

Este centro sanitario público de la capital diagnostica cada año entre 100 y 120 casos de cáncer infantil, cuyo Día Mundial se celebra hoy

## El Hospital público La Paz de la Comunidad de Madrid presenta sus avances en investigación sobre terapias avanzadas aplicadas a niños con leucemias graves

- El jefe de Servicio de Hemato-Oncología pediátrica ha presentado un proyecto para investigar la Leucemia Mielomonocítica Juvenil
- Es un tipo de cáncer hematológico exclusivo de los niños, muy poco frecuente y de pronóstico muy grave, sobre todo en pacientes que superan los dos años de edad
- El objetivo es desarrollar una terapia CAR-T, ya que estos enfermos no responden a la quimioterapia, la única solución pasa por un trasplante de médula y la mitad recaen

**15 de febrero de 2022.-** El Hospital público Universitario La Paz de la Comunidad de Madrid ha presentado hoy, con motivo del Día Internacional contra el Cáncer Infantil, los últimos avances en el desarrollo de terapias avanzadas en este campo y su aplicación a pacientes pediátricos que padecen leucemias raras de pronóstico grave en su Unidad de Terapias Avanzadas, que cuenta con financiación de la Fundación CRIS Contra el Cáncer.

Así, el jefe de Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica de este centro sanitario de la capital, Antonio Pérez Martínez, acompañado de su director médico, Juan José Ríos Blanco, y la directora de la Fundación CRIS contra el Cáncer, Marta Cardona, han expuesto el proyecto Mateo-CRIS para la Leucemia Mielomonocítica Juvenil (LMMJ), un tipo de cáncer hematológico de pronóstico muy grave, sobre todo en pacientes que superan los dos años de edad.

Mateo fue diagnosticado de este tipo de leucemia en 2013 cuando tenía un mes y medio de vida, siendo el primer paciente del Dr. Pérez en el Hospital La Paz. La única alternativa para el pequeño era un trasplante de médula con tratamiento quimioterápico previo. Ocho años después del trasplante, y con una evolución complicada ya resuelta, Mateo hace vida normal gracias a la investigación y es el germen de esta nueva iniciativa.

En ella le acompaña Sofía, de dos años de edad, que fue diagnosticada de la misma enfermedad en plena pandemia de COVID-19. Hoy, gracias a los avances en las investigaciones y tras el trasplante de médula de donante no idéntico, utilizando fármacos epigenéticos de nueva generación con el apoyo del Servicio

de Farmacia (Dra. Casado) y la inmunoterapia adoptiva con linfocitos manipulados con el apoyo de la Unidad de Médula y Terapia Celular del Servicio de Hematología (Dra. De Paz), evoluciona también de forma favorable.

Con este proyecto se busca crear un grupo de investigación dedicado en exclusividad a la LMMJ dentro de la Unidad CRIS de Terapias Avanzadas del Hospital La Paz, y del Grupo de Investigación Traslacional en Cáncer Infantil, Terapia Celular y Trasplante Hematopoyético del Instituto de Investigación de este hospital público madrileño (IdiPAZ). Recientemente, además, se ha incorporado al grupo el investigador Jordi Miguillón, con una gran experiencia en la designación de medicamentos huérfanos para enfermedades raras por parte de las autoridades regulatorias europeas. Por lo que complementa la Unidad de Producción de Medicamentos de Terapia Avanzada dirigida por la Dra. Isabel Mirones y que está en este momento en fase de inspección por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

En este centro sanitario de la capital se diagnostican cada año entre 100 y 120 casos de cáncer en menores de 18 años, siendo tumores del sistema nervioso central los que más incidencia presentan, seguidos de las leucemias agudas, sarcomas, neuroblastomas y linfomas. El porcentaje de curación se sitúa entre el 75% y el 80%, teniendo en cuenta el tipo de tumor, del estadio, de la edad y de los factores de los pronósticos individuales.

El Grupo de Investigación antes mencionado, dirigido por el doctor Antonio Pérez Martínez, tiene activos actualmente seis proyectos de investigación preclínica. Además, se están llevando a cabo siete ensayos clínicos en el campo de la Hematología, trece en Oncología, siete en Trasplante de Progenitores Hematopoyéticos (TPH), y tres en otras áreas. De estos ensayos, siete son con Medicamentos de Terapia Avanzada: tres de la industria farmacéutica en el área de Hematología (fases 1 y 2), dos académicos en el área TPH (fases 1 y 2) y dos académicos para Oncología.

## **LEUCEMIA MIELOMONOCÍTICA JUVENIL**

La leucemia mielomonocítica juvenil (LMMJ) es una enfermedad hematológica clonal mielodisplásica y mieloproliferativa de muy baja prevalencia, pues apenas se diagnostican 10-20 casos al año en España. En la mayoría de ellos presenta un pronóstico muy grave, sobre todo en pequeños con edad superior a dos años. La prevalencia es de 1,5 casos por millón en edad pediátrica y representa el 1% de todas las leucemias pediátricas.

Esta enfermedad se muestra resistente a diferentes esquemas de tratamiento, siendo el trasplante de médula ósea el único tratamiento curativo. Sin embargo, la recaída tras el trasplante es el principal obstáculo para la curación, situándose la supervivencia a 10 años alrededor del 45%.

El Grupo de Investigación Traslacional en Cáncer Infantil, Terapia Celular y Trasplante Hematopoyético del IdiPAZ ha hecho aportaciones en torno a la investigación molecular de la LMMJ, así como la aplicación de nuevos protocolos terapéuticos para antes y después del trasplante de progenitores hematopoyéticos para este tipo de leucemia. A pesar de estos avances en torno a la investigación y tratamiento de esta dolencia, no han sido suficientes para garantizar el éxito de los tratamientos y evitar las recaídas.

Por ello, este proyecto busca diagnosticar nuevas dianas terapéuticas para desarrollar una terapia CAR-T, ya que estos pacientes no responden bien al tratamiento quimioterápico y la única solución pasa por un trasplante de médula. Un 50% de los casos recaen con el tiempo y tras el trasplante las soluciones terapéuticas son muy limitadas. Por eso es clave desarrollar nuevas terapias y estrategias dirigidas a la enfermedad.

## **A LA VANGUARDIA DE LA INVESTIGACIÓN EN CAR-T**

El Hospital Universitario La Paz es uno de los dos centros públicos de la Comunidad de Madrid designados para el uso de medicamentos CAR-T en pacientes pediátricos dentro del Sistema Nacional de Salud.

Su Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica ha sido acreditado recientemente por los estándares JACIE, en el ámbito del trasplante de médula ósea, y ha llevado a cabo una serie de CAR-T académicos, como alternativa a los CAR-T comerciales. El objetivo de estos proyectos de investigación es ofrecer nuevas opciones terapéuticas a los niños con cáncer, sobre todo a aquellos que sufren una recaída tras el tratamiento con una terapia CAR-T comercial.

Estas investigaciones llevadas a cabo en el seno del Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica del Hospital La Paz se enmarcan en la Estrategia Regional de Terapias Avanzadas de la Comunidad de Madrid y han sido posible gracias al apoyo de la Fundación Cris contra el Cáncer.

Actualmente son sólo tres los centros del Servicio Madrileño de Salud integrados en la Red de los designados para el uso de medicamentos CAR-T en el Sistema Nacional de Salud: Gregorio Marañón, para el tratamiento de adultos, así como La Paz y Niño Jesús, en pacientes pediátricos. Por ello, la Comunidad de Madrid ha presentado al Ministerio de Sanidad la petición para que cuatro hospitales más sean autorizados: 12 de Octubre, Ramón y Cajal, Puerta de Hierro Majadahonda y La Princesa, en el caso de los enfermos adultos. Asimismo, la Consejería de Sanidad ha planteado que el Hospital La Paz pueda ampliar el alcance de su designación actual para tratar con CAR-T a todo tipo de pacientes.