



Proyecto CRIS Unidad de Producción de Medicamentos de Terapias Avanzadas: Unidad CRIS de Terapias Avanzadas para Cáncer Infantil

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

Introducción

En los últimos años, las terapias avanzadas, que se desarrollan directamente sobre el material genético o las propias células para combatir el tumor de manera muy precisa, han revolucionado el tratamiento del cáncer. Gracias a ellos, se pueden diseñar terapias a medida que actúan solo sobre las células tumorales, reduciendo los efectos secundarios y ofreciendo nuevas opciones a pacientes que no responden a tratamientos convencionales.

Pero para que estas terapias lleguen de verdad a los pacientes, es clave poder fabricarlas dentro del propio hospital, siguiendo todos los controles de seguridad y los estándares de Buenas Prácticas de Fabricación (GMP). Aquí es donde entra en juego la Unidad de Producción de Medicamentos de Terapias Avanzadas (UP-MTA): la fábrica de terapias del futuro para quienes más lo necesitan.

El proyecto

La UP-MTA se encargará de la fabricación de Productos de Terapias Avanzadas (PTA), en fase de investigación clínica. Con autorización de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), la Unidad se centra en producir tres líneas de terapias avanzadas bajo las guías europeas de GMP:

1. **Terapia con células NK (Natural Killer)** de donantes, activadas y multiplicadas para sarcomas pediátricos, para la realización del ensayo clínico SANKOMA. Las células Natural Killer son especialistas natos en encontrar y destruir células tumorales.
2. **Terapia génica con linfocitos T modificados, CAR-T, para sarcoma avanzado** (ensayo CAR4SAR). Además, los prometedores datos de laboratorio han abierto la puerta a dos nuevos ensayos académicos: REALL CART para leucemia linfoblástica T resistente y CINK para tumores cerebrales en jóvenes.



3. **CAR-T contra dos moléculas de los tumores de forma simultánea (CD19/22):** desde junio de 2020, se ha administrado esta terapia bajo uso compasivo (como alternativa cuando ya no hay respuesta con tratamientos convencionales) a diez pacientes con leucemia linfoblástica aguda B en recaída, algunos tras experimentar fallos con productos comerciales.

El estudio, publicado [en la prestigiosa revista EBiomedicine](#), demuestra la viabilidad de este CAR-T, producido en la Unidad, logrando tasas de supervivencia del 70% tras 18 meses de seguimiento a estos pacientes. El ensayo ReALLCART para esta terapia ya cuenta con aprobación de AEMPS y comenzará reclutamiento en los próximos meses.

Tener esta capacidad de producción dentro del hospital permite transformar más rápidamente los descubrimientos del laboratorio en tratamientos reales para pacientes. Y, además, reduce mucho los costes y los tiempos de espera.

Gracias al apoyo de CRIS Contra el Cáncer, la UP MTA va a ampliar su infraestructura y se prepara también para ofrecer sus servicios a otros hospitales del país. Es una pieza clave para que los avances en investigación se conviertan en nuevas oportunidades de vida para los niños y niñas con cáncer.

Con un equipo comprometido, instalaciones certificadas y una visión clara de futuro, estamos un paso más cerca de lograr el acceso a tratamientos de vanguardia para todos los niños con cáncer que lo necesiten.