

NOTA DE PRENSA Y DOSSIER CÁNCER INFANTIL

15 de febrero, Día Internacional contra el Cáncer Infantil



Foto: Mathías, paciente oncológico, con sus padres y su hermana, junto al Dr. Antonio Pérez

La investigación de la Fundación CRIS contra el cáncer hace posible que 1'8 centilitros cambien la vida de un niño

- La investigación de la Fundación CRIS contra el cáncer ha hecho posible que Mathías pase de estar en cuidados paliativos a que su cáncer esté remitiendo.
- Esa pequeña cantidad es la dosis del tratamiento CAR-T tándem -terapia avanzada en cáncer-, que ha permitido la supervivencia de Mathías, paciente de cáncer de 7 años.
- Mathías fue diagnosticado en 2017 de una leucemia linfoblástica aguda B con tan solo 10 meses y tras una larga andadura por varios centros hospitalarios, ha sido tratado con éxito en la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en el Hospital Universitario La Paz.
- Lola Manterola, presidenta de la Fundación CRIS contra el cáncer, ha hecho un llamamiento a la colaboración público-privada y al compromiso de la sociedad civil para lograr los máximos recursos para la investigación oncológica: “el cáncer es cosa de todos y si Mathías está vivo es gracias al enorme esfuerzo de los investigadores”.
- A Mathías le han infundido 1,8 centilitros de CAR-T tándem, y “esa pequeña dosis ha sido la distancia entre un paciente que estaba con sintomatología avanzada y en cuidados paliativos, a un paciente en remisión” explica el Dr. Pérez, que añade que “Mathías es un claro ejemplo de cómo la investigación puede salvar vidas, y ofrecer otras oportunidades a los pacientes de cáncer”.



INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

- La Fundación CRIS contra el cáncer ha invertido 7.144 Millones de euros en la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en cáncer infantil.

Madrid, a 14 de febrero de 2024; La Fundación CRIS contra el cáncer, entidad referencia en la investigación oncológica, da a conocer públicamente el caso de Mathías, un niño de 7 años, que, en tan solo 28 días, ha pasado de estar en cuidados paliativos, a poder enfrentarse a un trasplante de médula para seguir viviendo.

La presentación de estos resultados derivados de la investigación y su aplicación clínica, se ha realizado en un acto en el Hospital Universitario La Paz de Madrid en el que han participado: Lola Manterola, presidenta de la Fundación CRIS contra el cáncer; el doctor Antonio Pérez, pediatra, jefe de Onco-Hematología y Trasplante Hematopoyético y director de la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en el Hospital Universitario La Paz de Madrid; Laura Gutiérrez Barreno, viceconsejera de Sanidad de la Comunidad de Madrid y el doctor Juan José Ríos, director Médico del Hospital Universitario La Paz.

Durante el acto, en conmemoración del Día Mundial contra el Cáncer Infantil, que es mañana, 15 de febrero, se ha puesto en valor la necesidad de actualizar e implantar el Plan de Terapias Avanzadas del Ministerio de Sanidad tanto para tratamientos en adultos como en cáncer infantil.

Primer ensayo clínico en el mundo con un CAR-T alogénico para sarcomas pediátricos, adolescentes y adultos jóvenes

Además, se ha informado de la puesta en marcha del primer ensayo clínico en el mundo con un CAR-T alogénico para sarcomas pediátricos, adolescentes y adultos jóvenes (CAR4SAR), financiado por la Fundación CRIS contra el cáncer y que va a implementarse dentro de la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en el Hospital Universitario La Paz.

Con título “Ensayo clínico en fase I con células T memoria expresando un receptor quimérico antigénico con especificidad NKG2D en niños, adolescentes y adultos jóvenes con sarcoma avanzado”, este estudio recibió la autorización final por parte de la Asociación Española de Medicamentos y Productos Sanitarios a comienzos de 2023 (Eudra CT 2019-004310-33, No. PEI 20-091). El investigador principal del proyecto es el doctor Antonio Pérez Martínez junto a el equipo investigador que dirige dentro de la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas del Hospital La Paz.

Sumado al evidente impacto científico, este ensayo tendrá un gran impacto social. Mejorará con el tiempo las opciones terapéuticas disponibles no sólo para los pacientes pediátricos con sarcoma recidivante/refractario, sino que también podría extenderse a otros tumores sólidos pediátricos con una tasa de éxito pobre con las terapias convencionales.



Foto familia, de izquierda a derecha:

Dña. Marta Cardona, directora Fundación CRIS contra el cáncer; Dña. Elena Casaus, jefa división Unidad Terapias Avanzadas Comunidad de Madrid, Dr. D. Antonio Pérez, director de la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas Hospital Universitario La Paz; D. Javier Cobas, subdirector gerente Hospital Universitario La Paz, Dña. Laura Gutiérrez Barreno, viceconsejera de Sanidad Comunidad de Madrid; D. Rafael Pérez-Santamaría, gerente Hospital Universitario La Paz; D. Juan José Ríos, director médico Hospital Universitario La Paz; y Dña. Esther Rey, directora de enfermería Hospital Universitario La Paz.

La presidenta de la Fundación CRIS contra el cáncer ha expresado “el orgullo y máxima admiración que sentimos en la Fundación CRIS contra el cáncer por nuestros investigadores en cáncer adulto e infantil. En este caso, el doctor Pérez ha logrado un hito en la historia del cáncer pediátrico. Un ejemplo más de la necesidad de recursos para investigar ya que es la única posibilidad de que en un futuro no lejano el cáncer no sea sinónimo de muerte. Nosotros trabajamos para que todos los pacientes tengan otra oportunidad como Mathías”. Además, ha hecho un llamamiento a la colaboración público-privada y a la contribución y compromiso de la sociedad civil para lograr los máximos recursos para la investigación oncológica, “el cáncer es cosa de todos y actualmente implica un grave problema de salud global”.

La historia de Mathías

Mathías fue diagnosticado en 2017 de una leucemia linfoblástica aguda B con tan solo 10 meses. Desde entonces, el pequeño ha recibido distintos tratamientos y ha sido sometido a un trasplante de médula, con su hermana de 5 años como donante. Mathías, que ahora tiene 7 años, ha sufrido múltiples recaídas, ha pasado por distintos hospitales y ha vivido la mayor parte de su vida hospitalizado.



INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

Hace unos meses, ingresó en la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en cáncer infantil ubicada en el Hospital Universitario La Paz, dirigida por el doctor Antonio Pérez. Llegó con una recaída multiorgánica, con una gran masa tumoral en el abdomen y una sintomatología avanzada. Mathías fue sometido a un tratamiento denominado CAR-T dual, desarrollado en dicha Unidad, y en tan solo 28 días, el niño entró en remisión.

Actualmente, su masa abdominal ha desaparecido por completo. Mathías durante el tratamiento apenas ha tenido efectos secundarios y su evolución hace posible un nuevo trasplante de médula previsto para finales del mes febrero.

El caso de Mathías pone en valor los resultados que se obtienen tras años de investigación traslacional, como la financiada y promovida por la Fundación CRIS contra el cáncer que defiende el modelo 360º que incluye: docencia, investigación y aplicación clínica. Del laboratorio a la cama del paciente.

En este caso, el éxito del equipo de la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas ha permitido que Mathías haya pasado de encontrarse en una situación de cuidados paliativos a ser un paciente en remisión y sin apenas efectos secundarios.

Estos tratamientos CAR-T tándem -tratamientos académicos- se producen en la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas y ya las han recibido otros 9 niños en una situación muy complicada.

1,8 centilitros han salvado la vida de Mathías

A Mathías le han infundido 1,8 centilitros de CAR-T dual, y “esa pequeña dosis ha sido la distancia entre un paciente que estaba con sintomatología avanzada y en cuidados paliativos, a un paciente en remisión” explica el Dr. Pérez, que añade que “Mathías es un claro ejemplo de cómo la investigación pues puede salvar vidas, y ofrecer otras oportunidades a los pacientes de cáncer”.

La leucemia linfoblástica aguda que padece Mathías, es la más frecuente de las leucemias infantiles. Se trata de un tipo de cáncer infantil en el que la médula ósea empieza a producir demasiados linfocitos, unas células que forman nuestro sistema inmunitario. El problema es que estos niños producen demasiados linfocitos, que además no funcionan correctamente.

Generalmente tiene buen pronóstico, según la American Cancer Society, el 90% de los niños sobreviven 5 años tras el diagnóstico. No obstante, un cierto porcentaje de estos niños no responde a las terapias convencionales, recaen una y otra vez, y es muy complicado frenar su enfermedad.

Las terapias avanzadas CAR-T son muy eficaces y un 85% de los niños mejoran. En algunos casos, pueden aparecer recaídas y una de las razones consiste en que los radares moleculares introducidos en los linfocitos detectan una única molécula en la superficie de los tumores -en el caso de la leucemia linfoblástica aguda se denomina CD19-. Si, con el tiempo, las células tumorales ocultan esa molécula de su superficie, los linfocitos ya no pueden encontrarlas y la terapia deja de funcionar.

prensa@criscancer.org

Móvil: 685.376.705.



INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

Por eso, el equipo del Dr. Antonio Pérez ha utilizado un nuevo tipo de CAR-T, denominado **CAR-T tándem** que no sólo reconoce una molécula tumoral (CD19), sino que reconoce otra adicional (CD22). De esta manera si los tumores ocultan una de ellas, la terapia puede seguir funcionando.

DOSSIER CÁNCER INFANTIL

El cáncer infantil sigue siendo la primera causa de muerte en menores de 14 años en los países desarrollados

El cáncer infantil es, afortunadamente, poco frecuente, pero su impacto en la vida de los niños y niñas, y sus familias suele ser arrollador. Actualmente, en los países desarrollados el cáncer es la primera causa de muerte entre los niños hasta los 14 años, con lo cual estamos ante un reto muy importante.

Se estima que cada año en España se diagnostican unos 1600 niños, niñas y adolescentes con diferentes tipos de tumor pediátrico, entre los cuales los más frecuentes son las leucemias, los tumores del sistema nervioso central, linfomas y neuroblastoma. Afortunadamente la supervivencia es elevada -por encima del 80% globalmente- aunque muchos menores no

responden a los tratamientos o tienen recaídas. Por ello es fundamental impulsar la investigación, para conseguir tratamientos adecuados y minimizar los efectos secundarios.

La investigación en cáncer pediátrico de la fundación CRIS contra el cáncer

La Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en Cáncer Infantil

La Fundación CRIS contra el cáncer creó en 2018 la pionera [Unidad CRIS de Investigación de Terapias Avanzadas](#) en cáncer infantil en el Hospital Universitario La Paz de Madrid, donde se han tratado más de 886 niños y niñas con enfermedades y tumores muy diversos. Esta Unidad, liderada por el doctor Antonio Pérez, combina la investigación más puntera con el desarrollo de ensayos clínicos para tratar a los pacientes de cáncer que no responden a otros tratamientos. Actualmente ha recibido la aprobación para lanzar un ensayo clínico en Sarcomas Infantiles con una terapia CAR-T que han desarrollado ellos mismos.

La Fundación CRIS contra el cáncer ha invertido 7.144 Millones de euros en la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en cáncer infantil.

El Proyecto CRIS de Leucemias Infantiles MLL en el Hospital Sant Joan de Déu en Barcelona, liderado por la doctora Mireia Camós, utiliza técnicas de análisis genético de última generación para desarrollar mejores herramientas para diagnosticar y hacer seguimiento a los niños con leucemias infantiles. Recientemente han identificado una especie de “huella dactilar” molecular que les permite identificar con gran precisión a los niños con mayor riesgo.

El Proyecto CRIS de Sarcoma de Ewing en el INCLIVA de Valencia e IBIS en Sevilla, dirigido por los doctores Enrique de Álava y Rosa Noguera, trata de comprender cómo el ambiente de los sarcomas infantiles puede influir en la agresividad de estos tumores. Por sus continuas contribuciones a mejorar los diagnósticos de los pacientes con más riesgo, la Fundación CRIS contra el cáncer ha renovado su colaboración con ellos durante este año.

prensa@criscancer.org

Móvil: 685.376.705.



INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

El **Proyecto CRIS de Tumores Cerebrales en el Hospital Niño Jesús de Madrid** consiste en un ensayo clínico liderado por el doctor Álvaro Lassaletta, en el que se combate uno de los tumores cerebrales más agresivos, el meduloblastoma, a través de una terapia con virus modificado, que detectan y destruyen a los tumores.

Por otra parte, la Fundación CRIS contra el cáncer considera fundamental, también, **identificar aquellos investigadores jóvenes** y con potencial para poder liderar la investigación en cáncer infantil en los próximos años. En 2023 CRIS ha identificado 2 investigadoras brillantes, que han recibido dos de Programas de Investigación CRIS con fuerte financiación y duración:

La **doctora Sara Labiano, del CIMA en Navarra**, ha recibido un Programa CRIS Post-Doc, que le permitirá lanzar sus investigaciones para combatir algunos de los tumores cerebrales infantiles más agresivos mediante una combinación de radioterapia e inmunoterapia.

De igual manera, la **doctora Virginia Laspidea, también del CIMA de Navarra**, ha sido galardonada con un programa CRIS-Out-Back que le permitirá realizar 4 años de investigación en uno de los mejores centros del Reino Unido, el Francis Crick Institute, y luego volver con 1 año de contrato de nuevo al CIMA. La Dra. Laspidea combinará la inmunoterapia y la radioterapia para combatir los sarcomas infantiles.

En Reino Unido y Francia, la Fundación CRIS contra el cáncer impulsa también toda una serie de proyectos de gran impacto en cáncer infantil.

El **Proyecto CRIS de Cáncer Cerebral en Niños**, en el **Institute of Cancer Research de Londres**, está liderado por el doctor Chris Jones, un referente internacional. Gracias al análisis genético están encontrando puntos débiles en los tumores cerebrales de niños que hasta hace poco no tenían ninguna otra opción de tratamiento.

El **Proyecto CRIS de Glioma Difuso de la Línea Media** -Great Ormond Street Hospital, Londres- la doctora Karin Straathof está dirigiendo un ensayo clínico para utilizar células CAR-T para combatir uno de los tumores cerebrales más agresivos y complicados.

También en el Great Ormond Street Hospital, el Dr. Persis Amrolia lidera el **Proyecto CRIS de CAR-T duales contra la leucemia linfoblástica aguda**. En este ensayo clínico, el doctor Amrolia ha desarrollado una nueva generación de CAR-T que atacan no solo una molécula de las células tumorales, sino dos, de manera que si los tumores ocultan una de ellas, las células CAR-T las siguen detectando y destruyendo.

En Francia, el doctor Jacques Grill y su equipo trabajan en el **Proyecto CRIS de Glioma Pontino Intrínseco Difuso**, en una investigación que pretende identificar los mecanismos mediante los cuales las células de estos tumores producen metástasis.

Además, la Fundación CRIS contra el cáncer ha unido fuerzas con **Fight Kids Cancer**, una **iniciativa internacional** en la que participan fundaciones europeas -Bélgica, Francia y Luxemburgo- que luchan contra el cáncer pediátrico. **Fight Kids Cancer** convoca anualmente una convocatoria, para identificar proyectos extraordinarios, que verdaderamente pueden tener un

prensa@criscancer.org

Móvil: 685.376.705.



INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

impacto en la vida de los niños con cáncer. Gracias al apoyo de CRIS y al resto de fundaciones se ha conseguido apoyar a 9 proyectos centrados sobre todo en diferentes tipos de tumores cerebrales -como meduloblastoma o glioma difuso de la línea media-, aunque también se apoyará a proyectos que trabajan en tumores de células de la sangre y otros tipos de tumor sólido -como cáncer de riñón y sarcomas infantiles-.

La Fundación CRIS contra el cáncer

La Fundación CRIS contra el cáncer se creó hace 13 años cuando su actual presidenta, Lola Manterola, fue diagnosticada a los 37 años, de un mieloma múltiple. Tras recibir terapias convencionales y someterse a dos trasplantes de médula, fue un ensayo clínico lo que permitió la remisión de su cáncer. Como reconocimiento a la investigación y tras confirmar las grandes carencias de recursos que tiene, creó la Fundación para que la ciencia pueda encontrar cura para el cáncer y que cualquier persona tenga derecho y alcance de manera justa y equitativa a los tratamientos más innovadores.

A día de hoy, su tumor está cronificado y preside la Fundación CRIS contra el cáncer con el convencimiento y compromiso de que solo la investigación hace posible encontrar soluciones efectivas contra esta enfermedad.

La Fundación CRIS contra el cáncer tiene como objetivo lograr tratamientos de cura contra el cáncer apoyando, promoviendo y financiando la investigación contra esta enfermedad, gracias al compromiso de las donaciones de la sociedad civil.

CRIS contra el cáncer ofrece terapias pioneras a pacientes que no responden a tratamientos convencionales.

La Fundación tiene sede en España, Gran Bretaña y Francia; y tiene Unidades propias de terapias y ensayos en los principales hospitales del Sistema Nacional de Salud, además de estar en los centros de investigación referencia.

Ha invertido 50 millones de euros en investigación; se han desarrollado 492 ensayos clínicos en proyectos y Programas CRIS; puesto en marcha 149 Líneas de investigación, 85 equipos; se ha apoyado a 303 científicos e investigadores, presentes en 80 instituciones alrededor mundo; las publicaciones y comunicaciones en congresos suman más de 2000, y se ha contribuido a la formación de jóvenes investigadores a través de 116 tesis doctorales; se han licenciado 15 patentes licenciadas y hay 7 en proceso. Globalmente, los pacientes beneficiados en directamente en los ensayos clínicos apoyados por CRIS suman más de 7700, aunque se estima que los avances en investigación contra el cáncer beneficiarán a 11 millones de potenciales pacientes.

PARA MÁS INFORMACIÓN Y ENTREVISTAS:

Oficina de prensa Fundación CRIS contra el cáncer

prensa@criscancer.org

685.376.705.

prensa@criscancer.org

Móvil: 685.376.705.



INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

MATERIALES PARA MEDIOS:

Landing Mathías: <https://ganaralcancer.org/cancer-infantil/>

Vídeos de Mathías con familia y el doctor Martínez: <https://we.tl/t-JQVY1yjilj>

<https://we.tl/t-Qfi4YV3PwE>

Fotos: <https://we.tl/t-RxcjpOFA5T>

Declaraciones y recursos presentación ensayo mundial: <https://we.tl/t-yXfUFVBIRB>

Contiene declaraciones:

Dr. D. Antonio Pérez, director Unidad CRIS Terapias Avanzadas cáncer infantil Hospital La Paz

Dña. Lola Manterola, presidenta de la Fundación CRIS contra el cáncer

Dña. Laura Gutiérrez Barreno, viceconsejera de Sanidad de la Comunidad de Madrid.

Web Fundación CRIS contra el cáncer

<https://criscancer.org/>



<https://twitter.com/criscancer>

<https://www.facebook.com/FundacionCrisCancer>

<https://www.linkedin.com/company/fundacion-cris-contra-el-cancer>

<https://www.youtube.com/user/CrisContraElCancer><https://www.flickr.com/photos/122173016@N08/>

<https://www.instagram.com/criscontraelcancer>

<https://www.tiktok.com/@criscontraelcancer>

prensa@criscancer.org

Móvil: 685.376.705.