INTERNATIONAL
PROGRESSIVE MS ALLIANCE

CONNECT TO END PROGRESSIVE MS

INFORME DE PROGRESOS 2016

ALIMENTANDO EL PROGRESO, EL CONOCIMIENTO, LA COMPRENSIÓN Y LA COLABORACIÓN

Terminar con la esclerosis múltiple (EM) progresiva es una necesidad mundial urgente y no satisfecha. Las personas que viven con esta variante debilitante de EM se enfrentan a la incertidumbre, pierden pie cada día al experimentar el empeoramiento de los síntomas, lo que puede ocasionarles una sensación de indefensión. Recientemente ha habido progresos con la aparición de posibles terapias para la enfermedad progresiva, pero éstas solo serán eficaces para algunos pacientes. Mucho más se debe hacer para que TODOS tengan disponible un tratamiento eficaz.

La Alianza Internacional para la EM Progresiva (Alianza) está asegurando que se harán más cosas, alimentando el conocimiento, la comprensión y la colaboración investigadora. Las personas con enfermedad progresiva ahora tienen esperanza en el futuro.

En todo el mundo 2,3 millones de personas viven con EM, una enfermedad neurológica degenerativa compleja y mediada por el sistema inmune, que ataca al cerebro y la médula espinal. Hay dos formas de EM – EM recurrente y una forma más progresiva. Aquellos con EM recurrente enfrentan el día a día con la inseguridad de no saber si su enfermedad se convertirá en una variante progresiva.

ESFUERZO GLOBAL SIN PRECEDENTES

La Alianza es una colaboración global sin precedentes de organizaciones de EM, investigadores, clínicos, compañías farmacéuticas, inversores, fundaciones y pacientes de EM progresiva, que transforma el panorama de la esclerosis múltiple. La Alianza continúa mejorando el perfil y subrayando las necesidades no satisfechas de la EM progresiva, arengando a la comunidad global para que se una y encuentre soluciones.

PRIORIDADES ESTRATÉGICAS

La EM tiene un enorme impacto sanitario y social en los enfermos y en los millones de miembros de sus familias y tantos otros que quieren y se preocupan por las personas que viven con EM progresiva. La disminución de la movilidad, el dolor y la pérdida significativa de la función cognitiva pueden afectar a la habilidad del paciente de seguir siendo independiente e incluso trabajar en aquello que quieren. El impacto económico de la EM, que es más marcado en los pacientes de EM progresiva, pasa de los 235 mil millones de euros anuales en todo el mundo.

Aunque hay varias terapias modificadoras de la enfermedad disponibles para la EM recurrente, solo unas pocas terapias potenciales han surgido para pacientes de EM progresiva. La complejidad de la EM y la experiencia obtenida en el tratamiento de la EM recurrente en los últimos 20 años sugiere poderosamente que ninguna terapia para la EM progresiva será eficaz para todos los afectados. Debemos continuar acelerando el progreso para que todos los pacientes de EM progresiva tengan disponible el tratamiento más eficaz para sus necesidades.

En 2016 la Alianza alcanzó hitos clave en la búsqueda de nuevos tratamientos para la EM progresiva. Estos hitos aceleraron el trabajo hasta proporcionar no solo esperanza a los pacientes, sino verdadero progreso. En un esfuerzo global sin precedentes para acabar con la EM progresiva, la Alianza otorgó tres Premios a Redes Colaborativas, de 4 millones de euros cada uno, una inversión total de 12 millones de euros, para acelerar el ritmo de la investigación en EM progresiva.

La Alianza es un grupo apasionado, creativo y colaborativo de líderes de pensamiento y expertos científicos dedicados a hacer todo aquello que sea necesario para encontrar respuestas para las personas con EM progresiva."

Cyndi Zagieboylo

Presidenta del Comité Ejecutivo de la Alianza

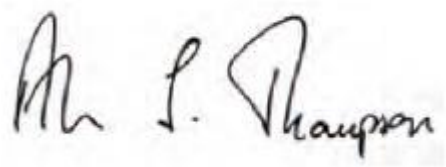
Presidenta y Directora Ejecutiva de la National MS Society (EEUU)

PRIORIDADES INVESTIGADORAS

"Estamos formando una comunidad EM y alineando actividades investigadoras importantes a lo largo del mundo para establecer un cuerpo de conocimiento y trabajo en EM progresiva que permita encontrar soluciones más rápidamente. La Alianza está enfocada a aprovechar este conocimiento, comprender qué barreras deben ser enfrentadas y entonces financiar la mejor investigación que desarrolle las terapias más prometedoras. La estrategia incluye el desarrollo de redes de colaboración investigadora globales que aceleren el desarrollo de fármacos y toda investigación orientada a nuevas terapias.

Las terapias emergentes tienen el potencial de mejorar la calidad de vida de algunas personas con la enfermedad progresiva; pero se debe acelerar en tratamientos eficaces para todos. Encontrar tratamientos para EM progresiva es particularmente difícil debido a que los síntomas son impredecibles y varían significativamente entre pacientes. Esta variabilidad aumenta la dificultad en la identificación de marcadores biológicos de progresión, lo que complica la caracterización de dianas terapéuticas. Sin unas medidas de progresión claras, los ensayos clínicos en EM progresiva se ven entorpecidos. La Alianza se está asegurando de que estos obstáculos no solo se enfrenten, sino que de la colaboración global se extraiga un beneficio que empuje este vital trabajo hacia adelante.

El papel de la Alianza de reunir a todos los actores necesarios en un esfuerzo colaborativo enfocado es crucial. Esta estrategia integradora ya ha tenido un impacto, asegurándose de que la investigación más prometedora no carece de financiación para que los tratamientos puedan descubrirse y desarrollarse con mayor velocidad. Esta estrategia innovadora ya ha sido reconocida como digna de ser replicada, más allá de la EM progresiva, para otras enfermedades que afectan a muchos millones de personas más."



Profesor Alan J. Thompson, MD

Presidente del Comité Director Científico de la Alianza

University College, Londres, Facultad de Ciencias del Cerebro, Reino Unido.

PROGRESOS EN INVESTIGACIÓN EN EM EN 2016

Hasta la fecha, la Alianza ha entregado 23 millones de euros en inversiones globales de investigación. A través de los Premios Desafío y los Premios a Redes Colaborativas, la Alianza está generando conocimiento para encontrar nuevos tratamientos de la EM progresiva. La incapacidad de probar tratamientos potenciales de manera rápida debe ser superada. Sin el conocimiento para entender cómo la enfermedad puede ser parada y reparada, y sin marcadores de progresión que puedan ser examinados frente a los efectos del tratamiento, los pacientes continuarán padeciendo pérdidas funcionales.

La Alianza tiene como objetivo cambiar el panorama de la EM progresiva más rápidamente desarrollando nuevas herramientas y métodos que dinamicen el descubrimiento de fármacos. Permanecer enfocados en nuestras prioridades permitirá el descubrimiento de nuevos tratamientos y a la vez reducirá el tiempo y coste asociados a los ensayos de estos tratamientos potenciales. Esto, finalmente, acelerará el acceso a tratamiento de las personas que padezcan la EM progresiva.

Investigadores de todo el globo se reunieron en 2016 para el Segundo Congreso Científico en San Francisco (California, EEUU)

INVESTIGACIONES MÁS IMPORTANTES DE LOS PREMIOS DESAFÍO

La alianza otorgó 22 premios de 75000€ en 2014, destinados a mejorar la comprensión de procesos genéticos y biológicos, reasignación de fármacos existentes y aceleración de ensayos clínicos.

Algunos aspectos destacados en investigación en 2016 incluyen:

¿Puede usarse el grado de inflamación meníngea y patología cortical para estratificar tempranamente a los pacientes de EM progresiva?

Investigador Principal – Massimiliano Calabrese, Universidad de Verona, Italia.

Este proyecto patofisiológico a gran escala analizó fluido cerebroespinal en un intento de correlacionar los cambios en este fluido con el daño cortical en pacientes de EM. Los hallazgos podrían conducir al desarrollo de biomarcadores de la EM.

Nuevas infraestructuras para permitir la monitorización de resultados: sistema remoto en tiempo real para determinar la discapacidad en EM progresiva.

Investigador Principal – Paul Matthews, Imperial College Londres, Reino Unido.

Usando la tecnología actigráfica, que es un método no invasivo de monitorización los ciclos de reposo/actividad humanos, este estudio evaluó la determinación de la velocidad de marcha y paseo y podría ser una herramienta útil para la comunidad de EM progresiva. Esta investigación podría reforzar el área de "app" de salud.

Terapia intratecal con anticuerpos monoclonales para la EM progresiva

Investigador Principal – Anders Svenningsson, Universidad de Umeå, Suecia

Este estudio es un ensayo clínico que probó la administración inyectable de rituximab vía el canal espinal (intratecal) en el fluido cerebroespinal. Este grupo mostró que la administración intratecal podía agotar completamente las células B periféricas (parte de la respuesta inmune) usando una dosis baja de rituximab. Este ensayo ayuda a la comprensión del papel de las células B en EM, así como de los efectos de la administración directa de fármacos en el sistema nervioso central.

Estudio longitudinal multicéntrico del tracto espinal cervical por IRM de difusión para EM progresiva

Investigador Principal – Junqian Xu, Escuela Icahn de Medicina en Mount Sinai, Nueva York (EEUU)

Este estudio aplicó técnicas avanzadas de imagen de la médula espinal y está haciendo progresos en dos áreas clave: 1) Estandarizar las técnicas de imagen de la médula espinal para medir atrofia; 2) Desarrollar métodos de imagen de la médula espinal para entender la patofisiología de la EM progresiva.

"Es muy importante continuar investigando las formas progresivas de la EM, como la mía."

– **Cinzia**, viviendo con EM desde 2011, Italia.

PREMIOS A REDES COLABORATIVAS

- En 2016, la Alianza financió redes investigadoras globales ESENCIALES, LAS PRIMERAS DE ESTE TIPO.
- 3 – 4 MILLONES DE EUROS en Premios a Redes Colaborativas para una inversión total de 12 MILLONES DE EUROS.
- Estamos reuniendo a los MEJORES EXPERTOS para preparar el terreno EN LOS PRÓXIMOS 4 AÑOS para nuevos tratamientos y ensayos clínicos.
- Proyectos destinados a REDUCIR EL TIEMPO Y EL COSTE de conseguir terapias para ensayos clínicos, con hitos y metas clave.
- 40 INVESTIGADORES PRINCIPALES de 21 instituciones en Canadá, Francia, Alemania, Israel, Italia, Holanda, Suiza, Reino Unido y Estados Unidos.

RESÚMENES DE LOS PROYECTOS FINANCIADOS

Para la progresión, reparar el daño existente y acelerar las pruebas de fármacos más eficaces en ensayos clínicos para EM progresiva son cruciales para cambiar el mundo de los pacientes de EM progresiva. Debemos tener tratamientos más eficaces para todos – no solo para algunos. Las inversiones de la Alianza en investigaciones revolucionarias permitirán a la comunidad investigadora global encarar los significativos obstáculos y huecos en la comprensión de la EM progresiva. Juntos se moverán más rápido en la búsqueda de tratamientos eficaces para millones de personas y sus familias, que no tendrán que vivir más con la incertidumbre de lo que pueda ocurrir mañana.

BRAVEinMS

Investigador Principal – **Gianvito Martino**, M.D., Departmento de Neurología, Instituto Científico San Raffaele, Italia.

Esta red desarrollará uno o más fármacos que repararán el daño cerebral o protegerán al cerebro del daño. Las cuatro áreas clave son:

• Desarrollar las herramientas necesarias para crear o identificar moléculas con potencial para reparar la mielina y proteger el cerebro del daño

• Crear un sistema para ensayar moléculas para su habilidad reminielizadora

• Evaluar la habilidad molecular de reparar el sistema nervioso dañado

• Lanzar ensayos clínicos de reparación de la mielina o tratamientos protectores

Eficacia del Tratamiento EM

Investigador Principal – **Dr. Francisco Quintana**, Hospital Brigham and Women's, EEUU.

Esta red identificará y evaluará fármacos que protejan el cerebro del daño en EM progresiva. Las tres áreas clave son:

• Evaluar fármacos ya existentes para determinar si funcionan en EM progresiva

• Identificar nuevos fármacos que protejan el cerebro del daño en EM progresiva

• Definir las rutas biológicas implicadas en el daño cerebral que ocurre en EM progresiva

Ensayo de IRM Predictiva

Investigador Principal – **Douglas Arnold**, M.D., Universidad McGill, Canadá.

Esta red desarrollará y compartirá a todo el mundo un test que prediga cambios en el cerebro durante la progresión de la EM y cómo esa progresión afecta al cerebro. Las cuatro áreas clave son:

• Componer una base de datos común con más de 15000 imágenes de IRM de personas con EM

• Crear un soporte informático de interpretación de imágenes de IRM para predecir indicadores de progresión

• Validar y ensayar la precisión y fiabilidad del soporte informático en la predicción de la progresión

FORO DE INDUSTRIA DE LA ALIANZA

- La colaboración de la industria con la Alianza se gestiona a través del Foro Industria. El Foro Industria asegura que las compañías farmacéuticas y biotecnológicas están comprometidas en la aceleración del progreso y el intercambio de información.
- Los miembros del Foro Industria, cuerpos reguladores, el Comité Director Científico y los investigadores financiados por los Premios a Redes Colaborativas se reunieron para reforzar las propuestas y maximizar su impacto.
- Entre los colaboradores del Foro Industria se incluyen EMD Serono; Genentech, miembro de Roche; Sanofi Genzyme; Novartis AG; y Teva.
- La industria es crítica en la ayuda a que la Alianza cumpla sus objetivos gracias a su capacidad de contribuir con conocimiento, recursos e inversiones económicas para así acelerar el progreso y asegurar el mejor diseño experimental que conduzca a ensayos clínicos más efectivos y un buen desarrollo de fármacos.

LA ALIANZA SE EXPANDE

Nuevos miembros de la Alianza en 2016:

• Neuro Sweden

• MS Hope for a Cure; Fondo Alan Buegeleisen; Fundación Benéfica Familia Avidan; Dean Smith en representación de FUMS (Fighting and Understanding MS); Cathy y Bill Onufrychuk; Fundación Yellow Rose Gala; En Memoria de Georg Bruun en representación de la familia Bruun y CP ApS; y la familia M&H Schwartz.

MANAGING MEMBERS

MEMBERS

TRUST AND FOUNDATION MEMBERS

The Alan Buegeleisen Fund
The Avidan Family Charitable Trust
Dean Smith on behalf of FUMS
Cathy and Bill Onufrychuk
In memory of Georg Bruun on behalf of the Bruun Family and CP ApS
M&H Schwartz Family Foundation
Yellow Rose Gala Foundation

INDUSTRY FORUM

EMD Serono
Genentech, a member of Roche
Novartis AG
Sanofi Genzyme
Teva

ACTIVIDADES IMPORTANTES DE COMPROMISO DE LA ALIANZA

En 2016 la Alianza elevó el perfil de la EM progresiva, inspiró a la comunidad científica y ha alentado la colaboración global y motivado a donantes a contribuir al trabajo de la Alianza.

SEGUNDO CONGRESO CIENTÍFICO DE LA ALIANZA – MAYO

Más de 200 investigadores, compañías farmacéuticas y simpatizantes se reunieron en San Francisco, California (EEUU) para revisar el progreso investigador, los retos y los nuevos pasos que dar para acelerar el desarrollo de terapias para la EM progresiva.

Entre los temas discutidos estaban:

• ¿Quién dirige la progresión? Aunque no está claro qué causa la EM, se está avanzando en la comprensión de cómo el daño al sistema nervioso lleva a la pérdida de células nerviosas y el progreso en la discapacidad.

• Reparación y recuperación: El cerebro reacciona naturalmente al daño de la EM de diversas maneras, tales como reparando la mielina que aísla los nervios o compensando el daño mediante la plasticidad y reorganización mientras otras partes del cerebro toman el control. Los participantes apuntaron que estos mecanismos de recuperación podrían reforzarse para mejorar la función en EM.

• Ensayos clínicos: ¿cómo empujar hacia adelante? A pesar de los primeros resultados positivos de un ensayo clínico a gran escala en EM progresiva primaria (anunciados en otoño de 2015 a partir de un ensayo con ocrelizumab), muchos asistentes al congreso estuvieron de acuerdo en que son necesarios más éxitos para cambiar las vidas de los pacientes de EM progresiva.

COMITÉ EUROPEO PARA EL TRATAMIENTO E INVESTIGACIÓN DE LA EM (ECTRIMS, por sus siglas en inglés) - SEPTIEMBRE

Durante ECTRIMS, la conferencia sobre EM más grande del mundo, líderes científicos en investigación de la EM se reunieron en Londres, Reino Unido, para abordar los temas principales que marcan el camino futuro en la gestión de la EM, con uno de sus focos apuntando a la investigación en EM progresiva. La Alianza convocó una rueda de prensa y una recepción para científicos, miembros de la Alianza y potenciales donantes para anunciar los galardonados con los Premios a Redes Colaborativas.

PUBLICACIONES Y PRESENTACIONES

• 13 publicaciones científicas y 20 comunicaciones en congresos generados a partir de la investigación de los Premios Desafío

• "Foro Industria de la Alianza de EM progresiva: Maximizando el impacto colectivo para permitir el desarrollo de fármacos," *Trends in Pharmacological Studies*, Octubre de 2016

• "Esclerosis multiple progresiva: perspectivas para el tratamiento de la enfermedad, reparación y restauración de la función," *The Lancet Journal*, Noviembre de 2016

• "Terapias: pasos progresivos," *Nature*, Diciembre de 2016

ATRAYENDO A PERSONAS AFECTADAS POR EM EN LA ESTRATEGIA INVESTIGADORA

El Comité Director Científico de la Alianza realizaron una convocatoria para personas afectadas por EM progresiva, para ayudar en la dirección científica y las actividades investigadoras de la Alianza. La Alianza recibió 234 solicitudes de 23 países distintos. En 2016 la Alianza dio la bienvenida a tres nuevos miembros de su Comité Director Científico. Este talentoso grupo de personas proporciona perspectivas adicionales al Comité Director Científico y al trabajo de la Alianza.

- **Caroline Sincock** (Reino Unido)

Caroline vive en Glasgow y es miembro de la Red Investigadora de la Sociedad EM del Reino Unido. Tiene EM progresiva secundaria, es doctora en Biología y ha hecho carrera profesional en el campo de la propiedad intelectual. Caroline se ha implicado en la investigación durante muchos años, y es coautora de un artículo sobre medidas en estudios del ejercicio en EM. Caroline ha representado a los pacientes de EM en el desarrollo de servicios neurológicos locales del Sistema Nacional de Salud británico, ha dirigido un grupo local de pacientes "Voces Neurológicas" y ha sido miembro de una organización caritativa local para la EM.

- **Alexis Donnelly** (Irlanda)

Alexis es voluntario en EM-Irlanda y ha servido en su Comité Investigador desde 2007. Padece EM progresiva primaria desde 1991. Alexis trabaja a tiempo parcial como profesor universitario de informática en el Trinity College de Dublin. Ha representado a personas con EM en el desarrollo de una Red Irlandesa de Ensayos Clínicos. También ha representado a estudiantes con discapacidad en comités universitarios y fundado una organización benéfica para luchar por sus necesidades.

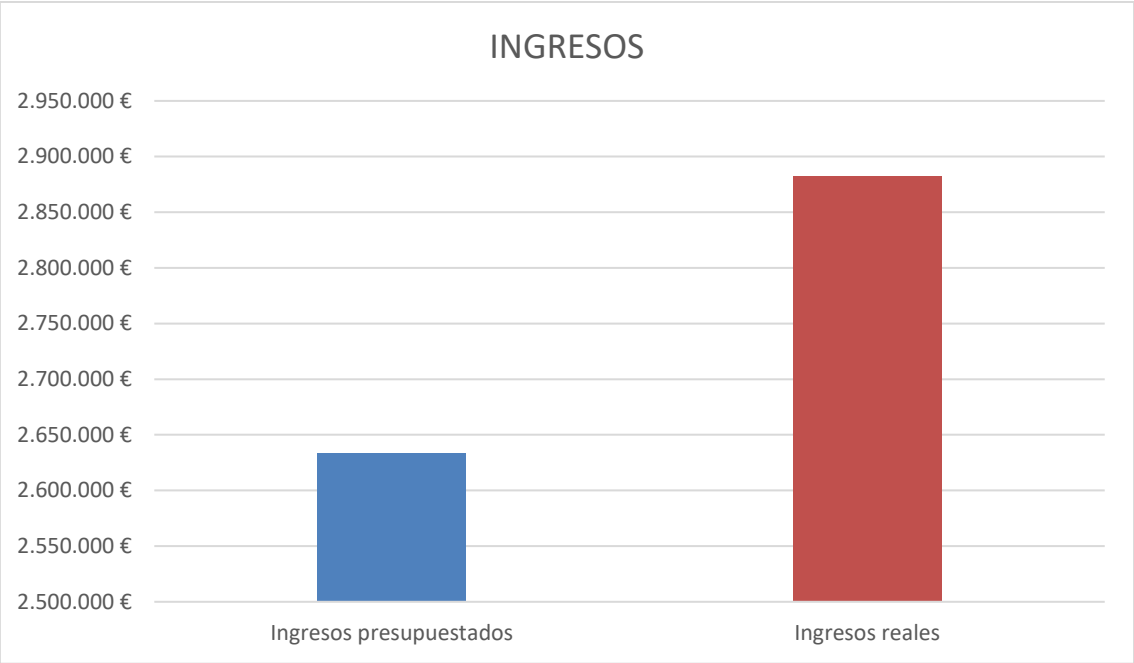
- **Jonathan Strum** (EEUU)

Jonathan vive en California y cuida de su mujer, que tiene EM progresiva secundaria. Su EM progresó muy rápido tras el diagnóstico y él abandonó su trabajo hace 11 años para cuidar de ella. Jonathan ha estado involucrado en la National MS Society, y ha desarrollado talleres y cursos para cuidadores de EM en el sur de California. Tiene conocimientos de comunicación y antes escribía un blog orientado a cuidadores.

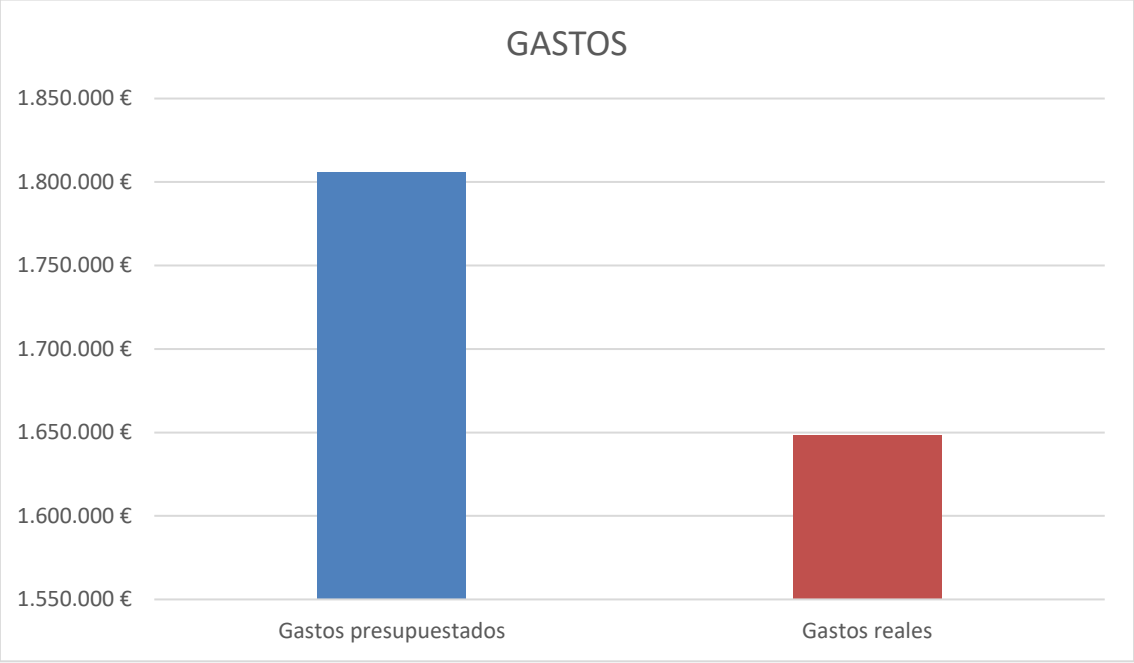
"Nuestro propósito es claro – acelerar el desarrollo de tratamientos para personas afectadas de EM progresiva." – **Profesor Giancarlo Comi**, M.D. Vicepresidente del Comité Director Científico de la Alianza y copresidente del Foro Industria, Director del Departamento de Neurología del Instituto Científico San Raffaele, Italia

ASPECTOS ECONÓMICOS INTERESANTES FY2016

Por tercer año consecutivo, la Alianza aumentó los ingresos presupuestados como resultado del aumento del número de miembros y las contribuciones económicas. La Alianza ha producido un impacto demostrable en la EM progresiva en capacidad de generar nuevas ideas, convocatoria de actividades, colaboraciones y financiación.



Ingresos presupuestados: €2,633,418 Ingresos reales: €2,882,434



Gastos presupuestados: €1,806,017 Gastos reales: €1,648,205

Hasta la fecha, la Alianza ha comprometido 23 millones de euros en investigación en EM progresiva.

Encontrar soluciones para TODOS los que viven con EM progresiva nos llevará a todos a invertir en las próximas y críticas fases.

La urgencia continuada y la financiación adicional son críticas para acelerar el progreso.

Viviendo con EM progresiva, de izquierda a derecha, de arriba a abajo: William, diagnosticado en 2002, EEUU; Portia, diagnosticada en 1998, Reino Unido; Lone, diagnosticada en 2006, Dinamarca; Kerrie, diagnosticada en 2008, Australia; Maarten, diagnosticado en 2007, Holanda.

CONTACTO

ProgressiveMSAlliance.org | info@progressivemsalliance.org