

ciberer

Centro de Investigación Biomédica en Red

Enfermedades Raras

Convocatoria de Proyectos para Desarrollo de Terapias en EERR



Índice

Proyectos Estratégicos para Desarrollo de Terapias en Enfermedades Raras	1
A. Objeto	3
B. Líneas prioritarias	3
C. Requisitos de las propuestas	3
D. Cuantía de las ayudas	6
E. Conceptos financiables	6
F. Periodo de ejecución y duración	7
G. Procedimiento y plazo de presentación de solicitudes	7
H. Evaluación - Procedimiento de concesión	8
I. Trámites de facturación y pago	9
J. Difusión	10
K. Justificación científica	10

A. Objeto

La convocatoria de Proyectos para Desarrollo de Terapias en enfermedades raras (ER) tiene como objetivo general la puesta en marcha de proyectos de investigación para el desarrollo de terapias más eficaces y seguras de ERs, incluyendo nuevas terapias farmacológicas, así como terapias avanzadas, tanto de terapia celular como terapia génica, ingeniería de tejidos y uso de biomateriales aplicados a estas terapias. Se prestará atención particular al desarrollo de medicamentos huérfanos, según lo dispuesto en el Reglamento (CE) nº 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de diciembre de 1999, sobre medicamentos huérfanos, y medicamentos de uso humano usados en enfermedades raras. Todo ello alineado con el objetivo IRDiRC sobre nuevas terapias.

B. Líneas prioritarias

Los objetivos del proyecto se podrán orientar en una de estas dos modalidades

Modalidad 1) Investigación Preclínica: el objetivo en esta modalidad es desarrollar estudios preclínicos de prueba de concepto para medicamentos con potencial designación huérfana.

- 1.1. Terapias farmacológicas (Incluye también aproximaciones de *drug discovery*, cribado de compuestos y reposicionamiento de fármacos)
- 1.2. Terapias avanzadas (medicina regenerativa, terapia celular y terapia génica) y otras terapias innovadoras.

Modalidad 2) Investigación Clínica: el objetivo en esta modalidad es desarrollar estudios clínicos para evaluar la seguridad y eficacia de medicamentos en pacientes con ERs. Los tipos de proyectos esperados en esta modalidad son:

- 2.1 implementación de ensayos clínicos en Fase I y II
- 2.2 Implementación de ensayos clínicos en Fase III

C. Requisitos de las propuestas

Los criterios básicos en los que se fundamenta el programa son:

Requisitos comunes para las dos modalidades

- ✓ La propuesta debe estar orientada al **estudio de una o varias ERs relacionadas o al desarrollo de tratamientos similares, aplicables para diferentes ERs.**

- ✓ La convocatoria está orientada a **financiar proyectos** de desarrollo terapéutico para ERs donde sea necesario financiar toda o una parte significativa del proyecto.
- ✓ **Se podrán presentar Proyectos individuales o Proyectos coordinados. En este caso, cada uno de los grupos participará con un Investigador Principal (IP).** Uno de los grupos actuará como coordinador de la acción. El proyecto formará parte del Plan de Acción del Pdl del grupo coordinador (*criterio de fomentar y concretar la actividad científica de los Pdl*).
- ✓ **La propuesta se asignará como propia al Pdl al que pertenezca el grupo de investigación coordinador, si bien podrán participar** grupo/s de otro Pdl. La participación de un grupo en un proyecto asignado a otro Pdl distinto al suyo también se podrá incorporar al Plan de Acción de dicho Pdl (*criterio de fomento de la transversalidad y multidisciplinariedad, evitando restricciones*).
- ✓ **En el caso de incluir en el proyecto a plataformas CIBERER se deberá informar a las mismas antes de presentar la propuesta definitiva,** indicando qué usos o productos se plantean llevar a cabo en relación con ellas. Además, y salvo casos excepcionales y muy justificados, no se autorizará la contratación de servicios con terceros que puedan ser ofrecidos con las citadas plataformas (*criterio de fomento de las acciones del CIBERER*).
- ✓ **El número mínimo de grupos para presentar un proyecto es de 1.** Los proyectos están abiertos a grupos clínicos vinculados CIBERER, y también a grupos externos al CIBERER (CIBER o no CIBER), pero en estos últimos casos no podrán recibir asignación económica. Para la participación de grupos externos será necesario adjuntar una carta de intención firmada por el investigador principal del grupo externo. En cualquier caso, será valorada positivamente su participación si complementa la actividad de los grupos CIBERER (*criterio de fomento de la investigación cooperativa*).
- ✓ **No hay limitación del número de propuestas con financiación en los que puede participar un grupo. Pero se mantiene la limitación por investigador,** es decir, cada miembro del equipo de investigación sólo puede participar en una solicitud. Cada grupo participará con un Investigador Principal (IP), el cual podrá ser cualquier investigador doctor contratado o adscrito al CIBERER. No hay incompatibilidad con proyectos activos ACCI o con otros proyectos de Investigación que no sean de esta convocatoria.

Modalidad 1. Investigación Preclínica

- ✓ Es necesario disponer al inicio del proyecto de los principales **modelos in vivo y/o in vitro para todos los ensayos previstos.**
- ✓ Se podrán vincular empresas u otras entidades públicas o privadas (Entes Promotores Observadores EPO), siempre que no estén comprometidos o licenciados los **derechos de propiedad industrial del**

grupo que presenta el Proyecto en el momento de presentarlo a la convocatoria. En el caso de participación activa de una empresa, se procederá a formalizar un acuerdo con la misma para el desarrollo del proyecto.

- ✓ El proyecto debe partir de **una prueba de concepto terapéutica inicial y puede cubrir cualquier parte de la investigación preclínica.**
- ✓ **La solicitud de designación de un nuevo medicamento huérfano se contemplará como un hito de notable importancia dentro del proyecto.** Para ello el equipo investigador contará con el apoyo de la oficina de gestión del CIBERER en caso de ser financiado el proyecto.

Modalidad 2. Investigación Clínica:

- ✓ Se valorará positivamente aquellos proyectos en los que los medicamentos en investigación hayan obtenido **la designación de Medicamento Huérfano por parte de la EMA** y aquellos en los que exista aprobación del PEI y del protocolo clínico por parte de la AEMPS antes de la resolución final de la convocatoria.
- ✓ El estudio se considerará como **Investigación clínica sin ánimo comercial, es decir,** Investigación llevada a cabo por los investigadores sin la participación de la industria farmacéutica. Es decir, que no haya acuerdos previos entre el promotor y empresas que permitan el empleo de los datos para usos regulatorios o que generen una propiedad industrial en las mismas. No obstante sí se valorará que se hayan identificado posibles empresas y/o futuros colaboradores capaces del posterior desarrollo del medicamento para ser aprobado por parte de las agencias reguladoras.
- ✓ Es recomendable por parte de los responsables clínicos haber **recibido el [scientific advice/protocol assistance](#) por parte de la EMA antes del inicio del proyecto, o plantearlo como un hito del proyecto en caso de no haberlo realizado con anterioridad.**
- ✓ **El IP del ensayo debe ser un investigador clínico de un grupo CIBERER o GCV y tener asociado un nodo de la Plataforma de Unidades de Investigación Clínica y Ensayos Clínicos (SCReN) o en su defecto una unidad de ensayos clínicos con capacidad para liderar como promotor o co-promotor el ensayo propuesto.**
- ✓ **El CIBERER y la Institución Consorciada colaborarán mediante un convenio a formalizar para el desarrollo del proyecto actuando la Institución clínica como promotor de acuerdo al Real Decreto 1090/2015, de 4 de diciembre, por el que se regulan los ensayos clínicos con medicamentos.** El CIBERER será el responsable de la financiación o cofinanciación del ensayo, apoyo en diversos trámites regulatorios y apoyo en la coordinación con distintos centros en casos de proyectos multicéntricos. Por

su parte, la Institución Consorciada será responsable principal de las actividades obligadas para el promotor derivadas del Artículo 39 del citado Real Decreto.

- ✓ **El presupuesto y propuesta de ensayo clínico debe estar validada** por el nodo SCReN o unidad equivalente correspondiente al grupo coordinador.
- ✓ Se valorará de forma muy positiva que haya conocimiento o instrumentos para el conocimiento de la **historia natural de la enfermedad, la existencia de registros de pacientes o bases de datos de calidad**. Así mismo se valorará que los proyectos se focalicen en aquellas patologías con mayores necesidades terapéuticas, bien por la moderada eficacia o elevada toxicidad de las terapias actuales.
- ✓ Se valorará positivamente que los proyectos **vinculen representantes de las asociaciones de pacientes**, en la medida de lo posible, durante el estudio. Especialmente en el diseño de los mismos y la elección de end-points.

D. Cuantía de las ayudas

La **dotación** total de la convocatoria será de un máximo de 450.000 € (sujeta a modificaciones en función de posibles variaciones en los presupuestos generales del estado).

La financiación por proyecto de investigación tendrá una dotación máxima por proyecto de 150.000 €.

Las ayudas deberán financiar total o parcialmente el presupuesto solicitado en las propuestas presentadas, teniendo en cuenta las disponibilidades presupuestarias. Una vez resuelta la convocatoria se procederá a un proceso de negociación entre CIBERER y el investigador coordinador del proyecto para fijar el presupuesto definitivo y los plazos de justificación y ejecución del proyecto.

E. Conceptos financiables

Personal	Sólo para la modalidad de <u>proyectos de investigación clínica</u> y será personal no contratado por CIBER. Esto será regulado mediante convenio entre CIBER y la institución promotora. Solo en casos donde esté totalmente justificado.
Material fungible:	Consumible de laboratorio, material de oficina no inventariable, etc.
Material inventariable*	Pequeño equipamiento científico de laboratorio, software y hardware necesario para la correcta ejecución del proyecto.
Gastos de servicios:	Gastos por servicios o ligados al animalario, etc...

Otros tipos de gastos.

Gastos de viaje:

Los gastos financiados en este apartado son: inscripciones, desplazamientos, alojamientos y dietas para asistencia a reuniones y/o congresos, **ligados directamente a proyecto.**

El presupuesto deberá reflejar qué grupo es responsable de ejecutar cada partida, estando éstas detalladas en relación no sólo al concepto de gasto general sino indicando el máximo detalle posible del mismo.

*** CIBERER no se hará responsable del mantenimiento ni reparaciones del equipamiento financiado en esta convocatoria. En caso de concesión del proyecto será necesario un compromiso por parte de la institución consorciada para hacerse cargo del mantenimiento y reparación del mismo.**

F. Periodo de ejecución y duración

Los proyectos se iniciarán una vez resuelta la convocatoria por parte del CIBERER y tendrán una duración máxima de hasta tres años, pudiéndose solicitar una prórroga extraordinaria en casos justificados. **El periodo de ejecución definitivo se determinará durante la fase de negociación con el CIBERER y la oficina técnica CIBER.** Esta fase de negociación se iniciará al día siguiente de la aprobación del proyecto por parte del CIBERER, y en ella se fijarán todos los aspectos relativos al presupuesto, ejecución y justificación. En cualquier caso, **el inicio del proyecto estará condicionado a la presentación por parte del coordinador de todos los requisitos éticos y legales** y la firma de los posibles convenios necesarios según el proyecto de investigación presentado.

No se admitirán, ni el CIBERER podrá asumir el pago de las facturas recibidas fuera de los plazos fijados en la fase de negociación por la oficina técnica CIBER. El presupuesto no ejecutado al final del procedimiento podrá ser asignado por parte del Comité de Dirección a otros programas del CIBERER.

G. Procedimiento y plazo de presentación de solicitudes

Las solicitudes deberán de ser cumplimentadas y remitidas con fecha tope **el 1 diciembre a las 12:00 a gestores@ciberer.es**.

El formulario está disponible como anexo a esta convocatoria. Además, este formulario deberá acompañarse de los CV Normalizados (Modelo ISCIII, MINECO o FECYT) de cada uno de los **IPs** participantes en la propuesta (un IP por grupo de investigación incluidos los externos al CIBERER).

Será responsabilidad del Coordinador del proyecto:

- La ejecución de la acción, de acuerdo con el plan de trabajo propuesto (Anexo I).
- La justificación de los gastos del proyecto.

- Redacción de una memoria de actividad a mitad del proyecto y otra al final del periodo de ejecución del mismo.
- La inclusión de los logos y publicidad CIBERER, de acuerdo a la política de comunicación CIBERER, de los resultados y acciones derivadas del proyecto.

H. Evaluación - Procedimiento de concesión

La concesión de las ayudas se realizará mediante el procedimiento de concurrencia competitiva. **Las solicitudes se someterán a una evaluación técnica y científica externa por parte de la Agencia Nacional de Evaluación y Prospectiva (ANEP)**. Posteriormente serán sometidas a una evaluación estratégica interna por parte del Comité de Dirección del CIBERER o en quien este delegue.

Se considerarán los siguientes aspectos para la valoración de las propuestas:

1: Filtro inicial para la aceptación de las propuestas. Revisión de los aspectos formales de las propuestas por parte de los gestores científicos con apoyo del Comité de Dirección:

- La propuesta ha de tratar sobre alguna de las modalidades establecidas en el apartado B de esta convocatoria.
- Participación de los investigadores en una única propuesta.
- Revisión de criterios formales de la solicitud.
- Todos los grupos participantes están al corriente de la presentación de informes y cierre de proyectos ACCI anteriores.

2: Valoración de las propuestas por parte de la ANEP (80 % de la valoración final de la propuesta):

CALIDAD CIENTÍFICA (50% de la valoración total del ANEP)

- Novedad, originalidad e innovación de la propuesta.
- Relevancia, interés y aplicabilidad de la propuesta (Aplicabilidad = desarrollo de una tecnología o servicio con aplicabilidad para la atención sanitaria, vía traslación al SNS o transferencia al sector productivo).
- Adecuación en la formulación de los objetivos.
- Planteamiento conceptual.
- Planteamiento metodológico.

VIABILIDAD (50% de la valoración total del ANEP)

- Adecuación de la metodología, diseño de la investigación y plan de trabajo en relación con los objetivos del proyecto.
- Adecuación de la distribución de las tareas.

- Capacidad para la realización de las actividades programadas en el momento de la solicitud, siempre en el contexto de la marcha de la línea de investigación (se pretende financiar necesidades reales y no posibles necesidades futuras).
- Relevancia internacional de las contribuciones científico-técnicas previas en relación con la propuesta.
- Adecuación del presupuesto a las actividades propuestas y justificación del mismo de acuerdo a las necesidades del proyecto.

EQUIPO

Los grupos de investigación del CIBERER se someten de forma regular a evaluación de su productividad, además de su capacidad y trayectoria demostrada avalada por su pertenencia al centro. Por tanto, no se valorarán los grupos de investigación como tales dentro de los criterios a tener en cuenta para la priorización del proyecto. Eso sí, tal y como ha quedado indicado, en el apartado de VIABILIDAD, sí se considerarán la adecuación de las capacidades y trayectoria demostrada por parte de los grupos participantes en **relación directa** con el proyecto presentado.

3: Valoración estratégica CIBERER de las propuestas (20 % de la valoración final de la propuesta):

- Impacto potencial y aplicabilidad del modelo/proyecto a otras ER o grupos de ER.
- Alineación con la viabilidad, novedad y relevancia para la salud pública y para el SNS.
- Existencia de un plan adecuado de explotación de resultados.
- Presentación de esquema de evaluación claro de resultados que facilite el seguimiento del proyecto.

La resolución de concesión de ayudas será enviada directamente a cada investigador Coordinador de la propuesta solicitada.

I. Trámites de facturación y pago

En función de los costes, y del tipo de servicio a financiar en cada acción aprobada, el equipo de gestión científica comunicará al Investigador coordinador el procedimiento administrativo para ejecutar la acción.

J. Difusión

En las publicaciones y otros resultados a los que pueda dar lugar todo proyecto financiado deberá mencionarse al CIBERER como entidad financiadora, citando el número de referencia del CeCo asignado a la acción.

Los beneficiarios de la ayuda en la presente convocatoria deberán utilizar, en todos los productos de ejecución, información y publicidad de las actividades, los nuevos logotipos identificativos del CIBER de Enfermedades Raras, del ISCIII, del Ministerio en vigor con independencia de la cantidad de la ayuda concedida.



K. Justificación

Para la realización del seguimiento científico-técnico y económico, los beneficiarios deberán enviar un informe intermedio y uno al final del mismo mediante correo electrónico a gestores@ciberer.es en un máximo de tiempo de tres meses tras la finalización del periodo de ejecución.