



INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

NOTA DE PRENSA

El próximo sábado, 15 de febrero, Día Mundial del Cáncer Infantil

La Fundación CRIS contra el cáncer lidera un ensayo clínico pionero para combatir leucemias infantiles

- **Células inmunitarias modificadas genéticamente**, que detectan y atacan células tumorales alteradas, para leucemias infantiles de alto riesgo.
- **Entre las leucemias que se tratarán en este ensayo encontramos las leucemias tipo T, muy complejas de tratar, por lo que podríamos estar ante** una de las primeras alternativas terapéuticas contra este tipo de leucemias tan complejas un hito en el tratamiento de la leucemia infantil en recaída.
- El doctor Antonio Pérez, director de la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas: “Los ensayos clínicos son una herramienta fundamental para avanzar en la investigación del cáncer infantil. Sin embargo, la falta de financiación y la complejidad de los procesos regulatorios dificultan su desarrollo”.

Madrid, 11 de febrero de 2025- La [Fundación CRIS contra el cáncer](#), entidad referente en la investigación contra esta enfermedad, anuncia un importante avance sobre las leucemias linfoblásticas agudas tipo B y tipo T que se realiza en la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en Cáncer Infantil en el Hospital Universitario de La Paz y que ha recibido la aprobación para llevar a cabo un ensayo clínico innovador que tratará a niños con leucemias de alto riesgo.

El doctor Antonio Pérez Martínez, 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, que actualmente está realizando una estancia en el prestigioso Hospital Infantil Great Ormond Street de Londres, destaca que “el cáncer infantil debe abordarse, con estrategias específicas de investigación y tratamiento. Los ensayos clínicos son una herramienta fundamental para avanzar en la investigación del cáncer infantil. Sin embargo, la falta de financiación y la complejidad de los procesos regulatorios dificultan su desarrollo. Instamos a las autoridades a facilitar y promover la participación en ensayos clínicos, garantizando la seguridad y el acceso equitativo a nuevas terapias.”

La cofundadora y presidenta de la Fundación CRIS contra el cáncer, Lola Manterola, ha declarado que “apostar por la investigación es apostar por el futuro. Cada euro invertido en ciencia se traduce en nuevas terapias, mejores diagnósticos y, sobre todo, en más vidas salvadas”. Y ha añadido que “invertir en investigación del cáncer infantil no es solo una cuestión científica, es un compromiso con la infancia. Necesitamos más recursos para desarrollar tratamientos más eficaces y menos agresivos que permitan a los niños no solo sobrevivir, sino vivir con calidad.”

Innovación en terapias CAR-T

Las terapias CAR-T han revolucionado el tratamiento del cáncer, sobre todo en tumores de la sangre como leucemias y linfomas. Funcionan al modificar genéticamente los linfocitos para que incorporen radares capaces de detectar una molécula característica en la superficie de las células tumorales, las encuentren y las destruyan.

La leucemia linfoblástica aguda tipo B, especialmente en niños y niñas, ha sido una de las más beneficiadas. Aunque más del 85% de los pacientes mejoran o incluso eliminan la enfermedad, las recaídas son frecuentes y solo la mitad sobrevive más de un año tras la terapia. Esto ocurre porque los linfocitos modificados solo reconocen una molécula en los tumores -CD19 en este caso-. Si las células tumorales la ocultan, la terapia deja de funcionar y el tumor vuelve a desarrollarse.

Por otro lado, hay otro tipo de leucemias y linfomas diferentes, que en lugar de aparecer a partir de unas células del sistema inmunitario denominadas linfocitos B (como la leucemia linfoblástica aguda), se desarrollan a partir de otras llamadas linfocitos T. Hasta el día de hoy, la creación de terapias adecuadas para controlar a las leucemias tipo T ha sido especialmente desafiante, con apenas tratamientos efectivos.

Un ensayo clínico clave para el futuro del tratamiento del cáncer infantil

La Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en Cáncer Infantil del Hospital Universitario de la Paz, liderada por el doctor Antonio Pérez y su equipo, es un referente en el desarrollo y aplicación de terapias avanzadas como los CAR-T), en niños y niñas con cáncer que no responden a otras terapias o sufren recaídas tras el tratamiento.

En esta ocasión han recibido la aprobación para realizar un ensayo clínico en el que tratarán a niños con leucemias de alto riesgo, tanto linfoblástica aguda como leucemias tipo T.

Los niños con leucemia linfoblástica, una leucemia desencadenada por unas células denominadas linfocitos B, recibirán un CAR-T que no sólo ataca una molécula característica de los tumores, sino a dos, con lo cual, si el tumor oculta una de estas moléculas, la célula CAR-T aún puede atacar la otra. Esta estrategia, denominada CAR-T Dual, puede evitar que las leucemias se escapen a las terapias. Previamente varios niños sin otras opciones de tratamiento recibieron esta terapia, y fue el primer paso para poder controlar la enfermedad de 7 cada de 10 niños.

Por su parte, los niños con leucemias tipo T recibirán otro tipo de CAR-T (denominado CAR-NGK2D, desarrollado especialmente en esta Unidad. Se trata de un CAR-T que identifica células alteradas, estresadas o en mal estado, entre ellas las células tumorales, por lo que puede suponer una de las primeras terapias contra estas leucemias tan complicadas.

El ensayo, que ya ha sido aprobado, empezará a incluir pacientes antes de verano de 2025.

El cáncer infantil: Una necesidad urgente

El cáncer es la principal causa de muerte en Europa en menores de 14 años. Se estima que cada año en España son diagnosticados unos 1500/1600 niños, niñas y adultos jóvenes. De ellos, casi un 20% no supera su enfermedad.

A pesar del impacto de la situación, los tratamientos contra el cáncer infantil han estado muy estancados durante 30 años, ya que el cáncer infantil es muy diferente del cáncer en adultos y la investigación en cáncer infantil todavía es escasa.

La Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en Cáncer Infantil

Para hacer frente a estos retos se creó la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en Cáncer Infantil, liderada por el doctor Antonio Pérez que ya ha tratado a más de 1000 menores. Consiste en una estructura multidisciplinar e integrada que combina la investigación puntera, los ensayos clínicos y las terapias más innovadoras y personalizadas.

Una de las señas de identidad de esta Unidad es el desarrollo y administración a pacientes de las llamadas "Terapias Avanzadas". Se trata de tratamientos en los que se modifican y administran células vivas del paciente o se realiza algún tipo de terapia genética. De hecho, el Dr. Antonio Pérez y su equipo son especialistas en terapias celulares de última generación aplicadas al cáncer infantil.

Estas terapias están revolucionando el tratamiento de los pacientes, y en muchos casos están logrando mejorías en pacientes que serían impensables solamente cinco años atrás.

Nos encontramos, pues, ante un cambio de paradigma en el tratamiento del cáncer, ya que en muchos casos se trata de terapias vivas, células (en muchos casos del sistema inmunitario) que combaten al tumor y lo rechazan. No obstante, para garantizar su eficacia, calidad y seguridad, esta nueva generación de medicamentos debe cumplir todas las normativas y controles de calidad que cualquier otro medicamento, las llamadas Normas de Correcta Fabricación o GMP por sus siglas en inglés -Good Manufacturing Practices-.

Las salas blancas: el espacio donde nacen las terapias avanzadas

Para poder garantizar la esa calidad y seguridad en la producción, los medicamentos de terapia avanzada deben desarrollarse en unos espacios de alta limpieza, aislamiento y seguridad donde se puede trabajar debidamente con las células del paciente o de sus donantes.

Ese es el objetivo de unas instalaciones especiales y esenciales para desarrollar estos Medicamentos de Terapia Avanzada, las denominadas salas blancas. Son instalaciones diseñadas para trabajar en un ambiente muy controlado, de limpieza exhaustiva, aislamiento y seguridad donde se puede trabajar adecuadamente con las células del paciente o de sus donantes.

Sobre la Fundación CRIS contra el cáncer

La Fundación CRIS contra el cáncer -Cancer Research & Innovation in Science- es una organización independiente, sin ánimo de lucro y con el objetivo de curar el cáncer a través de la investigación con el apoyo de la sociedad civil.

Tiene sede en España, Reino Unido y Francia. Actualmente, financia proyectos en 80 centros de investigación y hospitales de 16 países. En España cuenta con unidades propias de terapias y ensayos clínicos en los principales hospitales de la sanidad pública.

prensa@criscancer.org

Móvil: 685.376.705.

En sus 15 años de vida ha invertido **64 millones de euros en investigación, 42 en los últimos 5 años**, gracias a las donaciones de particulares y empresas; desarrollado 499 ensayos clínicos en proyectos y Programas CRIS; puesto en marcha 153 líneas de investigación; apoyado a 310 científicos e investigadores; y contribuido a la formación de jóvenes investigadores a través de 122 tesis doctorales. Además, se han licenciado 15 patentes y hay 7 en proceso. Globalmente, los pacientes beneficiados directamente en los ensayos clínicos apoyados por CRIS suman más de 8328, y los avances en investigación contra el cáncer beneficiarán a 13 millones de potenciales pacientes.

PARA ENTREVISTAS CON MÉDICOS, INVESTIGADORES Y PACIENTES:

Oficina de prensa Fundación CRIS contra el cáncer
Prensa@criscancer.org
685.376.705.

Canal de Whatsapp 685.376.705.



<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>