

El mayor éxito de la terapia CAR-T: una mujer 18 años libre de cáncer tras ser tratada de niña

- En Europa, cada año se diagnostican 35.000 pacientes oncológicos pediátricos de los cuales unos 1.500 se detectan en España



cáncer niños

https://www.ondacero.es/noticias/salud/mayor-exito-terapia-cart-mujer-18-anos-libre-cancer-ser-tratada-nina_2025021767b3889f4
ondacero.es

Lunes, 17 febrero 2025

Cada año se diagnostican en **Europa 35.000 pacientes oncológicos pediátricos**, unos 1.500 de ellos en España, según la Asociación Española de **Pediatría**.

La **terapia celular CAR-T** es un tratamiento que modifica las células T de un paciente -un tipo de glóbulo blanco que forma parte del sistema inmunitario- para que reconozcan y eliminen específicamente las células cancerosas.

Esta terapia ha sido aprobada para el tratamiento de pacientes con algunos tipos de **cáncer de la sangre**, como la leucemia y el linfoma, pero ha resultado **menos eficaz en pacientes con tumores sólidos**.

Ahora se ha demostrado que una mujer con un **neuroblastoma**, un tipo de cáncer de células nerviosas, que de niña fue tratada con este tipo de terapia, ha conseguido remitir el tumor durante más de 18 años sin necesidad de recibir otros tratamientos. Se trata del **caso de remisión de mayor duración** tras una terapia CAR-T descrito hasta la fecha.

Según la información disponible, **la paciente participó en un ensayo clínico en fase 1** para probar una terapia CAR-T modificada. Los autores del ensayo, realizado con 19 niños entre 2004 y 2009, han publicado los resultados en la revista Nature Medicine tras hacer un seguimiento a largo plazo.

Onde de los participantes tenían la enfermedad activa

El equipo del Baylor College of Medicine, liderado por Helen Heslop, durante el ensayo clínico probó **células T modificadas para reconocer GD2**, un tipo de proteína que presenta altos niveles de expresión en el neuroblastoma, el cáncer que sufrían los pacientes participantes.

A pesar de que el **ensayo de fase 1** determinó que el tratamiento era seguro, hubo **12 pacientes que fallecieron entre 2 meses y 7 años después del tratamiento** como consecuencia de una recaída del neuroblastoma.

De los siete pacientes restantes, **cinco continuaron en seguimiento durante al menos 13 años** después del tratamiento. Fue durante este periodo de tiempo en el que Heslop y su equipo observaron que el cáncer de una de las pacientes había estado en remisión durante más de 18 años.

Asimismo, hallaron pruebas de que **las células CAR-T persistieron durante al menos 5 años en cinco personas** de las tratadas, incluida la paciente con 18 años en remisión.

Pasado vs. presente: la eficacia de las células CAR-T

Aunque la terapia empleada haya sido eficaz, los miembros del equipo evidenciaron que **las células CAR-T empleadas en aquel ensayo carecen de los elementos de diseño actuales**. Estos incluyen moléculas coestimuladoras, por lo que es posible que los pacientes que tuvieran la enfermedad activa en aquel momento no se hayan beneficiado tanto como los que tenían una menor carga de enfermedad cuando inició el tratamiento.

Los datos "demuestran la **seguridad de la estrategia** y sugieren que las células CAR-T podrían **proporcionar beneficios a largo plazo** en pacientes con algunos tipos de tumores sólidos", explica para SMC España Luis Álvarez-Vallina, jefe de la Unidad Mixta de Investigación Clínica de Inmunoterapia del Cáncer en el Hospital 12 de Octubre-CNIO. Aun así, el doctor advierte de que "es fundamental disponer de series más amplias" para validar el impacto terapéutico de estas terapias.

Por su parte, también para SMC, Ignacio Melero, catedrático de Inmunología de la Universidad de Navarra e investigador del CIMA, señala que "**es una buena noticia** que los pacientes tratados con células CAR-T tengan un beneficio clínico sostenido en el tiempo"; aunque reconoce que "los CAR-T que se utilizaban hace más de una década para tratar el neuroblastoma **han sido muy mejorados** en la actualidad".