INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

Proyecto CRIS de Producción de Terapias Avanzadas

Unidad CRIS de Terapias Avanzadas para Cáncer Infantil

Investigadores Principales: Dra. Isabel Mirones, Dr. Antonio Pérez.
Instituciones: Instituto de Investigación Sanitaria IdiPAZ, Madrid – 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 cuanto antes 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

Última actualización: Junio 2026

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 en encontrar y destruir células tumorales y se emplearán en este ensayo para casos de sarcomas especialmente complicados.

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 ha comenzado y los primeros pacientes han recibido las células modificadas.

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. 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 y niñas con cáncer que lo necesiten.

Avances recientes

La Unidad de Producción de Terapias Avanzadas ha seguido consolidándose como una pieza clave para transformar los descubrimientos del laboratorio en tratamientos que puedan administrarse a los pacientes.

En un solo año, la Unidad fabricó siete lotes de medicamentos de terapia avanzada siguiendo las estrictas normas de calidad exigidas para su uso clínico. Además, en 2025, la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios renovó durante tres años su autorización de fabricación, confirmando que sus instalaciones y procedimientos cumplen los estándares necesarios para producir estos tratamientos con seguridad y garantías.

Una parte importante de esta actividad se ha destinado a los ensayos clínicos SANKOMA y CAR4SAR, dirigidos a niños y jóvenes con sarcomas avanzados. Para SANKOMA, la Unidad ha fabricado células NK activadas y expandidas para los primeros pacientes incluidos en el estudio. En el caso de CAR4SAR, ha producido seis lotes de una terapia CAR-T alogénica elaborada a partir de células de memoria de donantes sanos, que ya se han administrado a los pacientes.

La Unidad también continúa fabricando un CAR-T dual diseñado para niños y jóvenes con leucemia linfoblástica aguda de células B que ha reaparecido o no responde a otros tratamientos. La sala blanca de La Paz es la única de España que fabrica actualmente este CAR-T académico de doble reconocimiento. Esta experiencia ha permitido dar un paso más con la puesta en marcha del ensayo clínico REALL CART, iniciado en julio de 2025.

La capacidad de producción de la Unidad también respalda la atención clínica habitual y ya se ha tratado a más de 50 pacientes con este tipo de terapias. Solo durante 2025 se administraron tratamientos CAR-T académicos y comerciales frente a leucemias, además de una terapia CAR-T dirigida a un paciente con rabdomiosarcoma.

Otro de los avances más relevantes es la construcción de una nueva instalación modular de producción, financiada por CRIS Contra el Cáncer. Esta ampliación permitirá disponer de más espacio, incorporar nuevo equipamiento y aumentar el número de profesionales dedicados a la fabricación. Una vez finalizada la obra, será necesario validar todos los procesos de limpieza, producción aséptica y funcionamiento de los equipos antes de comenzar la actividad clínica.

La Unidad forma parte, además, del consorcio nacional CERTERA y de las redes española y madrileña de salas blancas y terapias avanzadas. Esta integración permitirá ampliar progresivamente su actividad y ofrecer apoyo a proyectos y pacientes de otros hospitales, favoreciendo que terapias desarrolladas en el sistema público puedan llegar a niños y adolescentes de toda España.

Estos avances muestran que la Unidad no es únicamente un espacio de fabricación. Es el puente que permite convertir una idea científica en un medicamento celular producido con garantías, incorporarlo a un ensayo clínico y administrarlo a pacientes que, en muchos casos, ya no disponen de otras alternativas. La ampliación de sus instalaciones y la experiencia acumulada en la producción de CAR-T y células NK permitirán acelerar el desarrollo de nuevas terapias académicas y ampliar su acceso dentro del sistema sanitario público.