

**Bases de la primera  
convocatoria para la  
investigación del  
síndrome de Angelman  
España  
2024**



## ÍNDICE

Introducción .....	3
Objetivo .....	4
Tema .....	4
Calendario .....	5
Documentación .....	6
Candidatura .....	6
Proceso de evaluación .....	6
Fase de admisión .....	7
Fase de valoración .....	7
Comunicación de la evaluación .....	8
Recursos .....	8
Financiación .....	8
Confidencialidad .....	9
Protección de datos .....	9
Obligaciones .....	10



# Introducción

La Fundación FAST ESPAÑA para la investigación, ensayos clínicos y cura del síndrome de Angelman presenta esta primera convocatoria de proyectos de investigación sobre el síndrome de Angelman en España.

En particular, se busca promover proyectos con potencial de acercar cualquiera de las líneas de investigación existentes a la etapa de ensayos clínicos o coadyuvar a mejorar la seguridad y eficacia de las terapias potenciales actualmente en fase clínica.

El síndrome de Angelman es una enfermedad rara de origen genético que causa retraso en el desarrollo, problemas del habla y el equilibrio, discapacidad intelectual y, a veces, convulsiones. Las personas con síndrome de Angelman suelen sonreír y reír frecuentemente y tienen personalidades felices y excitables, entre otros muchos síntomas.

A raíz de que se determinara que la ausencia o mal funcionamiento del gen UBE3A del par cromosómico 15 en las neuronas es la principal causa del síndrome de Angelman, buena parte de la investigación ha estado dirigida a encontrar la forma de corregir el “mecanismo de acción” de la enfermedad asociado a dicho gen.

En la actualidad, existen cuatro pilares de acción de FAST para acelerar la cura de esta enfermedad:

- Pilar 1: Arreglar el gen materno
- Pilar 2: Activar el gen paterno
- Pilar 3: Dianas terapéuticas
- Pilar 4: Acelerar y preparar los ensayos clínicos.



## Objetivo

El objetivo de esta primera convocatoria, con una dotación de 150.000€ (IVA incluido), es seleccionar un proyecto de investigación sobre el síndrome de Angelman con potencial de acercar cualquiera de las líneas de investigación pre-clínica existentes a la etapa de ensayos clínicos o coadyuvar a mejorar la seguridad y eficacia de las terapias potenciales actualmente en fase clínica.

Se buscan investigaciones del síndrome de Angelman con potencial de alcanzar el estado de madurez previo a su paso ulterior a fase de ensayo clínico en seres humanos (pre-IND por sus siglas en inglés).

## Tema

Se valorarán positivamente líneas de investigación disruptivas con potencial terapéutico que complementen las actuales líneas globales de investigación y ensayos clínicos del síndrome de Angelman. Se otorgará mayor peso a las propuestas que los comités científicos juzguen tengan mayor probabilidad de conducir a una cura o terapia que modifique en gran medida el curso de la enfermedad del síndrome de Angelman.

Sin embargo, también se valorarán temáticas no directamente ligadas al gen UBE3A, como por ejemplo herramientas o tecnologías que coadyuven a mejorar la seguridad y eficacia de posibles terapias génicas o con células madre, vectores virales o no virales eficaces para atravesar la barrera hematoencefálica, técnicas para mejorar la biodisponibilidad de tratamientos en las neuronas, nuevos biomarcadores relevantes para el Síndrome de Angelman, reutilización de medicamentos existentes, etc.



## Calendario

La presente convocatoria para recibir propuestas estará abierta entre el **1 de marzo de 2024** y el **31 de mayo de 2024** a la medianoche.

El proceso de evaluación consistirá en dos fases: una fase de Admisión y otra fase de Valoración.

Cualquier duda sobre temas científicos y de las líneas de investigación en curso sobre el síndrome de Angelman se atenderá por el correo [info@cureangelman.es](mailto:info@cureangelman.es) hasta el día viernes 17 de mayo de 2024.

La resolución favorable de la convocatoria, con su puntuación baremada, se hará pública el día **31 de julio de 2024** y se podrá consultar en el siguiente enlace <https://www.cureangelman.es/investigacion>.

La Fundación enviará un correo a los candidatos indicando si su candidatura ha sido la ganadora o ha sido excluida en la presente convocatoria.

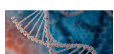
La Fundación FAST ESPAÑA firmará un acuerdo de colaboración con la entidad ganadora el 15 de septiembre de 2024.

El proyecto de investigación se considerará iniciado una vez abonado el primer pago, el 15 de octubre de 2024.

Está previsto que los desembolsos se realicen en las siguientes fechas:

- 75.000€ (IVA incluido) el 15 de octubre de 2024 y,
- 75.000€ (IVA incluido) el 15 de marzo de 2025.

La Fundación FAST ESPAÑA se reserva el derecho de declarar desierta la convocatoria y de modificar, extender o reducir estos plazos en el caso que sea necesario por causas internas.



## Documentación

El solicitante deberá leer con atención las presentes bases de la convocatoria y rellenar el Formulario de solicitud:

**Formulario de solicitud (en español y en inglés)** donde aparecen reflejados los datos de contacto, los datos de la organización, la información del proyecto y el responsable de la propuesta.

La propuesta deberá contener información sobre objetivos, metodología y valoración de posible aporte a la investigación existente del Síndrome de Angelman, hipótesis a validar, experiencia previa del investigador, grupo o laboratorio en la temática o enfoque propuestos, cronograma tentativo de la investigación, presupuesto estimado por partidas globales, CV y publicaciones relevantes del investigador, entre otros, que permitan a los comités científicos realizar una evaluación adecuada de la propuesta.

Estos documentos deberán enviarse por correo electrónico a la atención **Convocatoria de investigación** a la dirección [info@cureangelman.es](mailto:info@cureangelman.es) en el periodo especificado.

Las propuestas deberán ser remitidas tanto en español como en inglés, para su evaluación por los respectivos comités científicos español y americano.

## Candidatura

A la presente convocatoria pueden presentarse instituciones académicas, grupos de investigación, laboratorios y hospitales. Se admitirán un número indeterminado de propuestas por investigador, centro, hospital, departamento académico, etc., aunque solamente una solicitud ganará la convocatoria valorada en 150.000€ (IVA incluido).

## Proceso de evaluación

El proceso de evaluación consistirá en dos fases: una fase de Admisión y otra fase de Valoración.



## **Fase de admisión**

Durante la Fase de admisión, la Fundación FAST ESPAÑA junto con el comité científico de la Fundación FAST ESPAÑA y el comité científico de la Fundación FAST USA, verificará la admisibilidad de las solicitudes.

Los criterios de admisión validan la admisibilidad de las solicitudes presentadas en el plazo establecido, en español e inglés y con el contenido apropiado y expuesto en el Formulario de solicitud.

Cualquier solicitud que no cumpla con los criterios publicados en las Bases de la convocatoria o que no cuente con los documentos obligatorios será rechazada y se enviará una notificación al solicitante.

## **Fase de valoración**

Los criterios de la fase de valoración serán aplicados por la Fundación FAST ESPAÑA junto con la Fundación FAST USA. Los comités científicos de cada organización contrastarán las diferentes propuestas atendiendo a los siguientes criterios de valoración:

- Impacto Angelman (50):
  - Alineamiento con y aporte a las investigaciones de la “pipeline” de FAST a nivel mundial (evitar duplicidades)
  - Innovación y singularidad de la propuesta
  - Compromiso a ensayar con animales (fase de pre-clínica).
  
- Divulgación (30):
  - Compromiso de compartir datos con cualquier investigador o entidad a nivel mundial.
  - Compromiso de divulgar la investigación en revistas y conferencias científicas.



- Ensayos clínicos (20):
  - o Intención/potencial de realizar ensayos clínicos con pacientes Angelman en España.
  - o Experiencia previa del investigador en ensayos clínicos.

*NOTA: Si, para realizar una evaluación adecuada, se considera necesario, se podrá invitar al solicitante a una entrevista telefónica u online en la que presentará su proyecto de investigación con más detalle.*

## Comunicación de la evaluación

La Fundación FAST ESPAÑA enviará a cada uno de los solicitantes una carta de resolución junto con el Informe de Evaluación de la propuesta, atendiendo a los pilares de valoración indicados anteriormente.

## Recursos

La Fundación FAST ESPAÑA no atenderá recursos de apelación sobre la resolución final.

## Financiación

La cuantía total de la dotación de investigación por parte de FAST ESPAÑA es de 150.000€ (IVA incluido) sea cual fuere el coste. La entidad solicitante asumirá el resto del coste necesario (IVA incluido), si lo hubiere. La dotación será abonada de la siguiente forma:

- 75.000€ (IVA incluido) el 15 de octubre de 2024 y,
- 75.000€ (IVA incluido) el 15 de marzo de 2025





## Confidencialidad

La confidencialidad de las solicitudes presentadas está garantizada durante todo el proceso. Sólo serán publicados el título de la propuesta y el centro de investigación o doctor principal a través –y sin carácter limitativo– de notas de prensa, correos electrónicos y sitio web para comunicar información sobre la Convocatoria.

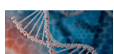
La Fundación FAST ESPAÑA se compromete a:

- Respetar la confidencialidad de la información sin revelarla a terceros.
- Compartir la información de forma confidencial sólo con FAST USA y su Comité científico.
- No usar la información confidencial para ningún otro fin que no sea el propio de esta convocatoria
- Restringir el acceso a la información confidencial a los colaboradores y asesores del comité científico de FAST USA y FAST ESPAÑA bajo la obligación de confidencialidad.
- Devolver la información confidencial sin guardar copias ni resúmenes cuando finalice esta primera convocatoria de investigación del Síndrome de Angelman en España.

## Protección de datos

Los organismos, investigadores y centros que optan a esta convocatoria autorizan a la Fundación FAST ESPAÑA a acceder y compartir información del proyecto durante la convocatoria para los fines de la misma.

Los organismos, investigadores y centros que optan a esta convocatoria pueden ejercer su derecho de acceso, rectificación, supresión y restricción ante el Responsable de Protección de Datos de la Fundación FAST ESPAÑA escribiendo un correo electrónico a [info@cureangelman.es](mailto:info@cureangelman.es).



## Obligaciones

- Los organismos, investigadores y centros que optan a esta convocatoria colaborarán con la Fundación FAST ESPAÑA en la implementación de las actividades del proyecto, de acuerdo con los más altos estándares de calidad y el desarrollo científico.
- Los organismos, investigadores y centros que optan a esta convocatoria son responsables de obtener y organizar los medios materiales y humanos necesarios para llevar a cabo la investigación objeto de esta convocatoria, así como de cumplir con toda la normativa aplicable.
- Los organismos, investigadores y centros que optan a esta convocatoria deben proporcionar cualquier información requerida por escrito en cualquier momento por la Fundación FAST ESPAÑA para verificar la correcta implementación de las actividades.
- Los organismos, investigadores y centros que optan a esta convocatoria deben informar inmediatamente a la Fundación FAST ESPAÑA de cualquier situación que afecte a la implementación de las actividades previstas en la propuesta:
  - cualquier obstáculo y/o limitación que impida, afecte o retrase la ejecución de las actividades previstas en la propuesta;
  - cualquier cambio relevante en el estado legal, financiero, técnico, organizacional o de propiedad de los organismos, investigadores y centros que optan a esta convocatoria que pueda afectar a la implementación de tales actividades;
  - las circunstancias que puedan afectar a la debida diligencia en el cumplimiento de las obligaciones de la convocatoria.
- Además, los investigadores asumen un compromiso con la Comunidad Angelman global a hacer públicos y compartir los resultados y datos de la investigación con el resto de la comunidad científica a nivel global.

