



Propuesta de colaboración con



Universidad
de Navarra

Tantantan valientes

¿Recuerdas la primera vez que montaste en bici sin ruedines? ¿Y la primera noche que dormiste con la luz apagada? ¿Y el primer día que te lanzaste a nadar sin manguitos? **¡Sin duda eras muy valiente!**

Estas grandes proezas son muestras de valentía. Sin embargo, **uno de cada cien niños** se ven obligados a demostrar su valentía **enfrentándose a una enfermedad rara** y tienen que ser sometidos a pruebas y tratamientos que les obligan a sacar todo el coraje que llevan dentro. Y **sólo por medio de la investigación médica** podemos ayudar a que estos niños **no tengan que ser tan tan tan valientes...**

Con la colaboración de Credit Suisse podemos hacer que los niños con enfermedades raras no necesiten demostrar que son tan tan tan valientes.



————— Ayúdanos a que no tengan que ser tan tan tan valientes... —————



¿Qué son las enfermedades raras?

Se denomina enfermedades raras a **aquellas enfermedades que afectan a una pequeña parte de la población**. A pesar de que su incidencia sea menor a 5 casos por cada 10.000 habitantes, son muchos los niños y familias que se ven afectados por estas patologías.

Los niños afectados tienen una corta esperanza de vida y se ven limitados por la propia enfermedad. Por eso es importante avanzar con nuevas terapias o tratamientos que ayuden a mejorar su vida.

La cura de estas enfermedades pasa por la investigación.
Hay que conocerlas para poder vencerlas.

7.000

Tipos diferentes de enfermedades raras

300

(6% de la población)
millones de personas afectadas

Enfermedades Raras Oncológicas

El **cáncer infantil** es la principal causa de muerte por enfermedad en niños en los países desarrollados. Además, los tratamientos provocan secuelas de por vida en los niños afectados.

¿Cuál es el índice de supervivencia según el diagnóstico?

9 meses Tumores cerebrales y del sistema nervioso central
<1% de supervivencia a los 5 años

Sarcomas, tumores que afectan al hueso y tejidos
En fase metastásica **40%**

INVESTIGACIÓN

TERAPIAS AVANZADAS EN TUMORES SÓLIDOS PEDIÁTRICOS

Terapias que mejoren la supervivencia de los niños enfermos a través de dos terapias.

Adenovirus oncolíticos
Virus dirigidos a destruir células tumorales.

Inmunoterapia
Estrategias de actuación del sistema inmune contra el tumor.

Enfermedades Raras Hereditarias

Se dan por la **modificación de algún gen** y se padece **desde el nacimiento**. Además, es difícil llegar al diagnóstico acertado.

¿Cuál es la **incidencia** de estas enfermedades?

Dravet
Una de las epilepsias más severas
Se manifiesta a los 4/6 meses **Uno de 15 mil nacimientos**

Uno de 500 mil nacimientos **Xantomatosis cerebrotendinosa**
El cuerpo no elimina un componente parecido al colesterol, el **colestanol**
Afecta al hígado

Hiperoxaluria
Acumulación de sustancias tóxicas
Afecta al hígado y al riñón. **Uno de 250 mil nacimientos**

500 de 2.500 personas **Poliquistosis renal**
Una de las patologías hereditarias más comunes y afecta al riñón
Se desarrolla a los 5 años de edad

INVESTIGACIÓN

TERAPIA GÉNICA

Estrategias que permiten la introducción del organismo de la versión corregida o terapéutica del gen mutado.

¿Porqué es importante investigar estas enfermedades?

Porque los niños son la sociedad del futuro



Los niños son la sociedad del futuro, por eso desde la [Universidad de Navarra](#), investigamos para dar una oportunidad a quienes por este tipo de enfermedades no podrían formar parte de él.

Nuestro objetivo es investigar para curar. **Queremos acortar el tiempo entre el descubrimiento científico y su aplicación en el paciente.** Esto forma parte de nuestro compromiso con la sociedad.

La investigación biomédica que se lleva a cabo en la Universidad de Navarra es **referente nacional en la lucha por la curación de tumores cerebrales infantiles** gracias al "Laboratorio de Terapias Avanzadas de Tumores Sólidos".

Enfermedades Raras Oncológicas

Como la incidencia del cáncer infantil es menor que la del cáncer en adultos se considera una enfermedad rara. Además, no puede ser tratado de la misma manera, **necesita terapias diferenciadas** que ayuden a la supervivencia de los pequeños afectados.

Enfermedades Raras Hereditarias

Este tipo de enfermedades raras **no se puede prevenir, solo se pueden curar.** Por eso es muy importante investigar la procedencia del gen mutado que nos permita mejorar la vida de los más pequeños.

¿Quién investiga?

Cima. Centro de Investigación Médica Aplicada

Somos un **centro de investigación privado y sin ánimo de lucro.** Nuestra orientación está al servicio de la sociedad, acercando la investigación al paciente. Para ello investigamos sobre distintas áreas: enfermedades raras, cáncer (tumores sólidos y hematológicos), enfermedades neurológicas, hígado, enfermedades cardiovasculares, terapia molecular y génica etc...

Nuestro foco actual se basa en encontrar una cura para todas esas enfermedades huérfanas o raras que son potencialmente mortales o crónicas y degenerativas. La mayoría tienen un origen genético y más del 50% de ellas afectan a niños. En España son más de 3 millones los afectados.

33

Patentes activas

10

Programas de investigación

418

Investigadores técnicos de investigación y personal de gestión y servicios

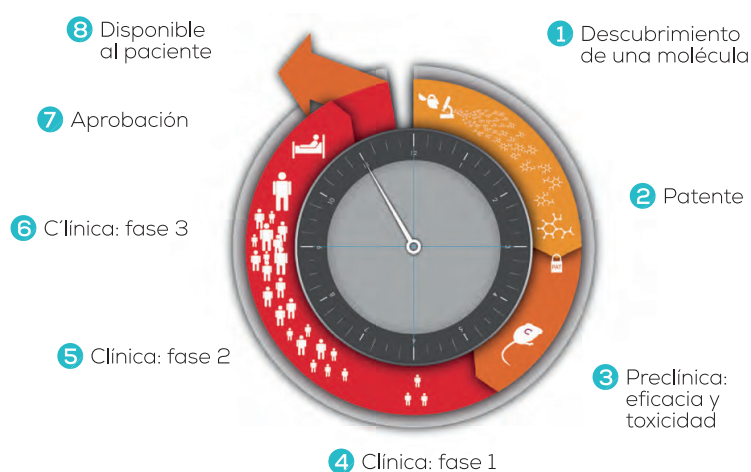


Ayutando la investigación conseguiremos **que las enfermedades raras infantiles sean cada vez más raras, tan raras que no existan**

El largo camino de curar. Historia de un medicamento

El punto de partida: la investigación

Las enfermedades raras infantiles solo se pueden curar a través de la investigación. El punto de partida para el desarrollo de nuevos medicamentos es **comprender las necesidades reales** de los pacientes y entender los mecanismos de estas enfermedades.



Propuestas Terapéuticas Investigadas

La batalla que libra la Universidad de Navarra en este ámbito, ha permitido realizar tanto ensayos preclínicos como clínicos. Los avances realizados han sido posibles gracias al apoyo de asociaciones de pacientes y convocatorias públicas, entre otros. Sin embargo, estos recursos no son suficientes para el desarrollo de las alternativas terapéuticas que los pacientes afectados necesitan.

278.954 €

Enfermedades Oncológicas
Adenovirus Oncolíticos e Inmunoterapia

162.583 €

Enfermedades Hereditarias
Terapia Génica

24.000 €

Análisis Diagnóstico

465.537 €*

Necesidad anual



Tan tan tan valientes. Difusión e impacto

A finales del año 2019 se lanzó la campaña de apoyo a la lucha contra las enfermedades raras "Tan tan tan valientes" en distintos soportes. La plataforma "Helpify" es el principal soporte del proyecto y crowdfunding. La difusión audiovisual contó con un spot fue emitido por cadenas del grupo Atresmedia durante el mes de diciembre y distintas cuñas de radio en emisoras del mismo conglomerado. Además, varias "influencers" españolas apoyaron la campaña en sus perfiles personales de Instagram.

Vídeo de la campaña



Campaña en Helpify

