



Proyecto TOTALCURE: Unidad CRIS de Terapias Avanzadas para Cáncer Infantil

Investigador Principal: Dr. Antonio Pérez.

Centro: Unidad CRIS de Terapias Avanzadas para el Cáncer Infantil, Hospital La Paz, Madrid.



Introducción

Durante los últimos años ha habido una revolución en el tratamiento de los tumores de células de la sangre, como las leucemias. Gracias a la investigación se han desarrollado tratamientos muy avanzados que son capaces de utilizar el sistema inmunitario tanto de niños como de adultos para rechazar a los tumores y ayudar a la curación. No obstante, algunas leucemias pediátricas, especialmente la leucemia linfoblástica aguda de células T (T-ALL), la leucemia mieloide aguda (AML) y la leucemia mielomonocítica juvenil (JMML), siguen teniendo un pronóstico muy complicado cuando los tratamientos convencionales fallan y la enfermedad recae. De hecho, los niños y niñas con estas leucemias apenas se han beneficiado de un tipo de tratamientos que ha marcado un antes y un después en otros tipos de leucemia y linfomas, las células CAR-T. Estas células consisten en células del sistema inmunitario (llamadas linfocitos T), a las que por técnicas biotecnológicas se les introduce una especie de radar celular que les permite detectar y destruir a las células tumorales. Recientemente se han desarrollado algunos tratamientos CAR-T contra estas leucemias. Son capaces de detectar y eliminar a las células tumorales que tienen una marca, una señal en su superficie: una señal llamada



CD7. No obstante, estas terapias no están disponibles en Europa, y particularmente en España. Es importante que creemos y diseñemos terapias eficaces contra estos tumores y las podamos empezar a aplicar de forma urgente en nuestro país.

El proyecto

Este proyecto quiere cambiar esta situación y ofrecer una solución a niños y niñas con estos tumores tan complicados de tratar. El equipo del Dr. Antonio Pérez Martínez pondrá en marcha por primera vez en España una terapia CAR-T dirigida contra el marcador CD7, enfocada en leucemias pediátricas especialmente agresivas. Las células se fabricarán en el propio hospital a partir de las del paciente, siguiendo un proceso controlado y seguro.

Para garantizar el éxito del proyecto se llevarán a cabo dos abordajes. Por un lado, a través de una colaboración con el Dr. Maksim Mamonkin, del Baylor College of Medicine (USA), se están fabricando y probando unas células CAR-T creados con herramientas biológicas cedidas por este prestigioso doctor.

El equipo del Dr. Pérez, además, está generando sus propios CAR-T contra CD7, siguiendo estrategias desarrollados en su propio laboratorio. De esta manera se desarrollan dos vías en paralelo, con lo que aumentan las probabilidades de éxito del proyecto.

El objetivo llegar a tratar durante el desarrollo del proyecto, en un ensayo clínico, a 10 niños y niñas con estas leucemia que no tienen otras opciones.

Además del beneficio directo para los pacientes, el proyecto creará una base tecnológica y científica que servirá para que este hospital y otros puedan desarrollar más terapias similares en el futuro. Se trata de un paso fundamental que combina ciencia de vanguardia con compromiso humano.