

La inmunoterapia personalizada en cáncer infantil sigue lastrando un déficit de innovación | @diariofarma

- Desde la Unidad Mixta de Investigación Clínica de Oncohematología [Pediátrica](#) IdiPAZ-CNIO se recuerda que la falta de innovación en este campo provoca que los tratamientos CAR-T no están avanzando al mismo ritmo que en las terapias para adultos



<https://diariofarma.com/2025/02/14/la-inmunoterapia-personalizada-en-cancer-infantil-sigue-lastrando-un-defi...>

Diariofarma

Viernes, 14 febrero 2025

El cáncer pediátrico es poco frecuente en términos relativos, y aun así es la primera causa de muerte por enfermedad en población infantil y adolescente en el mundo desarrollado. Es distinto del cáncer en adultos y requiere por ello investigación y terapias específicas. Pero los tratamientos para pacientes pediátricos no están avanzando al mismo ritmo que para el resto, recuerda Antonio Pérez Martínez, jefe de la Unidad Mixta de Investigación Clínica de Oncohematología [Pediátrica](#) IdiPAZ-CNIO.

Con motivo de la celebración este sábado del Día Mundial del Cáncer Infantil, el grupo de Pérez Martínez hace un llamamiento para que “los niños, niñas y adolescentes no queden al margen de los avances en inmunoterapias personalizadas, que son más eficaces y tienen menos efectos secundarios”. Mientras que terapias de este tipo, como las CAR-T, se usan en cada vez más cánceres en adultos, “a día de hoy en población [pediátrica](#) solo un tipo de cáncer, las leucemias linfoblásticas tipo B, se benefician de esta estrategia terapéutica”, afirma este experto.

Antonio Pérez, jefe de la Unidad de Investigación Clínica de Oncohematología [Pediátrica](#) IdiPAZ-CNIO.

Cada año se diagnostican en Europa 35.000 pacientes oncológicos pediátricos, unos 1.500 de ellos en España según la Asociación Española de [Pediatria](#). Alrededor del 80% se cura. Sin embargo, los tratamientos de cáncer pediátrico hoy son en su mayoría los mismos que hace décadas, muy tóxicos

y con riesgo de secuelas, “algo especialmente importante en pacientes con muchos años de vida por delante”, señala Pérez Martínez.

Las razones de que las terapias no marchen al mismo ritmo que en los pacientes adultos, son varias.

Desde la Sociedad Europea de Oncología **Pediátrica** se apunta que una de ellas es que la baja incidencia del cáncer infantil “limita su interés comercial”. Ante este problema, esta sociedad ya ha alertado de la necesidad de cambiar un sistema normativo que ralentiza el acceso de pacientes oncológicos pediátricos a inmunoterapias avanzadas.

Para Pérez-Martínez, entre los motivos que explican la situación está “la dificultad intrínseca para hacer estudios clínicos prospectivos multicéntricos en pacientes pediátricos con patologías tan complejas y tan poco prevalentes”, así como “el escaso interés de la **industria farmacéutica** en financiar estos estudios clínicos, dada la baja prevalencia, la alta complejidad y el escaso retorno esperable”.

Los oncólogos europeos en efecto han afirmado que “es poco probable que el desarrollo de CAR-T para la población con cáncer pediátrico por parte de las farmacéuticas sea rentable y, por lo tanto, es dudoso que esta vía de aprobación conduzca al acceso de los pacientes a productos eficaces”. Estos expertos piden que las instituciones académicas “complementen a la **industria farmacéutica**”.

Eficacia de las nuevas terapias

Las terapias CAR-T han sido efectivas en un 40% de los pacientes pediátricos que las han recibido, y “nosotros investigamos por qué no han funcionado en el resto”, explican Cristina Aguirre y Andrés París, de la Unidad de Investigación Clínica de Oncohematología **Pediátrica** IdiPAZ-CNIO.

Las terapias CAR-T se basan en modificar células defensivas del propio paciente, linfocitos, para hacer que puedan dirigirse a las células tumorales y destruirlas. Los linfocitos se extraen del paciente y se le reinfunden una vez modificadas. Pero a veces no es posible usar linfocitos de los pacientes. El grupo del CNIO quiere solventar este obstáculo usando linfocitos de donante, es decir, desarrollar células CAR-T de ‘donante universal’ que no generen rechazo en el paciente.

Existe también otra línea busca ampliar la efectividad de las CAR-T a tumores sólidos. “Hasta ahora las CAR-T han tenido éxito sobre todo en tumores sanguíneos. Los tumores sólidos desarrollan barreras naturales para impedir que entren las células defensivas”, explica París.

Su estrategia es salvar estas barreras mediante nanopartículas de hierro, que son guiadas hasta el interior del tumor mediante un campo magnético externo.

La heterogeneidad de los tumores es otro reto, es decir: cada cáncer tiene rasgos propios en cada paciente, lo que exige personalizar mucho más los tratamientos. La investigadora del CNIO Adriana Mañas desarrolla modelos animales que reproducen el tumor de pacientes específicos, para probar el éxito de posibles terapias antes de administrarlas.

En conclusión, “con nuestra investigación buscamos solucionar los problemas que aparecen en la clínica”, resume París. Una labor multidisciplinar en la que, además de oncólogos y biólogos, son

clave las matemáticas. Odelaissy León investiga en oncología matemática para transformar en información relevante la gran cantidad de datos que genera la investigación en el CNIO.

Además, la unidad de cáncer pediátrico colabora con el Grupo de Dinámica Cromosómica del CNIO, dirigido por Ana Losada, que investiga en sarcoma de Ewing. Este grupo ha descubierto recientemente una alteración en los casos más agresivos de este sarcoma, un tumor de huesos y tejidos blandos que se da en niños y jóvenes.