



Fundación
Oncohematología
Infantil

PROYECTO ASOCIACIÓN PABLO UGARTE

**POTENCIANDO LAS INMUNOTERAPIAS
EN SARCOMAS PEDIÁTRICOS**

Resumen no-técnico

Investigador principal: Dr. Javier García Castro
Unidad de Biotecnología Celular
Instituto de Salud Carlos III



Los tumores que se han diseminado por el organismo y aquellos que no han respondido a los primeros fármacos, son el objeto de nuestros estudios, por ser los de peor pronóstico. En las últimas dos décadas ha habido un avance notable en el descubrimiento de nuevos fármacos para tumores de adultos, pero muy pocos para los tumores pediátricos, especialmente para el grupo de sarcomas

Nuevo enfoque de tratamiento: activar al sistema inmune

Los tumores surgen cuando ocurre una (o varias) mutación en el ADN (genoma) pero además falla la vigilancia del sistema inmune (glóbulos blancos). El sistema inmune está encargado normalmente de atacar a los microorganismos (bacterias, virus,...) pero también de eliminar aquellas células de nuestro cuerpo que pudieran resultar peligrosas (como las del tumor).

Las investigaciones en oncología de los últimos 30 años nos han llevado a descubrir diversos mecanismos por los que el tumor se escapa de esta vigilancia del sistema inmune. Además, se han desarrollado diversos fármacos que consiguen reactivar el sistema inmune para que ataque y elimine a los tumores. Estos tratamientos dirigidos a activar el sistema inmune se les suele llamar genéricamente inmunoterapias. Estas estrategias de inmunoterapia están teniendo un notable éxito en los tumores de adultos y se les considera el futuro en los tratamientos de oncología.

Por desgracia en oncología pediátrica, especialmente en los sarcomas, esta estrategia se ha estudiado muy poco. Los primeros resultados en ensayos clínicos indican que estas inmunoterapias parecen funcionar peor en este tipo de tumores. Sin embargo, resultados preliminares de nuestro grupo (y de otros grupos en laboratorios de todo el mundo) hacen pensar que esto se debe a que se administran como tratamientos únicos. Así pues, la combinación de varios tratamientos podría hacer funcionar a estas inmunoterapias y conseguir curaciones completas en sarcomas pediátricos, como se está observando en ciertos tumores de adultos.

Potenciando las inmunoterapias en sarcomas pediátricos.

Nuestra hipótesis de trabajo consiste en combinar diferentes tratamientos (ver figura anexa). Básicamente, necesitamos dar 3 pasos para activar al sistema inmune y que ataque al tumor:

- 1) Aumentar el número de células del sistema inmune que “detectan” al tumor y van hacia él para atacarle.
- 2) “Activar” (despertar) estas células del sistema inmune para que venzan las defensas del tumor y ataquen con fuerza.

- 3) Eliminar las “defensas” del tumor, que normalmente impiden que el sistema inmune le ataque.

Nuestro proyecto plantea el desarrollo de estudios preclínicos para demostrar la validez de esta hipótesis. En caso de demostrar su eficacia, y seguridad, se solicitaría un Ensayo Clínico en pacientes de sarcomas pediátricos.

