



**DRA.
MARIBEL
PARRA**



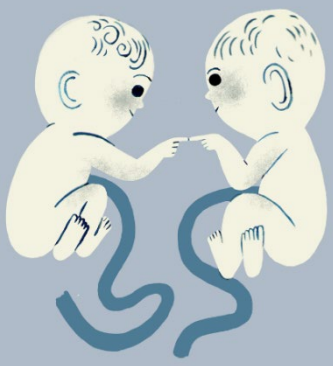
PROYECTO:
Ningún niño con leucemia.
Proyecto de investigación sobre la leucemia linfoblástica aguda de mal pronóstico en bebés.






La **Dra. Maribel Parra** es mamá de dos niños (bueno, un adolescente y un niño) e investigadora. Nació hace 49 años en Granollers (Barcelona). Su pasión, a parte de la investigación, es experimentar en la cocina, su segundo laboratorio. Le encantan las películas de suspense y terror. Maribel y su equipo se dedican a las leucemias infantiles aplicando los conocimientos adquiridos en investigación básica desde hace muchos años.

El equipo de Maribel forma parte del Instituto de Investigación contra la Leucemia Josep Carreras. Este *team* de imparables investiga el papel de los linfocitos B en distintas enfermedades de la sangre y, especialmente, en un subtipo de leucemia infantil de pronóstico muy adverso. Los estudios más recientes del grupo han identificado una proteína llamada HDAC7, que se asocia a una mejor supervivencia en estos niños, principalmente lactantes.

“Mi equipo cuenta con una gran experiencia en el estudio de los linfocitos B, células necesarias para la respuesta inmunitaria del organismo. Sin embargo, alteraciones en la correcta formación de estas células pueden conducir a la aparición de enfermedades como la leucemia.”

Leucemia linfoblástica aguda en lactantes con reordenamiento t(4;11)



-  La incidencia de este tipo de leucemia es muy baja, afectando a uno de cada 1.000.000 niños menores de un año en España.
-  Cuenta con una supervivencia inferior al 35%.
-  El origen de la enfermedad es desconocido, cosa que dificulta encontrar un buen tratamiento.
-  Los pacientes suelen presentar resistencias al tratamiento y, en muchos casos, vuelven a recaer en pocos meses.
-  Los niños afectados no pueden formar parte de ensayos clínicos, debido a su corta edad.



OBJETIVOS DEL PROYECTO

Este proyecto parte del descubrimiento de la proteína HDAC7 como marcador de buen pronóstico, y tiene como objetivo principal encontrar terapias específicas que permitan inducir su expresión. Para ello, pretendemos:

- Entender los mecanismos que provocan la desaparición de HDAC7 en estos pacientes.
- Analizar distintas terapias que permitan reducir la malignidad de las células mediante la inducción de este biomarcador.
- Identificar posibles marcadores de superficie activados por HDAC7 que puedan conducir al desarrollo de inmunoterapia con tecnología CAR-T.

Todos estos objetivos nos permitirán diseñar una terapia de precisión, que mejorará el pronóstico de los niños afectados de leucemia linfoblástica aguda con translocación t(4;11).

El proyecto tiene un presupuesto mínimo anual de 90.000€.



“Hemos visto que si somos capaces de introducir la proteína HDAC7 en células derivadas de pacientes con este subtipo de leucemia, las células leucémicas dejan de proliferar de manera abrupta y, en gran parte, entran en procesos de muerte celular. Además, hemos comprobado que existe una clara relación entre la falta de HDAC7 y la resistencia a la quimioterapia convencional, algo habitual en estos lactantes que, en caso de sobrevivir, suelen presentar recidivas.”

“La comprensión de los mecanismos que provocan esta baja tasa de supervivencia nos ayudará a diseñar una terapia de precisión que afecte únicamente a las células malignas. El objetivo final es conseguir que los niños afectados, a pesar de su corta edad y el poco interés que despiertan a la industria, puedan disponer de una terapia específica para su enfermedad.”

Los índices de curación en leucemias pediátricas (> 2 años de edad) han mejorado mucho en los últimos años. Sin embargo, las leucemias infantiles o de lactantes (<2 años de edad) siguen siendo consideradas una entidad aparte con un diagnóstico aterrador (supervivencia a los 5 años <20%).

La LLA-B infantil tiene, más allá del daño emocional a las familias, nefastas consecuencias en el desarrollo del niño de debido a la toxicidad multiorgánica de los tratamientos actuales.

¡GRACIAS POR HACERNOS IMPARABLES CONTRA LA LEUCEMIA!