INVESTIGACIÓN PARA
OTRA OPORTUNIDAD

Unidad CRIS de Terapias Avanzadas para Cáncer Infantil

Investigador Principal: Dr. Antonio Pérez.
Instituciones: Instituto de Investigación Sanitaria IdiPAZ, Madrid – Hospital Universitario La Paz, Madrid – Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas (CNIO), Madrid.

Introducción

En nuestro país, el cáncer es la principal causa de muerte infantil por enfermedad en niños mayores de 1 año. Se estima que cada año unos 1600 niños, adolescentes y jóvenes adultos son diagnosticados de cáncer en España. De ellos, globalmente casi un 20% no supera su enfermedad.

La supervivencia del cáncer infantil varía mucho según el tipo de tumor. Aunque en las últimas décadas se han logrado grandes avances en algunos cánceres hematológicos, como la leucemia linfoblástica aguda y los linfomas B, y en determinados tumores sólidos localizados, como el retinoblastoma, otros cánceres pediátricos menos frecuentes siguen teniendo un pronóstico muy desfavorable. Es el caso de algunos subtipos de leucemia y de ciertos tumores sólidos, especialmente cuando aparecen en formas agresivas, avanzadas o en recaída.

Última actualización: Junio 2026

A pesar de ello, los tratamientos contra el cáncer infantil han estado muy estancados durante 30 años, ya que esta enfermedad es muy diferente del cáncer en adultos y la investigación específica en pediatría todavía es escasa. Por lo tanto, es esencial llevar a cabo proyectos para poder comprender cómo se produce el cáncer infantil, tratar de evitarlo y desarrollar terapias más eficaces y con menos efectos secundarios.

Todo ello pasa por la investigación y por impulsar 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 se exploran las pruebas de concepto alcanzadas en el laboratorio. En nuestro país aún es necesario promover 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. CRIS Contra el Cáncer 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, entre otros espacios, de:

- 10 habitaciones generales.
- 4 habitaciones de aislamiento de última generación para trasplantes de progenitores hematopoyéticos.
- Zona de ensayos clínicos.
- Zona de preparación de tratamientos.
- Laboratorio especializado

El éxito de la Unidad de Terapias Avanzadas consiste en el trabajo coordinado de profesionales de múltiples disciplinas, que unen sus conocimientos para acelerar al máximo la transformación de los resultados científicos a tratamientos innovadores para niños sin otras opciones terapéuticas.

La financiación otorgada por CRIS Contra el Cáncer también se dirige a estos especialistas, 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.
- Personal investigador pre- y post-doctoral.

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 deben realizarse bajo unos altísimos estándares de calidad.

Avances recientes

Durante el último año, la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas en Cáncer Infantil ha seguido creciendo como un espacio en el que la investigación, el diagnóstico y la atención clínica avanzan de la mano. Desde su puesta en marcha en 2016, la Unidad ha atendido a más de 1.200 pacientes, ha contribuido al desarrollo de 24 nuevos tratamientos y ha participado en cerca de 70 ensayos clínicos.

Uno de los grandes avances ha sido la consolidación de varias terapias celulares desarrolladas en la propia Unidad. Durante 2025 se fabricaron tratamientos con células NK y distintos tipos de CAR-T para ensayos dirigidos a leucemias y sarcomas infantiles. Además, comenzó el ensayo REALL CART, que evalúa dos terapias CAR-T académicas en niños, adolescentes y jóvenes con leucemias de muy difícil tratamiento.

La Unidad también ha avanzado en nuevas inmunoterapias para cánceres en los que los CAR-T todavía no han logrado el mismo éxito, como las leucemias T, los sarcomas y los tumores cerebrales. Los investigadores están desarrollando terapias a partir de células de donantes sanos, que podrían estar preparadas con antelación y administrarse con mayor rapidez. En los estudios preclínicos, algunos de estos CAR-T han demostrado capacidad para destruir células de leucemia y mejorar la supervivencia en modelos animales.

En el caso de los tumores cerebrales infantiles, el equipo está probando distintas formas de ayudar a las células CAR-T a reconocer mejor el cáncer, atravesar las barreras que protegen el cerebro y mantenerse activas dentro del tumor. En modelos de glioblastoma y meduloblastoma, estas terapias consiguieron reducir la enfermedad y prolongar la supervivencia; algunos animales permanecieron libres de tumor varios meses después del tratamiento. Aunque todavía son resultados preclínicos, suponen un paso importante hacia nuevas opciones para tumores con un pronóstico muy desfavorable.

También se ha reforzado la medicina de precisión. Solo durante la primera mitad de 2026, se analizaron con el panel genético mut4Child 155 muestras, tanto en el momento del diagnóstico como durante la recaída. Estos estudios permiten conocer mejor las alteraciones de cada tumor, afinar el diagnóstico e identificar posibles tratamientos dirigidos. Cerca del 30 % de las muestras proceden de otros hospitales, lo que refleja la creciente dimensión nacional del programa.

Otra línea destacada es la biopsia líquida, que busca seguir la evolución del cáncer mediante pequeñas muestras de sangre u otros líquidos del organismo. En

retinoblastoma, el equipo ya ha reunido 78 muestras de nueve pacientes tomadas en distintos momentos del tratamiento. El objetivo es encontrar señales que permitan saber antes si la terapia está funcionando o si existe riesgo de recaída, evitando siempre que sea posible procedimientos más invasivos.
La Unidad ha continuado además mejorando el trasplante y las terapias inmunitarias asociadas. Solo en 2025 se realizaron 40 trasplantes de médula ósea y 235 infusiones de linfocitos de donante. Un estudio publicado en *American Journal of Hematology* mostró que las células NK activadas con una molécula llamada IL-15 pueden favorecer una recuperación más rápida del sistema inmunitario después del trasplante en niños con leucemias de alto riesgo.

Todos estos avances se apoyan en una infraestructura clínica y de fabricación cada vez más sólida. Durante 2025 se produjeron siete lotes de terapias avanzadas bajo los estándares de calidad exigidos para su administración a pacientes y se inició la ampliación de la sala blanca, que permitirá fabricar más tratamientos y ofrecer apoyo a otros centros de España.

En conjunto, la Unidad está construyendo un circuito completo que abarca desde el estudio de las características de cada tumor hasta el diseño, la fabricación y la evaluación clínica de nuevas terapias. El objetivo no es únicamente curar a más niños, sino hacerlo con tratamientos más personalizados, reducir las secuelas a largo plazo y ofrecer nuevas oportunidades a quienes todavía cuentan con muy pocas alternativas.