



GHT4MB – FIGHT S CANCER

Investigador: Dra. Adriana Sánchez Danés

Centro: Champalimaud Foundation, Lisbon, Portugal

Investigadores Colaboradores:

Adriana Sánchez-Danés (Champalimaud Foundation, Lisbon, Portugal)

Claudia Faria (Instituto dè Medicina Molecular João Lobo Antunes; Čentro Hospitalar Universitário Lisboa Norte; Faculdade de Medicina da

Universidade de Lisboa, Lisbon, Portugal)

Lena Kutscher (German Cancer Research Center DKFZ / Hopp Children's Cancer Center KiTZ, Heidelberg, Germany) Stefan Pfister (German Cancer Research Center DKFZ / Hopp Children's Cancer Center KiTZ, Heidelberg, Germany)

Jaume Mora (Paediatric Cancer Center Barcelona, Hospital Sant Joan de Déu, Spain)

Introducción

El meduloblastoma es el tumor cerebral maligno más común en la infancia. Entre sus subtipos, el Grupo 4 es el más frecuente, supone el 40% de los casos. A pesar de su alta incidencia, sigue siendo un gran desconocido en sus causas biológicas y en sus mecanismos, lo que impide diseñar tratamientos específicos. Hoy en día, la mayoría de los niños son tratados con una combinación de cirugía, radioterapia y quimioterapia, pero estas terapias a veces son agresivas y pueden dejar secuelas graves. Además, casi la mitad de los pacientes sufre recaídas, y entonces las opciones terapéuticas son escasas. Comprender mejor cómo se origina y cómo evoluciona este tipo de tumor es una necesidad urgente para mejorar tanto la supervivencia como la calidad de vida de estos niños.

A diferencia de otros subtipos de meduloblastoma, el Grupo 4 carece de modelos de laboratorio que reproduzcan fielmente la enfermedad humana. Esto impide investigar con precisión cómo se origina el tumor, qué lo hace avanzar y, sobre todo, cómo podemos frenarlo o evitar su recaída. En los últimos años se han identificado algunas alteraciones genéticas que lo provocan y se sospecha que un tipo de neuronas muy concretas podrían ser el origen del tumor, pero esta hipótesis aún no se ha demostrado en el laboratorio.

El proyecto

El proyecto FIGHT4MB, liderado por la Dra. Sánchez-Danés, tiene como objetivo generar los primeros modelos experimentales del meduloblastoma del Grupo 4. Para ello, combinarán técnicas avanzadas de modificación genética en modelos animales y organoides cerebrales derivados de biopsias de pacientes. Introducirán las mutaciones clave en las células sospechosas de ser el origen del tumor y comprobarán si desarrollan cáncer. Estos modelos se comprobarán comparando sus características con tumores reales de pacientes y se utilizarán para estudiar la eficacia de tratamientos actuales y nuevas combinaciones. Esto no solo permitirá entender mejor la enfermedad, sino también desarrollar terapias más seguras y personalizadas.