



**THE
MEDULLOBLASTOMA
INITIATIVE**



**Acelerando a pesquisa
para chegar na cura**

The Medulloblastoma Initiative Report

Relatório Abril 2023



SUMÁRIO

Avançando a olhos vistos	05
Uma razão para acreditar. Uma razão para existir.....	06
MBI News	08
• Para acelerar a pesquisa: novo encontro de pesquisadores do Consórcio Cure Group 4.....	08
• Paixão pela vida.....	08
Trajetória.....	10
Aperto de mãos.....	12
Relatório de impacto.....	13
• Um Ano de Avanços — Juntando as Peças para Novas Descobertas.....	14
• Tanto para Oferecer: a História de Leah.....	17
• Sem Tempo a Perder.....	17
• Uma Descoberta Crucial, Resultado de uma Perspectiva Inovadora.....	18
• Um Remédio Vivo para Curar o Câncer.....	19
• Dream Team: Integrantes do Consórcio Cure Group 4.....	19
• Avanços à Vista.....	20
• The Medulloblastoma Initiative.....	20
É só dizer “sim”!.....	21
Já pensou?.....	22



Doe agora!

www.mbinitiative.org



Avançando a olhos vistos

Estamos quase fechando dois anos desde que iniciamos a Medulloblastoma Initiative (MBI). Nem nos meus sonhos mais ambiciosos eu imaginaria chegar aonde chegamos. **A MBI avança a olhos vistos na sua missão de encontrar a cura para o câncer cerebral maligno mais comum em crianças.**

A equipe de pesquisa médica envolvida neste projeto tem ampla experiência e reúne alguns dos principais cientistas do mundo. Eles trabalham colaborativa e sinergicamente para encontrar a cura do meduloblastoma o mais cedo possível. **Entre as nossas conquistas, está a citação da MBI na revista Nature (principal revista científica do planeta) como apoiadora de uma descoberta incrível, que revela as origens da doença. E, também, o fato histórico de termos desenvolvido a primeira linha de células-tronco humanas capazes de gerar o meduloblastoma do grupo 4 em modelos animais de laboratório.** Essa descoberta abre uma avenida fundamental para possibilitar o início dos testes clínicos em pacientes nos próximos meses.

É sempre importante lembrar que nada disso aconteceria sem a liderança incansável e obstinada do Dr. Roger J. Packer, idealizador deste lindo projeto. O Dr. Packer é uma referência mundial na pesquisa dos tumores cerebrais pediátricos e tem feito um trabalho gigantesco na coordenação desse grande time de laboratórios e cientistas.

Outro ponto que **vale destacar neste espaço é a profícua parceria que a MBI construiu com a Fundação do Hospital Children's National, de Washington, D.C. Através da união das equipes das duas organizações, estamos iniciando um trabalho importantíssimo de divulgação do nosso projeto.** Isso poderá contribuir para a conscientização da sociedade sobre a falta investimento em pesquisa oncológica para crianças.

Por fim, agradeço a todos os doadores, pesquisadores, colaboradores e amigos que, de um jeito ou de outro, estão contribuindo para mudarmos a história do câncer cerebral pediátrico no mundo.

Nosso muito obrigado!



Fernando Goldsztein

Fundador da The Medulloblastoma Initiative



www.linkedin.com/in/fernando-goldsztein

Uma razão para acreditar. Uma razão para existir.

A Medulloblastoma Initiative (MBI) é resultado de uma vivência dessas que transformam uma vida. Uma vivência em primeira pessoa que gerou um movimento que já começou a transformar milhares de vidas.

O câncer é um tema complexo. Enfrentá-lo cria muitas necessidades, que geram inúmeras frentes de trabalho. É preciso conscientizar a sociedade. É preciso apoiar os pacientes e suas famílias. É preciso criar mecanismos de assistência especializados. É preciso criar infraestrutura clínica para tratar os doentes e garantir o acesso a ela.

E é preciso viabilizar a pesquisa. Porque só a pesquisa vai encontrar a cura.

Nós da MBI estamos ao lado de inúmeras outras instituições, públicas e privadas, que compartilham conosco a mesma paixão mobilizadora — cada uma em sua frente de atuação. A nossa frente é a pesquisa.

Nosso objetivo é ambicioso e urgente. Por isso precisamos ter clareza sobre nossa missão. E ela está muito bem definida: existimos para levantar fundos que viabilizem pesquisas científicas do mais alto nível na busca da cura do meduloblastoma.

The Medulloblastoma Initiative.
Toda criança merece um futuro.



Mauro Dorfman

Coordenador da The Medulloblastoma Initiative

 www.linkedin.com/in/cian/



Doe agora!
www.mbinitiative.org



MBI News

Está prevista para **22 de maio de 2023** a próxima reunião de pesquisa do Consórcio Cure Group 4 — que recebe apoio da Medulloblastoma Initiative (MBI). Todos os anos, esse evento presencial reúne pesquisadores e médicos que buscam novas abordagens terapêuticas para tratar o meduloblastoma (o mais comum dos tumores cerebrais malignos na infância), especialmente os tumores do subtipo 4.

Em 2022, o grupo realizou sua primeira reunião de pesquisa no Children’s National Research & Innovation Campus, em Washington, D.C.

Na ocasião, foram discutidas as principais frentes de trabalho do Consórcio, incluindo imunoterapia, terapia de base molecular e a combinação dessas modalidades como protocolo inicial de tratamento. Próximos passos e cronogramas também foram abordados.

Paixão pela vida

Em maio de 2023, o fundador da MBI, Fernando Goldsztein, passará a integrar um dos Conselhos do Children’s National, hospital parceiro da Iniciativa. **O Children’s National acreditou na ideia da MBI de buscar recursos de doadores privados para investir em pesquisa e abraçou o projeto** — a parceria cresceu e, entre outras colaborações importantes, Goldsztein assume um posto no Conselho da Children’s National Hospital Foundation.

Os membros de todos os Conselhos do Children’s National devem ser líderes em suas comunidades. As qualificações esperadas dos candidatos incluem diplomacia, uma capacidade natural de cultivar relacionamentos e de facilitar e construir consenso entre diferentes partes; integridade, credibilidade e paixão por melhorar a vida de crianças e suas famílias.



Primeiro encontro dos pesquisadores realizado no Children’s National Research & Innovation Campus, em Washington, D.C.



Uma parte importante do trabalho da MBI é ir ao encontro das pessoas para contar uma história: como surgiu a MBI? Por que faz sentido a ideia de apoiar a pesquisa com doações privadas? Como esse esforço complementa outros enfoques na luta contra o câncer? No último ano, muita gente escutou e amplificou a mensagem em espaços importantes.



Daniel Scola, que atua na maior rede de comunicação do sul do Brasil, a RBS, recebeu em 2021 um diagnóstico de meduloblastoma. Esse tipo de câncer normalmente afeta as crianças, porém, mais raramente, aparece em adultos. **Scola se identificou com a história da MBI porque acredita ter sido salvo "graças à ciência, aos bons profissionais e ao bom hospital"** — como ele próprio relatou em sua coluna no GZH.



O Brazil Journal, que tem foco em economia e negócios, publicou a história da MBI ("Pelos filhos dos outros") em sua seção de filantropia. Quem conta é o repórter Giuliano Guandalini: o meduloblastoma, por ser um tumor relativamente raro, não aparece entre as prioridades de pesquisa para fins de financiamento [assim como outros tipos de câncer em crianças]. **Mesmo parecendo um sonho difícil de alcançar, Fernando Goldsztein saiu de Porto Alegre, uma cidade no sul do Brasil, levando a MBI até os laboratórios internacionais melhor posicionados para trabalhar na cura do meduloblastoma.** E, se alguém achasse que os recursos captados não seriam suficientes para avançar a pesquisa — uma atividade cara, a MBI provou o contrário: em menos tempo do que se esperava, o volume captado fez diferença, e cada vez mais pessoas estão dispostas a doar.



O relato de Fernando Goldsztein sobre a MBI foi publicado na newsletter da MIT Sloan, a escola de negócios do prestigiado Massachusetts Institute of Technology, onde Fernando estudou. O ano dele na MIT Sloan serviu para abrir horizontes e certamente ajudou no enfrentamento de um enorme desafio — encontrar modos de ajudar o próprio filho a superar o meduloblastoma. **Foi aí que surgiu a ideia da MBI. Ao tornar essa ideia uma realidade, fazendo uma ponte entre doadores e cientistas, a possibilidade de ajudar milhares de crianças transformou-se em uma força adicional a impulsionar o projeto.** Não por acaso, a história da MBI entrou para a lista das 10 melhores histórias de ex-alunos da MIT Sloan Business School em 2022.



Trajectoria



Junho 2021

Nasce a The Medulloblastoma Initiative (MBI) com apoio do Dr. Roger J. Packer, do Hospital Children's National, de Washington, D.C, USA.

Julho 2021

O Consórcio Cure Group 4 criado com o objetivo de desvendar as bases moleculares e imunológicas desse tipo de câncer pediátrico. O consórcio é impulsionado por um objetivo claro: acelerar o desenvolvimento de um protocolo de cura que salvará a vida de milhares de crianças em todo o mundo. Além do Dr. Roger J. Packer, investigador principal, o grupo original incluía os Drs. Eugene Hwang, Brian Rood, Conrad Cruz, Yanxin Pei, Michael D. Taylor, Vijay Ramaswamy, Robert Wechsler-Reya e Duane A. Mitchell



Agosto 2021

Através da divulgação da MBI, é captado o primeiro milhão de dólares vindo de não fundadores.

Setembro 2021

A Dra. Sheila Singh ingressa no Consórcio Cure Group 4.



Dezembro 2021

Dr. Tobey McDonald ingressa no Consórcio Cure Group 4.



Janeiro 2022

A Dra. Sheila Singh realiza uma importante descoberta, estabelecendo as primeiras linhas replicáveis de células-tronco humanas capazes de gerar tumores de meduloblastoma do Grupo 4 — um grande avanço em direção à cura.

Março 2022

Lançamento do website da MBI. Dr. Javad Nazarian ingressa no Consórcio Cure Group 4.

Abril 2022

Lançamento do primeiro MBI Report — nesse momento, a MBI já havia assegurado doações no valor de US\$ 6,1 milhões para a pesquisa. Os Drs. Lena M. Kutscher e Carl Koschmann ingressam no Consórcio Cure Group 4.



Mai 2022

Primeira reunião de pesquisa do Consórcio Cure Group 4.

Setembro 2022

Três pesquisadores do Consórcio Cure Group 4 — Robert J. Wechsler-Reya, Michael Taylor e Vijay Ramaswamy — contribuem para uma importante descoberta sobre a origem do meduloblastoma e são coautores em um artigo publicado na Nature, uma das mais importantes revistas científicas em todo o mundo.

Outubro 2022

A Dra. Dalia Haydar ingressa no Consórcio Cure Group 4

Novembro 2022

O Hospital Children's National produz e lança o vídeo No Time to Lose, narrado por Fernando Goldshtein, selando a parceria com a MBI.

Janeiro 2023

O Children's National produz um Relatório de Impacto sobre a MBI, reforçando ainda mais a parceria entre as organizações.



Doe agora!
www.mbinitiative.org





Aperto de mãos

O ano de 2022 sem dúvida será lembrado na história da MBI pela consolidação da parceria executiva com o Hospital Children's National. Essa instituição de excelência em atenção médica e pesquisa, que sempre acolheu a MBI, passou a compreender o potencial transformador da MBI na pesquisa em meduloblastoma.

O aperto de mãos entre as duas organizações foi concretizado por ações como a produção do vídeo **No Time to Lose**. Além disso, o Children's National dedicou à MBI uma bela publicação na forma de Relatório de Impacto — que a MBI tem orgulho de reproduzir a seguir.

O Relatório de Impacto reflete uma parceria estratégica e momentos de criação colaborativa em que cada parceiro contribui com o seu melhor — sem dúvida, uma receita poderosa para o sucesso. Como dizem as Dras. Singh e Haydar: juntar pessoas que enxergam as coisas de diferentes ângulos permite um foco melhor para fazer um tratamento dar certo; e, se existe um grupo capaz de encontrar uma cura, com certeza é o Consórcio Cure Group 4.

O Relatório de Impacto também é um gesto direto de agradecimento aos nossos doadores. É bem conhecido o conceito da ciência que avança por blocos que se sustentam entre si: cada descoberta é construída sobre camadas de conhecimento produzido anteriormente, que serve de base para as novas ideias.

A meta da MBI é adicionar ao edifício uma pedra fundamental: os doadores, parceiros que escutam a ciência e têm a visão clara das crianças e famílias que aguardam ao longo desse caminho. São eles que transformam em realidade a ideia ousada da MBI, e redefinem a pesquisa global em meduloblastoma para que possamos chegar à cura.

Boa leitura!



Leah de 10 anos com seu irmão mais velho Jack. Confira na página 5 a jornada de Leah, uma paciente com meduloblastoma recorrente do grupo 4.

Imagem: Stella Moon Photography



Children's National.

The Medulloblastoma Initiative

Relatório de Impacto | Janeiro 2023

Cada dia conta para as crianças com um câncer letal no cérebro. Quem ama uma criança assim pergunta: podemos chegar mais perto da cura? Será possível acelerar a busca por tratamentos? Podemos dar um salto na direção de uma descoberta que pode salvar vidas?

A resposta da The Medulloblastoma Initiative (MBI) é sim. Juntos, podemos – e vamos chegar lá. Não há tempo a perder para as jovens pessoas que amamos. A filantropia vai fazer a diferença para milhares de crianças, todos os anos.

Os doadores da MBI fazem parte de um movimento global que está redefinindo a pesquisa em meduloblastoma, a forma mais comum de câncer cerebral maligno da infância. A necessidade de novas terapias é especialmente urgente para pacientes cujo câncer recorre. Atualmente, a maioria deles não sobrevive.

O gesto generoso que você faz sustenta uma colaboração global sem precedentes através da principal prioridade da MBI – o consórcio de pesquisa Cure Group 4. Essa rede internacional pioneira – reunida pelo Dr. Roger J. Packer, Diretor do Instituto de Câncer Cerebral no Hospital Children's National, localizado em Washington, D.C., EUA – está trazendo esperança para os pacientes, especialmente aqueles com recorrência de meduloblastoma do tipo 4. Em parceria com o Hospital Children's National, a MBI destina 100% de todas as doações para a pesquisa.

Queremos agradecer pelo seu engajamento com a MBI nessa missão urgente. É com extrema gratidão que apresentamos este relatório sobre o impacto do gesto de filantropia que você fez em 2022.



The Medulloblastoma Initiative em números



\$7.873.919

Total arrecado para incrementar as pesquisas sobre o meduloblastoma até 30 de janeiro de 2023



13

Grupos de pesquisadores envolvidos no Consórcio Cure Group 4



17

Lideranças científicas no time



#1 e #2

As duas primeiras linhagens de células humanas replicáveis do Grupo 4



70.000+

Visualizações do vídeo "No time to lose" no YouTube

Um Ano de Avanços – Juntando as Peças para Novas Descobertas

O Consórcio teve um forte crescimento em 2022. O apoio da MBI ajudou os cientistas □ do Consórcio a atingirem marcos fundamentais na jornada até a cura.

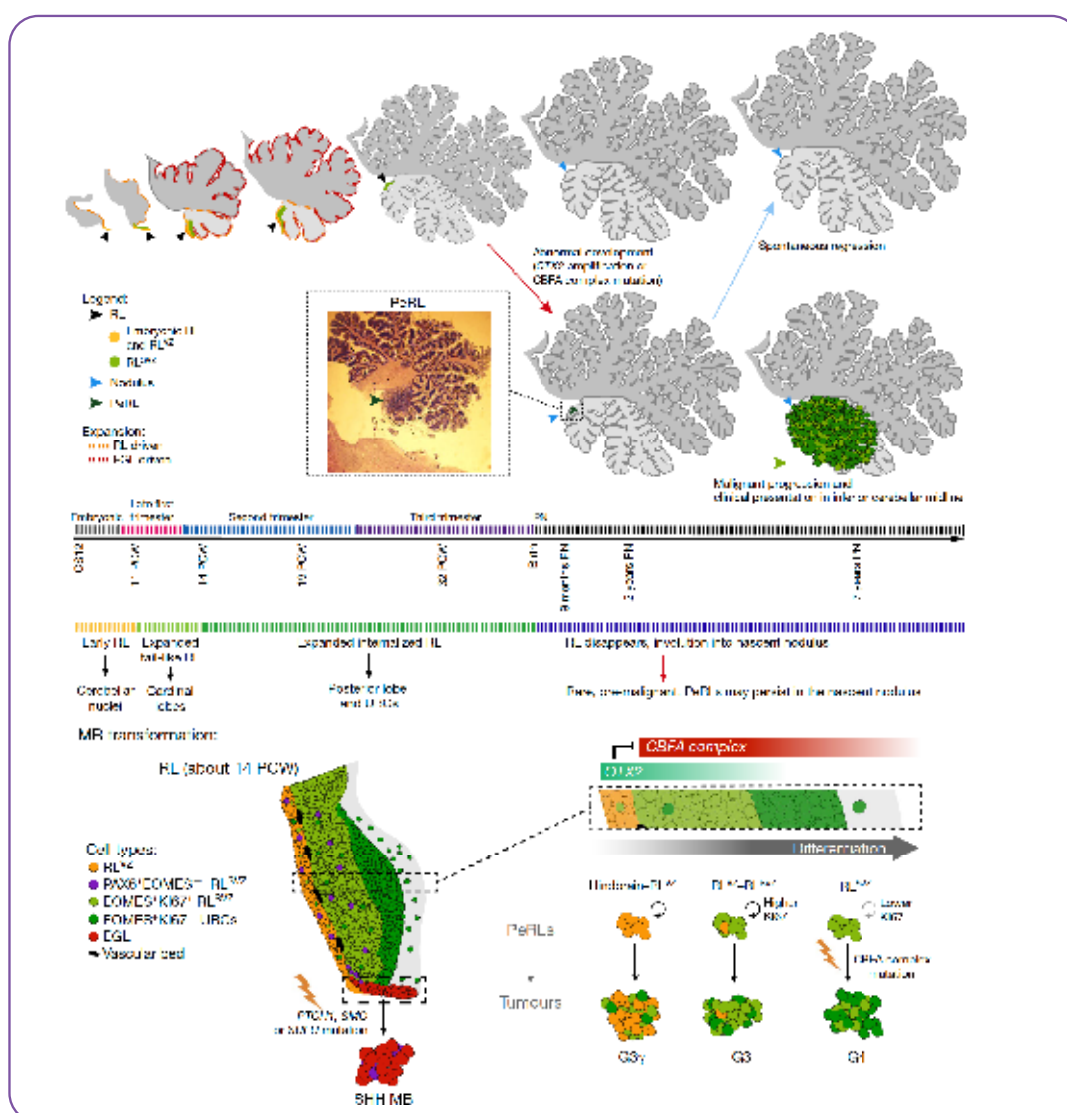


“Estamos vendo crescimento real, com potencial para gerar resultados tangíveis rapidamente. Essa colaboração está virando o jogo no campo da pesquisa com meduloblastoma do Grupo 4.”

- **Dr. Roger J. Packer**, Diretor, Instituto de Câncer Cerebral, Children’s National Hospital; Investigador Principal, Consórcio Cure Group 4

As conquistas a seguir demonstram o poder transformador do investimento em pesquisa feito pela MBI:

• **A origem do meduloblastoma** – três membros do Consórcio contribuíram para uma descoberta inovadora: como o meduloblastoma se desenvolve durante a gravidez e a infância. O estudo, publicado em setembro de 2022 na prestigiosa revista científica Nature, conecta a origem do meduloblastoma a mutações em um tipo celular encontrado estritamente no cérebro em desenvolvimento das crianças. O artigo enfoca especificamente tumores do Grupo 4. Esses resultados estrondosos abrem a possibilidade de poder detectar e tratar o meduloblastoma antes que se transforme em uma ameaça. **“Prevenir a ocorrência do câncer antes que a doença se instale é o melhor desfecho possível para as crianças”**, diz o Dr. Michael Taylor, pesquisador do Consórcio e um dos líderes do estudo. Na época da publicação, o Dr. Taylor atuava em Toronto, Canadá. Atualmente, ele trabalha nos EUA, no Hospital Texas Children’s. Outros dois pesquisadores do Consórcio, os Drs. Vijay Ramaswamy (Hospital SickKids) e Robert Wechsler-Reya (que estava no Instituto Sanford Burnham Prebys Medical Discovery e atualmente trabalha na Universidade de Columbia) também contribuíram para a descoberta, que foi possível, em parte, pelo apoio da MBI.



• Primeiros modelos de células humanas do meduloblastoma do Grupo 4

— a Dra. Sheila Singh, da Universidade McMaster, no Canadá, alcançou um feito histórico em 2022. O laboratório da Dra. Singh produziu as duas primeiras linhas replicáveis de células-tronco humanas capazes de gerar tumores de meduloblastoma do Grupo 4 em camundongos. A existência de uma linha de células humanas e de um modelo animal abre as portas para ensaios clínicos para testar remédios para o tratamento do meduloblastoma do Grupo 4 nos próximos um ou dois anos. As linhas celulares do laboratório da Dra. Singh podem agora ser usadas por todos os pesquisadores do Consórcio (veja na página outras informações sobre o trabalho da Dra. Singh e esse resultado transformador).

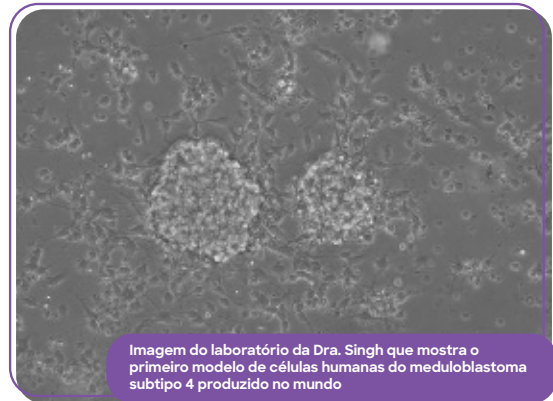


Imagem do laboratório da Dra. Singh que mostra o primeiro modelo de células humanas do meduloblastoma subtipo 4 produzido no mundo

• Múltiplos modelos de camundongos para acelerar o início dos ensaios clínicos – o Consórcio acelera o progresso pela promoção de sinergias entre os principais especialistas em todo o mundo. O desenvolvimento de modelos animais confiáveis para estudar o meduloblastoma do Grupo 4 é uma parte essencial do fluxo que permite o desenvolvimento de ensaios clínicos para testar novos remédios. Na liderança desse esforço de colaboração está o Dr. Wechsler-Reya, que trabalha com um time internacional. São membros da equipe:

- Dra. Lena M. Kutscher, da Universidade de Heidelberg, na Alemanha
- Dr. Tobey MacDonald, da Faculdade de Medicina da Universidade Emory, em Atlanta, EUA
- Dr. Carl Koschmann, da Universidade de Michigan, EUA

O time identificou seis possíveis modelos de meduloblastoma do Grupo 4 em camundongos em 2022. O laboratório do Dr. Koschman está estudando esses modelos para entender quais são os mais efetivos para levar os remédios até o cérebro. Ter esses modelos vai acelerar o desenvolvimento de remédios assim que o Consórcio produzir uma potencial terapia inovadora.

• Remédios candidatos – Os Drs. MacDonald, Singh, Wechsler-Reya e Koschmann estão trabalhando em colaboração para determinar quais remédios têm a melhor chance de ajudar as crianças a vencerem o meduloblastoma do Grupo 4 recidivante. Até o momento, as seguintes combinações demonstraram a maior probabilidade de sucesso:

- Um remédio inibidor de BMI1 em sinergia com outros agentes
- ONC206 em combinação com outros remédios

O desenvolvimento da primeira linha de células humanas de meduloblastoma do Grupo 4 no laboratório da Dra. Singh acelerou muito esses esforços. Pela primeira vez, o time teve a oportunidade de testar remédios em tumores do Grupo 4. Os sinais de eficácia nesses modelos irão servir como base para ensaios clínicos em pacientes. O Consórcio planeja iniciar um ensaio desse tipo em 2023.

• Imunoterapia pioneira para destruir tumores fatais – a possibilidade de concentrar o poder do próprio corpo para combater doenças é uma nova fronteira na oncologia. O Consórcio está posicionado para avançar rapidamente pela combinação da expertise do Dr. Duane Mitchell, da Universidade da Flórida, EUA, e da doutora em farmácia Dalia Haydar, do Hospital Children's National, a mais nova integrante da equipe do Consórcio Cure Group 4. O Dr. Mitchell está buscando um método novo que permita que as células T identifiquem e ataquem tumores inteiros de meduloblastoma. A Dra. Haydar recentemente se mudou do Hospital de Pesquisa Pediátrica St. Jude's, nos EUA, para o Children's National. O St. Jude é uma instituição com larga experiência em criar células receptoras de antígeno quiméricas (células CAR-T) desenhadas para procurar e destruir células de câncer. A Dra. Haydar continua a colaborar com o Hospital St. Jude's no desenvolvimento de células CAR específicas para o meduloblastoma do Grupo 4 (veja a página 7 para mais informações sobre a Dra. Haydar e seu trabalho para criar um "remédio vivo" para combater o meduloblastoma).



Imagem: Joy Fay

Tanto para Oferecer: a História de Leah

Leah, de 10 anos, gosta de muitas coisas: dança, a biblioteca da escola, os professores (ela tem notas perfeitas mesmo quando perde muitos dias de aula) e ler Harry Potter. Ela adora aprender e é boa nisso – o que ajuda Leah como paciente de meduloblastoma recidivante do Grupo 4.

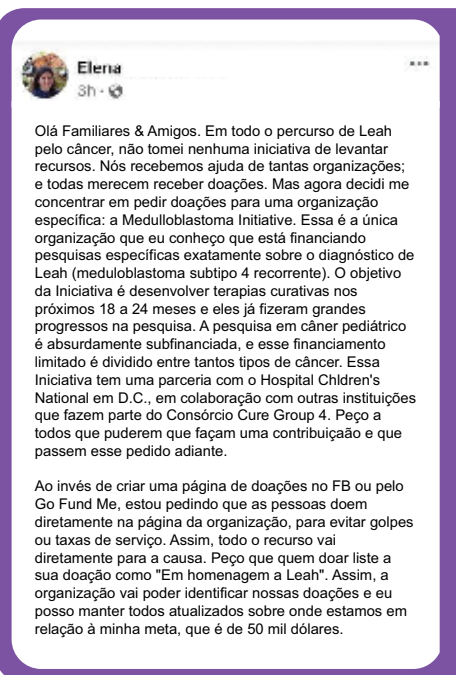
Além de aprender sobre o que ela chama de “negócios médicos”, Leah descobriu algo ainda mais importante. **“Posso enfrentar qualquer coisa se acreditar em mim mesma”**, ela diz.

Elena e Neal, os pais de Leah, concordam, e estão fazendo todo o possível para ter certeza de que isso aconteça. Isso inclui abraçar a comunidade da MBI tanto como doadores quanto fazendo campanha para arrecadação de fundos. **“A Leah tem tanto para oferecer no futuro,”** diz Elena.

Em 2022, Elena e Neal descobriram a MBI enquanto pesquisavam sobre a doença de Leah. “Não existe muita pesquisa sobre meduloblastoma do Grupo 4”, diz Elena. “Fiquei animada quando li sobre a Initiative e o fundador dela, Fernando Goldzstein”, completa. “A família dele está numa situação parecida com a nossa. O foco dele no que é possível alcançar através da pesquisa está de acordo com o nosso foco”.

Elena e Neal começaram com um apoio filantrópico à MBI e incentivaram a família e os amigos a seguir o exemplo deles. A meta do casal é angariar pelo menos 50.000 dólares para o Consórcio Cure Group 4. Eles reconhecem o modo como o Consórcio está acelerando os avanços, com uma estratégia de enfrentar a tarefa de descobrir uma cura usando simultaneamente todos os enfoques possíveis.

Além de pensar em um futuro melhor, a família de Leah, que inclui Jack, o irmão mais velho, adora tocar música em conjunto. Elena e Neal tocam na Polyethylene, uma banda de indie rock de Boston. Em casa, tocam com Leah e Jack. Na “banda da família”, Leah toca piano ou bateria, Neal toca violão, Jack toca violoncelo ou teclado e Elena encara o baixo, saxofone, flauta ou vocais. “Nós meio que vamos inventando coisas quando tocamos juntos”, conta Neal. **“Adoro ver Leah fazendo todas as coisas que ela gosta de fazer”**, diz Elena.

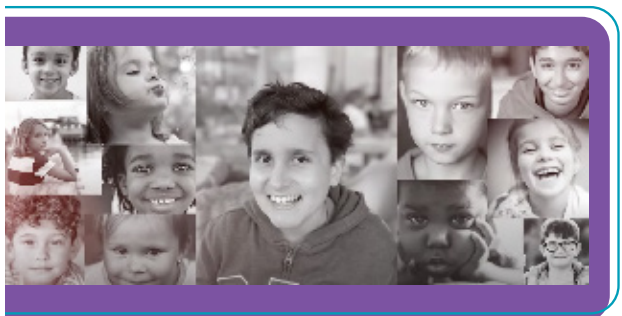


Olá Familiares & Amigos. Em todo o percurso de Leah pelo câncer, não tomei nenhuma iniciativa de levantar recursos. Nós recebemos ajuda de tantas organizações; e todas merecem receber doações. Mas agora decidi me concentrar em pedir doações para uma organização específica: a Medulloblastoma Initiative. Essa é a única organização que eu conheço que está financiando pesquisas específicas exatamente sobre o diagnóstico de Leah (meduloblastoma subtipo 4 recorrente). O objetivo da Initiative é desenvolver terapias curativas nos próximos 18 a 24 meses e eles já fizeram grandes progressos na pesquisa. A pesquisa em câncer pediátrico é absurdamente subfinanciada, e esse financiamento limitado é dividido entre tantos tipos de câncer. Essa Initiative tem uma parceria com o Hospital Children's National em D.C., em colaboração com outras instituições que fazem parte do Consórcio Cure Group 4. Peço a todos que puderem que façam uma contribuição e que passem esse pedido adiante.

Ao invés de criar uma página de doações no FB ou pelo Go Fund Me, estou pedindo que as pessoas doem diretamente na página da organização, para evitar golpes ou taxas de serviço. Assim, todo o recurso vai diretamente para a causa. Peço que quem doar liste a sua doação como "Em homenagem a Leah". Assim, a organização vai poder identificar nossas doações e eu posso manter todos atualizados sobre onde estamos em relação à minha meta, que é de 50 mil dólares.

Sem Tempo a Perder

Em 2022, a MBI colaborou com o Hospital Children's National para criar um vídeo – No Time to Lose. O vídeo chama atenção para a urgência de encontrar uma cura, mostrando o fundador da MBI, Fernando Goldzstein, e o Dr. Roger J. Packer, do Hospital Children's National. Fernando Goldzstein conta a história do seu filho, Frederico, que teve meduloblastoma do Grupo 4 recidivante. Esperamos que todos os membros da nossa comunidade compartilhem esse vídeo em suas redes para divulgar a mensagem. Como diz Fernando Goldzstein no vídeo, citando o Talmud: “quem salva uma vida salva o mundo todo”.





Uma Descoberta Crucial, Resultado de uma Perspectiva Inovadora

A Dra. Sheila Singh é uma das mais importantes especialistas em cirurgia pediátrica no Canadá. Ela é Diretora do Centro para Desenvolvimento de Pesquisa em Câncer na Universidade McMaster, em Ontário, e especialista em biologia de células-tronco. A Dra. Singh é reconhecida por ser a primeira cientista a isolar uma célula tronco anormal no sistema nervoso central – a célula iniciadora de tumor cerebral (brain tumor initiating cell, BTIC). Essas células são associadas a 12 tipos diferentes de tumor cerebral, incluindo-se aí o meduloblastoma.

Essa descoberta foi um marco que agora serve de base para múltiplas investigações sobre as origens dos tumores cerebrais, conduzidas pelos 24 membros da equipe da Dra. Singh em seu laboratório. Uma hipótese inovadora alavanca este trabalho: a observação de que os tumores cerebrais surgem em crianças na fase de desenvolvimento do cérebro.

O time da Dra. Singh cria linhas de células que buscam replicar esse desenvolvimento precoce, criando o melhor teste para encontrar curas. Ela ficou encantada com o Consórcio, ao qual se juntou em 2021, rapidamente se tornando o elo de ligação entre os avanços do dream team.

A Dra. Singh operou dois pacientes com tumor do Grupo 4, no final de 2021 e início de 2022. Ela pediu à sua equipe para isolar as células-tronco e tentar replicá-las. Incrivelmente, deu certo. O laboratório dela tinha criado as primeiras linhas replicáveis de células-tronco humanas capazes de gerar tumores de meduloblastoma do Grupo 4. E as notícias ficaram ainda melhores: essas duas linhagens celulares se mostraram capazes de gerar tumores do Grupo 4 em camundongos. Isso vai permitir que ela e seus colegas pesquisadores do Consórcio testem a eficácia de medicamentos como os inibidores de BMI1. Esse tipo de medicamento é um bom candidato para o contexto, porque tem como alvo o gene que controla as células-tronco cancerígenas no meduloblastoma.

Ela atribui essa descoberta central à MBI. **“O Consórcio está com meio caminho andado até o sucesso”**, ela diz. **“Finalmente temos células multiplicadas em uma placa de laboratório e que geraram tumores em camundongos”**.

A natureza colaborativa do Consórcio contribui para a velocidade e probabilidade de avanços para crianças com câncer recorrente. **“Toda a nossa pesquisa conversa entre si”**, ela diz. **“Você sabe que está no caminho certo quando nossos resultados coincidem”**. O artigo de 2022 na revista científica Nature – que teve como coautores os Drs. Taylor, Ramaswamy e Wechsler-Reya – sobre a origem do meduloblastoma é um exemplo disso e apoia a hipótese da Dra. Singh sobre como o meduloblastoma surge em uma fase precoce do desenvolvimento do cérebro – provavelmente em conexão com uma célula tronco anormal.

“Para mim, tudo é muito gratificante”, ela diz. Se esse problema tiver uma solução, ela será encontrada por este grupo. Sou muito grata a Fernando Goldsztein e ao apoio que a MBI dá à ciência”.



Um Remédio Vivo para Curar o Câncer

A Dra. Dalia Haydar, é a mais nova integrante do Consórcio Cure Group 4. Ela entrou para o dream team quando chegou no Children's National, em outubro de 2022. Ela trouxe consigo uma importante expertise no desenvolvimento de células CAR-T, que engajam o sistema imune do próprio corpo na busca e destruição de células tumorais. A Dra. Haydar desenvolveu essa expertise no Hospital de Pesquisa St. Jude's e continua colaborando com pesquisadores daquela instituição – os Drs. Stephen Gottschalk e Martine Roussel, líderes nas áreas de imunoterapias passivas e meduloblastoma.

O desafio de trabalhar em uma potencial imunoterapia para o meduloblastoma de Grupo 4 é bem-vindo para a Dra. Haydar. “Me interesse especialmente por esse tumor porque envolve tantos dilemas de pesquisa e é tão agressivo”, ela diz. “Esses dilemas me intrigam e não me deixam dormir de noite. Poder investigar esse subtipo tão único de tumor cerebral, e poder aplicar a minha expertise, contando com o apoio de diversos recursos, me deixa muito animada”.

Ela chama a imunoterapia de “remédio vivo”. As células CAR-T podem se multiplicar dentro do corpo e erradicar os tumores naturalmente. Isso abre a possibilidade não apenas de curar o meduloblastoma, mas também de evitar os efeitos colaterais duradouros, cognitivos e físicos, da cirurgia e da radiação. Outra vantagem da imunoterapia é usar as células do próprio paciente, o que torna as terapias mais precisamente customizadas para a biologia singular de cada pessoa. Esse enfoque já teve muito sucesso em pacientes com leucemia. O Consórcio permite que a Dra. Haydar trabalhe lado a lado com o Dr. Yanxin Pei, um dos mais importantes especialistas em meduloblastoma, no desenvolvimento de modelos de camundongos para testar as imunoterapias. Eles estão trabalhando para fazer uma descoberta importante com as células CAR-T nos próximos 18 meses.

“Nós podemos nos juntar e fazer as descobertas chegarem mais rapidamente até os pacientes”, diz a Dra. Haydar sobre suas colaborações nas diversas frentes do Consórcio. “Juntar todos os pesquisadores – pessoas que enxergam as coisas de diferentes ângulos – permite um foco melhor sobre como fazemos a terapia funcionar. Você não vai encontrar isso em outro lugar. O Consórcio reúne toda a nossa força.”

Dream Team: Integrantes do Consórcio Cure Group 4

Roger J. Packer, M.D., Children's National Hospital, Washington, D.C.

Eugene Hwang, M.D., Children's National Hospital

Robert Wechsler-Reya, Ph.D., Columbia University, New York

Duane Mitchell, M.D., Ph.D., University of Florida

Michael Taylor, M.D., Ph.D., Texas Children's Hospital

Vijay Ramaswamy, M.D., Ph.D., SickKids, Toronto, Canada

Yanxin Pei, Ph.D., Children's National Hospital

Brian Rood, M.D., Children's National Hospital

Conrad Cruz, M.D., Ph.D., Children's National Hospital

Sheila Singh, M.D., Ph.D., McMaster University, Ontario, Canada

Tobey MacDonald, M.D., Emory University School of Medicine, Atlanta

Lena M. Kutscher, Ph.D., Heidelberg University, Germany

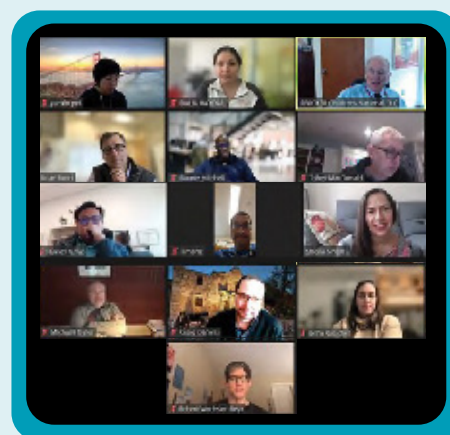
Stefan Pfister, M.D., Heidelberg University, Germany

Dalia Haydar, Pharm.D., Ph.D., Children's National Hospital

Javad Nazarian, Ph.D., Children's National Hospital

Carl Koschmann, M.D., University of Michigan

Craig Daniels, Ph.D., SickKids



Avanços à Vista

O Consórcio continua a avançar em muitas outras áreas. Esperamos poder compartilhar as conquistas de outras frentes importantes nos próximos meses. Entre essas frentes estão:

- O desenvolvimento de **biópsia líquida** pelo Dr. Nazarian, com objetivo de monitorar como o meduloblastoma está respondendo ao tratamento, detectar o crescimento do tumor e fornecer um indicador de recorrência mais precoce.
- O trabalho do Dr. Rood com **tecnologias de ponta**, incluindo proteômica, para investigar a assinatura molecular dos tumores do Grupo 4. Esse trabalho será acelerado com a chegada das linhas de células do Grupo 4 do laboratório da Dra. Sheila Singh.
- O rápido desenvolvimento de **novas abordagens neurocirúrgicas minimamente invasivas**, que prometem complementar as terapias desenvolvidas pelo Consórcio. Essas abordagens incluem novidades impressionantes no campo da tecnologia de ultrassom focalizado, que trazem nova esperança para pacientes com tumores cerebrais em todo o mundo.

A diferença que você faz

Todos os anos, milhares de crianças em todo o mundo descobrem que têm meduloblastoma. Muitas ainda morrem de câncer. Historicamente, o fato de ser uma condição relativamente rara, considerando todas as crianças, impediu que o meduloblastoma recebesse atenção sustentada, focada e coordenada da ciência médica. A MBI transformou isso para sempre. A filantropia que você faz catalisa a colaboração global, com foco sem precedentes em tumores do meduloblastoma do Grupo 4, difíceis de tratar e recidivantes. Juntos, estamos acelerando a descoberta de curas e tratamentos que melhoram a saúde ao longo da vida. Agradecemos a você por se engajar como membro deste movimento.

The Medulloblastoma Initiative

A MBI tem uma visão ousada para erradicar o meduloblastoma – o tumor cerebral maligno mais comum em crianças. Essa visão vai salvar a vida de milhares de crianças em todo o mundo, todos os anos. A MBI capta recursos para apoiar a sua prioridade mais urgente, que é desenvolver tratamentos para o meduloblastoma recidivante do Grupo 4, uma condição letal para a qual não existem opções de tratamento. Todas as doações captadas pela MBI são destinadas à pesquisa.



Em 2021, a MBI estabeleceu o Consórcio Cure Group 4, liderado pelo Dr. Roger J. Packer, do Hospital Children's National, de Washington, D.C., EUA. Essa rede de pesquisa pioneira conecta 13 equipes em laboratórios nos Estados Unidos, Canadá e Alemanha. Em vez de trabalhar em silos, as equipes trabalham juntas, de forma sinérgica, para acelerar o progresso.

A meta do Consórcio Cure Group 4 é desenvolver um novo tratamento e um protocolo padrão de atendimento para o meduloblastoma do Grupo 4 dentro de 18 a 24 meses. Esse tempo é muito menor do que os 3 a 5 anos de um cronograma tradicional. Com a vida das crianças em jogo, não há tempo a perder.



Children's National.

ChildrensNational.org/Giving



É só dizer “sim”!

“Cada dia conta para as crianças com um câncer letal no cérebro. Podemos chegar mais perto da cura? Será possível acelerar a busca por tratamentos? Podemos dar um salto na direção de uma descoberta que pode salvar vidas?”

A resposta da MBI é sim. Juntos, podemos — e vamos chegar lá. A filantropia vai fazer a diferença para milhares de crianças, todos os anos.

Venha conosco encontrar a cura para o meduloblastoma.

[Doe já — nossas crianças não podem esperar.](#)

Filantropia

fi.lan.tro.pi.a • filêtru 'pie

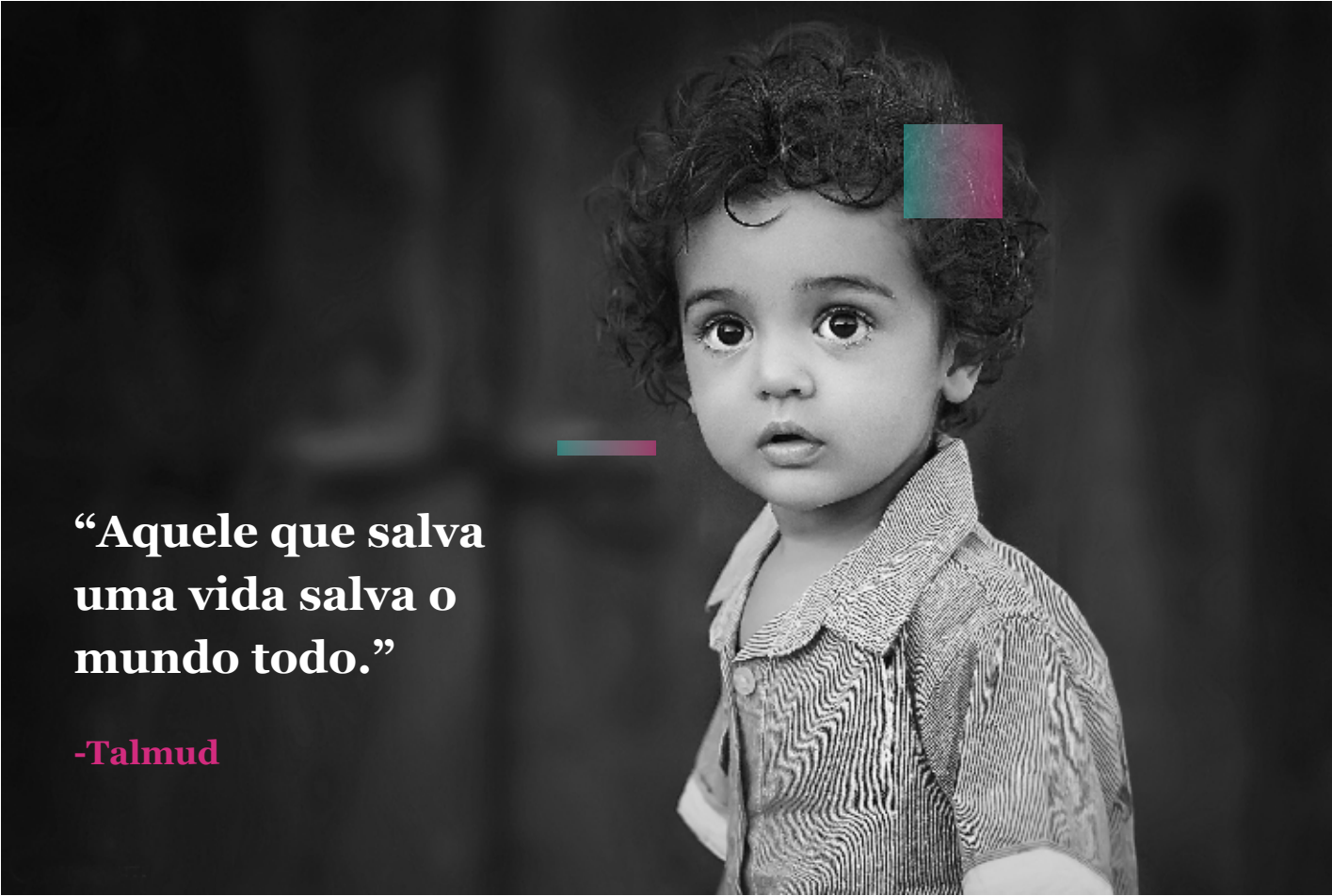
Prática de contribuir (financeiramente ou de outro modo) para causas humanitárias.

Como fazer filantropia?

- Divulgue o projeto nas redes sociais.
- Informe-se sobre o projeto e assine embaixo.
- Compartilhe informações com pessoas que poderão contribuir.
- Avalie o que você pode fazer voluntariamente pelo projeto.
- Faça doações em dinheiro.

É só dizer sim!





**“Aquele que salva
uma vida salva o
mundo todo.”**

-Talmud

Créditos

www.mbinitiative.org - info@mbinitiative.org

Produzido por The Medulloblastoma Initiative e por Children’s National Hospital (Relatório de Impacto)
Edição 02 – Abril de 2023

Mauro Dorfman: Conceito e supervisão
Claudia Buchweitz: Texto e tradução
Luciana Azambuja: Gestão de projeto
Juliano Ferrari: Direção de arte e design
João Härter (Neocubo): Estratégia de mídia

Impact report
Rachel Phillips, Senior Creative Director
Dan Wilcock, Director, Editorial — Transformational Giving

Cheryl Anne Balchunas (Diretora Sênior de Desenvolvimento para grandes doações da Fundação Children’s National Hospital).



themedulloblastomainitiative



medulloblastomainitiative



medulloblastomainitiative

© 2023 The Medulloblastoma Initiative - Todos os direitos reservados
Fotos: Pexels.com / Unsplash



THE
MEDULLOBLASTOMA
INITIATIVE

Toda criança merece um futuro.

www.mbinitiative.org