



BREVE EXPLICACIÓN DEL PROYECTO

Desarrollo de terapias combinadas con inmunoterapia para tumores sólidos pediátricos: ensayos ESMART y BEACON

INVESTIGADOR PRINCIPAL

Dr. Lucas Moreno Martín-Retortillo
.....

ORGANISMO

UNIDAD DE INVESTIGACIÓN CLÍNICA ASOCIADA CNIO-HNJ HOSPITAL INFANTIL UNIVERSITARIO NIÑO JESÚS
.....

Los tumores sólidos pediátricos como sarcomas de hueso, sarcomas de partes blandas y neuroblastoma entre otros, son una de las principales causas de muerte en niños y adolescentes. A pesar de las mejoras en la supervivencia del cáncer infantil sobre todo en el caso de las leucemias, los niños y adolescentes diagnosticados de sarcomas o neuroblastomas metastásicos (esto es, con tumor diseminado a otras partes del cuerpo) todavía tienen un pronóstico muy malo. Además, los supervivientes tienen que enfrentarse a secuelas por el tratamiento durante el resto de su vida. La realidad es que no ha habido mejora significativa en la última década, lo que refleja el hecho de que la terapia ha permanecido esencialmente sin cambios durante este período.

El grupo de la Unidad de Investigación Clínica Asociada CNIO (Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas) – HNJ (Hospital Niño Jesús) liderado por el Dr. Moreno nació en 2013 como la primera unidad de ensayos clínicos española dedicada en exclusividad al desarrollo de nuevos fármacos para el cáncer pediátrico. Esta unidad nace gracias a la colaboración entre CNIO y el HNJ y en solo tres años se ha establecido como referente nacional e internacional para los ensayos clínicos en fase precoz, es decir, la primera vez que los nuevos medicamentos se prueban en niños. En 2015, la unidad fue acreditada por el consorcio ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer) para la realización de ensayos clínicos fase I, “first-in-child”, solo La Fe y el HNJ han sido acreditados en España. Gracias a la colaboración con el Programa de Investigación Clínica de CNIO han llegado nuevas moléculas a la fase de ensayo clínico pediátrico y se están nuevas terapias moleculares en el laboratorio específicamente para tumores pediátricos.

En estos años, hemos constatado que todavía no hay suficientes nuevos medicamentos y que la inmunoterapia es un campo prácticamente no explorado en



tumores pediátricos. Es necesario prestar especial dedicación a los ensayos clínicos con inmunoterapia para que por fin lleguen a los niños y adolescentes con tumores en recaída o refractarios y se conviertan en una opción de tratamiento. Muchos de estos ensayos no tienen apoyo de la industria farmacéutica, por lo que es aún más necesario promover su realización.

El proyecto nuevo consiste en desarrollar dos ensayos clínicos académicos independientes (no promovidos por la industria farmacéutica) con inmunoterapia para tumores sólidos pediátricos. Sin el apoyo específico de este programa, estos ensayos no se podrían llevar a cabo en nuestro centro y, por extensión, en nuestro país por falta de capacidad y financiación.

Este programa consistirá en dedicar recursos específicos para permitir que se pongan en marcha y se lleven a cabo dos ensayos pediátricos de especial relevancia para los tumores pediátricos como sarcomas óseos, sarcomas de partes blandas y neuroblastoma.

El ensayo clínico ESMART en el que se realiza un perfil molecular buscando alteraciones genéticas en los tumores de los pacientes y después se asigna el tratamiento según las alteraciones encontradas, combinando nuevas terapias moleculares con inmunoterapia y quimioterapia convencional: en resumen, llevar a la práctica clínica la medicina personalizada.

El segundo ensayo llamado BEACON, es un ensayo actualmente abierto en ocho países europeos para el tratamiento del neuroblastoma en recaída o refractario que, gracias al apoyo de este proyecto, se podrá modificar para incorporar un nuevo tratamiento como inmunoterapia con el anticuerpo monoclonal anti-GD2.

La unidad CNIO-HNJ coordinará ambos estudios, estos se abrirán en varios centros del territorio nacional y pacientes de todas las comunidades podrán ser considerados para tratamiento si cumplen los criterios requeridos.

Este proyecto es eminentemente clínico pues comprende el desarrollo de ensayos clínicos de inmunoterapia donde los nuevos fármacos se evaluarán en niños y adolescentes con diversos tumores sólidos, principalmente sarcomas de hueso, sarcomas de partes blandas y neuroblastoma. Se colaborará activamente con otras Unidades de Oncología Pediátrica de nuestro país para que puedan participar pacientes de todas las comunidades que así lo deseen.