



Unidad CRIS de Terapias Avanzadas para Cáncer Infantil

Investigadores Principales: Dr. Antonio Pérez.
Centro: Hospital Universitario La Paz, Madrid.



Introducción

El cáncer es la principal causa de muerte infantil en nuestro país por enfermedad. Se estima que cada año unos 1500 niños, adolescentes y jóvenes adultos son diagnosticados de cáncer. **De ellos, globalmente casi un 20% no supera su enfermedad.** La **supervivencia** a los diferentes tipos de cáncer en los niños es muy **heterogénea**, y aunque ha mejorado en algunos tipos de cánceres como los tumores hematológicos (como la leucemia linfoblástica y los linfomas B, y algunos tumores sólidos localizados como el retinoblastoma) no es el caso otros tipos de cánceres hematológicos en niños de menor frecuencia (como ciertos subtipos de leucemia mieloblástica leucemias/linfomas T, leucemia mielomonocítica juvenil y otros tumores sólidos)

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.



Por lo tanto, es esencial desarrollar la investigación para poder comprender cómo se produce el cáncer infantil, tratar de evitarlo y combatirlo mediante terapias más eficaces y reducir los efectos secundarios de los tratamientos. Todo ello pasa por la investigación y por el desarrollo de ensayos clínicos en los que los niños y las niñas, especialmente los que tengan tumores recurrentes o no respondan a las terapias, puedan acceder a tratamientos experimentales. Estos ensayos constituyen el marco científico ideal, donde se preserva la seguridad del paciente y de los profesionales sanitarios, y se exploran las pruebas de concepto alcanzadas en el laboratorio. En nuestro país aún es necesario impulsar y desarrollar nuevos ensayos clínicos en niños que ayuden en el avance de las terapias contra el cáncer infantil.

El proyecto

La Unidad de Terapias Avanzadas es una estructura de trabajo interdisciplinar, formada por profesionales de distintos ámbitos. **La Fundación CRIS** ha financiado **la construcción de su ubicación física en la 8ª Planta del hospital Materno-Infantil del Hospital Universitario de la Paz**, en Madrid. Este espacio consta de:

- 10 habitaciones.
- 4 habitaciones de aislamiento de última generación para trasplantes de progenitores hematopoyéticos.
- Zona de ensayos clínicos.
- Zona de preparación de tratamientos.
- Laboratorio especializado
- Zona de trabajo para investigadores, clínicos y monitores de ensayos clínicos.

El éxito de la Unidad de Terapias Avanzadas consiste en el trabajo coordinado de **profesionales de múltiples disciplinas**, que se coordinan para acelerar al máximo la transformación de los nuevos conocimientos científicos a tratamientos innovadores para niños sin otras opciones terapéuticas. La **Fundación CRIS** financia a estas personas, la verdadera estructura de la Unidad de Terapias Avanzadas:

- Pediatra onco-hematólogo.
- Genetista.
- Bioinformático.
- Técnico de laboratorio sala blanca.
- Técnico de laboratorio de terapia celular.
- Gestor de proyectos y ensayos clínicos.
- Experta en aspectos regulatorios de medicamentos de terapias avanzadas.
- Medical writer.
- Investigadores Pre- y Posdoctorales

Una de las señas de identidad de los tratamientos que se están desarrollando en la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas son las **terapias celulares de última generación**. En ellas se suministran al paciente tropas del sistema inmunitario fortalecidas y especializadas en destruir tumores.

Estas terapias, sin embargo, requieren de una manipulación de células muy precisa y delicada, que y deben realizarse bajo unos altísimos estándares de calidad en entornos que combinan la manipulación manual con sofisticadas automatizaciones.

Avances de la Unidad

La Unidad se puso en marcha en octubre de 2018, y desde el principio está funcionando a pleno rendimiento. Desde su apertura se han tratado **más de 1030 niños** con patologías muy variadas: diversos tipos de enfermedades y tumores sanguíneos, como leucemia linfoblástica aguda, leucemia mieloblástica aguda, leucemia de fenotipo mixto, aplasia, inmunodeficiencias primarias o linfoma de Hodgkin. También se ha tratado



un gran número de tumores sólidos incluyendo Sarcoma de Ewing, Osteosarcoma, Meduloblastoma, Neuroblastoma, Gliomas ... En esta Unidad CRIS se **aplican terapias celulares e inmunoterapia de manera habitual**, incluyendo **células CAR-T**, diversas terapias dirigidas contra mutaciones características de los tumores individuales de ciertos pacientes, e inmunoterapia.

Además, el equipo del Dr. Antonio Pérez es especialista en **trasplantes** hematopoyéticos: Se trata de trasplantes de las células que dan **lugar a las células de la sangre y del sistema inmunitario, y un tratamiento habitual** en cáncer y otras enfermedades. Desde sus inicios, se han realizado ya **más de 780 trasplantes**.

Hay que destacar que gracias al buen trabajo que se realiza en la Unidad, La Paz fue designada en el como **uno de los 4 centros hospitalarios de Madrid acreditados para administrar los CAR-T** (de las que hablaremos a continuación) a pacientes infantiles de manera regular (no sólo en ensayos clínicos). De hecho, **ha obtenido la acreditación internacional JACIE** para todos los tipos de trasplante de células madre de la sangre y células del sistema inmunitario, lo que acredita los estándares más exigentes de calidad y seguridad en las Unidades de trasplante, tanto en pacientes adultos como pediátricos. **La Paz es actualmente el único centro hospitalario de la Comunidad de Madrid con esta acreditación.**

A lo largo de estos últimos años el grupo que dirige Antonio Pérez Martínez ha recibido varios **premios y reconocimientos** entre los que destacamos:

- Dr. Pérez-Martínez recibió el **FMPJC Annual Award 2024** en el **Sarcoma Outreach Meeting**.
- Reconocimiento del Dr. Antonio Pérez **como Imparable 2024** (en la categoría de Investigación en Terapias Innovadores) en la tercera edición de los premios Imparables Sanitarios.
- Ganador del **Premio al Artículo más citado** en la revista internacional **European Journal of Haematology-Haploidentical transplantation** in pediatric non-malignant disease (2023)
- Ganador de la **beca APSATUR-GIRASOLES PARA IZARBE** (2022)
- **El Proyecto Mut4Child** (parte del proyecto Fast-Track) ha sido [ganador en la edición Healthstart madri+d 2021](#)
- **Top Scoring Abstract Award**, acreditado por la International Society Cell & Gene Therapy (ISCT), en el New Orleans Virtual Meeting de 2021.
- **Grupo de excelencia**: El Servicio Hemato-Oncología infantil del Hospital La Paz ha conseguido el Best In Class (BIC) 2020 a la Mejor Unidad de Referencia en Terapias Celulares Avanzadas.
- El Proyecto de COVID-19 ha sido reconocido como el **Mejor Proyecto Nacional**, del Premio Excellence Prizes 2019 by IdiPAZ.
- El Proyecto de COVID-19 (formación de linfoteca para terapia COVID-19) ha sido **ganador en la edición Healthstart madri+d 2020**
- El proyecto de COVID-19 ha sido seleccionado como uno de los 20 finalistas entre más de 700 proyectos en el **Hackathon virtual "VenceAlVirus" 2020**