital Universitario Vall d Hebron
EE.CC "Teicoplanina como profilaxis de la infección en pacientes pediátricos con leucemia mieloide aguda" – (Dra. Ana Isabel Benito Bernal)	Fundacion Española de Hematologia y Oncologias Pediatricas (FSEHOP)
EE.CC.: Estudio Fase I, multicéntrico, abierto de de-escalado de dosis para evaluar la seguridad y eficacia de Talimogene Laherparepvec en pacientes pediátricos con tumores avanzados que no sean del sistema nervioso central y que sean tratables con inyección directa. – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Amgen, S.A.
EE.CC "Estudio fase 2 de la infusión de linfocitos T diferenciados autólogos de sangre periférica expandidos y transducidos con un lentivirus paraexpresar un receptor antigénico quimérico con especificidad anti-CD19 (A3B1)conjugado con las regiones coestimuladoras 4-1BB y CD3z (células ARI-0001) en niños y adolescentes de 0 a 18 años con leucemia lifoblástica aguda CD19+ resistente o refractaria a tratamiento" – (Dra. Blanca Herrero Velasco)	Fundacion Privada Per La Recerca Hosp. Sant Joan De Deu
EE.CC "A randomized, double-blind, placebo-controlled study to investigate the efficacy and safety of carisbamate (YKP509) as adjunctive treatment for seizures associated with Lennox-Gastaut syndrome in children and adults, with optional open-label extensión. – (Dr.Victor Soto Insuga)	Sk Life Sciencie Inc
EE.CC "Estudio en fase III, aleatorizado, abierto, de la combinación de dosis fija de nivolumab + relatlimab subcutáneo frente a la combinación de dosis fija de nivolumab + relatlimab intravenoso en participantes con melanoma metastásico o irresecable sin tratamiento previo" – (Dra. Alba Rubio San Simon)	Bristol Myers Squibb Intern.
EE.CC " Medidas de seguridad y terapeuticas de la estimulacion con corriente continua catodica transcraneal (TDCS) en pacientes con epilepsia focal resistente al tratamiento" – (Dr.Victor Soto Insuga)	Ergomed Clinical Research Limited

TITULO	PROMOTOR
EE.CC" Estudio de Fase I/II multicentrico en el que se evaluan la eficacia y la seguridad de ribociclib (LEE011) en combinacion con topotecan y temozolomida (TOEM) en pacientes pediatricos con neuroblastroma recidivante o refractario y otros tumores solidos" – (Dr.Alvaro Lassaletta Atienza)	Novartis Farmaceutica Sa
EE.CC "ONC 201 para el tratamiento del glioma difuso con mutacion H3 K27M recien diagnosticado tras la finalizacion de la radioterapia, estudio aleatorizado de dobe ciego, controlado con placebo y multicentrico" – (Dr.Alvaro Lassaleta Atienza)	Chimerix Inc
EE.CC "Ensayo en fase III, aleatorizado, internacional y multicentrico de DAY 101 en monoterapia frente a la quimioterapia estandar en pacientes con glioma pediatrico de bajo grado que presentan una alteracion de RAF activadora que requiere tratamiento sistemico de primera linea" – (Dr.Alvaro Lassaletta Atienza)	Day One Biopharmaceuticals Inc
EE.CC "Estudio de utilizacion de plataformas digitales para el control del tratamiento con insulina en paciente con diabetes mellitus tipo 1" – (Dra. Patricia Enes Romero)	Persei Vivarium Sl
EE.CC "Ensayo clinico abierto, Fase I para evaluar la seguridad y respuesta clinica de la infusion intra-arterial de dosis repetidas de celulas mesenquimales autologas en niños y adolescentes con epilepsias refractarias de base Inmune" – (Dra. Veronica Cantarin Extremera)	Fundacion Investigacion Biomedica Hospital Universitario La Princesa
EE.CC "Eficacia de un programa de rehabilitacion con el exoesqueleto ATLAS 2030 en pacientes pediatricos con paralisis cerebral" – (Dra. Maria Teresa Varas – Dr.Ignacio Martinez Caballero)	Marsibionic SL
EE.CC "Estudio de fase III, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo, para evaluar la eficacia, la seguridad y la farmacocinetica de LEBRIKIZUMAB en comparacion con placebo en participantes entre 6 meses y menos de 18 años de edad con dermatitis atopica de moderada a grave"- (Dr.Antonio Torrelo Fernández)	Lilly SA

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Estudio en fase III multicentrico, aleatorizado, doble ciego, de dosis fija, controlado con placebo para examinar la eficacia y la seguridad del ZX008 en pacientes con sindrome por deficienciade CDKL5 seguido de una extension abierta" – (Dr. Victor Soto Insuga)	Zogenix International Ltd
EE.CC "Estudio de extension multicentrico, doble ciego y de tres años de duracion en el que se evaluan la seguridad y la eficacia a largo plazo de ligelizumab en pacientes que hayan completado estudios de fase III de ligelizumab en alergia sanitaria" – (Dra. Maria Dolores Ibañez Sandin)	Novartis Farmaceutica SA
EE.CC "Seguimiento a largo plazo de la Terapia Genica de la deficiencia de adhesion leucocitaria tipo I (LAD-I): Estudio Clinico de fase I/II para evaluar la seguridad y la eficacia de la infusion de celulas madres hematopoyeticas autologas transducidas con un vector lentiviral que cofifica el gen ITGB2" – (Dr.Julian Sevilla Navarro)	Rocket Pharmaceutical Inc
EE.CC "Estudio aleatorizado de fase III, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia y la seguridad de la inmunoterapia epicutanea con DVB712 250 mg, en niños de entre 4 y 7 años con alergia al cacahuete" – (Dr.Pablo Rodriguez Del Rio)	Dbv Technologies Sa
EE.CC "Estudio de fase III abierto, metacentrico y aleatorizado para evaluar la eficacia y seguridad de romozosumab en comparacion con bisfosfonatos en niños y adolescentes con osteogenesis imperfecta" – (Dra. Alicia Garcia Carrión)	Amgen Inc
EE.CC "Ensayo de fase II, aleatorizado, sin enmascaramiento, controlado y multicentrico del tratamiento de primera linea con células mesenquimales estromales MC0518 en comparacion con el mejor tratamiento disponible en participantes pediatricos con enfermedad de injerto contra huesped aguda refractaria a esteroides despues de trasplante alogenico de celulas madre (ENSAYO BALDER) – (Dra. Marta Gonzalez Vicent)	Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate mbH

TITULO	PROMOTOR
EE.CC "Estudio de prolongación a largo plazo, de fase III, multicéntrico, para evaluar la seguridad y la eficacia de Lebrikizumab en participantes de entre 6 meses y menos de 18 años de edad con dermatitis atópica de moderada a grave" – (Dr. Antonio Torrelo Fernández)	Lilly SA
EE.CC "“High-risk neuroblastoma study 2.0 of SIOP-Europe-Neuroblastoma (SIOPEN). Randomized, international and multicentric phase 3 study that evaluates and compares 2 treatment strategies in 3 therapeutic phases (induction, high-dose chemotherapy and radiotherapy) for patients with high-risk neuroblastoma” – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Instituto de Investigacion Sanitaria LA FE - Fundacion para la investigacion del Hospitalo Universitario la Fe de la Comunidad Valencia
EE.CC "Seguridad y usabilidad de un dispositivo robotico de asistencia a la marcha para niños y adolescentes con enfermedades neurologicas y/o neuromusculares en su entorno natural" – (Dra. Maria Teresa Varas – Dr.Ignacio Martinez Caballero)	Marsibionic SL
EE.CC "Estudio abierto de fase III del tratamiento adyuvante con ganaxolona (GNX) en niños y adultos con epilepsia relacionada con el complejo de esclerosis tuberosa" – (Dra. Elena González Alguacil)	Marinus Pharmaceuticals INC
EE.CC "Protocolo de fase III aleatorizado de inducción abierta y mantenimiento doble ciego, de grupos paralelos, multicéntrico, para evaluar la eficacia, la seguridad y la farmacocinética de GUSELKUMAB en pacientes pediátricos con colitis ulcerosa activa de moderada a grave" – (Dra. Laura Maria Palomino Pérez)	Jannsen Cilag SA
E.O..: Registro observacional post-comercialización, multicéntrico y longitudinal de evaluación de la seguridad y la eficacia a largo plazo de Humira ® (adalimumab) en niños con artritis idiopática juvenil (AIJ) poliarticular o de evolución poliarticular de actividad entre moderada y grave”. – (Dr. Juan Carlos López Robledillo)	AbbVie Spain, S.L.U.

TITULO	PROMOTOR
E.O. : "Estudio prospectivo observacional de la expresión de ABCB1/P-glicoproteína como factor para la estratificación biológica del osteosarcoma no metastático de las extremidades" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Grupo Español de Investigación (GEIS)
E.O.: Un Registro no intervencionista a largo plazo para evaluar la seguridad y efectividad de HUMIRA® (adalimumab) en pacientes pediátricos con enfermedad de Crohn (EdC) activa entre moderada y grave (CAPE)" – (Dra. Marta Velasco Rodríguez-Belvis)	AbbVie Deutschland GmbH
E.O. : Registro observacional, longitudinal, prospectivo, a largo plazo de pacientes con hipofosfatasia. – (Dr. Gabriel A. Martos Moreno)	Alexión Pharmaceutical Inc
E.O. : "Estudio de resultados en Hunter –Seguimiento Internacional, multicéntrico, observacional y prolongado sobre pacientes con síndrome de Hunter (Mucopolisacaridosis de Tipo II)" – (Dr. Luis González Gutiérrez-Solana)	Shire International GmbH
E.O. : Registro longitudinal internacional de deficiencia de piruvato cinasa o piruvato quinasa. – (Dr. Julián Sevilla Navarro)	Agios Pharmaceuticals Inc
E.O. : Selección de pacientes con cáncer para acceder de forma eficiente a ensayos clínicos "SCREENING CANCER PATIENTS FOR EFFICIENT CLINICAL TRIAL ACCESS". – (Dra. Alba Rubio San Simón)	EORTC AISBL/IVZW
E.O. "Protocolo UMBRELA SIOP-RTSG 2016 - Investigación integrada y guías para diagnóstico y terapia estandarizados de tumores de riñón en niños, adolescentes y adultos jóvenes". – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Universität des Saarlandes
E.O. : Multicentre retrospective study of temozolomide use in pediatric refractory / relapsed neuroblastoma" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Instituto Gustave Roussy
E.O. "Estudio Postautorización: Entendiendo el tratamiento a largo plazo con Carbaglu para pacientes con acidemia orgánica: un enfoque de metodología mixta de Tipo EPA-SP." – (Dra. Elvira Cañedo Villarroya)	Orphan Europe

TITULO	PROMOTOR
E.O. : "International study of chronic myeloid leukemia (CML) treatment and outcomes in children and adolescents - Estudio internacional del tratamiento y resultados de la leucemia mieloide crónica (LMC) en niños y adolescentes (I-CML-Ped Study). – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Sociedad Española de Hematología y Oncología ediátrica
E.O. "Guía De Recomendaciones De La Sehop Para El Tratamiento De La Leucemia Linfoblástica Aguda O Bifenotípica Del Lactante Menor De 1 Año" – (Dra. Blanca Herrero Velasco)	Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátrica
E.O.: "Survivorship Passport". – (Dra. Blanca Herrero Velasco)	Fundación Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátrica (FSEHOP)
E.O. titulado: "Memoria para el estudio de esplenomegalia y pacientes esplenectomizados no filiados en población infantil y adulta." – (Dra. Elena Sebastián Pérez)	Fundación Española de Hematología y Hemoterapia
E.O."Registro Internacional multicéntrico prospectivo, observacional y no intervencional de pacientes con hipofosfatemia ligada a cromosoma X (XLH)". – (Dra. Carmen de Lucas Collantes)	Kyowa Kirin Services Limited
E.O. " Marcadores genéticos transciptómicos y celulares de respuesta a terapia biológica en enfermedad inflamatoria intestinal pediátrica." – (Da. Marta Velasco Rodríguez – Belvis)	Dr. Luis Andrés López Pérez (Servicio Farmacia HGUGM)
E.O. Titulado: "iBFM AMBI2018 Childhood Ambiguous Leukemia Prospective Registry". – (Dra. Marta Velasco Rodríguez-Belvis)	BFM Study Group (representado por SEHOP)
E.O. : "Estudio Sobre El Impacto En El Pronóstico Y La Calidad De Vida Del Diagnóstico Anatomopatológico Centralizado De Sarcomas De Partes Blandas En El Estado Español." – (Dr.David Azorín Cuadrillero)	Fundació Hospital Universitari Vall d´Hebrón
E.O. : "Elaboración de una herramienta de ayuda para la toma de decisiones en Nutrición Enteral Domiciliaria pediátrica " – (Dra. Consuelo Pedrón Giner)	Outcomes´10 SLU

TITULO	PROMOTOR
E.O. " Estudio fase I para evaluar la seguridad y respuesta clínica preliminar del uso de células madre mesenquimales alogénicas de médula ósea en niños y adolescentes con daño cerebral adquirido" – (Dra. Ruiz Falcó Rojas)	Fundación Investigación Biomédica Hospital Infantil Universitario Niño Jesús
E.O. "Evaluación de funcionamiento clínico del kit ScoliPro para el pronóstico de la Escoliosis Idiopática Adolescente (EIA). Descubrimiento de los marcadores predicitivos de respuesta al tratamiento con aparatos ortopédicos", - (Dra. Rosa Maria Egea Gámez)	Epidisease Sl
E.O. : "Estudio observacional para evaluar la seguridad, tolerabilidad y la eficacia preliminar de Alocelyvir (células mesenquimales alogénicas + ICOVIR-5) en niños, adolescentes y adultos jóvenes con glioma difuso de la protuberancia (DIPG) de nuevo diagnostico en combinación con radioterapia o meduloblastoma en recaída/progresión en monoterapia" – (Dr. Álvaro Lassaletta Atienza)	Fundación Investigación Biomédica Hospital Infantil Universitario Niño Jesús
E.O. .: "Far-RMS: An overarching study for children and adults with frontline and relapsed RhabdoMyoSarcoma'' – (Dr. David Ruano Domínguez)	Fsehop
E.O. . "Combinación De Alocelyvir Con Quimioterapia Y Radioterapia Para El Tratamiento De Niños Y Adolescentes Con Tumores Sólidos Extra-Craneales En Recaída O Refractarios" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Hospital Vall D'hebron
E.O. .: "Estudio observacional Postautorizacion REGISTRO ALERGODATA" – (Dra. Silvia Sánchez García)	Sociedad Española de Alergología e Inmunología clínica (SEAIC)
E.O. "Estudio observacional y abierto en niños y adolescentes con asma grave con fenotipo eosinofílico tratados con mepolizumag" – (Dr. Alejandro López Neyra)	Sociedad Española de Neumología Pediátrica (representada por IQVIA)
E.O."Estudio LOGGIC Core Bioclinical Data Bank de tipo observacional sin medicanto" – (Dr. Álvaro Lassaletta Atienza)	Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátrica (FSEHOP)

TITULO	PROMOTOR
E.O. "Exchange of Clinical Practice And Real-Life Treatment with Brivaracetam (EXPERICENCE) - (Dr. Víctor Miguel Soto Insuga / Dr. Juan Jose García Peñas)	Ucb Biopharma Srl
E.O. "Impacto del disbalance del metaboloma y microbiomas intestinales de receptores de trasplante hematopoyético en el desarrollo de la enfermedad ingerto contra huésped" (ALLOBOLOME) - (Dra. Marta González Vicent)	Fundación Pública Andaluza Para La Gestión De La Investigación En Salud De Sevilla (Fisevi)
E.O. "Registro longitudinal internacional de deficiencia de piruvato cinasa:Resultados comunicados por los pacientes" – (Dr. Julián Sevilla Navarro)	Agios Pharmaceuticals Inc
E.O. "Evaluación de la seguridad a largo plazo en los pacientes pediátricos con leucemia linfoblástica aguda (LLA) de precursores B que han sido tratados con blinatumomab o quimioterapia, seguido de un trasplante" – (Dra. Alba Rubio San Simón)	Amgen Inc
E.O. "Estudio Postautorizacion de seguridad de pacientes pediátricos que inician el tratamiento con selumetinib: estudio de cohortes prospectivo de varios países" – (Dr. Álvaro Lassaletta Atienza)	trazeneca AB
E.O. "Estudio internacional, multicéntrico, Observacional para caracterizar las subpoblaciones clínicas de pacientes con trastorno del espectro autista" – (Dra. Silvia Gutiérrez Priego)	Stalicla Sa
E.O. "Estudio "Endpoint Enabling Study in Cyclin-dependent kinase-like 5 Deficiency Disorder (CDD)" – (Dra. Elena Gonzalez Alguacil)	Pharm-Olam International Llc
E.O. "Retrospective study to describe the use od Dupilumab for Pediatric Atopic Dermatitis in Spain: Patient profile,effectiveness and safety" – (Dr. Antonio Tórrelo Fernandez)	Sanofi Aventis Sau
E.O. "Manejo del dolor Postoperatorio en Cirugía de Escoliosis Idiopática del Adolescente" – (Dr. José Maria Ahijado Agudo / Dra. Rosa Maria Egea Gámez)	Dr. José Maria Ahijado Agudo

TITULO	PROMOTOR
E.O. "Real World Evidence en pacientes pediátricos con Enfermedad de Crohn activa - Estudio REDIVEC" – (Dra. Marta Velasco Rodríguez-Belvis)	Outcomes´10 Slu
"E.O. "Análisis de la adecuación del uso de la Profilaxis Antibiótica en procedimientos quirúrgicos realizados en España" – (Dra. Margarita Cuevas-Mons Vendrell)	Fundación Española Farmacia
E.O. "Efectividad comparada en la vida real del belumosudil frente al mejor tratamiento disponible elegido por el médico para la enfermedad crónica de injerto contra huésped: Estudio retrospectivo basado en las historias clínicas de los pacientes" – (Dra. Marta González Vicent)	Parexel Internacional Irl
E.O. "Estudio de Fase IIIb, multicéntrico, abierto de un solo brazo, de vigilancia de la sensibilidad al Baloxavir Marboxil en pacientes pediátricos con gripe" – (Dr. José Antonio Alonso Cadenas)	Roche Farma SA
E.O. ""Desarrollo de una herramienta de inteligencia artificial para la medición automática del ángulo de Cobb en el diagnóstico de la escoliosis idiopática del adolescente" – (Dra. Rosa Maria Egea Gámez)	Epidisease SL
E.O. "Estudio de cohortes, observacional, prospectivo y con enfoque en la lesión hepática inducida por fármacos (LHIF), para evaluar la seguridad a largo plazo en los pacientes a quienes se les receto Epidyolex" – (Dr. Víctor Soto Insuga)	GW Pharma SL
E.O. " Protocolo piloto de estudio del tratamiento del Consorcio Alltogether para niños y adultos jóvenes (0-18 años) con diagnostico reciente de leucemia linfoblástica (LLA)" – (Dra. Blanca Herrero Velasco)	Fsehop