

# Contra las enfermedades raras infantiles

## ¿Qué son las enfermedades raras infantiles?

Se denomina enfermedades raras a **aquellas que afectan a una pequeña parte de la población**. A pesar de que su incidencia sea menor a 5 casos por cada 10.000 habitantes, son muchos los niños y familias que se ven afectados por estas patologías.

La mayoría no tiene cura y son crónicas. **La esperanza de vida** de quienes las padecen depende del tipo de dolencia, pero en general **está limitada por las consecuencias y síntomas de la enfermedad**.

El diseño de nuevas terapias curativas pasa, necesariamente, por la investigación. **Hay que conocerlas para poder vencerlas**.

**7.000**  
Tipos diferentes de enfermedades raras

**6-8%**  
de afectados en España

### Enfermedades Oncológicas

El **cáncer infantil es la principal causa de muerte por enfermedad en niños** en los países desarrollados. Además, los tratamientos pueden provocar secuelas de por vida en los niños afectados.

Como la incidencia del cáncer infantil es menor que la del cáncer en adultos se considera una enfermedad rara y **necesita terapias diferenciadas**.

¿Cuál es el **índice de supervivencia** según el diagnóstico?



INVESTIGACIÓN

#### CUÁL ES NUESTRA APUESTA

Terapias que mejoren la supervivencia de los niños enfermos a través de dos terapias.

**Adenovirus oncolíticos**  
Virus dirigidos a destruir células tumorales.

**Inmunoterapia**  
Estrategias de actuación del sistema inmune contra el tumor.

### Enfermedades Hereditarias

Se dan por la **modificación de algún gen** y se padece **desde el nacimiento**. Además, es difícil llegar al diagnóstico acertado. **No se puede prevenir, solo se pueden curar**.

¿Cuál es la **incidencia** de estas enfermedades?



INVESTIGACIÓN

#### CUÁL ES NUESTRA APUESTA

**Terapia génica**  
Buscamos la curación de enfermedades provocadas por la falta o disfunción de una proteína. Lo hacemos administrando el gen capaz de producirla correctamente.

## Investigar para curar

### UNIVERSIDAD DE NAVARRA

La Universidad de Navarra es una institución **sin ánimo de lucro** establecida en 1952 que trabaja con una sólida misión de servicio a la sociedad a través de la investigación, la docencia y la difusión.

**57 grupos de trabajo** en el área de Biomedicina y Salud

### CLÍNICA UNIVERSIDAD DE NAVARRA

Hospital caracterizado por el trabajo multidisciplinar y en equipo. Avalada desde 2004 por la Joint Commission International, la Clínica es, desde su fundación en 1962, uno de los hospitales más prestigiosos de Europa.

**542 ensayos clínicos** activos al año

La conexión estratégica de los centros implicados facilita la aproximación de la realidad clínica a la investigación básica.

### CIMA UNIVERSIDAD DE NAVARRA

Entidad impulsada por la propia Universidad con la misión de realizar una ciencia traslacional basada en un conocimiento biológico novedoso y dirigida a encontrar soluciones terapéuticas a las necesidades de los pacientes

**373 profesionales investigan** para curar en **143 proyectos** diferentes

- **Investigamos para curar enfermedades** que hoy no tienen solución y producen sufrimiento a importantes colectivos de enfermos y a sus familias:

- Enfermedades Raras
- Cáncer
- Enfermedades Neurodegenerativas
- Enfermedades Cardiovasculares

- **Apostamos por la calidad científica de nuestro país.** Contribuimos a que nuestros investigadores puedan desarrollar aquí todo su potencial.

- Desarrollamos investigación biomédica desde el **respeto a la dignidad humana** en todos los procedimientos y tecnologías utilizadas.

- **Trabajamos sin ánimo de lucro.** Los potenciales rendimientos económicos se reinvertirán en la propia actividad para continuar buscando soluciones a enfermedades sin cura.

- **Compartimos el conocimiento con centros de todo el mundo** a través de congresos y publicaciones científicas. Entre todos **hacemos que la ciencia avance.**

- **Investigar para curar.** Trabajamos para **acortar el tiempo entre el descubrimiento científico y su aplicación en el paciente** gracias a un modelo de investigación aplicada. Trasladamos la investigación a la práctica clínica, del laboratorio a la cama del paciente.