

Periodo analizado	Enero – Diciembre 2020
--------------------------	------------------------

ACREDITACIÓN JACIE

Esta revisión se corresponde a los procesos y actividad del Programa Clínico Pediátrico de Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos (TPH), del Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica del Hospital Universitario La Paz, respondiendo a la implantación del Sistema de Gestión de la Calidad (SGC) según los estándares internacionales JACIE. Cubre las actividades de la Unidad de TPH Infantil en el período indicado.

Tras la inspección de los auditores externos en octubre de 2019, se ha trabajado en la mejora del SGC y en la integración de la cultura de calidad en el equipo y, desde la recepción del informe de auditoría en mayo de 2020, se ha trabajado en resolver y corregir todas las deficiencias reportadas en dicho informe.

Se considera que el SGC implantado es adecuado y coherente con las actividades desarrolladas y con los requisitos de los distintos clientes del Hospital Universitario La Paz, y que la Política de Calidad contenida en el Manual de Calidad es igualmente coherente con las actividades del Programa Clínico, y con las necesidades y expectativas de nuestros clientes.

Satisfacción de los clientes y otras partes interesadas

ENCUESTA DE SATISFACCIÓN A PACIENTES Y FAMILIARES DEL PROGRAMA TRASPLANTE DE PROGENITORES HEMATOPOYÉTICOS (TPH). SERVICIO DE HEMATO-ONCOLOGÍA INFANTIL.

Se han realizado Estudios de opinión de Pacientes/Familiares de los cuestionarios validados para tal fin: hospitalización, y hospital de día y consultas.

Los resultados se utilizarán para obtener para obtener el ÍNDICE DE SATISFACCIÓN (IS) que sirve para medir el grado de satisfacción del cliente. Los siguientes intervalos del valor de IS se consideran como referencia a la hora de extraer conclusiones de una encuesta:

- Muy bueno: 4-5

- Bueno: 3
- A mejorar: 1-2

Durante el año 2020 se analizan un total de **26** encuestas de satisfacción del área de consultas externas y hospital de día. Los IS se sitúan entre 3,9 y 5, y **13** encuestas en el Área de Hospitalización. Los IS en el Área de Hospitalización son en todos los ítems “Muy bueno” (IS=5).

Memoria de actividad

De acuerdo con los datos ofrecidos por la Unidad de Terapia Celular y Médula Ósea (UTC-MO), se presenta a continuación la actividad del Programa Clínico Pediátrico de TPH durante el año 2020:

Infusión de productos de Aféresis/Harvest/Terapia Celular Infundida			
Células Mesenquimales	4		
Progenitores Hematopoyeticos para boost	4		
Células NK	6		
Linfocitos de Donante patógeno específicos (receptores infección viral positiva refractaria a terapia)	1		
CAR-T Cells	7 (6 + 1 Dual)		
Infusión de Linfocitos de Donante (ILD)	119	23 pacientes	No manipuladas: 13
			Manipuladas Depleción CD45RA: 116
TRASPLANTES DE PROGENITORES HEMATOPOYETICOS	26		
TPH ALOGÉNICO	19		
Fuente Celular Sangre Periférica Haploidéntica manipulado	6	LLA (3)	CD34
		LH (1)	CD34
		LMA (1)	CD34
		Osteopetrosis (1)	TCR

MEMORIA JACIE 2020

Fuente Celular Sangre Periférica Procedente de DnE match o mismatch)	9	Fanconi (1)	DNE mismatch 9/10 C – SCP CD34
		Trombop Amega (1)	DNE 10/10 MO
		LLA (1)	DNE mismatch 9/10 A – SCP-TCR
		LLA (1)	DNE 11/11 SCP – SCP TCR
		LMA (1)	DNE 9/10- mismatch 9/10 – A - SCP TCR
		LAL NO 1º Recaída (1)	DNE 10/10 SCP TCR
		EGC (1)	DNE mismatch 9/10 – C –SCP TCR
		SMD (1)	DNE 9/10 -9/10 – A SCP TCR
Tolerancia operacional (Tx. Multi)	Donante Cadaver mismatch SCP CD34		
Fuente Celular Sangre Periférica Procedente de DE	4	Inmunodeficiencia (1)	No manipulado
		LAL-T (1)	TCR
		LMC (1)	MO
		SMD (1)	CD34
Tipo de fuente celular alogénica	MO	3	DE (1), DnE (1), Donante Cadáver (1)
	SCP No Manipulada	1	SCP NM (1)
	SCP TCR	8	DE (1), Haplo (1), DnE (6)
	SCP CD34	7	DE (1), Haplo (5), DnE (1)
NºTPH Alogénicos por patología	Inmunodeficiencia		1
	LAM no 1RC		1
	LAM 1RC		1
	LAL no 1RC		7
	SMD		2

	LMC		1
	LH		1
	EGC		1
	Tromb. Amegac		1
	A. Fanconi		1
	Osteopetrosis		1
	Multivisceral		1
TPH AUTÓLOGO	7	S. Ewing	1
		Neuroblastoma	3
		Seno Endodérmico	1
		T. Cerebral	2

Resultados de los indicadores de la calidad

El periodo analizado se corresponde con el periodo de enero a diciembre de 2020.

Los resultados se presentan de forma semestral y/o anual en el Comité de Calidad. El análisis de los datos se hace a través de la plataforma ProMise (EBMT), gracias al reporte de datos contenidos en los formularios de recogida de datos MED-A para cada procedimiento de trasplante. El reporte datos mínimos (MED-A) a la EBMT en el día +0, +100 y +1 año es responsabilidad de los facultativos del Programa Clínico.

En la siguiente tabla se han incluido los resultados del Programa desde el año 2019 para poder evaluar la tendencia de los indicadores en el tiempo. Los resultados son los siguientes:

Código	Título del Indicador	Resultado 2019	Objetivo 2020	Resultado 2020	Objetivo 2021
IC-ITPH-01A	Tiempo de injerto mieloide tras la administración del producto celular de	10,5	SP <12 d	10,6	SP <12 d

MEMORIA JACIE 2020

	sangre periférica (SP)				
IC-ITPH-01B	Tiempo de injerto mieloide tras la administración del producto celular de otras fuentes celulares (MO y SCU)	13,75	Otras (MO, SCU) <21d	18,5	Otras (MO, SCU) <21d
IC-ITPH-01C	Tiempo de injerto plaquetar tras la administración del producto celular de sangre periférica (SP)	15	SP <15 d	15,6	SP <15 d
IC-ITPH-01D	Tiempo de injerto plaquetar tras la administración del producto celular de otras fuentes celulares (MO y SCU)	26	Otras (MO, SCU) <30d	21	Otras (MO, SCU) <30d
IC-ITPH-03A	EICR agudo Grado III-IV a los 100 días post-TPH en donante idéntico	0	Id: <15%	14,3	Id: <15%
IC-ITPH-03B	EICR agudo Grado III-IV a los 100 días post-TPH en donante no emparentado (DNE)	0	DNE: <20%	0	DNE: <20%

MEMORIA JACIE 2020

IC-ITPH-03C	EICR agudo Grado III-IV a los 100 días post-TPH en donante haploidéntico	4,165	Haplo: <25%	20	Haplo: <25%
IC-ITPH-03D	EICR agudo cualquier grado a los 100 días post-TPH en donante idéntico	4,165	Id: <20%	14,3	Id: <20%
IC-ITPH-03E	EICR agudo cualquier grado a los 100 días post-TPH en donante no emparentado (DNE)	0	DNE: <30%	25	DNE: <30%
IC-ITPH-03F	EICR agudo cualquier grado a los 100 días post-TPH en donante haploidéntico	4,165	Haplo: <40%	40	Haplo: <40%
IC-ITPH-04A	EICR crónico Grado Moderado-Severo al año post-TPH	0	<40%		<40%
IC-ITPH-04B	EICR crónico cualquier grado al año post-TPH	10	<50%		<50%
IC-ITPH-05	Infección de catéter venoso central (Bacteriemia, R/C CVC)	Falta	<3	1,467	<3

IC-ALO-01	Nº de trasplantes alogénicos realizados	24	>10	19	>10
IC-po-sALO-01	Tasa fallo de injerto (Pacientes alotrasplantados con fracaso primario o secundario del injerto)	4,165	<15%	3,7% (1)	<15%
IC-po-sALO-02A	Mortalidad relacionada con el tratamiento en Alo-TPH a los 30 días del tratamiento	0	<5-10%	7.4% (3)	<5-10%
IC-po-sALO-02B	Mortalidad relacionada con el tratamiento en Alo-TPH a los 100 días del tratamiento	0	<20%	7.4% (3)	<20%
IC-po-sALO-02C	Mortalidad relacionada con el tratamiento en Alo-TPH al año (365 días) del tratamiento	8,33 (2)	<20%	7.4% (3)	<20%
IC-po-sALO-03A	Mortalidad global en Alo-TPH a los 30 días del tratamiento	0	<10%	0	<10%
IC-po-sALO-03B	Mortalidad global en Alo-TPH a los 100 días del tratamiento	0	<20%	4% (1)	<20%

IC-po-sALO-03C	Mortalidad global en Alo-TPH al año (365 días) del tratamiento	8,33 (2)	<40%		<40%
IC-po-sALO-04A	Morbilidad en Alo-TPH a los 30 días del tratamiento	32	<30d	30	<30d
IC-po-sALO-04B	Morbilidad en Alo-TPH a los 100 días del tratamiento	32	<50d	38	<50d
IC-po-sALO-04C	Morbilidad en Alo-TPH al año (365 días) del tratamiento	44	<50d	38	<50d
IC-AUT-01	Número de trasplantes autólogos realizados	12	>5	7	>5
IC-po-sAUT-01A	Mortalidad relacionada con el tratamiento en Auto-TPH a los 30 días del tratamiento	0	<5%	0	<5%
IC-po-sAUT-01B	Mortalidad relacionada con el tratamiento en Auto-TPH a los 100 días del tratamiento	0	<5%	0	<5%
IC-po-sAUT-01C	Mortalidad relacionada con el tratamiento en Auto-TPH al año	0	<5%		<5%

	(365 días) del tratamiento				
IC-po-sAUT-02A	Mortalidad global en Auto-TPH a los 30 días del tratamiento	0	<5%	0	<5%
IC-po-sAUT-02B	Mortalidad global en Auto-TPH a los 100 días del tratamiento	0	<20%	0	<20%
IC-po-sAUT-02C	Mortalidad global en Auto-TPH al año (365 días) del tratamiento	23,07	<40%		<40%
IC-po-sAUT-03A	Morbilidad en Auto-TPH a los 30 días del tratamiento	30	<30d	30	<30d
IC-po-sAUT-03B	Morbilidad en Auto-TPH a los 100 días del tratamiento	34	<40d	37	<40d
IC-po-sAUT-03C	Morbilidad en Auto-TPH al año (365 días) del tratamiento	34	<40d	37	<40d

Para el análisis de los indicadores se utiliza un modelo ajustado en función de varios factores de riesgo, estableciendo diferentes categorías. En el caso del tipo de fuente celular se distingue entre sangre periférica (SP), y otras fuentes que incluye médula ósea y sangre de cordón umbilical (MO y SCU). En el caso de la relación donante-receptor se establecen tres categorías: donante emparentado idéntico (DE Id), donante no emparentado idéntico o mismatched (DNE) y donante haploidéntico. Se establecieron diferentes objetivos en función de las categorías identificadas.

Se considera que los resultados de los Indicadores de Calidad se sitúan dentro del rango esperado en los objetivos establecidos, y que los objetivos propuestos para el año 2021 están suficientemente ajustados a nuestra actividad clínica.

Ensayos Clínicos

La Unidad Central de Investigación Clínica y Ensayos Clínicos del Hospital La Paz (UCICEC-HULP) es una de las plataformas de apoyo a la investigación de IdiPAZ. La UICEC-HULP se creó con la ayuda obtenida de la iniciativa de los Ministerios de Sanidad y Consumo y de Ciencia e Innovación para constituir estructuras de apoyo a la investigación. Actualmente está integrada en la Red de Investigación Clínica Española (SCReN).

A continuación, se presenta en forma de tabla la actividad actualizada del Servicio de Hemato-Oncología relacionada con los Ensayos Clínicos:

ESTUDIO	TIPO	NOM- BRE/ FÁR- MACO EN IN- VESTI- GACIÓN	FASE	SITUA- CIÓN ACTUAL
Estudio adaptativo y aleatorizado de fase 3 para comparar la eficacia y la seguridad de Defibrotide frente al mejor tratamiento de soporte en la prevención de la enfermedad venooclusiva hepática en pacientes adultos y pediátricos sometidos a un trasplante hematopoyético de células madre	In- dus- tria	JAZZ Defi- brotide 15- 007	3	Cerrado
A phase III randomized open-label multi-center study of ruxolitinib versus best available therapy in patients with corticosteroid-refractory acute graft vs. host disease after allogeneic stem cell transplantation	In- dus- tria	REACH 2 (>12 años) Ruxolitinib	3	Cerrado

A Phase I/II open-label, single-arm, multi-center study of ruxolitinib added to corticosteroids in pediatric patients with grade II-IV acute graft vs. host disease after allogeneic hematopoietic stem cell transplantation	In- dus- tria	REACH 4 (> 12 años) Ruxolitinib	1, 2	Activo
A phase 2 open-label, single-arm, multi-center study of ruxolitinib added to corticosteroids in pediatric subjects with moderate and severe chronic graft vs. Host disease after allogeneic stem cell transplantation	In- dus- tria	REACH 5 Ruxolitinib	2	Activo
A Phase 2b open-label, single-arm study to evaluate pharmacokinetics, efficacy, safety and tolerability of letermovir in pediatric participants from birth to less than 18 years of age at risk of developing CMV infection and/or disease following allogeneic haematopoietic stem cell transplantation (HSCT)	In- dus- tria	Letermovir (CMV)	2B	Activo
Phase 1/2 Dose Finding, Safety and Efficacy Study of Ibrutinib in Pediatric Subjects with Chronic Graft Versus Host Disease (cGVHD)	In- dus- tria	Ibrutinib (PCYC- 1146)	1, 2	Activo
Evaluación de la efectividad bactericida de la luz azul	Aca- dé- mico	SERVICIO MEDICINA PREVEN- TIVA	No in- terven- ción	Sí
Colonización por bacterias resistentes	Aca- dé- mico	CEIC es PI- 3346	No in- terven- ción	Sí
Torque Teno Virus (TTV) en niños sometidos a Trasplante Alogénico de Progenitores Hematopoyéticos (TPH) como potencial marcador de respuesta inmune y complicaciones	Aca- dé- mico	PI-3945- ESTUDIO TTV	No in- terven- ción	Activo

Evaluation of safety, feasibility and preliminary efficacy of MSCs from third party donors in the treatment of patients with osteonecrosis of the femoral head after allogeneic Stem Cell Transplantation (AloFem)	Aca- dé- mico	AloFem (Terapia Avanzada)	2A	Activo
Phase II clinical trial on the use of intratumoral/intraventricular CART-NKG2D or NKIL15 cells in children, adolescent and young adults (AYA) with recurrent/refractory high grade Central Nervous System tumours (CINK-CAR)	Aca- dé- mico	CINK-CAR (Terapia Avanzada)	2	Pendiente inicio prepa- ración solici- tud
Infusión de células NK en combinación con quimioterapia en pacientes pediátricos leucemia/ linfoma T refractaria	Aca- dé- mico	HJN- NKAES- 2012	1-2	Cerrado re- clutamiento
LANK-2: Inmunoterapia con células NKAE (activadas y expandidas) junto con QT de rescate en niños, adolescentes y adultos jóvenes con leucemia aguda en recaída o refractariedad	Aca- dé- mico	LANK-2 (LYDIA-1)	2	Cerrado re- clutamiento
Infusion of natural killer cells as consolidation therapy for children and adolescents with acute myeloblastic leukemia	Aca- dé- mico	NKCell_LM A_2015 (LYDIA 2)	2	Seguimiento
Ensayo Clínico Fase I/II, multicéntrico, abierto, de infusión de células NK activadas para el tratamiento de niños, adolescentes y adultos jóvenes con sarcomas	Aca- dé- mico	SAN- KOMA_201 6	1,2	Autorización AEMPS abril 2018 (condi- cionado a au- torización de instalación fa- bricante)
Infusión de células Natural Killer aloreactivas o estimuladas con IL-15 ex vivo tras trasplante haploidéntico de progenitores hematopoyéticos en pacientes pediátricos con neoplasias hematológicas (PHINK)	Aca- dé- mico	PHINK (Terapia Avanzada)	1,2	Autorizado

MEMORIA JACIE 2020

Receptor antigénico quimérico NKG2D para el tratamiento de pacientes pediátricos con leucemia aguda y leucemia mielomonocítica juvenil: validación a escala clínica y primer estudio de seguridad en pacientes: (GAbY cells: CART-CD45RA-NKG2D+)	Aca- dé- mico	GABY	1,2	Preparación de la solicitud
Ensayo fase 1 de células T de memoria que expresan un receptor de antígeno quimérico anti-NKG2D en niños, adolescentes y adultos jóvenes con sarcoma avanzado (CAR4SAR)	Aca- dé- mico	CAR4SAR (Terapia Avanzada)	1	Revisión de aclaraciones AEMPS
Ensayo clínico aleatorizado y multicéntrico para evaluar la efectividad y la eficiencia de una estrategia de genotipado anticipado de voriconazol en pacientes con riesgo de aspergilosis.	In- dus- tria	VORIGENI- PHARM (Voriconazol)	-	Activo
Phase 2, single arm, multicenter, open label trial to determine the safety and efficacy of tisagenlecleucel in pediatric patients with relapsed or refractory mature B cell non-Hodgking lymphoma	In- dus- tria	CCTL019C 2202 (BIANCA) (Tisagenlecleucel)	2	Activo
Long Term Follow-Up of Patients Exposed to Lentiviral- Based CAR T-Cell Therapy	In- dus- tria	CCTL019A 2205B (Tisagenlecleucel)	Fo- llow- up	Activo
Phase 1/2 Multi-Center Study Evaluating the Safety and Efficacy of KTE-X19 in Pediatric and Adolescent Subjects with Relapsed/Refractory B-precursor Acute Lymphoblastic Leukemia or Relapsed/Refractory B-Cell Non-Hodgkin Lymphoma (ZUMA-4)	In- dus- tria	KTE-C19- 104 (ZUMA-4)(Terapia Avanzada)	1,2	Pendiente de activación.

MEMORIA JACIE 2020

Infusion of natural killer cells as consolidation therapy for children and adolescents with acute myeloblastic leukemia	Aca- dé- mico	NKCell_LM A_2015 (LYDIA 2)	2	Seguimiento
--	---------------------	----------------------------------	---	-------------

FECHA	NOMBRE Y CARGO
21/01/2021	<i>Antonio Pérez Martínez (Director del Programa Clínico Pediátrico)</i>
FIRMA	