Comunidad de Madrid

Medios de Comunicación

En el Hospital Universitario La Paz, a una niña de 11 años afectada por una patología muy poco frecuente y con una elevada mortalidad

La sanidad pública madrileña, pionera mundial al tratar con éxito una enfermedad rara autoinmune con terapia CAR-T

- Gracias a este procedimiento, utilizado en casos de leucemia, la pequeña lleva un año en remisión de la enfermedad y sin tratamiento inmunosupresor
- La técnica se ha empleado por uso compasivo, cuando no había más opciones para la paciente, que estaba en estado crítico en la UCI

5 de mayo de 2025.- La sanidad pública madrileña ha tratado con éxito por primera vez en el mundo una enfermedad autoinmune muy rara con CAR-T, terapia de modificación genética de determinadas células del sistema inmunitario que reconoce y destruye a las cancerosas.

Este nuevo hito médico mundial de los profesionales sanitarios de la Comunidad de Madrid se ha logrado en Hospital Universitario público La Paz, con una niña de 11 años que padecía una patología que recibe el nombre de *dermatomiositis anti-MDA5.* Se caracteriza por el desarrollo de un rápido y grave daño pulmonar que conlleva una elevada tasa de mortalidad (entre el 30-66%) en los seis primeros meses desde su aparición. Tiene una prevalencia de un caso por cada millón de habitantes

A la menor se le ha aplicado un compuesto administrado por uso compasivo, dada la situación clínica de la paciente, que se encontraba en estado crítico en la Unidad de Cuidados Intensivos (UCI) por la falta de otras opciones para ella.

Gracias al procedimiento empleado por los profesionales del Hospital La Paz, normalmente usado frente a la leucemia, la paciente ya no necesita tratamiento inmunosupresor y lleva un año en remisión de la enfermedad. Su capacidad motora está, además, mejorando progresivamente y durante el día ya respira por sí misma sin necesidad de ventilación mecánica y asistencia ventricular extracorpórea.

Este logro de la sanidad pública madrileña en colaboración con otras Administraciones, del que se ha hecho eco la prestigiosa revista científica *Med*, ha sido posible gracias a la implicación de un equipo multidisciplinar conformado por profesionales sanitarios de diferentes servicios de La Paz: Reumatología,

Hemato-oncología, Endocrinología y Nutrición, Neurología, Neumología, Inmunología, Medicina Interna, Rehabilitación y UCI, así como personal del Instituto de Investigación de este complejo sanitario (IdiPAZ) y de la Unidad de Terapias Avanzadas de la Fundación CRIS contra el Cáncer.

Entre los participantes externos en este hito se encuentran el Hospital público Infantil Universitario Niño Jesús, el Hospital Clinic de Barcelonay el Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas.