INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

Proyecto CRIS de Refuerzo de la Unidad de Ensayos Clínicos Pediátricos

Unidad CRIS de Terapias Avanzadas para Cáncer Infantil

Investigadores Principales: Dra. Pilar Guerra, Dr. Antonio Pérez.
Instituciones: Instituto de Investigación Sanitaria IdiPAZ, Madrid – Hospital Universitario La Paz, Madrid.

Introducción

Los ensayos clínicos son el puente esencial entre el laboratorio y la vida real de los pacientes. En cáncer infantil, participar en un ensayo significa optar a nuevas opciones terapéuticas cuando los tratamientos convencionales no funcionan. Desde el año 2000, la participación de la Unidad CRIS en ensayos clínicos pediátricos ha crecido de forma exponencial, hasta alcanzar cerca de 70 estudios, entre ellos ensayos en fases tempranas con terapias celulares de última generación.

La Unidad de Ensayos se ha consolidado como un referente en Europa, además de formar parte de plataformas y consorcios internacionales, como SCReN y ECRIN. Desde estas instalaciones se trabaja para garantizar los más altos estándares en coordinación, calidad y seguridad.

Última actualización: Junio 2026

Sin embargo, el salto hacia terapias avanzadas plantea nuevos retos: protocolos cada vez más complejos, seguimiento de muestras, requisitos normativos estrictos y necesidad de una coordinación impecable entre distintos servicios del hospital. La carga de trabajo y la complejidad técnica han crecido tanto que la Unidad necesita reforzarse para no limitar el acceso de los pacientes a estos tratamientos innovadores.

El proyecto

Este proyecto propone reforzar la Unidad de Ensayos Clínicos (UCICEC) con personal especializado y equipamiento técnico para asumir la creciente cantidad de estudios punteros en hemato-oncología pediátrica. En particular, el refuerzo permitirá dar soporte eficiente a dos ensayos académicos clave:

- SANKOMA: Ensayo multicéntrico con células NK activadas en sarcomas pediátricos, diseñado para evaluar seguridad y eficacia en tumores resistentes a tratamientos.
- CAR4SAR: Estudio pionero con linfocitos T de memoria de donantes familiares, para tumores sólidos infantiles.

Con este impulso, la Unidad podrá:

- Mejorar la rapidez y la calidad en la ejecución de ensayos clínicos.
- Garantizar un seguimiento exhaustivo de cada niño que participe.
- Consolidar al Hospital La Paz como centro de referencia nacional e internacional en investigación pediátrica.

Este proyecto no solo aumenta la capacidad técnica y humana del equipo, sino que demuestra un compromiso claro: seguir abriendo caminos para llevar tratamientos innovadores y seguros a los niños y niñas que más lo necesitan.

Avances recientes

Durante el último año, la Unidad CRIS ha reforzado su capacidad para poner en marcha y desarrollar ensayos clínicos pediátricos con terapias innovadoras, especialmente para niños y adolescentes que han agotado las opciones convencionales. Este trabajo se apoya en una estructura muy especializada que conecta la investigación, la fabricación de terapias celulares y la atención clínica. La unidad de ensayos clínicos mantiene además una elevada exigencia de calidad, con certificación ISO, participación continua en redes nacionales y europeas y resultados favorables en las auditorías e inspecciones realizadas.

Uno de los avances más importantes ha sido la consolidación de varios ensayos académicos con terapias celulares desarrolladas dentro de la propia Unidad. En 2025 comenzó el ensayo REALL CART, dirigido a niños, adolescentes y adultos jóvenes con leucemias que han recaído o no responden a los tratamientos disponibles. El estudio evalúa dos estrategias distintas: un CAR-T doble dirigido contra CD19 y CD22 para leucemias B, y una terapia CAR-T alogénica basada en células de memoria para otras leucemias de difícil tratamiento. Las primeras fabricaciones ya se han completado y los primeros pacientes han comenzado a recibir el tratamiento.

En paralelo, el ensayo CAR4SAR continúa avanzando en pacientes con sarcomas pediátricos. Este estudio utiliza células T de memoria procedentes de donantes y las dota de un receptor llamado NKG2D, que actúa como un radar capaz de reconocer señales de estrés presentes en las células tumorales. Hasta el momento se ha tratado a los primeros pacientes y, al no haberse observado toxicidades importantes, el ensayo ha podido avanzar a una nueva etapa con dosis superiores y distintas vías de administración.

Aunque todavía no se ha observado una mejoría clínica clara en este ensayo, los resultados están permitiendo conocer mucho mejor cómo se comporta la terapia. El equipo ha optimizado el proceso de fabricación y ha comprobado que las células conservan una buena capacidad de activación y presentan pocas señales de agotamiento. También se están estudiando posibles combinaciones para aumentar su eficacia.

El ensayo SANKOMA también ha alcanzado una fase relevante de desarrollo. Este estudio evalúa células NK procedentes de donantes sanos en niños y jóvenes con sarcomas avanzados o en recaída. Las NK forman parte de las defensas naturales del organismo y tienen capacidad para destruir células tumorales de manera rápida, por lo que podrían ser especialmente útiles en tumores sólidos donde otras inmunoterapias encuentran más dificultades.

Ya se ha tratado a los primeros seis pacientes y el equipo ha demostrado que es posible fabricar células NK funcionales para la mayoría de ellos. Hasta ahora, la terapia ha mostrado un perfil de seguridad favorable y los principales efectos adversos se han relacionado con el tratamiento previo que prepara al organismo, no con las propias células NK. Además, en uno de los pacientes las células del donante pudieron detectarse hasta 63 días después de la infusión, un resultado especialmente relevante porque la corta duración de estas células suele ser una de las principales limitaciones de esta estrategia.

Los primeros datos clínicos de SANKOMA, aunque todavía preliminares, son alentadores: en un paciente el tumor disminuyó y en otros dos la enfermedad se mantuvo estable durante un tiempo, en uno de los casos durante nueve meses. El equipo está analizando muestras de sangre y tumor para identificar señales moleculares que permitan comprender por qué algunos pacientes responden mejor y ajustar las dosis en las siguientes fases del ensayo.

Junto a estos avances clínicos, la Unidad ha seguido aumentando su capacidad de fabricación y está ampliando sus instalaciones con una nueva sala blanca financiada por CRIS Contra el Cáncer. Esta ampliación permitirá fabricar más tratamientos, reforzar el equipo técnico y facilitar que pacientes de otros centros españoles puedan acceder a ensayos académicos desarrollados íntegramente en el entorno público.

En conclusión, el refuerzo de la Unidad de Ensayos Clínicos Pediátricos no se limita a aumentar el número de estudios disponibles. Está permitiendo crear un circuito

completo en el que una nueva terapia puede diseñarse en el laboratorio, fabricarse con garantías de calidad, administrarse dentro de un ensayo clínico y estudiarse en profundidad para aprender de cada paciente.