

FRANCESC PALAU, DIRECTOR DEL INSTITUT DE RECERCA SANT JOAN DE DÉU

## “EL HOSPITAL PEDIÁTRICO TIENE QUE SER UN CENTRO DE INVESTIGACIÓN”



Actualmente, nos dirigimos a un mayor interés por todo lo que tiene que ver con el mundo del niño y del adolescente. No sólo para mejorar los tratamientos y conocer las enfermedades, sino para practicar mejor medicina preventiva y profilaxis. Para hacer un abordaje más integral de los problemas de los niños y sus familias. En este cometido está inmerso el Institut de Recerca Sant Joan de Déu (IRSJD).

La investigación que se realiza en el Hospital Sant Joan de Déu en Barcelona es traslacional, lo que significa que lo que se aprende en el laboratorio se traslada rápidamente a la asistencia de sus pacientes y viceversa. Este centro lidera el Institut de Recerca Sant Joan de Déu (IRSJD), un centro que cuenta también con la participación de grupos de investigación del Institut de Biomedicina (IBUB) y el Institut de Neurociències, ambos de la Universitat de Barcelona, y el Centre de Recerca en Enginyeria Biomèdica (CREB) de la Universitat Politècnica de Catalunya. El IRSJD agrupa a más de 300 investigadores y médicos del Hospital Sant Joan de Déu Barcelona y el Parc Sanitari Sant Joan de Déu. **Francesc Palau**, su *director*, explica que hay dos modelos, complementarios entre sí, de aproximación a la investigación. Por un lado, la llevada a cabo por los profesionales clínicos, que son médicos de servicios hospitalarios y que realizan investigación fundamentalmente clínica o traslacional. Por otro lado, están los investigadores que trabajan en el laboratorio. *“Tenemos una situación mixta, tanto de intercentros de las distintas instituciones como que el propio Sant Joan de Déu tiene investigadores clínicos procedentes del hospital e investigadores propios que forman parte del Instituto”*, aclara. Todo ello es gestionado por la Fundación Sant Joan de Déu.

Alega que queda mucho por desarrollar. *“El de la investigación pediátrica es un campo que necesita en España mucha más inversión, muchos más grupos de investigación y más interés por investigar en enfermedades que son muchas más de las que se creen”*, avisa. Recuerda que muchas son enfermedades genéticas y raras. Por tanto, insiste en que *“hay un campo muy amplio para desarrollar; tanto desde la perspectiva del conocimiento de la historia natural como de los mecanismos fisiopatológicos, del diagnóstico y del tratamiento”*.

Los grupos de investigación en cáncer infantil, del desarrollo, del IRSJD buscan un conocimiento más personalizado de la biología del tumor para incidir en tratamientos más específicos. El objetivo es que sean menos agresivos para el niño. Palau señala que hay avances importantes en el terreno de introducir nuevas terapéuticas; como los virus oncolíticos, la terapia génica o las tecnologías inmunosupresoras. Cita técnicas como el CART19, para la leucemia linfoblástica aguda.

En el ámbito de las enfermedades neurológicas, subraya que muchas de ellas son enfermedades poco frecuentes o raras. *“Uno de los desarrollos más importantes que hemos tenido en los últimos años ha sido el incrementar mucho la capacidad diagnóstica desde la perspectiva del análisis genético. Es decir, poder rastrear al genoma humano, fundamentalmente en el estudio del exoma, y poder aumentar la capacidad diagnóstica de los pacientes, tanto de la perspectiva clínica como en el laboratorio”*, afirma. Menciona enfermedades metabólicas que afectan al sistema nervioso, enfermedades neuromusculares y otras que conllevan los movimientos anormales, los parkinsonismos. *“Son campos importantes que tenemos de desarrollo”*, repite.

Desde el punto de vista de las enfermedades inmunológicas y metabólicas, una investigación importante que llevan a cabo es la del efecto que tiene la prematuridad y el bajo peso sobre el proceso evolutivo en la adquisición de trastornos metabólicos



# SJD

## Sant Joan de Déu Institut de Recerca

### Diferentes ámbitos de investigación

Trabajan en diferentes ámbitos de investigación. *“En los campos fundamentales donde somos más potentes”*, matiza Francesc Palau. Detalla que uno es el cáncer del desarrollo, que es el cáncer infantil pediátrico. Otro campo es el de las neurociencias, desde el ámbito neurológico, desde el ámbito de la psiquiatría y psicología infantil e infanto-juvenil y su proyección en el adulto. Un tercer ámbito de actuación es la respuesta adaptativa, tanto metabólica como inmunológica, y la patología infecciosa. Éstos son los tres ejes principales. Un cuarto ámbito son las tecnologías y la innovación, con mucho componente en bioingeniería. Del mismo modo, hay un área de orientación de investigación clínica.

en niños más adultos. Otra tiene que ver con la capacidad de diagnóstico de enfermedades microbianas, bacterianas o víricas y el estudio del microbioma en distintas patologías.

### El que más ensayos clínicos realiza

Preguntamos a Palau si es una limitación el hacer ensayos clínicos con niños. Contesta que es más difícil. Si bien, informa de que ellos disponen de una unidad de ensayos clínicos muy potente, que comenzó su andadura hace cinco años. El ser el hospital pediátrico que más ensayos clínicos realiza en España les permite aplicar terapias experimentales, nuevas e innovadoras, en enfermedades que no tienen tratamiento o son insuficientes.

Manejan más de 100 ensayos clínicos vivos pediátricos, al año. *“Somos una unidad de referencia a nivel europeo. Somos pioneros en España y uno de los centros en Europa con la mejor estructura para ensayos clínicos pediátricos”,* asegura. Están inmersos en ensayos relacionados con leucemia linfoblástica aguda, que es la leucemia y el cáncer más frecuente en niños. Están asimismo con ensayos con tumores sólidos como el retinoblastoma, que es un tumor de la retina que debuta en los primeros meses o años de vida en niños; con ensayos clínicos en terapia génica de alguna enfermedad metabólica, como la enfermedad de Sanfilippo o mucopolisacaridosis tipo III (MPS-III); con ensayos clínicos en ataxias causadas por déficit de la glicosilación. Y muchos más. Hace hincapié en que, por la prevalencia, el infantil es un cáncer infrecuente. Por ello, *“los conceptos de enfermedades raras se acoplan perfectamente a todos los tipos de cáncer infantil”.*

### *“Los conceptos de enfermedades raras se acoplan perfectamente a todos los tipos de cáncer infantil”*

Respecto a la I+D en Sanidad en los últimos años, Palau lamenta que ha existido un menor interés social por lo que es la investigación de las enfermedades pediátricas. *“Las personas mayores tendemos a interesarnos más por los problemas de los mayores. Globalmente, en el mundo hay cierto déficit en la investigación y el desarrollo en el mundo pediátrico. En España, ha ido mejorando”,* expone. A su juicio, *“ha ido mejorando mucho a raíz del concepto de enfermedades raras, donde se ha invertido más”.* Gracias a que se relaciona con que la mayor parte de las enfermedades raras debuta en la edad pediátrica y con que muchos pacientes se manejan aún con edad pediátrica aunque puedan ser más mayores. Eso ha dado *“un balón de oxígeno”* a la investigación pediátrica. No obstante, este campo *“aún adolece no sólo de inversión sino también de interés por parte de los investigadores de trabajar en ese tipo de pacientes o enfermedades, incluidos los propios pediatras y especialistas en las áreas pediátricas”.*

¿Cómo ha de ser el hospital pediátrico del futuro? Palau responde que ha de ser un hospital muy interactivo con el territorio, con los profesionales del territorio, con la vida cotidiana de las personas, de las personas enfermas y de sus familias. *“Ser un hospital más fluido, de manera que muchos de los procedimientos se hagan en casa y uno tenga el control desde los hospitales y sus unidades.*

### Trayectoria profesional

El doctor Francesc Palau es pediatra de formación en origen. Ha orientado su trayectoria profesional hacia la genética humana y la genética clínica. Es profesor de investigación del Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC), en excedencia en este momento. Ha trabajado en el Instituto de Biomedicina de Valencia, del CSIC. Se incorporó al hospital de Sant Joan de Déu en calidad de jefe de Servicio de Medicina Genética y responsable del Instituto Pediátrico de Enfermedades Raras. Desde ahí, además, es el director del Institut de Recerca Sant Joan de Déu. También es investigador del Centro de Investigación en Red de Enfermedades Raras (CIBERER), del Instituto de Salud Carlos III.

*Que la gente trabaje en conjunto, pero que el paciente esté en casa, donde se maneja todo mucho más a distancia, teniendo contactos más puntuales”,* asevera. Eso sería una cuestión. *“Otra es que el hospital pediátrico tiene que ser un centro de investigación, un centro de conocimiento, de generación del conocimiento”,* prosigue. *“No sólo conocimiento científico, sino conocimiento social de las cosas, de la interacción entre las personas. El hospital pediátrico ha de ser un centro de investigación científica, de investigación social, de investigación en todos los sentidos”,* reflexiona. Han de estar presentes esas dos vertientes, la de ser un hospital fluido de interacción con el territorio y más allá y la de ser un lugar de generación de conocimiento a través de la investigación científica y de desarrollos tecnológicos. +

### Algunas cifras

El Institut de Recerca Sant Joan de Déu tiene entre sus objetivos convertirse en un centro de referencia a nivel internacional en la investigación biomédica en edad pediátrica, pero también con interés en el desarrollo humano global. De su Memoria Anual Científica del 2017 se extraen algunas cifras que demuestran que va por el buen camino.

- Personal de investigación. En total 552 personas que se dividen en líderes de grupo (51), investigadores (209), Postdoc e investigadores asociados (64), estudiantes de PhD (105), asistentes (66), técnicos (34) y colaboradores (23).
- Proyectos: 360
- Ensayos clínicos y estudios observacionales: 140. De los cuales 15 están en Fase I, 35 en Fase II, 48 en Fase III, 4 en Fase IV y 37 son estudios observacionales.
- Publicaciones. 401 artículos y reviews con factor de impacto; factor de impacto de 1909 y un 4,8 de factor de impacto medio.