Alianza española de familias de von Hippel-Lindau

Alianza VHL

• Diciembre 2017 BOLETÍN INFORMATIVO •alianzavhl.org

Designación de medicamento huérfano

Investigación

Donación de tumores y colección de muestras VHL

Donación de 40.000€ al CIBERER

Premio Joyce Graff

Premios AELMHU

Encuentro internacional de jóvenes

Trabajador Social "Escucha"

Subvenciones

Eventos

Celebraciones

Donaciones

Hazte socio

¡Feliz año nuevo 2018!

Tengo el gusto de presentaros el boletín de la Alianza VHL 2017, el cual recoge la actividad desarrollada por nuestra asociación durante todo el año. Como sabéis, somos entidad de **Utilidad Pública**, reconocimiento otorgado por el Ministerio del Interior en el año **2012.** Puedes consultar su publicación en el BOE, pinchando en este enlace.

Continuamos volcados en la investigación, para la que necesitamos la colaboración de todos. Gracias a todos, podemos decir que la cura de la enfermedad VHL está cada día más cerca. Gracias por vuestro apoyo, un afectuoso abrazo,

Susi Martínez
Presidenta de la Alianza VHL

Designación de propranolol como primer medicamento huérfano para la enfermedad de von Hippel-Lindau

Como noticia importante del año 2017 y apertura de este boletín, hay que destacar que a primeros de año la Agencia Europea del Medicamento (EMA), otorgó **la primera designación de medicamento huérfano para la enfermedad VHL**, a nivel mundial, para un medicamento antiguo y ampliamente conocido llamado **propranolol.**

Esta designación se ha producido en base a los resultados obtenidos en ***dos investigaciones financiadas por nuestra asociación:*** la que se realiza en el Centro de Investigaciones Biológicas del CSIC (abreviadamente, CIB) con **cultivos procedentes de excedentes de cirugía,** bajo la dirección de la **Dra. Luisa María Botella;** y el **ensayo clínico de Oftalmología** del Complejo Hospitalario de Toledo para **el tratamiento de los hemangioblastomas de retina con propranolol**, bajo la dirección de la **Dra. Rosa Mª Jiménez Escribano.**

Para conceder la designación, las autoridades sanitarias europeas competentes (EMA) evalúan los resultados de los estudios de efectividad (in vitro y en pacientes), así como de seguridad, y si la evaluación es positiva, se concede la designación *con el fin de incentivar la continuidad de la investigación con dicho medicamento.*

Hasta la fecha, esta es la **primera y por tanto única designación de un medicamento huérfano para la enfermedad de VHL, a nivel mundial.** Esto ha sido posible también gracias a **la colaboración del Servicio de Salud de Castilla-La Mancha (SESCAM)** para llevar a cabo el ensayo clínico, y el apoyo económico de **Bodegas Protos, Port Aventura, Fundación Iberdrola** y todos los socios y personas anónimas que han donado para nuestra causa.

Quiero manifestar nuestro especial agradecimiento a los afectados y familiares que, durante estos cuatro años, han colaborado en la donación del excedente de los tumores cuando han tenido cirugías. Gracias a esas donaciones disponemos hoy de una pequeña **colección de cultivos VHL en el laboratorio CIB 109 del CSIC** con los que estamos realizando pruebas con diferentes medicamentos, y gracias a los cuales estamos ya trabajando en la obtención de un **modelo animal de la enfermedad (ratón).**

Tienes información completa de la designación en la web de la EMA.

¿Qué es un medicamento huérfano?

Según la definición recogida en el **artículo 3 del Reglamento 141/2000, del Parlamento y el Consejo Europeo**, un medicamento será declarado medicamento huérfano si su promotor puede demostrar que dicho producto:

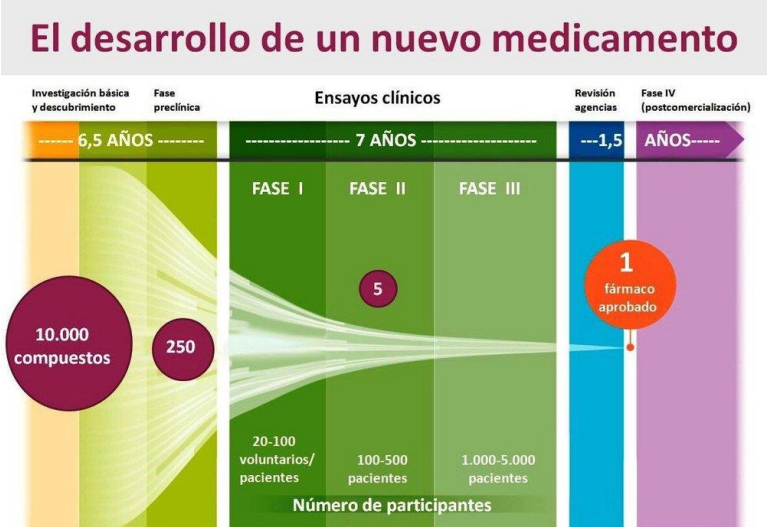
a) se destina al diagnóstico, prevención o tratamiento de una **afección que ponga en peligro la vida o conlleve una incapacidad crónica y que no afecte a más de cinco personas por cada diez mil** en la Comunidad en el momento de presentar la solicitud; o se destina al diagnóstico, prevención o tratamiento, en la Comunidad, de una afección que ponga en peligro la vida o conlleve grave incapacidad, o de una afección grave y crónica, y **que resulte improbable que, sin incentivos, la comercialización de dicho medicamento** en la Comunidad **genere suficientes beneficios para justificar la inversión necesaria**; y

b) que no existe ningún método satisfactorio autorizado en la Comunidad, de diagnóstico, prevención o tratamiento de dicha afección, o que, de existir, el medicamento aportará un beneficio considerable a quienes padecen dicha afección.

Por tanto, **la designación de medicamento huérfano pretende promover el desarrollo de fármacos** para enfermedades "olvidadas", raras, o enfermedades infrecuentes en países «ricos», como por ejemplo la malaria. Esto es así porque los futuros clientes del fármaco son pocos, y no hay interés comercial... no se espera que la comercialización genere ingresos suficientes para justificar la inversión en el desarrollo del medicamento.

En EUROPA, la designación de **huérfano** incluye una serie de incentivos:

1. **Exclusividad comercial durante 10 años**, a partir de su comercialización. *Sólo se podrá aprobar otro medicamento huérfano para la misma indicación si aporta un beneficio clínico considerable*.
2. **Asesoramiento técnico** por parte de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) para la preparación del protocolo del ensayo clínico.
3. Acceso al **procedimiento de autorización centralizada de comercialización.**
4. Incentivos adicionales, como son la asistencia administrativa y la reducción de tasas fiscales.
5. Fondos para investigación y promover I+D.



Fuente: https://latammarketaccess.com/certificacion-bpc-de-invima

¿Qué es el reposicionamiento de fármacos?

Hay **medicamentos antiguos**, cuya eficacia y seguridad han sido ampliamente demostradas, que fueron **desarrollados inicialmente para el tratamiento de una enfermedad frecuente,** y posteriormente se **demuestra efectividad en otra enfermedad.** En este caso hablamos de **reposicionamiento,** pues el medicamento se podría utilizar para el tratamiento de una nueva patología (ejemplo: propranolol en VHL, bazedoxifeno en HHT).

Las *dificultades* del reposicionamiento de fármacos cuando **el promotor** de dicho reposicionamiento **es no comercial** (como es nuestro caso, en la cual es la asociación la principal interesada, y no hay un interés económico, sino de salud) son, sobre todo, *económicas*. Para **conseguir que se autorizara su uso en una nueva indicación**, es preciso realizar muchos trámites y un ensayo clínico que lo apoye,

lo cual cuesta muchísimo dinero. La mayoría de las asociaciones carece de la infraestructura y conocimientos necesarios para poner en marcha un ensayo clínico. Ocurre lo mismo con los ***investigadores independientes, aquellos que trabajan en centros públicos, universidades… tampoco tienen medios.*** Dado que son las empresas farmacéuticas las que saben desarrollar estos ensayos como parte de su trabajo habitual, ha sido necesario crear políticas de incentivación dirigidas a ellas, a nivel internacional.

La Alianza VHL es una excepción dentro del mundo de los ensayos clínicos, al haber sido promotora de un **ensayo no comercial, independiente** (ensayo clínico identificado con Nº de EudraCT: 2014-003671-30). Otro ejemplo reciente es el de la **asociación HHT** - enfermedad que también se investiga en el CIB 109 -, que se lanzó en 2017 a promover su propio ensayo clínico para reposicionar un medicamento, y ya está dando resultados positivos en los pacientes del ensayo (Nº de EudraCT: 2016-003982-24).

Nuestra investigación y su financiación

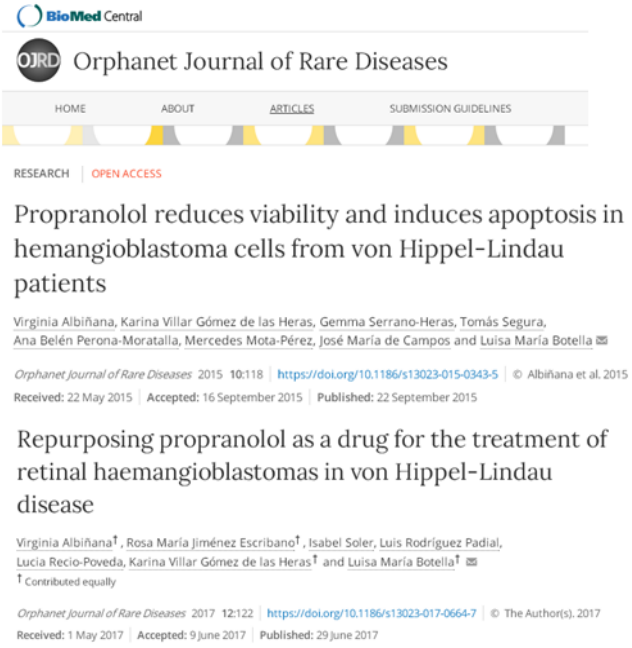
Durante este año hemos continuado financiando los proyectos de investigación en el laboratorio **CIB-109, CSIC**, cuyo responsable es la Dra. Luisa Mª Botella. El equipo humano está compuesto además por los **Dres. Virginia Albiñana y Ángel Cuesta**, y la técnico de laboratorio **Lucía Recio.** Recordemos que forman la **Unidad CIBERER 707**, dedicada a la investigación de dos enfermedades raras, VHL y HHT. Ambas patologías tienen en común el componente vascular. Los proyectos más destacables que han estado realizando sobre VHL, son los siguientes:

Ensayos in vitro con cultivos celulares de tumores VHL

Desde 2013 están llevando a cabo investigaciones con cultivos de tumores VHL procedentes de excedentes de cirugía. Se cultiva parte de los tumores que generosamente donáis y que no necesitan los médicos para el diagnóstico o el estudio anatomopatológico, y con ellos se consiguen **cultivos celulares para experimentación.** En este campo podemos decir que **somos pioneros, especialmente en el mundo de las ER.** Los cultivos obtenidos se están utilizando para dos cosas: **1. Probar fármacos** para ver la respuesta de los cultivos y predecir así la de los tumores. **2. Trabajar en la obtención de un modelo de ratón de la enfermedad.**

Los resultados de las investigaciones se han dado a conocer a través de dos artículos publicados en la revista científica ***Orphanet Journal of Rare Diseases:***

- Propranolol reduces viability and induces apoptosis in hemangioblastoma cells from von Hippel-Lindau patients. Propranolol reduce la viabilidad e induce apoptosis en las células de hemangioblastoma de los pacientes VHL.
- Repurposing propranolol as a drug for the treatment of retinal haemangioblastomas in von Hippel-Lindau disease. Reposicionamiento de propranolol como tratamiento para los hemangioblastomas de retina en la enfermedad de von Hippel-Lindau.


BioMed Central

Orphanet Journal of Rare Diseases

HOME ABOUT ARTICLES SUBMISSION GUIDELINES

RESEARCH | OPEN ACCESS

Propranolol reduces viability and induces apoptosis in hemangioblastoma cells from von Hippel-Lindau patients

Virginia Albiñana, Karina Villar Gómez de las Heras, Gemma Serrano-Heras, Tomás Segura, Ana Belén Perona-Moratalla, Mercedes Mota-Pérez, José María de Campos and Luisa María Botella

Orphanet Journal of Rare Diseases 2015 **10**:118 | https://doi.org/10.1186/s13023-015-0343-5 | © Albiñana et al. 2015

Received: 22 May 2015 | **Accepted:** 16 September 2015 | **Published:** 22 September 2015

Repurposing propranolol as a drug for the treatment of retinal haemangioblastomas in von Hippel-Lindau disease

Virginia Albiñana†, Rosa María Jiménez Escribano†, Isabel Soler, Luis Rodríguez Padial, Lucia Recio-Poveda, Karina Villar Gómez de las Heras† and Luisa María Botella†

† Contributed equally

Orphanet Journal of Rare Diseases 2017 **12**:122 | https://doi.org/10.1186/s13023-017-0664-7 | © The Author(s). 2017

Received: 1 May 2017 | **Accepted:** 9 June 2017 | **Published:** 29 June 2017

Como hemos visto anteriormente, el ***reposicionamiento de fármacos*** consiste en la utilización de un medicamento para otra enfermedad distinta de aquella para la que en principio se autorizó y comercializó, y es una tendencia creciente en los últimos años en el mundo de la industria farmacéutica. La ventaja que tiene es que se ahorran años de investigación, con el consiguiente y cuantioso ahorro económico.

Recientemente, en **enero de 2018** representantes de la Alianza e investigadores del CSIC hemos mantenido una reunión en la **Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)** para conocer los próximos pasos para un futuro ensayo clínico con propranolol, y con un mayor número de pacientes. Asimismo nos animaron a seguir recopilando evidencias del uso de propranolol de casos aislados.

Estudio en mujeres embarazadas

Está en marcha otro estudio de medición de biomarcadores en plasma en **mujeres embarazadas o que están planeando quedarse embarazadas,** lo cual nos servirá para comprobar si el embarazo puede estar influyendo de alguna manera en el desarrollo de los tumores. En la financiación de este proyecto participa de forma importante la **Fundación Iberdrola.** Si eres afectada y estás embarazada, o tienes previsto quedarte embarazada o someterte a alguna técnica de fertilidad, puedes ayudar en esta investigación, que no tiene ningún riesgo para tu salud o la del bebé. Si quieres participar, ***ponte en contacto con nosotros o con la Dra. Botella.***

Ensayo clínico con pacientes VHL y hemangioblastomas de retina

En el **Complejo Hospitalario de Toledo** se están dando pasos para la **creación de una Unidad de atención a la enfermedad VHL.** Ha sido en el Hospital Virgen de la Salud de Toledo, centro dependiente de este Complejo, donde se ha llevado a cabo nuestro primer ensayo clínico, con en el que se pretendía valorar la efectividad del tratamiento con propranolol en comprimidos, en el control del crecimiento de los hemangioblastomas de retina. La **Dra. Rosa María Jiménez Escribano** – jefe del Servicio de Oftalmología – es la investigadora principal. Este estudio se realizó coordinadamente con el CIB-109, donde ha realizado el estudio de biomarcadores de actividad de la enfermedad.

Parte del equipo del Servicio de Oftalmología de Toledo. Las Dras. Jiménez y González son la 3ª y la 1ª respectivamente, desde la derecha de la fotografía. Puedes leer la noticia completa en la web del SESCAM: http://sescam.castillalamancha.es/saladeprensa/notas-de-prensa/el-servicio-de-oftalmologia-del-hospital-de-toledo-participa-en-la

En el ensayo participaron 7 afectados de diferentes comunidades autónomas, y actualmente los investigadores está ultimando el artículo con los resultados, para enviarlo a una revista científica. Parece que propranolol frena el crecimiento de los tumores, y produce **reabsorción de los exudados de retina.** Además, durante el ensayo se han determinado unos biomarcadores (moléculas) que podrían servir para ver cuándo la enfermedad está más activa.

Los resultados de este ensayo clínico ya se presentaron en el primer **Congreso VHL celebrado por la Alianza VHL Griega** - cuya presidenta es Athina Alexandridou - el día **4 de noviembre en Atenas,** y al que asistieron conocidos especialistas en VHL a nivel internacional.

Médicos participantes en el **I Congreso Griego de la enfermedad VHL, con la vicepresidenta y la presidenta (Athina) a la izquierda de la fotografía.**

Dado que se necesitan más estudios para confirmar los resultados, los investigadores han planteado la realización de otro ensayo clínico con propranolol en el que participen más pacientes.

Terapia génica

Como recordaréis, para considerar la posibilidad de iniciar este proyecto, el año pasado contactamos con el **CIMA,** Centro de Investigación Médica Aplicada de la Universidad de Navarra. Tras un contacto inicial, este proyecto ha quedado postpuesto debido a la necesidad de disponer de un modelo animal - preferentemente mamífero - para probar dicha terapia, antes de pasar a probarla en humanos. De momento el único modelo animal VHL del que se dispone es el pez cebra.

Donación de muestras sanguíneas, sangre y excedentes de tumores

Como recordaréis, en noviembre de 2016 mantuvimos una reunión en el CNIO con el **Dr. Francisco de Luna,** coordinador de la **Plataforma de Biobancos del CNIO** (Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas), para estudiar la posibilidad de crear **un biobanco de muestras de tumores VHL,** integrado en la Red Nacional, de forma que estas muestras estén disponibles también para otros investigadores que quieran estudiar nuestra enfermedad. Iban a estudiar nuestra petición, para ver la posibilidad de establecer un protocolo para la obtención de muestras en fresco y facilitar el proceso de donación y llegada de la muestra al laboratorio CIB-109, donde llevamos a cabo nuestras investigaciones. A las pocas semanas nos informaron de que por el momento era muy difícil establecer dicho protocolo, precisamente por la actual organización de la red de biobancos.

Por este motivo nos vimos obligados a continuar con nuestra lucha de obtención de muestras, en solitario. El problema que tenemos es que las muestras sólo pueden salir de los centros con una autorización de la Dirección del mismo, y para ello es necesario que el **Comité de Ética de Investigación** del centro valide el protocolo del estudio y autorice su realización.

Pero además, la **Ley 14/2007 de Investigación Biomédica obliga a que la autorización se realice de forma individualizada, centro por centro, de todos aquellos centros de donde vaya a salir una muestra.** Teniendo en cuenta que no sabemos a priori de dónde puede venir una posible donación, y que desde que entra el protocolo en el centro hasta que se autoriza suele pasar más de un mes, realizamos dos consultas a dos comités de Ética, el ***Comité de Bioética de España*** (http://www.comitedebioetica.es/), y al ***Comité de Ética del Instituto de Salud Carlos III*** (http://www.isciii.es/ISCIII/es/contenidos/fd-investigacion/fd-evaluacion/Comite-etica-Investigacion.shtml).

El problema es que la autorización de un centro se puede demorar tanto, que esto puede suponer

perder la muestra donada (como ya nos ha ocurrido en varias ocasiones), con el consiguiente disgusto para todos. La respuesta obtenida a las consultas indica que no hay otra fórmula legal de conseguir una muestra, independientemente de que el donante quiera donar el tumor (no olvidemos que **la muestra es del donante y es él quien puede, legalmente, decidir el destino de su muestra).**

Por este problema burocrático, **hemos comenzado a presentar el protocolo de investigación a los más de 100 Comités de Ética que hay en toda España**, y al Comité de Bioética de España (competente en la materia según la Ley 14/2007) le hemos sugerido que propongan soluciones a esta situación, que es *particularmente dura en el caso de las enfermedades raras, donde no hay muchos pacientes y por tanto no hay muchas muestras*, y **es muy doloroso que se pierda una muestra para investigación por una cuestión burocrática.** El protocolo no tiene ningún inconveniente legal, y de hecho tenemos ya el dictamen favorable de tres centros, y estamos pendientes de una nueva aprobación en este mes. Sin embargo, los trámites con los diferentes CEIC son complicados, pues cada Comité hace sus comentarios y nos piden modificaciones diferentes, lo que dificulta mucho acabar con la aprobación. **Una vez más comprobamos que no es fácil investigar en España, y menos aún cuando se trata de una enfermedad rara.** De los más de 80 emails enviados hasta el momento, muchos de ellos nos están requiriendo que haya un investigador en su centro (que tenemos que buscar nosotros, desde la asociación), cuando no es necesaria dicha figura pues **la investigación se va a realizar en el CIB, no en el hospital, y no necesitamos ningún dato protegido, sólo el excedente tumoral con el consentimiento informado del paciente.**

Gracias a las donaciones, estamos creando una **colección de cultivos celulares VHL** para poder seguir investigando, que se encuentra ubicada en el Centro de Investigaciones Biológicas (CSIC).

Si te van a operar de un tumor y quieres donar, ponte en contacto con nosotros lo antes posible para que podamos organizar los trámites burocráticos. Las muestras de tumor o de sangre se podrán enviar al centro de investigación desde cualquier punto de España, sin coste alguno en el envío.

La Alianza VHL dona más de 40.000 euros al CIBERER para la investigación de la enfermedad de von Hippel-Lindau

En **marzo** del año pasado, la Alianza VHL donó más de 40.000 euros para contratar a un investigador que comenzara a trabajar en la **obtención de un modelo de ratón VHL.** En esto ha participado la empresa de autobuses **Irizar**.

Para la consecución de este proyecto, la Dirección del Centro de Investigaciones Biológicas nos planteó varias alternativas, de las cuales la fórmula de la donación era la única que no contemplaba que nuestra asociación tuviera que asumir costes indirectos (overheads). Por discrepancias con la Dirección del CIB, finalmente firmamos el **convenio con CIBERER**, y se realizó la donación para iniciar el proceso de **contratación de un investigador con experiencia en investigación del cáncer y en trabajar con animales.**

La persona elegida fue **Ángel Cuesta Martínez, Doctor en Biología, Bioquímica y Biología Molecular por la UAM,** quien se incorporó al equipo investigador a principios de septiembre. Podéis consultar su trayectoria profesional en esta URL:

https://www.researchgate.net/profile/Angel_Cuesta2

Dado que no hay modelo de ratón obtenido genéticamente**, la investigación que está**

desarrollando busca implantar tumores en ratones inmunodeprimidos para poder probar propranolol y otros fármacos. Con la incorporación de Ángel al CIB, ya son tres los investigadores implicados en la investigación - a tiempo completo - de nuestra enfermedad.

Tenemos que decir que las negociaciones con la Dirección del CIB nunca han sido fáciles. Ha supuesto un verdadero problema intentar hacerle comprender que la investigación ya nos cuesta demasiado dinero como para gravarla con costes indirectos, como si una asociación de una enfermedad rara fuera una empresa. Finalmente la mediación de **Juan Luque, Gestor Científico del CIBERER,** ha sido crucial para encontrar una solución.

Investigadores de Unidad 707 de CIBERER del Centro de Investigaciones Biológicas (CSIC), con Susi Martínez y Karina Villar, durante una visita reciente de nuestras representantes al centro. De izquierda a derecha, Lucía Recio, Luisa Mª Botella, Susi, Ángel Cuesta y Karina.

La **Dra. Virginia Albiñana**, que ha estado contratada por la Alianza VHL desde el año 2013, en 2017 ha pasado a ser personal del CIB, lo cual nos beneficia tanto a ella en su carrera profesional, como a nuestra asociación.

Premio Joyce Graff a la mejor publicación sobre la enfermedad de von Hippel-Lindau

El año pasado lanzamos la primera edición del premio a la mejor publicación científica sobre la enfermedad. El trabajo ganador fue el titulado "Caso clínico: síndrome de von Hippel-Lindau, una visión desde enfermería", y la autora principal - **Mónica Casero Alcázar** – asistió a nuestra reunión anual para realizar una breve exposición del trabajo y recoger el premio, consistente en un importe de 800 euros y un diploma acreditativo.

La entrega del premio se realizó el día **20 de Mayo de 2017,** en el Salón de Actos de la Fundación ONCE, Madrid, durante nuestra Reunión Anual. Mónica ofreció una breve presentación del trabajo a los asistentes, poniendo de manifiesto la magnífica labor que realizan en la Unidad de Neurorrehabilitación donde trabaja. Por voluntad de los autores, el premio fue donado íntegramente a la **Unidad de Neurorrehabilitación de la Fundación Instituto San José – Orden Hospitalaria de los Hermanos de San Juan de Dios, (Madrid).**

Mónica Casero, a la izquierda de la fotografía, recoge el diploma de manos de **Susi Martínez**.

Nueva convocatoria

En el mes de noviembre de 2017 hemos enviado carta vía email a las diferentes **Unidades Docentes de los hospitales de toda España,** con un tríptico informativo, comunicando el lanzamiento de la nueva convocatoria. Este premio **representa el reconocimiento a la labor investigadora de los profesionales sanitarios españoles,** y tiene la finalidad de seguir fomentando la investigación

clínica de nuestra enfermedad.

La convocatoria está abierta a médicos, enfermeros, fisioterapeutas y otros profesionales sanitarios de nuestro país. Los trabajos deberán haberse realizado en instituciones españolas públicas o privadas (universidades, centros de salud, hospitales, clínicas) y haber sido publicados entre el 1 de enero y el 31 de diciembre de 2017, o estar pendientes de publicación a dicha fecha. Puedes acceder desde aquí a las **bases de la convocatoria**.

La Dra. Luisa Botella recibe el Premio a la *Mejor trayectoria investigadora en enfermedades raras y medicamentos huérfanos*, en la 1ª convocatoria de los Premios AELMHU

En septiembre presentamos la candidatura de la Dra. Luisa Mª Botella a la primera convocatoria de premios AELMHU (Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos), en la categoría **"Mejor Trayectoria Investigadora en Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos",** por la búsqueda de tratamientos para la enfermedad von Hippel-Lindau y la telangiectasia hemorrágica hereditaria (HHT). La asociación HHT también propuso a Luisa para esta categoría.

Fotografía de la entrega de premios AELMHU. Madrid, septiembre de 2017.

La ceremonia se celebró en la Real Academia Nacional de Medicina de Madrid, con la asistencia de Dª Belén Crespo, Directora de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, y Dª Mª José Calvo, Subdirectora General de Farmacia y Productos Sanitarios de Comunidad de Madrid, quienes, junto al presidente de AELMHU, Josep Mª Espinalt, entregaron los galardones cuyas **dotaciones económicas de 3.000 euros** han sido **donadas íntegramente a proyectos vinculados a las enfermedades raras y/o los medicamentos huérfanos.**

AELMHU es una entidad sin ánimo de lucro que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas.

Luisa Mª Botella (izquierda) recibe el galardón de manos de **Belén Crespo,** directora de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios **(AEMPS).**

Puedes leer la entrevista que le hicieron a la Dra. Botella pinchando en este enlace.

II Encuentro internacional de jóvenes VHL

Como en el año anterior, la Alianza VHL alemana, con su presidente – **Gerhard Alsmeier** - como principal responsable, organizó un encuentro entre jóvenes de diferentes países europeos que tuvo lugar en Berlín, del 15 al 18 de junio.

La convocatoria para inscribirse se abrió a primeros de Diciembre de 2016 y se cerró el día 31 de dicho mes. Nuestra asociación acordó cubrir

los gastos de aquellos jóvenes españoles que quisieran asistir al encuentro, mediante la concesión de 5 becas. Los **requisitos para solicitarlas** fueron los siguientes:

- Tener la enfermedad de von Hippel-Lindau, confirmada mediante informe clínico o diagnóstico genético.
- **Tener entre 18 y 30 años de edad.**
- Ser socio de la Alianza y estar al corriente de pago de la cuota de socio.

La beca incluía:

- Transporte desde España a Alemania.
- Alojamiento y manutención en Berlín.

Aunque había un cupo de 25 asistentes, no se cubrieron todas las plazas. Hubo un total de **17 participantes de diferentes países, tres de ellos españoles.** El idioma oficial del encuentro fue **el inglés** y se trataron temas relacionados con psicología, genética, planificación familiar, sistema nervioso central, riñón y aspectos clínicos de la enfermedad. La organización también tenía previsto un pequeño tour por la ciudad de Berlín.

Se espera que hacia mediados de **2019** se organice otro encuentro que facilite que nuestros jóvenes puedan compartir información y experiencias con gente de su edad, de otros países, y que viven circunstancias similares.

Desde la Alianza queremos animaros a presentar vuestra solicitud para acudir a este encuentro. Creemos que es muy enriquecedor para todos, y una oportunidad única.

Copiamos el testimonio de uno de los jóvenes asistentes al encuentro:

"Para muchos de nosotros fue nuestra primera reunión VHL, y todos teníamos mucha curiosidad. Gerhard comenzó con unas preguntas breves sobre VHL y después de una ronda de presentaciones, nos reunimos en una cervecería Bávara.

Hubo cuatro conferencias médicas, todas ellas muy profesionales e interesantes.

Debido a que la enfermedad VHL afecta a cada uno de nosotros de forma diferente, fue difícil seleccionar temas médicos que nos interesaran a todos. Sin embargo, todos los participantes disfrutamos de las cuatro conferencias.

Lo más importante para nosotros fue contactar con otros jóvenes que sufren nuestra misma enfermedad rara.

Conocer jóvenes guerreros de otros países, intercambiar información o experiencias relacionadas o no con VHL, hablar sobre la enfermedad y los miedos relacionados con nuestra enfermedad sin tratar de encontrar las palabras perfectas o tener que preocuparse por la reacción de los demás, es una experiencia indescriptible y valiosa. Es increíble lo cerca que puedes sentirte de gente que nunca has conocido antes.

Aunque VHL es desafío difícil de afrontar, es muy útil saber que ninguno de nosotros está solo. Reuniones como esta nos permiten compartir historias, hablar sobre miedos y conocer a muchas personas que piensan positivamente. Esto nos ayuda a sentirnos más seguros, a pensar más positivamente, e incluso nos da la oportunidad de disfrutar un poco más que antes de pequeños momentos felices.

Fue un fin de semana inolvidable: lleno de emociones y libre de preocupaciones. Queríamos que hubiera durado más tiempo.
Todos los jóvenes con VHL deberían tener la oportunidad de participar. Esperamos con impaciencia la próxima reunión dentro de dos años. Somos guerreros fuertes y podemos enfrentar este desafío y ganar nuestra guerra.

Louisa M.

#vhlyoungwarriors"

Trabajador social "Escucha"

En 2017 realizamos una valoración de la situación **sociosanitaria** de los afectados, a través de una encuesta que coordinó nuestro trabajador social, Oliver Juan Canales Sirgo.

La encuesta contenía **49 preguntas** y cumplimentarla llevaba aproximadamente **20 minutos.** Muchos de los participantes la cumplimentaron vía web, y otros prefirieron la realización telefónica con la guía de Oliver.

Participaron **126 personas** (afectados o familiares). Estamos pendientes de la publicación de los resultados en una revista científica.

También queremos recordaros que podéis contactar con Oliver Canales en el correo tsocial@alianzavhl.org.

Subvenciones

Este año nos hemos presentado a las siguientes convocatorias:

- **Fundación Port Aventura –** enero.
- **Convocatoria 2017 Junta Castilla la Mancha** para asociaciones de autoayuda – abril.
- **Premio Constantes y Vitales La Sexta** "Investigación biomédica del año" – junio.
- **"II Edición de las becas a la mejor idea o proyecto de asociaciones de pacientes de la Fundación QUAES"** – septiembre.
- **Ayudas Merck a la investigación 2018** – octubre.

De ellas, únicamente nos han concedido la de la **Junta de Comunidades de Castilla-La Mancha**, con un importe total concedido de **2.164 euros.**

Eventos

Durante 2017 se han realizado eventos variados en diferentes puntos de España, con el propósito de recaudar fondos para la investigación y concienciar sobre la enfermedad. Por fecha de realización:

- **Lotería del Niño 2017 –** 6 de enero.
- **Urna Solidaria Casino Cirsa Valencia –** Enero.
- **III Carrera Popular Solidaria Sagrado Corazón Esclavas & Alianza VHL -** 4 de febrero. Valencia.
- **Festival Musical Mago de Oz. Caxton College -** 30 y 31 de marzo. Puzol, Valencia.
- **6º Torneo de golf – Club de golf Escorpión -** 4 de mayo. Bétera, Valencia.

- **I Carrera BTT– Bicivoadores Val Miñor -** 13 de mayo. A Camoesa, Pontevedra.
- **AQUA Picanya "Nada por la noche" -** 20 de mayo. Picanya, Valencia.
- **4º Torneo de golf benéfico Club Race Madrid -** 25 de mayo. San Sebastián de los Reyes.
- **4º Cocktail benéfico VHL -** 26 de mayo. Madrid.
- **Vídeo VHL "Nuestros retos para una cura"** – Junio.
- **I Carrera y Marcha Solidaria a favor de VHL -** 25 de junio. Paiporta, Valencia.
- **Valencia Danza "Somos Arte". Fundación Hortensia Herrero -** 30 de septiembre. Palau de les Arts Reina Sofía, Valencia.
- **Mercadillo Solidario 2017** - 1 de octubre. Madrid.
- **XVIII Homenaje a Enrique Urquijo –** 17 y 18 de noviembre. Teatro Galileo Galilei, Madrid.
- **Lotería de Navidad 2017** - 22 de diciembre.

En nuestra página de Facebook y en la Web de la Alianza:

- Compra online y haz un donativo sin ningún coste para ti.
- Campaña de recogida de móviles y tablets.
- Camisetas "Compartimos esfuerzo".
- Libro infantil: "Cuentos para ser escuchados".

Puedes encontrar toda la información en el apartado **"Actividades Benéficas"** de nuestra Web. **Queremos agradecer a todos los participantes el tiempo y el esfuerzo dedicado a la organización de los eventos, así como a todos los que colaboráis de una u otra forma en nuestras actividades.** *Tú también puedes organizar un evento en tu entorno. Contacta con nosotros si necesitas orientación.*

Celebraciones Solidarias

Cualquier celebración puede ser motivo para colaborar en la investigación de nuestra enfermedad: una cena familiar, un cumpleaños, una boda, una comunión… El año pasado inauguramos el apartado **"Celebraciones Solidarias"** en nuestra página Web, con gran éxito.

Te proponemos varios regalos diferentes con los que obsequiar a tus invitados, al tiempo que colaboras con nosotros en la investigación de nuestra enfermedad. Tenemos pulseras, camisetas de running, de cuello japonés, y cuentos infantiles. Para acceder, haz click aquí.

Donaciones

Investigar una enfermedad rara en España no es sencillo. La ayuda que recibimos desde las instituciones públicas para investigar nuestra enfermedad sigue siendo escasa. Tener una enfermedad rara obliga a quien quiere investigarla a buscar fondos propios, pues las partidas públicas destinadas a esto son escasas. Por ello, las donaciones individuales son primordiales para poder financiar la investigación.

La alianza VHL está acogida al **régimen fiscal especial regulado en el Título II de la Ley 49/2002, de 23 de diciembre, de régimen fiscal de las entidades sin fines lucrativos y de los incentivos fiscales al mecenazgo.** Aquellas personas que se asocien o realicen donaciones, pueden solicitar desgravación fiscal de la cantidad aportada.

Hazte Socio

Necesitamos la ayuda de todos

Otro año más, desde la Alianza VHL queremos alentaros a que vuestros familiares y amigos se hagan socios, y formen parte de esta gran familia con un mismo objetivo: la investigación de nuestra enfermedad. Gracias a las cuotas de socio podemos seguir con nuestra lucha por encontrar una cura.

La **cuota mínima anual es de 36 euros**… no es mucho para conseguir nuestro objetivo. Si prefieres el pago fraccionado, puedes hacerlo a partir de 10€ trimestral o 10€ mensual. **Formulario Online**.

Os recordamos que **las cuotas de socios y donaciones realizadas también se pueden**

desgravar de la declaración de la Renta, y esto es aplicable tanto a particulares como a empresas.

El año 2017 es el **cuarto año consecutivo que pasamos una auditoría externa**, lo que acredita la transparencia de nuestras cuentas.

Reunión anual y junta directiva

Te animamos a que asistas a nuestra **reunión anual.** Como sabes, ésta se celebra normalmente en los primeros días del mes de junio **en Madrid,** en la sede de la Fundación ONCE, C/ Sebastián Herrera, 15. Actualmente nuestra junta directiva está compuesta por Presidente, Vicepresidente, Secretario, Tesorero y 6 vocales. Cualquier socio que lo desee puede presentarse a la elección de cargos de la junta directiva de nuestra asociación, los cuales se renuevan cada dos años.

También puedes unirte a nosotros en una de las carreras en las que participa el **Club de Atletismo von Hippel-Lindau Paiporta**, llevando nuestra camiseta y compartiendo esfuerzo. O en la **Cena Solidaria** que se organiza en Madrid durante el mes de concienciación internacional VHL, el **mes de mayo**.

En todos estos eventos tendrás la oportunidad de conocer a otros afectados, de conocer a mucha gente que nos ayuda y nos apoya, y lo que es más importante, ***de compartir algo inolvidable.***

Miembros del Club de Atletismo von Hippel-Lindau, de Paiporta, Valencia.

¡Te esperamos!

Nuestras federaciones

VHL Family Alliance
Federación internacional de asociaciones VHL
ww.vhl.org

EURORDIS
European Organization for Rare Disorders
http://www.eurordis.org

Federación VHL- Europa
http://www.vhl-europa.org