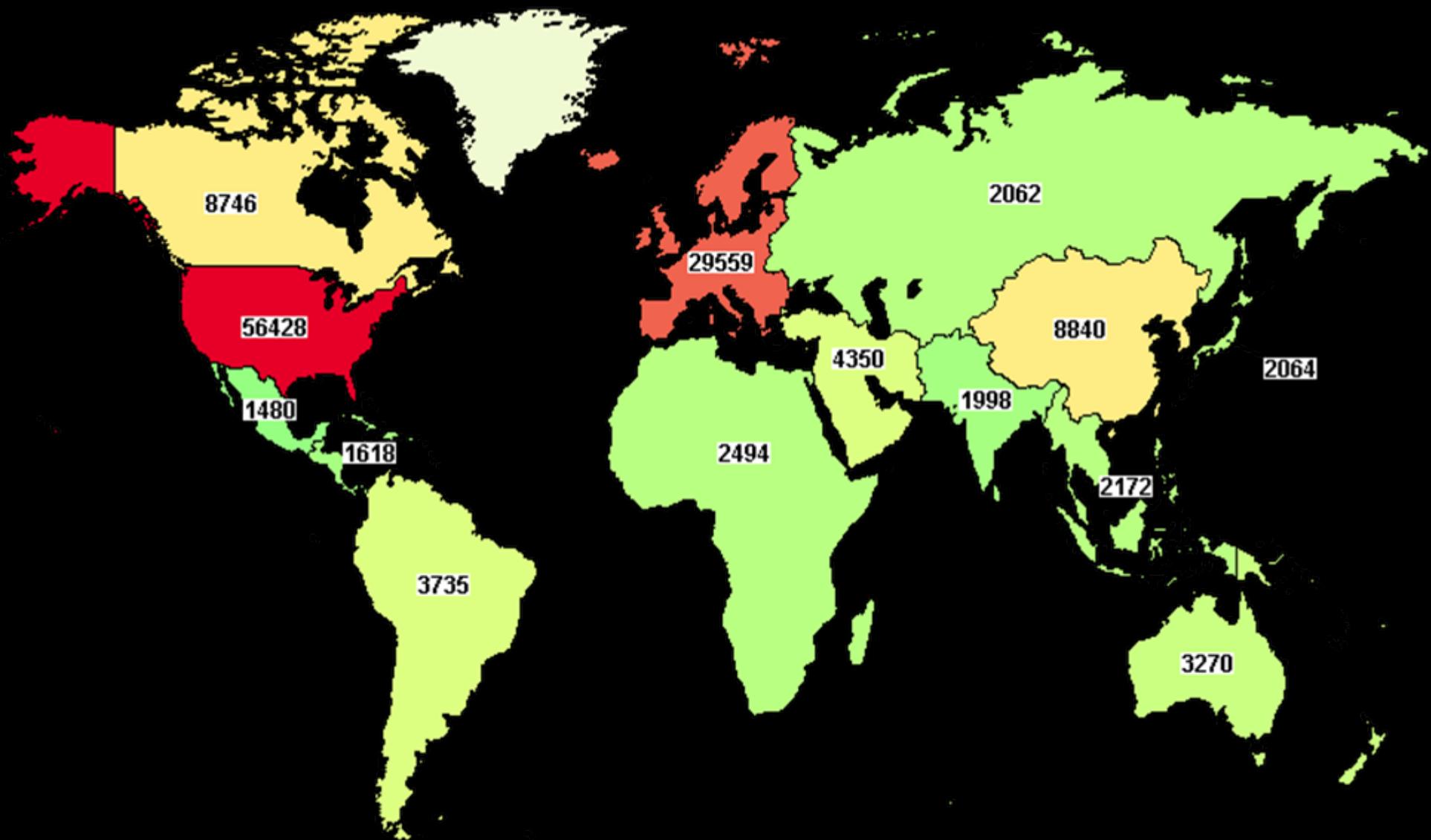


INVESTIGACIÓN CON CÉLULAS TRONCALES EN PERSPECTIVA:

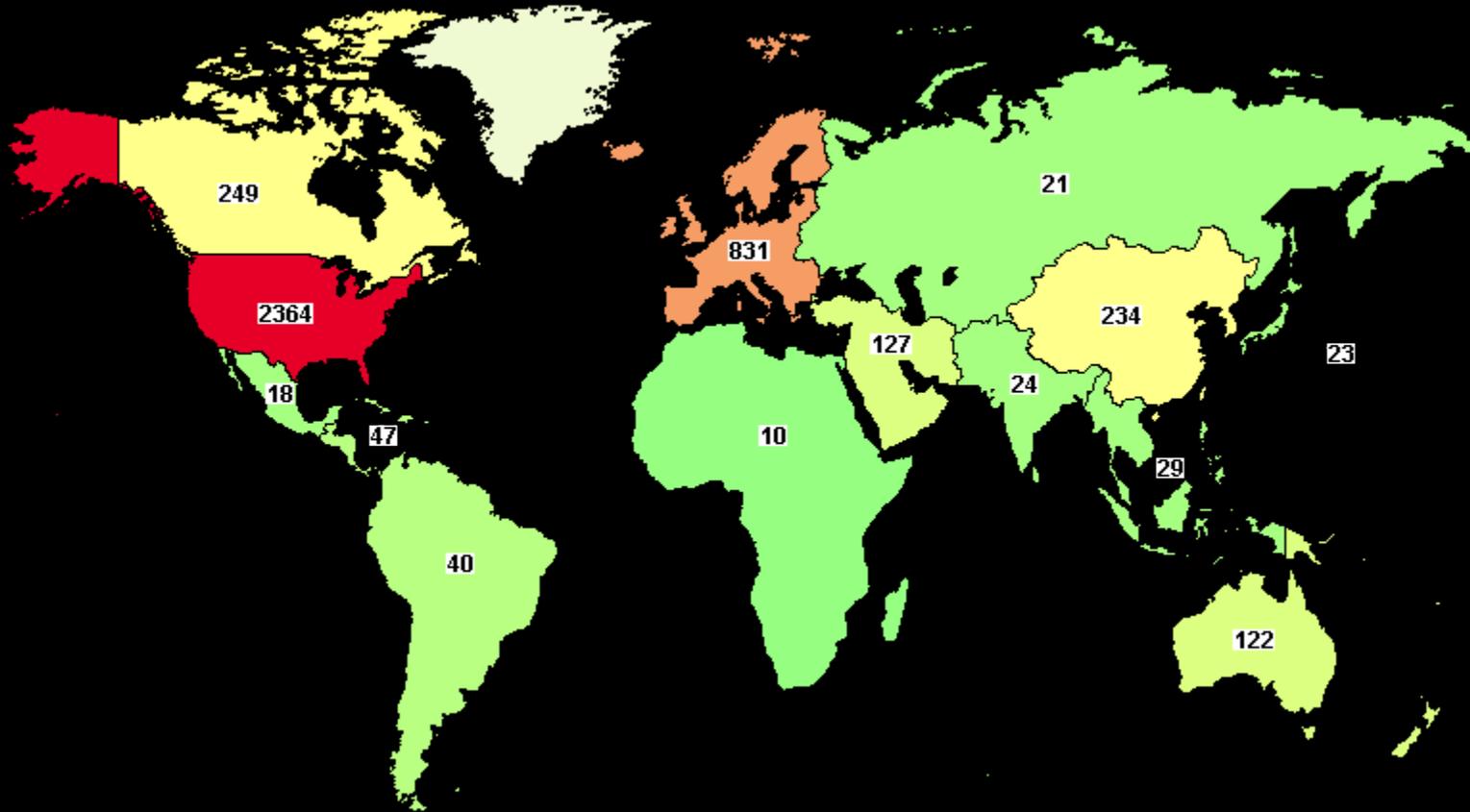
**Proyectos abordados,
Problemas encontrados,
Objetivos conseguidos**

La perspectiva de los Comités en relación con la gobernanza del Biobanco

Clinical Trials



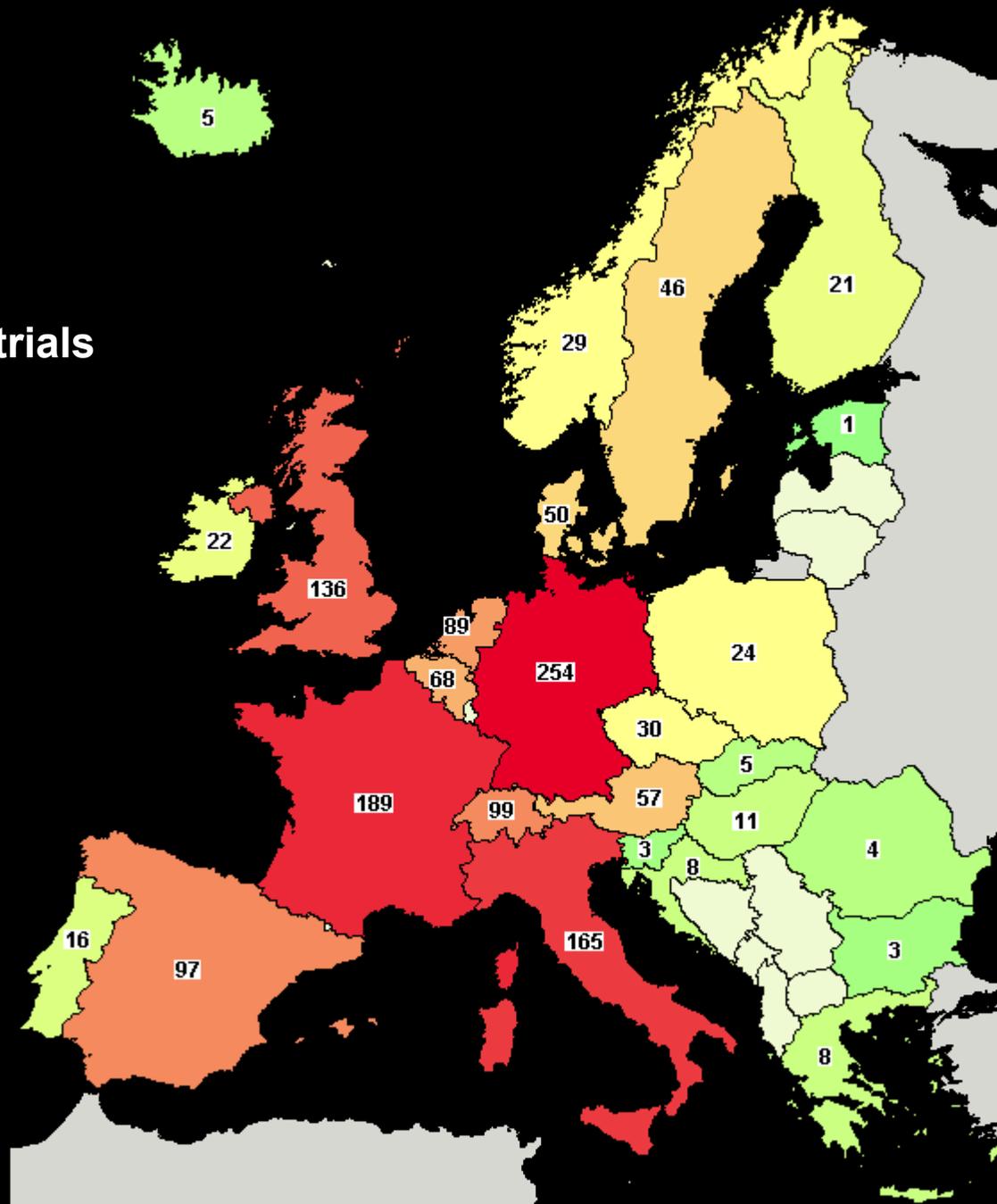
Stem cells clinical trials 29/11/2011



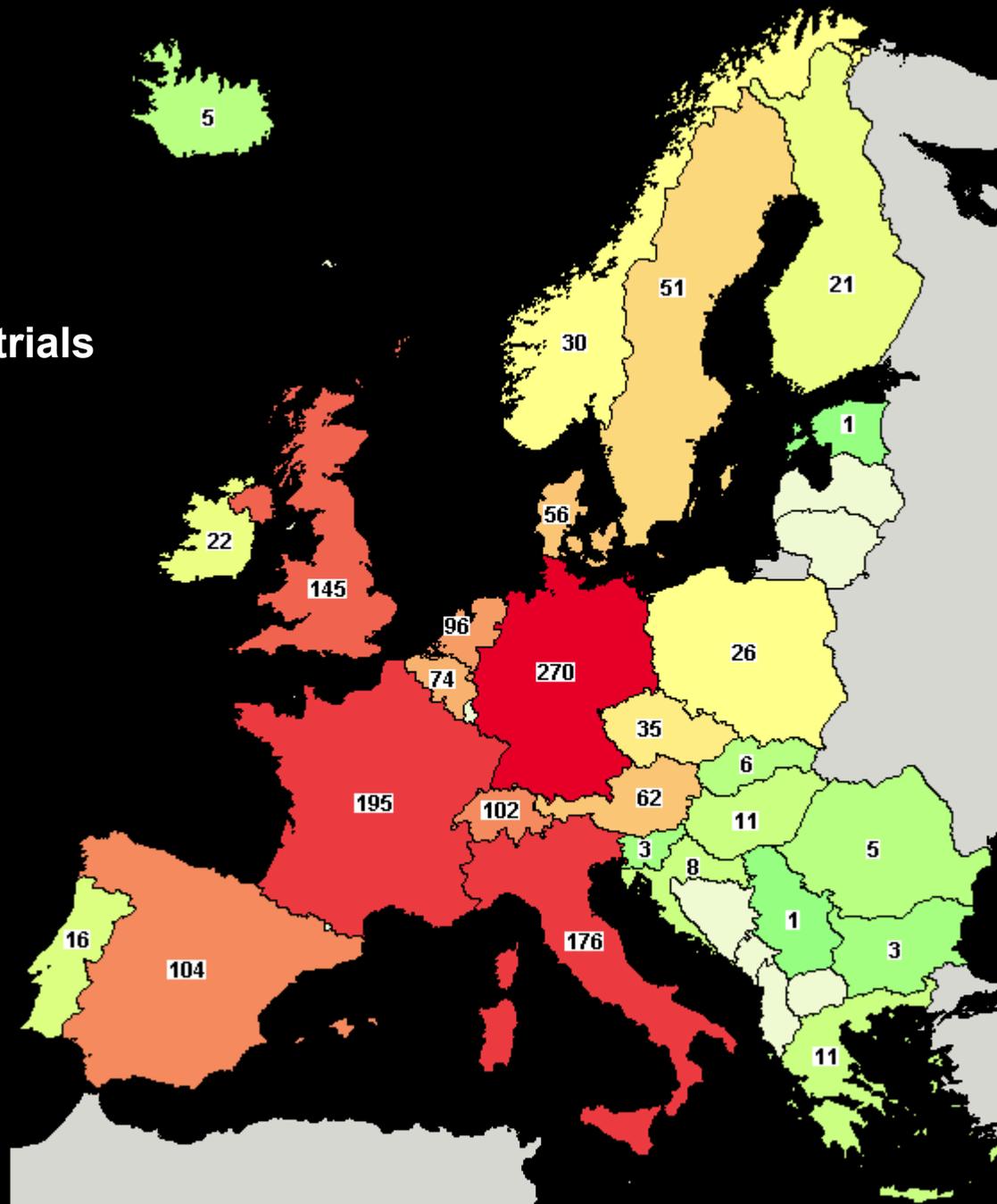
Clinical Trial on the Use of Autologous Bone Marrow Stem Cells in Amyotrophic Lateral Sclerosis (CMN/ELA)

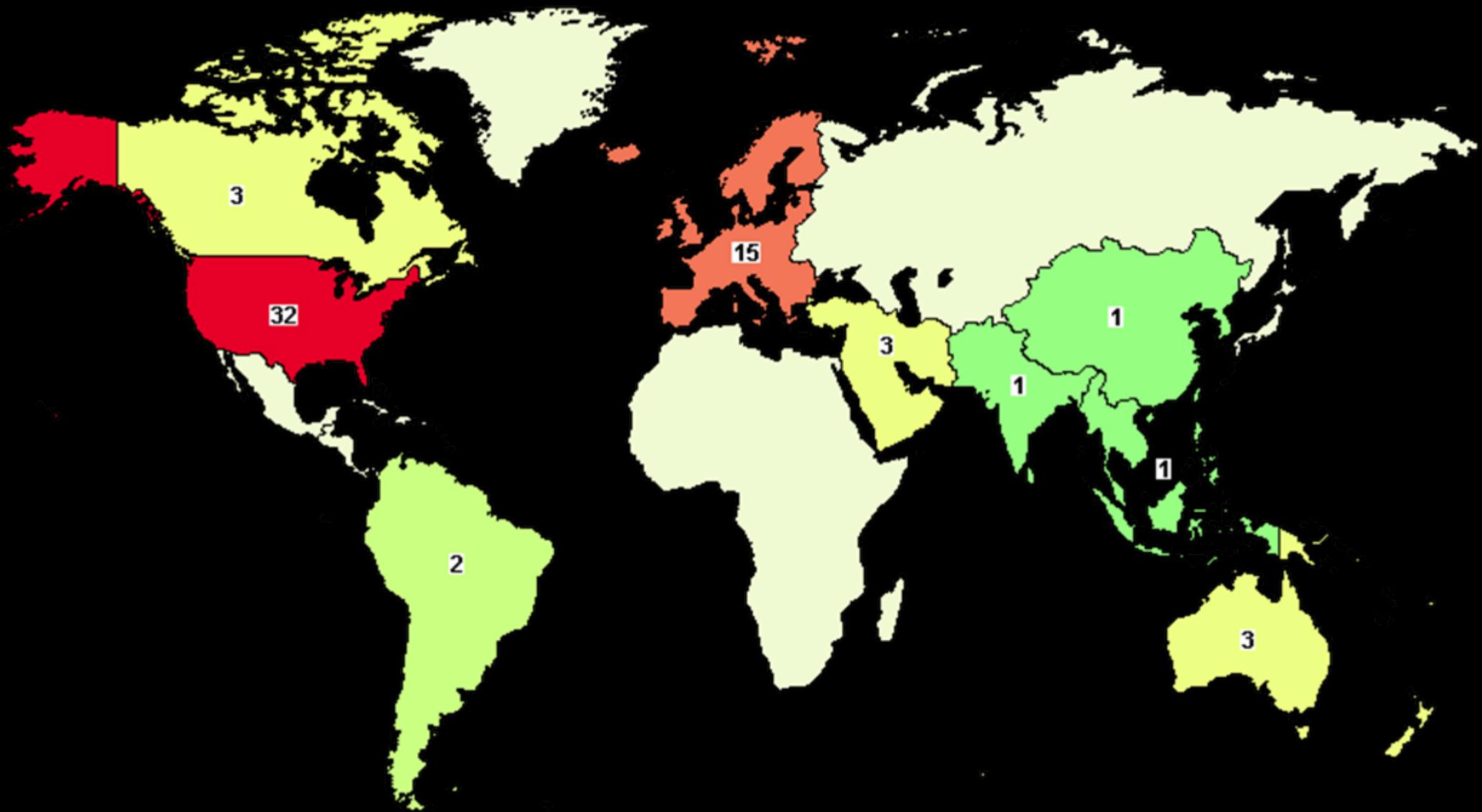
Improvement of Liver Function in Liver Cirrhosis Patients After Autologous Mesenchymal Stem Cell Injection: a Phase I-II Clinical Trial

Stem cell clinical trials
11/11/2011



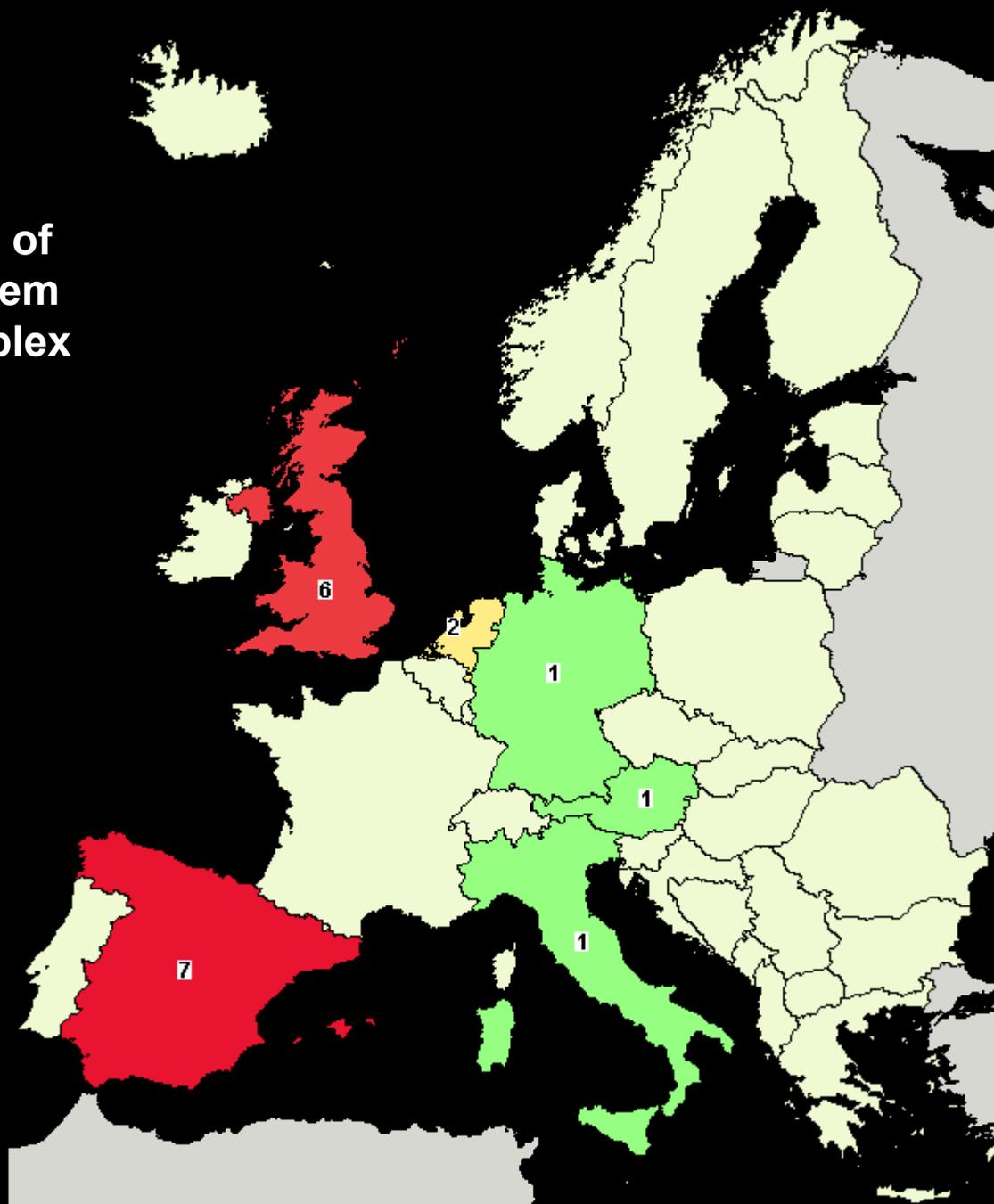
Stem cell clinical trials
29/11/2011



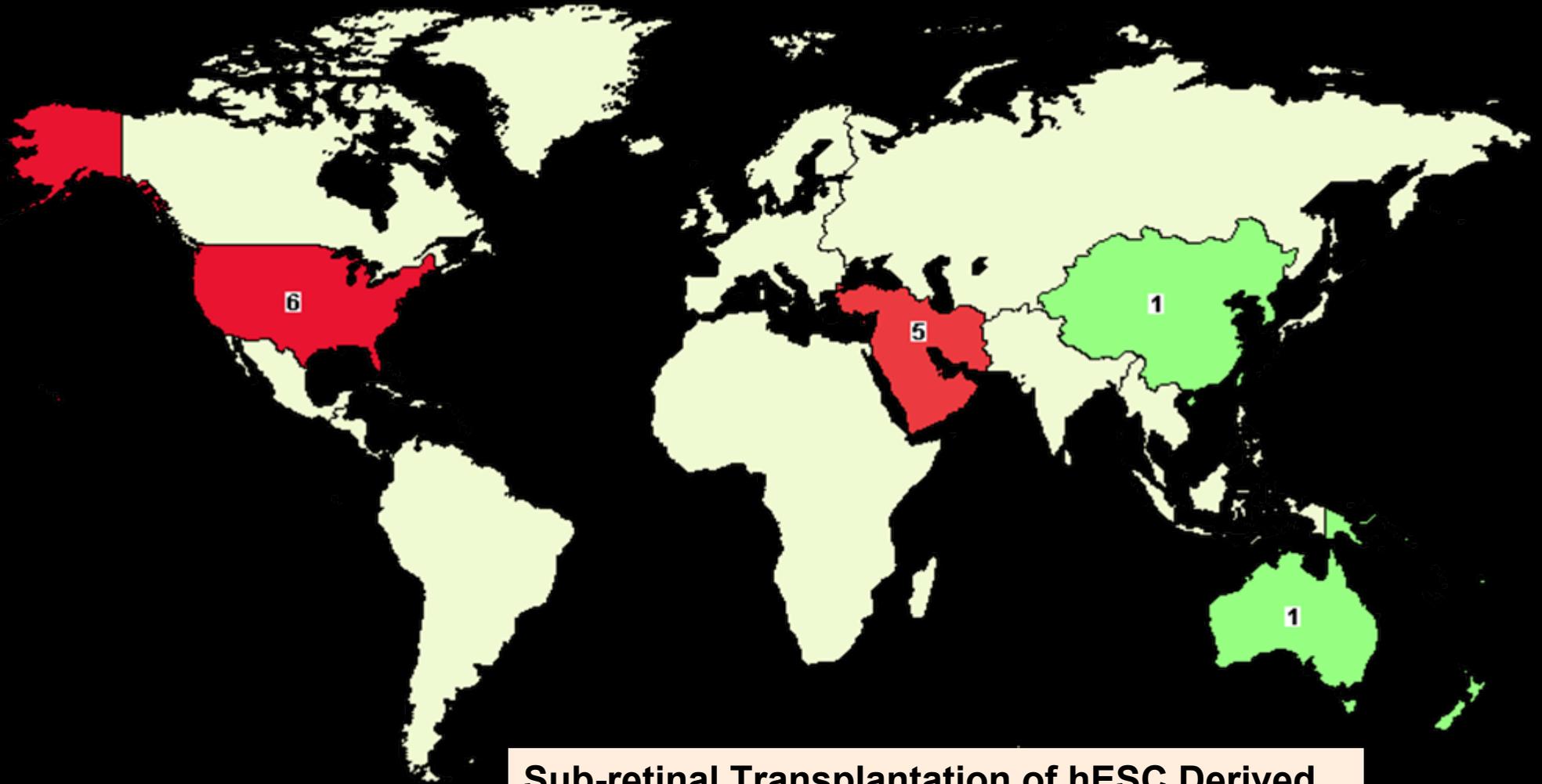


A Phase II, Randomized, Controlled, Double-Blind Trial Evaluating the Effect of Timing on the Administration of Bone Marrow stem **C**ells

**Celerix: Long-term
Safety and Efficacy of
Adipose-derived Stem
Cells to Treat Complex
Perianal Fistulas**

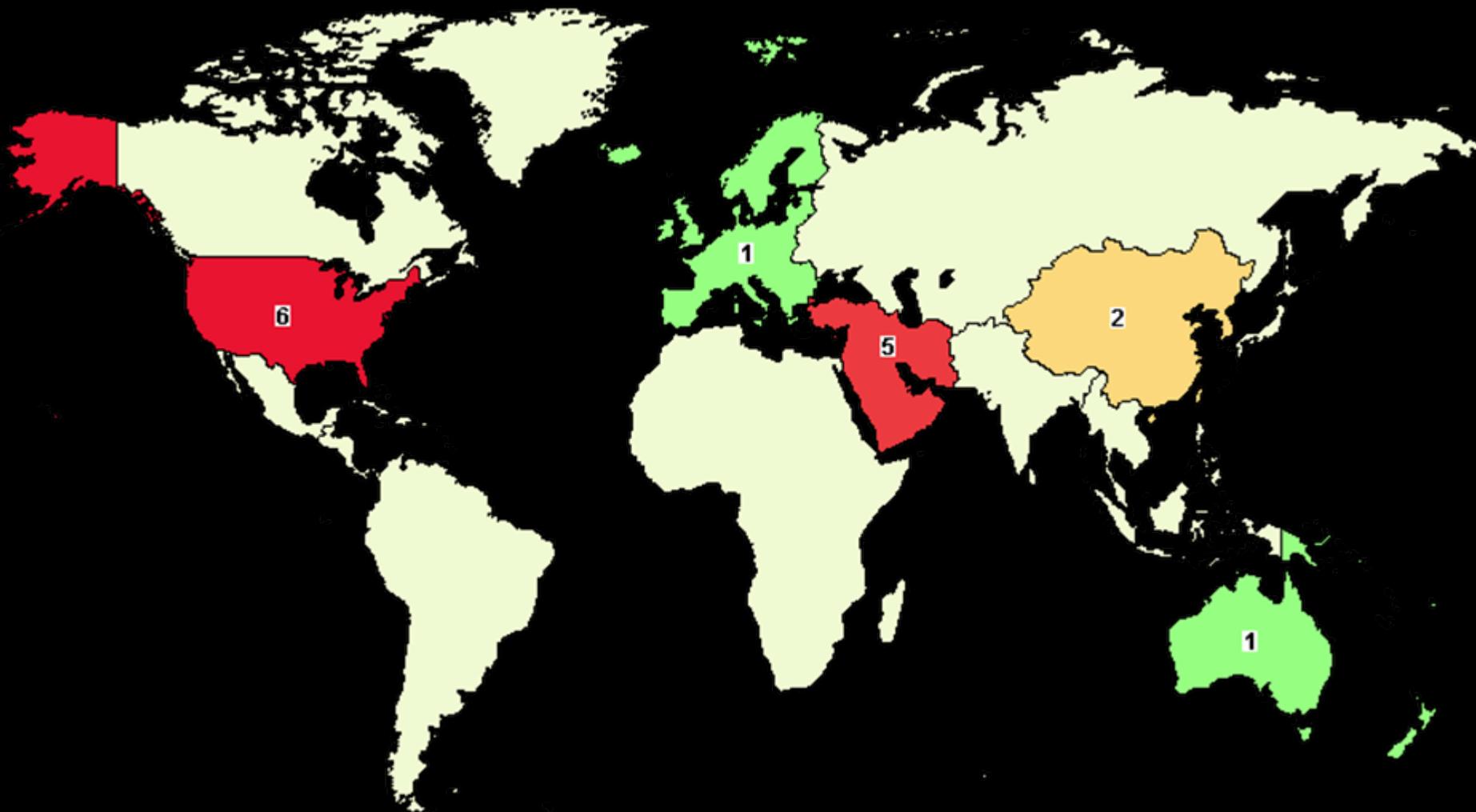


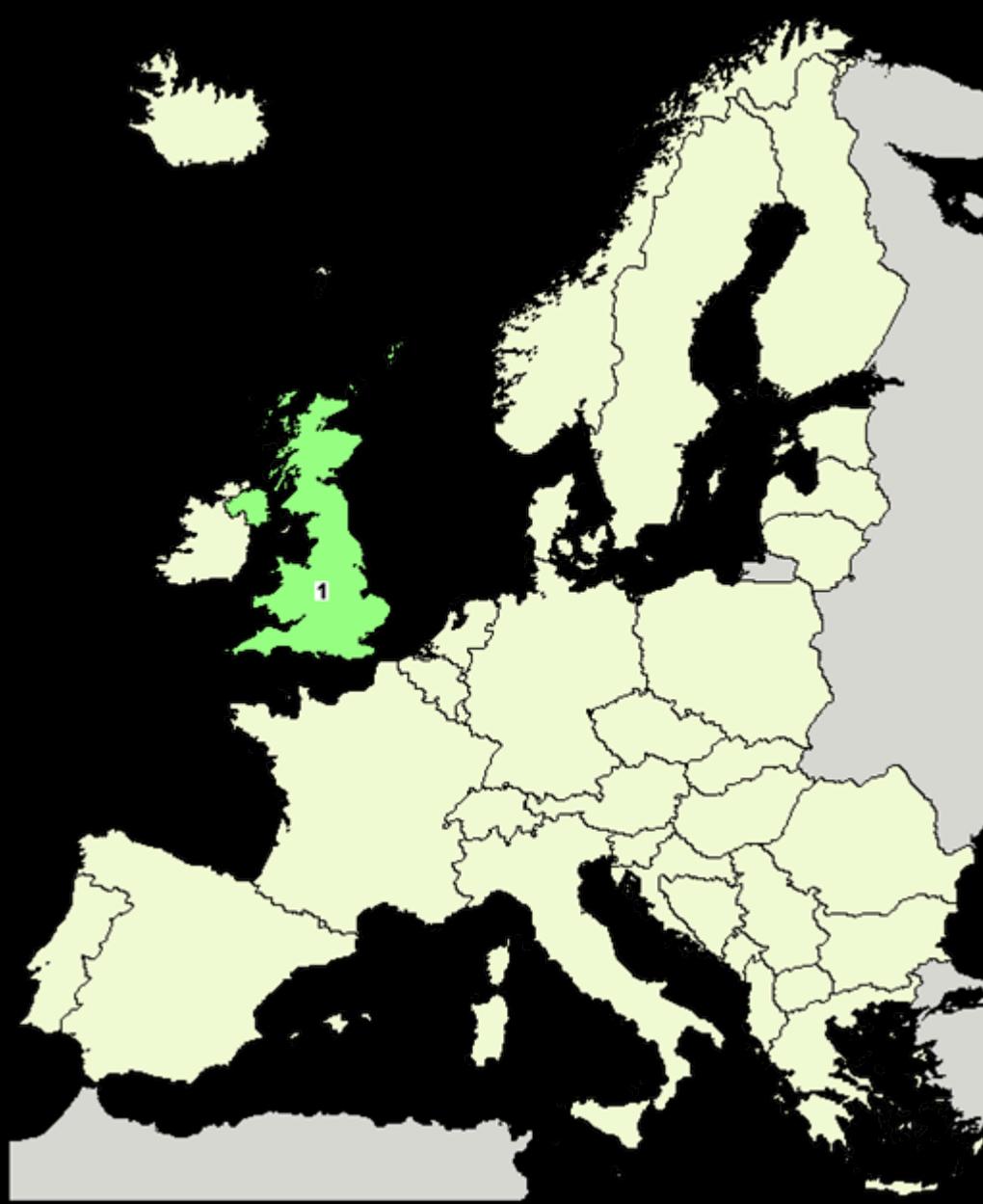
Embryonic Stem cells clinical trials 11/10/2011



Sub-retinal Transplantation of hESC Derived RPE(MA09-hRPE) Cells in Patients With Stargardt's Macular Dystrophy

Embryonic stem cells clinical trials 29/11/2011





Tolerability of Sub-retinal Transplantation of Human **Embryonic Stem Cell** Derived Retinal Pigmented Epithelial (hESC-RPE) **Cells** in Patients With Stargardt's Macular Dystrophy

Embryonic stem cells

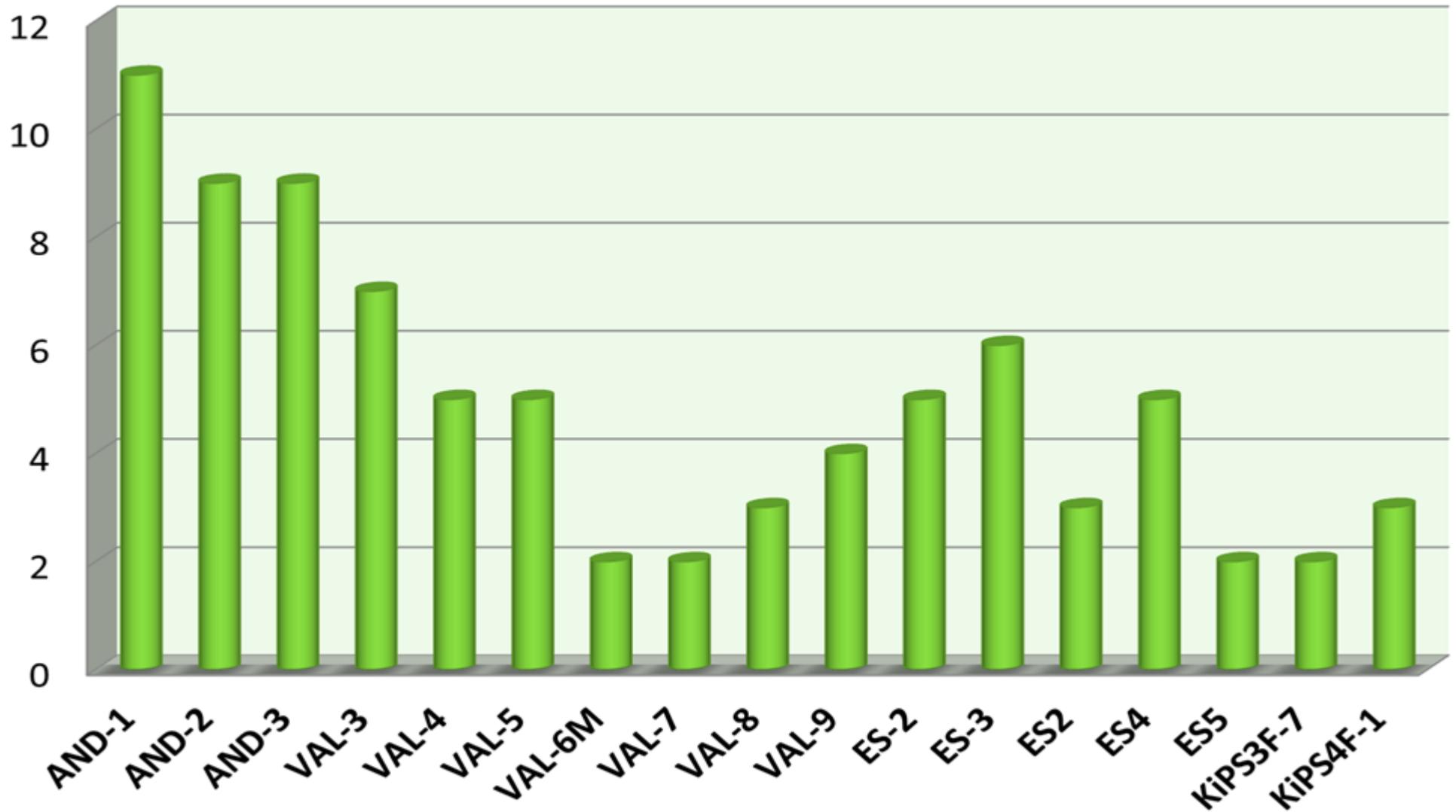
LINEAS CEDIDAS POR EL BNLC DESDE 2009

hiPSC clone 4	1	1,1
RiMi1	1	1,1
AND-1	11	11,7
AND-2	9	9,6
AND-3	9	9,6
cFA404-KiPS4F-1	1	1,1
cFA404-KiPS4F-3	1	1,1
ES-2	5	5,3
ES-3	6	6,4
ES-4	1	1,1
ES2	3	3,2
ES4	5	5,3
ES5	2	2,1
ES6	1	1,1

LINEAS CEDIDAS POR EL BNLC DESDE 2009

hiPSC clone 1	1	1,1
hKiPS4F	1	1,1
KiPS3F-7	2	2,1
KiPS4F-1	3	3,2
VAL-1	1	1,1
VAL-10B	1	1,1
VAL-3	7	7,4
VAL-4	5	5,3
VAL-5	5	5,3
VAL-6M	2	2,1
VAL-7	2	2,1
VAL-8	3	3,2
VAL-9	4	4,3

Most Requested Stem Cell Lines 2009-2010



224 proyectos

2009-2011 102 proyectos

1-Derivación

Derivación de células madre embrionarias humanas en condiciones libres de xenobióticos y caracterización in vivo de su pluripotencialidad

Derivación de líneas de células Madre embrionarias humanas.

Derivación de líneas de células madre embrionarias humanas a partir de pre-embryones anormales y caracterización in vivo de su pluripotencialidad.

Derivación de líneas de células Madre embrionarias humanas de preembryones afectados de enfermedades genéticas obtenidos tras diagnóstico genético pre-implantatorio.

Derivación de líneas de células Madre embrionarias humanas con grado terapéutico en España

2-Inmunología

Estudio de los mecanismos y de la modificación de la aloantigenicidad mediante la utilización de líneas celulares embrionarias humanas

Estudio de la expresión génica y antígenos CMH de células y líneas embrionarias humanas, células de líneas celulares germinales y no germinales) y tejidos normales fetales y adultos

3-Diferenciación

Diferenciación inducida de células Madre como Terapia Regenerativa Miocárdica.

Diferenciación de células Madre (troncales) hacia neuronas GABAérgicas

Estudio del control de la diferenciación de células troncales embrionarias y adultas para el trasplante en enfermedades neurodegenerativas.

Diferenciación de células embrionarias humanas a hepatocitos

Aislamiento y diferenciación de células Madre embrionarias y adultas para el tratamiento de enfermedades neurodegenerativas

Obtención de células productoras de insulina a partir de células Madre embrionarias humanas.

Análisis molecular y funcional del oncogen myc como inhibidor de la diferenciación celular

4-Potencial terapia

Corrección de defectos monogénicos mediante recombinación homóloga en células Madre embrionarias humanas

Cultivo, diferenciación, selección y caracterización de células diferenciadas a partir de células troncales embrionarias humanas derivadas de pre-embryones afectados de enfermedades genéticas obtenidos tras un diagnóstico genético preimplantatorio

Cell replacement for Huntington's disease by using neural stem cells derived from human fetuses

4-Potencial terapia

Modelado de patologías neurodegenerativas mediante células madre con pluripotencia inducida.

Modelo de la enfermedad de parkinson mediante tecnología iPS: generación de neuronas dopaminérgicas humanas afectadas con la PD y corrección del gen de la enfermedad por integración específica

Derivación de células retinianas de las células iPS corregidas genéticamente procedentes de los pacientes con Amaurosis Congénita de Leber y Retinitis Pigmentaria para su uso en terapia celular

Infant leukemias: understanding the etiology and pathogenesis of the disease to help the identification of potential novel therapeutic approaches. iPS

5. Marcadores de auto-renovación y pluripotencialidad

Caracterización de miRNAs en líneas embrionarias humanas y líneas de células troncales mesenquimales: implicación en diferenciación celular.

Caracterización molecular y funcional de miRNAs asociadas a las células Madre embrionarias: implicaciones en auto-renovación y pluripotencialidad.

The role of Notch and Wnt signalling in the self-renewal and compartmentalization of human embryonic stem cells

6-Señalización epigenética

Enzimas modificadoras de histonas implicadas en la pluripotencia y diferenciación de las células Madre embrionarias humanas

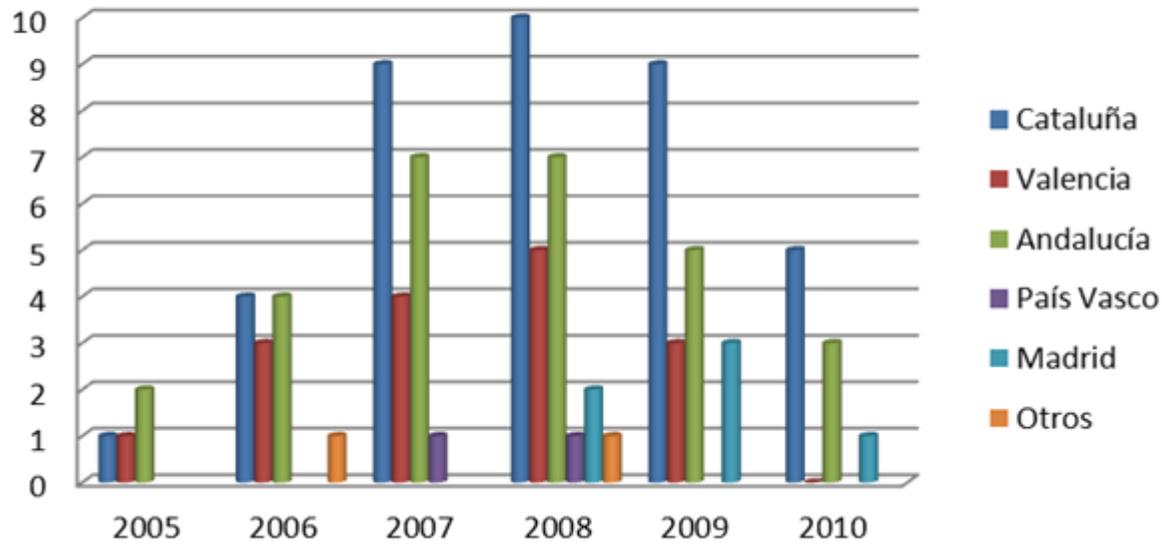
Chromatin – modifying enzymes controlling human stem cells self-renewal and pluripotency.

Generación de células iPS desde blastos de niños con leucémicas MLL-AF+ con fenotipo pro-b ALL

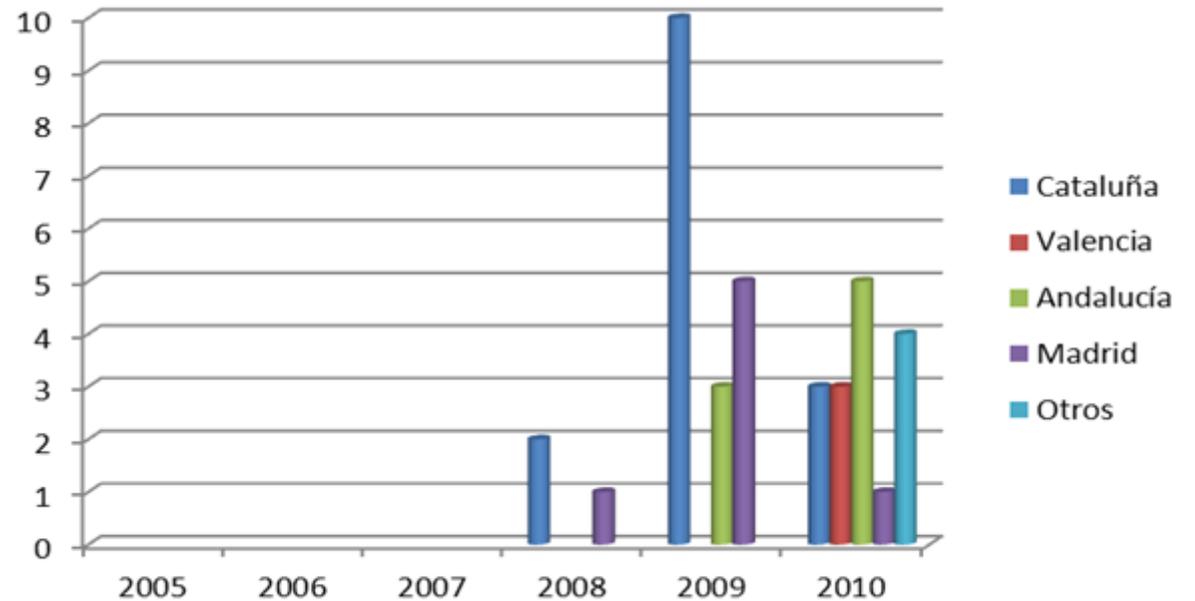
Estudio a nivel epigenético y molecular durante la diferenciación in vitro de células germinales a partir de células madre embrionarias humanas

Histone lysine methyltransferases and demethylases controlling human embryonic stem cells differentiation

Projects using hESC



Projects using iPS



Problemas encontrados

Unanimidad de criterios

Investigation of hESC and HiPSC differentiation to haematopoietic lineages

RETIRADO

Investigation of the molecular basis of pluripotency, genomic stability and cell cycle regulation in human ESC and IPS

RETIRADO

No presentan autorización de la CCAA, ni del responsable del Centro de trabajo. No informe del C de ética. No MTA (material transfer agreement) con WICELL. No aparece claro el compromiso de cesión

No presentan autorización de la CCAA, ni del responsable del Centro de trabajo. No informe del C de ética. No informan sobre la líneas que van a trabajar. Se supone que partirán de las mas de 50 IPS que han generado de fibroblastos adultos y de una línea iPSC de neonato.

Objetivos alcanzados

Haber logrado formar un banco de referencia

La existencia de un marco común de evaluación en el comité técnico del banco

Capacidad de diálogo con bancos internacionales

Los comités de bioética en relación con el Biobanco

Organización del Biobanco.

- 1. El Biobanco deberá contar con un director científico, un responsable del fichero y estará adscrito a sendos comités externos, uno científico y otro de ética que asistirán al director del Biobanco (muestras biológicas) en sus funciones.**

Tienen como cometido principal asistir en la formación y gobernabilidad del Biobanco en sus respectivos campos y en su uso

- 2. Considera que el empleo de células y tejidos de origen embrionario humano debe ser considerado en un capítulo aparte dada la complejidad y sensibilidad del tema.**
- 3. Por eso establece el sistema de promoción y coordinación en este ámbito de investigación mediante la creación del Banco Nacional de Líneas Celulares (Células troncales), al que se reconoce una estructura en forma de red, con un nodo central y un comité técnico.**

Roles: Requirements

At the level of the necessities

At the level of the staff

At the level of the participants

At the level of the potential research use

El Biobanco es un instrumento no un fin en si mismo

Objective: Staff

Make sure that the objective of an Bank should be not to collect samples but to foster research

Make sure that Banks should be established, governed, managed, operated, accessed, used and discontinued in accordance with that principle and applicable legal frameworks and ethical principles.

Availability and protection

A protocol should be taken on board to make data and materials rapidly and widely available to researchers

A protocol will ensure that the operators and users of the Bank will secure the protection of participants' privacy and the confidentiality of data and information.

Risks

A protocol will ensure how to minimize risks to participants, their families and potentially identifiable populations or groups whose specimens and data are included in the Bank.

A protocol will ensure that the operators of the Bank should develop and maintain clearly documented operating procedures and policies for the procurement, collection, labeling, registration, processing, storage, tracking, retrieval, transfer, use and destruction of human biological materials, data and/or information.

Financing and publicity

The protocol establishing the banks should be explicit and transparent about the nature and source of its financing/funding.

In some way the committee should ensure that aggregate and general results of research conducted using its resources are made publicly available either in the form of publications or through other means.

A- Governance

The document establishing the governance, management, operation, access to, and protocols and processes for research activities, should be approved or reviewed, as applicable, by an independent research ethics committee.

B- Respect

Ensure that the operators of the bank should take reasonable measures to avoid discrimination against or stigmatization of a person, family or group, whether or not they have contributed to the Bank.