



Proyecto CRIS de Células CAR-T Universales para Niños

Investigador Principal: Dr. Waseem Quasim

Centro: UCL Great Ormond Street Institute of Child Health/ Great Ormond Street Hospital, Londres

Introducción

En los últimos años, las terapias basadas en la modificación de células del sistema inmunitario han revolucionado el tratamiento de ciertos cánceres infantiles. Las que han tenido mayor impacto son las células CAR-T, que consisten en modificar células del sistema inmunitario con una especie de radar molecular que hace que encuentren y destruyan con gran eficacia las células que provocan el cáncer. Las CAR-T han demostrado una gran eficacia en la lucha contra la leucemia, pero su producción es muy costosa, requiere un tiempo prolongado para crearlas, y como son a partir de células de cada paciente, se tienen que crear y utilizar de manera individualizada.

En resumen, las terapias actuales con células CAR-T requieren que las células del propio paciente sean modificadas en un laboratorio, lo que no siempre es viable. A veces no hay tiempo, otras veces el paciente no tiene suficientes células inmunitarias como para poder crear el tratamiento. Además, los métodos tradicionales son muy complejos de llevar a cabo, requieren unas infraestructuras muy avanzadas y son muy costosos.

El proyecto

El profesor Waseem Qasim y su equipo trabajan para desarrollar una nueva generación de terapias celulares destinadas a niños con leucemia, con el objetivo de hacer estos tratamientos más accesibles, seguros y eficaces.

Para lograrlo, están perfeccionando técnicas avanzadas de edición genética que permiten modificar con gran precisión el ADN de las células del sistema inmunitario. Gracias a estas herramientas, el equipo busca crear células CAR-T universales: células preparadas de antemano en el laboratorio que puedan administrarse a distintos pacientes sin necesidad de fabricarlas de manera individualizada para cada uno de ellos.

Además, los investigadores están explorando la modificación precisa de células madre hematopoyéticas (las células responsables de generar todas las células de la sangre) para corregir alteraciones en el ADN que contribuyen al desarrollo de enfermedades como algunas leucemias.

El objetivo final del proyecto es desarrollar terapias celulares que puedan administrarse con mayor rapidez, que sean más seguras y que estén disponibles para un mayor número de pacientes. Si estas estrategias tienen éxito, podrían transformar la forma en que se producen y aplican las terapias celulares contra el cáncer infantil, reduciendo los costes y facilitando que más niños y niñas puedan beneficiarse de estos tratamientos innovadores.