



DRA. LAURA BELVER

PROJECTE:
Projecte de recerca sobre la
leucèmia mielomonocítica
juvenil

La Dra. Laura Belver va néixer a Madrid fa 38 anys. El 2012 va marxar als Estats Units, a Nova York (la graaan poma!), per unir-se al laboratori del Dr. Adolfo Ferrando, a la Columbia University. Allà es va especialitzar en leucèmies, especialment en leucèmies limfoblàstiques agudes T. A la Laura li encanta la truita de patates de la seva mare. És el seu plat preferit per sobre de tooot. El seu llibre preferit és *Mujeres de ojos grandes*, d'Ángeles Mastretta, i la seva pel·li preferida, *Gat negre, gat blanc* d'Emir Kusturica.

El 2020, la Dra. Belver es va unir a l'Institut de Recerca contra la Leucèmia Josep Carreras amb l'objectiu d'avançar en l'estudi d'una mena de leucèmia que afecta bebès i és molt poc freqüent: la leucèmia mielomonocítica juvenil.

La leucèmia mielomonocítica juvenil afecta menys de 10 bebès cada any a Espanya.
Només es pot curar amb un trasplantament de medul·la òssia d'un donant.



La leucèmia mielomonocítica juvenil (LMMJ):

- Afecta entre 5 i 10 infants cada any a Espanya.
- És difícil de diagnosticar i més prevalent en nens que en nenes, en una proporció de 2,5/1.
- L'únic tractament que ha demostrat tenir poder curatiu és el trasplantament de progenitors hematopoètics (trasplantament de medul·la òssia) d'un donant HLA compatible.
- És una teràpia no exempta de riscos i aproximadament un 30% pot recaure.
- La seva poquíssima prevalença no mereix l'atenció i l'interès de la indústria farmacèutica.

OBJECTIUS DEL PROJECTE

És una malaltia molt heterogènia. Actualment, no hi ha gaires dades moleculars que permetin predir si el trasplantament de medul·la podrà funcionar o no. Els propòsits d'aquest projecte són:



- Trobar noves alteracions genètiques en aquesta leucèmia que ens puguin ajudar a entendre millor què és el que està passant molecularment i a predir millor l'estratificació dels pacients: saber com evolucionaran.
- Analitzar la presència de mutacions en regions no codificants (zones que no són gens, sinó que regulen els gens) per veure com poden afectar l'evolució del tumor. Es tracta de la primera vegada que es faria en aquesta mena de leucèmia.
- Dissenyar inhibidors per bloquejar els efectes adversos de la mutació genètica PTPN11, present en el 40 % dels pacients, amb la intenció de tractar d'una manera molt específica els infants amb les formes més agressives de la malaltia.

El projecte té un pressupost mínim anual de 120.000 €



«La majoria dels pacients amb LMMJ experimenten un curs clínic agressiu de la malaltia i requereixen un trasplantament de cèl·lules mare hematopoètiques, actualment l'única opció terapèutica per aconseguir la remissió d'aquesta leucèmia a llarg termini. No obstant això, aquest tractament comporta un risc significatiu de mortalitat.

Malgrat els avenços assolits en els darrers anys en la caracterització genètica i epigenètica de la LMMJ, aquesta malaltia continua sent un desafiament clínic per la seva heterogeneïtat, el difícil diagnòstic, el mal pronòstic i la falta d'opcions de tractament alternatives.

La nostra intenció també és establir un grup de treball de LMMJ a Espanya i crear un repositori de mostres centralitzat. Així mateix, volem desenvolupar una anàlisi molecular integral de pacients amb LMMJ per definir criteris precisos de diagnòstic i estratificació i identificar noves dianes terapèutiques potencials.»

GRÀCIES PER FER-NOS IMPARABLES CONTRA LA LEUCÈMIA!