Más que esperanza.
Progreso.

“Si pienso en el 2017, las personas con EM progresiva están en un momento muy positivo. Aceptémoslo: la investigación no le había hecho mucho caso a las personas con EM progresiva primaria o secundaria; **hasta ahora**”.

Trevis
Conviviendo con la EM desde 2001, Irlanda

MEMORIA 2017

INTERNATIONAL
PROGRESSIVE MS ALLIANCE

CONNECT TO END PROGRESSIVE MS

IMPULSANDO EL PROGRESO, EL CONOCIMIENTO Y LA COLABORACIÓN

Acabar con la Esclerosis Múltiple (EM) progresiva tiene que ser una prioridad mundial. Aquellos que conviven con EM tienen que hacer frente a la incertidumbre, perdiendo terreno cada vez que los síntomas empeoran, con el miedo a sentirse vulnerables. Se trata de una enfermedad neurológica degenerativa compleja que tiene grandes repercusiones económicas y sociales en, se estima, 2,3 millones de personas en todo el mundo. Los síntomas debilitantes que sufren, como fatiga, dolor o dificultad para andar, limitan su capacidad para trabajar y llevar una vida independiente. El coste mundial de la EM supera los 205 mil millones anuales.

Aproximadamente, el 65 por ciento de las personas con EM padecen una forma progresiva de la enfermedad, para las que apenas hay terapias. En la actualidad solo se ha aprobado un tratamiento para la EM primaria progresiva, pero ninguno para la secundaria. Sin olvidar que aquellos con EM remitente recurrente pueden desarrollar la forma secundaria progresiva, lo que puede llevar a una parálisis permanente, una limitación cognitiva y complicaciones: espasticidad, dificultades al tragar, trastornos del habla y dificultades en el cuidado personal que obligan a vivir con asistencia. Las personas con EM progresiva conviven con la pérdida, y esa incertidumbre sobre lo que pueda pasar puede llevar a una depresión y una creciente sensación de desesperanza.

La aparición de un tratamiento para la EM primaria progresiva en el 2017 es muy emocionante, pero este único tratamiento solo es apto para unos pocos. Al igual que con los primeros tratamientos para la EM remitente recurrente que cambiaron y aceleraron el desarrollo de fármacos, tenemos que aprovechar el impulso de la aprobación de este primer tratamiento para la EM progresiva para garantizar que se desarrollen nuevas terapias sin demora.

Debemos seguir trabajando para que TODOS tengan acceso a un tratamiento efectivo. La Alianza lvela por ello, impulsando el conocimiento, la comprensión y la colaboración investigadora. **Las personas con EM progresiva vuelven a tener esperanza en el futuro.**

“Lo que más me frustra de la EM es que cambia constantemente, que no sabes qué cartas te han tocado, de hora en hora, en realidad. Y siempre te está quitando, nunca te devuelve nada.

Solo lo hace desaparecer.”

Laura
Conviviendo con la EM desde 1995, EE. UU.

UN ESFUERZO MUNDIAL SIN PRECEDENTES

La Alianza es un proyecto de colaboración mundial sin precedentes que reúne a asociaciones de EM, investigadores, médicos, farmacéuticas, fundaciones y pacientes de EM progresiva. Juntos, trabajamos para cambiar la situación actual de la Esclerosis Múltiple. La Alianza continúa visibilizando la enfermedad y resaltando las necesidades no atendidas de la EM progresiva, animando a la comunidad a unirse y buscar soluciones.

MIEMBROS DIRECTIVOS

MIEMBROS

FUNDACIONES Y FONDOS BENÉFICOS

- La familia Al Otaiba
- The Alan Buegeleisen Fund
- The Avidan Family Charitable Trust
- The Chesney Miles Charitable Fund
- Cathy y Bill Onufrychuk
- Dean Smith en nombre de FUMS
- Dick and Robin Kelly Foundation
- En memoria de Georg Bruun de parte de la familia Bruun y CP ApS
- Jim Tidwell MS Memorial Research Fund
- M&H Schwartz Family Foundation
- Yellow Rose Gala Foundation

FORO INDUSTRIAL

- Biogen
- EMD Serono
- Genentech, miembro de Roche
- MedDay Pharmaceuticals
- Novartis AG
- Sanofi Genzyme
- Teva Pharmaceuticals

IMPULSANDO A LA COMUNIDAD INTERNACIONAL

Desde el 2014 y a través de la Alianza, organizaciones de EM de todo el mundo han impulsado a la comunidad internacional para que se encuentren nuevos tratamientos para la EM progresiva. La participación constante de estas organizaciones y de las personas con EM progresiva garantiza que el trabajo no decaiga y anima a investigadores y e industria a ser persistentes, unificando importantes actividades de investigación en todo el mundo para crear un acervo coherente de información y trabajos sobre EM progresiva que ayude a encontrar soluciones tan rápido como sea posible.

Este enfoque exhaustivo e innovador sigue surtiendo efecto, garantizando que las investigaciones más prometedoras reciban financiación y así encontrar y desarrollar tratamientos sin demora. Que la Alianza se considere un modelo que se debería aplicar a otras enfermedades supone el mejor reconocimiento de que, al seguir perfeccionando nuestro enfoque innovador, vamos por el buen camino.

Aunque la Alianza ha conseguido mucho en estos años, necesitamos más para mantener el impulso. Por eso, en el 2017 nos hemos parado a pensar en lo que hemos conseguido hasta ahora, en nuestra estrategia de investigación y en la siguiente fase de trabajo de la Alianza.

La comunidad de la EM es unánime a la hora de buscar tratamientos aprobados y procedimientos efectivos para la EM progresiva lo antes posible.

Por favor, únete a nosotros. Juntos tenemos una oportunidad única para ampliar nuestro movimiento mundial, quitar barreras y acelerar el progreso para las personas con EM progresiva.

Cyndi Zagieboylo
Presidenta del Comité Ejecutivo de la Alianza
Presidenta y Directora General de National MS Society, EE. UU.

ABRIENDO LAS PUERTAS A LA COMUNIDAD INVESTIGADORA

La Alianza ha conseguido centrar la atención científica y clínica en la búsqueda de una solución para la EM progresiva. Empezó con la certeza, y la creencia, de que la investigación en EM progresiva está muy avanzada, pero, al facilitar el desarrollo de nuevas herramientas y métodos para optimizar la investigación en fármacos y acelerar los ensayos de los posibles tratamientos, la Alianza ofrece esperanza.

Desde que se creó, la Alianza ha estimulado e incentivado prometedoras investigaciones en todo el mundo para eliminar los obstáculos actuales en el desarrollo de nuevos tratamientos para la EM progresiva. El conjunto de médicos, biotecnólogos, farmacéuticas y, sobre todo, asociaciones de EM se ha dinamizado para acelerar el desarrollo de tratamientos sintomáticos y modificadores de la enfermedad.

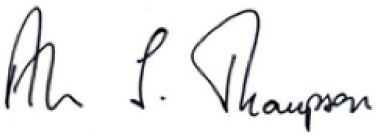
A pesar de que el programa estratégico de la Alianza ha conseguido un avance ostensible gracias a orientación intelectual, actividades de movilización, colaboración en investigación, financiación y el compromiso de personas con EM en el proceso de investigación, no debemos cejar en nuestro empeño. La Alianza debe seguir centrándose en nuestras prioridades: facilitar el hallazgo de nuevos tratamientos y reducir los plazos y costes de los ensayos de posibles fármacos. Así las personas con EM progresiva podrán acceder a los tratamientos antes.

Para la EM progresiva, el número de ensayos clínicos en fase 1 y en fase 2 es insuficiente. Se deben explorar muchas vías simultáneamente porque, en el desarrollo de fármacos en general, la tasa de fracaso es muy elevada. Nos centraremos en aumentar el número de tratamientos en fase de estudio, combinando programas de investigación y desarrollo de herramientas:

- Ampliando y ahondando en lo que ya sabemos de los mecanismos biológicos de la progresión,
- Desarrollando las herramientas que aceleren el desarrollo de los ensayos clínicos,
- Enfocando el campo de la rehabilitación y bienestar hacia el desarrollo de programas y estrategias que puedan mejorar la calidad de vida.

Confiamos en seguir dirigiendo una importante labor en este campo y colaborar con otras iniciativas. La Alianza está haciendo lo posible por asistir a las más de un millón de personas que pierden agilidad, libertad y su futuro por la EM progresiva. Los beneficios de solucionar los problemas de esta enfermedad traicionera se verán tanto de inmediato como a largo plazo.

La Alianza ha despertado esperanzas y expectativas de progreso. Debemos continuar. Juntos lo conseguiremos antes.



Profesor Alan J. Thompson, MD
Presidente del Comité Directivo Científico de la Alianza
University College, Londres, Facultad de Neurociencias, Reino Unido

PROGRESANDO EN INVESTIGACIÓN

Desde el 2014, la Alianza ha invertido en proyectos de todo el mundo a través de Challenge Awards y Collaborative Network Awards (becas a redes colaborativas) y esperamos seguir fomentando la investigación en EM progresiva con nuevas herramientas y métodos que optimicen la investigación farmacológica. Al concentrarnos en nuestras prioridades, aumentarán los descubrimientos y se reducirán los plazos y costes de los ensayos de esos posibles fármacos. Se abre un nuevo camino para los tratamientos para la EM progresiva.

En muy poco tiempo, la Alianza ha demostrado que es capaz obtener resultados positivos. Esta colaboración estrecha y creciente ha impulsado a la comunidad científica mundial y ha consolidado el buen trabajo de las organizaciones de EM al identificar tratamientos y acelerar los ensayos clínicos que evalúan los resultados en los pacientes y desarrollan nuevas terapias.

Gracias a artículos científicos, ensayos, y reseñas —por ejemplo, en las revistas de alto impacto Lancet Neurology, Multiple Sclerosis Journal o Nature—, la divulgación de la enfermedad está superando todas las expectativas. La Alianza también patrocina cumbres científicas, encuentros del Foro de la industria y ponencias durante encuentros científicos, como los del ECTRIMS, el ACTRIMS o la Academia Norteamericana de Neurología.

“ Si quieres algo, te esfuerzas por conseguirlo y no te rindes.

Sé que hay muchas personas —investigadores y médicos— esforzándose por encontrar la cura para esta enfermedad, y sé que, algún día, lo conseguirán.”

Jack
Conviviendo con la EM desde 1992, Canadá

COLLABORATIVE NETWORK AWARDS

Estas becas a redes colaborativas que fundó la Alianza son subvenciones plurianuales que se otorgan a redes internacionales de investigadores e instituciones que trabajan juntas para conseguir avances importantes que ayuden a entender y tratar la EM progresiva. El trabajo de estas redes empezó en 2017:

DESCUBRIMIENTO DE FÁRMACOS/ VALIDACION

Proyecto: Desarrollo de un proceso de descubrimiento de fármacos para la EM progresiva

Investigador principal: Dr. Francisco Quintana, Hospital Brigham and Women (EE. UU.) en colaboración con ocho investigadores de los EE. UU., Canadá, Israel y Sanofi Genzyme

El objetivo del proyecto del Dr. Francisco Quintana es identificar fármacos que podrían convertirse en terapias eficaces para la EM progresiva. La idea central del proyecto es que, al centrarse en el sistema inmunitario innato en el sistema nervioso central, se descubrirán aproximaciones terapéuticas eficaces para la enfermedad. Aunque el sistema inmunitario innato normalmente protege al cuerpo de infecciones, se ha descubierto que las células del sistema inmunitario innato en el sistema nervioso central presentan un papel patológico en la EM y otras enfermedades. Hasta la fecha, se han examinado enzimas de una vía de señalización celular que inhibe el fármaco miglustat y que son susceptibles de ser dianas farmacológicas para bloquear las propiedades destructoras de algunas células del sistema inmunitario innato. También están estudiando la acción del miglustat en células, así como un ensayo clínico que analice el líquido cefalorraquídeo tras la administración de miglustat.

Han rastreado 500 compuestos que pueden atravesar la barrera hematoencefálica y han identificado un compuesto adicional que media la señalización entre diferentes células para un estudio más profundo. Han empezado a ensayar otras 3000 moléculas.

Proyecto: Bioinformática y reprogramación celular para el desarrollo de una plataforma in vitro de descubrimiento de nuevos fármacos para la EM progresiva (BRAVEinMS)

Investigador principal: Gianvito Martino, División de Neurociencias, Hospital San Raffaele, Milán (Italia) en colaboración con 13 investigadores de Italia, Francia, Alemania, Canadá y los EE. UU.

El equipo está usando la bioinformática y la reprogramación celular para desarrollar una plataforma in vitro (por ejemplo, en placas de cultivo) que ayude a descubrir nuevos fármacos para la EM progresiva. Están trabajando en la identificación de moléculas que puedan tener un papel protector de las células nerviosas o neuronas o promover la reparación de la mielina.

El equipo se está centrando en tres fases: 1) identificar posibles fármacos o compuestos, 2) estudiar en el laboratorio si dichos compuestos pueden proteger las células nerviosas o fomentar la reparación de la mielina y 3) ensayar los compuestos candidatos en modelos animales de EM progresiva. En la primera fase, los investigadores tendrán que echar mano de sus amplios conocimientos informáticos para peinar grandes conjuntos de información biológica y química. El objetivo a corto plazo es tener una lista definitiva de moléculas que se puedan ensayar en ratones con nuevos procedimientos desarrollados por el equipo. Después, el equipo ensayará en neuronas y

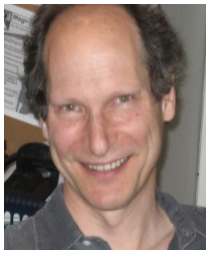
oligodendrocitos derivados de hiPSDc (células madre pluripotentes inducidas humanas). En 2018, el equipo espera desarrollar medidas de evaluación de los resultados de los ensayos. También cree que podrá localizar moléculas no identificadas hasta la actualidad con altas probabilidades de eficacia en el tratamiento de EM progresiva.

En los últimos años, los doctores Quintana y Martino han establecido vínculos de colaboración entre sus equipos y coordinarán sus trabajos en el descubrimiento de fármacos a medida que avancen sus proyectos.

BIOMARCADORES

Proyecto: Identificación de un biomarcador de progresión de la discapacidad para su uso en ensayos clínicos

Investigador principal: Douglas Arnold, Universidad McGill (Canadá) en colaboración con 16 investigadores de Holanda, Reino Unido, Estados Unidos y Suiza



Douglas Arnold y su equipo están desarrollando nuevas herramientas de medición de progresión de la discapacidad en EM progresiva con un innovador desarrollo de marcadores de Imagen de Resonancia Magnética (IRM) que señalen la progresión y adaptándolos para su uso en ensayos clínicos tempranos (fase 2) de tratamientos. Esta investigación examina la idea de que el daño cerebral asociado al progreso de la enfermedad se puede detectar antes por IRM.

Gracias a datos de ensayos clínicos anteriores, incluyendo información de más de 2000 pacientes y 40 000 resonancias magnéticas, el grupo ha estado trabajando en el desarrollo de herramientas de aprendizaje automático para predecir la actividad futura de la enfermedad a partir de imágenes de pacientes de EM remitente recurrente (EMRR). Las herramientas serán transferibles y se podrán aplicar a pacientes de EM progresiva. Han estado estudiando si las nuevas lesiones que se observan en las resonancias podrían predecir la actividad futura de la enfermedad o cambios en la puntuación de la escala EDSS. También han creado herramientas para compartir y controlar la calidad de la información que se genera. Por último, se están planteando añadir más imágenes (más información) a la base de datos, lo que ayudará a desarrollar algoritmos más robustos.

40 INVESTIGADORES PRINCIPALES

3 Becas a redes colaborativas de **4 € MILLONES** con una INVERSIÓN TOTAL de **12 € MILLONES**

La Alianza financió REDES MUNDIALES DE COLABORACIÓN **NECESARIAS E INNOVADORAS** de 21 instituciones de :

- Canadá
- Francia
- Alemania
- Israel
- Italia
- Holanda
- Suiza
- Reino Unido
- Estados Unidos

Estamos implicando a los **MEJORES EXPERTOS** para sentar los cimientos en los próximos 4 años de NUEVOS TRATAMIENTOS Y ENSAYOS CLÍNICOS

Los proyectos esperan **REDUCIR LOS PLAZOS Y COSTES** de preparar tratamientos para los ensayos clínicos

FORO INDUSTRIAL

La colaboración de la industria con la Alianza se gestiona a través del Foro industrial, codirigido por el profesor Giancarlo Comi, Director del Departamento de Neurología en el Instituto Científico San Raffaele, y el Dr. Bruno Musch, Director de Asuntos Médicos y Neurociencias en Genentech, Inc.

- El Foro industrial garantiza que las empresas farmacéuticas y biotecnológicas se comprometan a ayudar, a informar y a avanzar más rápido.
- Las principales empresas farmacéuticas y biotecnológicas comparten un programa de trabajo común para abordar la EM progresiva en el que establecen áreas de interés para eliminar obstáculos y un interés en la fisiopatología aplicada a la EM progresiva y en el intercambio de datos.
- Miembros del Foro industrial, autoridades reguladoras, el Comité Director Científico y los investigadores del Collaborative Network Award se reunieron en Washington, D. C. y en Londres en el 2017.
- La industria ha colaborado con las principales autoridades reguladoras, tanto de EE. UU. como de Canadá y Europa, en un continuo diálogo por el desarrollo de fármacos para la EM.
- El Foro industrial ha contribuido al desarrollo de la planificación de investigaciones futuras de la Alianza, ha colaborado en los comités de supervisión del Collaborative Network Award y ha coordinado un programa de trabajo común por un compromiso normativo.
- Entre los colaboradores del Foro están: Biogen, EMD Serono; Genentech, miembro de Roche; Sanofi Genzyme; MedDay Pharmaceuticals; Novartis AG y Teva.
- La Alianza necesita a la industria para cumplir con sus objetivos. Su amplio conocimiento en investigación farmacológica y ensayos clínicos y su deseo de contribuir con recursos e inversión financiera también ayudarán a avanzar más rápido.

LA ALIANZA SIGUE CRECIENDO

Nuevos miembros adheridos en el 2017:

- Neuroliitto (Finlandia)
- The Chesney Miles Charitable Fund
- Dick and Robin Kelly Foundation
- La familia Al Otaiba

ACTOS, PRESENTACIONES Y PUBLICACIONES DESTACADAS DE LA ALIANZA

- 13 publicaciones científicas y 20 resúmenes de congresos a partir de investigaciones que han recibido becas Challenge Award.
- Los equipos de las redes colaborativas dirigidos por el Dr. Francisco Quintana, el Dr. Doug Arnold y el Dr. Gianvito Martino publicaron varios artículos en revistas especializadas, incluyendo la importantísima revista científica Nature.
- El trabajo de tres redes colaborativas se presentó en una sesión de temas de actualidad en la reunión del ECTRIMS de este año. Esta reunión es la más importante a nivel mundial en investigación en EM, y reúne a cerca de 10 000 asistentes.
- La Alianza presentó dos transmisiones por internet desde Harvard (Boston, EE.

UU.) y ECTRIMS/ ACTRIMS (París, Francia). Estos webinarios contaron con el Dr. Tim Coetzee; dos miembros del Comité director científico afectados por EM, Caroline Sincock y Jon Strum; e investigadores de las redes colaborativas, el Dr. Douglas Arnold, de la Universidad McGill (Canadá), el Dr. Gianvito Martino, del Instituto científico San Raffaele (Italia), y el Dr. Francisco Quintana, de la Universidad de Harvard/Hospital Brigham and Women (EE. UU.). Estos tres webinarios presentaron los proyectos y el trabajo de las 21 instituciones de Canadá, Francia, Alemania, Israel, Italia, Holanda, Suiza, Reino Unido y Estados Unidos que están colaborando para reducir los plazos y costes de hacer que los tratamientos estén listos para sus ensayos clínicos.

- Miembros del Comité Director Científico (Alexis Donnelly y Caroline Sincock) prestaron su ayuda a la Agencia Europea de Medicamentos en varios encuentros con la perspectiva de las personas afectadas por EM progresiva. Jon Strum puso en marcha el pódcast «RealTalk MS», en el que trata diversos temas, incluyendo la Alianza y la EM progresiva
- El profesor Alan J. Thompson, decano de la Facultad de Neurociencias de la University College de Londres y presidente del Comité Director Científico de la Alianza, recibió el premio John Dystel 2017 a la investigación en EM otorgado por la Sociedad Americana de EM y la Academia Americana de Neurología. Thomson fue galardonado por su investigación pionera en las formas de abordar síntomas y mejorar la calidad de vida de las personas con EM y por su labor como motor de la Alianza.
- El profesor Per Soelberg Sorensen, Director de la Unidad de investigación en EM Curriculum Vitae (Denmark) y miembro del Comité Director Científico de la Alianza, recibió el premio Charcot de la Federación Internacional de EM por su labor en la investigación en EM.
- Los investigadores en EM más prominentes se reunieron en Roma en marzo de 2017 bajo los auspicios del ECTRIMS y la Alianza. La revista MS Journal publicó un número especial con artículos a partir de sus ponencias. La Alianza y el ECTRIMS patrocinaron este número para facilitar el acceso abierto a dichas ponencias.

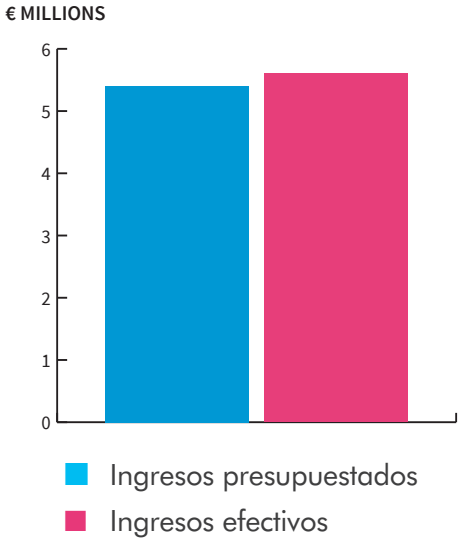
La Alianza presentó dos transmisiones por internet para presentar los tres proyectos de la red colaborativa y el trabajo de las 21 instituciones que están colaborando para reducir los plazos y costes de hacer que los tratamientos estén listos para sus ensayos clínicos.

RESUMEN FINANCIERO

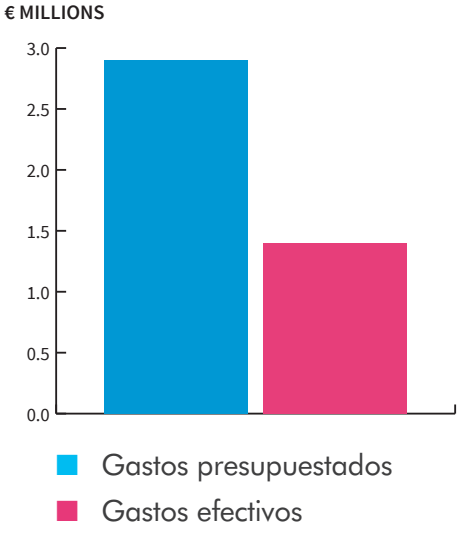
La Alianza sigue superando los ingresos presupuestados gracias a un número cada vez mayor de miembros y contribuciones financieras. La Alianza ha conseguido un avance ostensible gracias a orientación intelectual, actividades de movilización, colaboración y financiación.

- Ingresos presupuestados: 5,4 millones de euros
- Ingresos efectivos: 5,6 millones de euros
- Gastos presupuestados: 2,9 millones de euros
- Gastos efectivos: 1,4 millones de euros

INGRESOS



GASTOS



El Comité Ejecutivo de la Alianza, de izquierda a derecha, de delante atrás: Cyndi Zagieboylo, Presidenta y Directora General de National MS Society, EE.UU.; Michelle Mitchell, Directora General de MS Society, Reino Unido; Peer Baneke, Director General de la Federación Internacional de EM; Klaus Høm, Director General de Scleroseforeningen (Dinamarca); Mario Battaglia, Director General de Associazione Italiana Sclerosi Multipla y Presidente de la Fundación Italiana de EM (Italia); Matthew Miles, Director General de MS Research Australia; y Pamela Valentine, Directora General de MS Society of Canada (ausente).

Alianza Internacional de EM Progresiva

Visibilizando — Enfocando a la comunidad — Uniendo las iniciativas mundiales.

Más que esperanza.

Progreso.

Manuella, con EM desde 2003, Alemania

Kerri, con EM desde 2008, Australia

Bruce, con EM desde 2008, Inglaterra

"Necesito que la investigación haga más por la EM progresiva, como la mía."

Cinzia, con EM desde 2011, Italia

"Ya no parece que seamo el grupo olvidado. Y eso ayuda."

Mitch, con EM desde 2001, EE. UU.

Louise, con EM desde 1997, Dinamarca

Brian, con EM desde 2005, Canadá

Ina, conviviendo con EM, Holanda

INTERNATIONAL
PROGRESSIVE MS ALLIANCE

CONNECT TO END PROGRESSIVE MS

ProgressiveMSAlliance.org | info@progressivemsalliance.org