Las terapias innovadoras en pediatría protagonizarán una mesa de debate en el 69 Congreso de la Asociación Española de Pediatría (AEP)

**Las terapias CAR-T rompen las barreras del cáncer y podrán usarse en un futuro próximo para tratar enfermedades autoinmunes**

* **Avanza la investigación para aplicarlas en el tratamiento del neuroblastoma en niños y ampliar su uso a otros tipos de cáncer, como los tumores sólidos o el linfoma**
* **Más del 85% de los pacientes pediátricos que las reciben para la leucemia linfoblástica B responden al tratamiento y aproximadamente el 50% mantienen esta respuesta a los dos años**
* **Es imprescindible tener unidades clínicas entrenadas en el manejo y cuidado de estos pacientes para tratar los efectos adversos de estos tratamientos**

**Granada, 1 de junio de 2023**. En las terapias de células CAR-T las células T, que forman parte del sistema inmunitario y nos ayudan a protegernos de las infecciones, son obtenidas de la sangre del paciente y modificadas en el laboratorio a través de un vector viral que lleva información genética para que expresen proteínas en su membrana que les permita adherirse a las células cancerosas, casi de forma exclusiva, y eliminarlas. Por eso, se la conoce también como *terapia génica celular*. Teniendo en cuenta que los diferentes tipos de cáncer tienen distintos antígenos, cada CAR está hecho para el antígeno específico de un cáncer y actualmente su uso en niños sólo está aprobado para el tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda B, que es el cáncer más frecuente en los niños. Sin embargo, esto podría cambiar en un futuro próximo. “*Ya está casi en fase dos un estudio para aplicar esta terapia en el tratamiento del neuroblastoma en niños, fases I en otros tumores sólidos como sarcomas y tumores cerebrales y se está estudiando también su aplicación en enfermedades autoinmunes en la población adulta. En niños estos estudios van siempre un poco por detrás, pero no tardaremos en verlo*”, afirma el **doctor Antonio Pérez Martínez**, jefe de Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica del Hospital Universitario La Paz, que hablará de terapias CAR-T en una mesa de debate del 69 Congreso de la AEP dedicada a las **terapias innovadoras** en la edad pediátrica.

“*CAR significa coche en inglés y hay muchos tipos de coche; los modernos corren más que los antiguos pero, seguramente, menos que los del futuro, porque están en constante evolución. Pasa lo mismo con las terapias CAR-T*. *Sin embargo, los coches modernos fuera de la carretera asfaltada no van bien y se necesitan tractores (“TRUCKS”) que van a ser más fiables, seguros y eficaces. Esto es lo que ocurre en los tumores sólidos y el microambiente tumoral*”, apunta. De momento, el reto para los profesionales que tratan las enfermedades oncológicas en la edad pediátrica es, como explica el doctor Pérez Martínez, lograr la ampliación de la terapia CAR-T a otros tipos de cáncer, como los tumores sólidos o el linfoma, que ya se trata con CAR-T en adultos, e impulsar la investigación y la producción de CAR-T académica en el entorno hospitalario, “*más económico y con la misma eficacia y calidad farmacéutica*”.

Esta terapia ha supuesto una gran revolución en los últimos años, desde que en 2019 se aprobase en España el Plan para el Abordaje de las Terapias Avanzadas, entre las cuales se incluye. A día de hoy hay siete CAR-T con indicaciones para patologías y cánceres de la sangre, de los cuales solo uno está aprobado en niños. Sin embargo, hay que celebrar que más del 85% de los pacientes pediátricos a los que se les ha aplicado responden al tratamiento, aproximadamente el 50% mantienen esta respuesta a los dos años y alrededor del 40% a los cinco años. “*Estamos hablando de niños que antes eran incurables, que ya habían recibido multitud de tratamientos e incluso un trasplante, y, aún así, no se podía hacer más por ellos*”, subraya el hemato-oncólogo pediátrico.

“*Parece muy fácil que un linfocito sea capaz de pegarse a una célula cancerígena y eliminarla, esto es así en tumores hematológicos, pero no en tumores sólidos. Son medicamentos vivos y tienen una regulación específica en función de la expresión de la diana en las células tumorales. Además, hay que prestar mucha atención a los efectos adversos derivados de este tratamiento que pueden aparecer en el primer mes tras la infusión como consecuencia de la respuesta inmune*”, advierte.

Entre los más frecuentes se encuentran los cuadros inflamatorios, que llevan a casi la mitad de los pacientes a ingresar en cuidados intensivos tres o cuatro días, y los cuadros neurológicos, que afectan en torno al 15-20% de los pacientes. En la mayoría de los casos se resuelven con tratamientos de soporte adecuados pero, como apunta el doctor Pérez Martínez, para ello es fundamental “*tener unidades clínicas entrenadas en el manejo y cuidado de estos pacientes*”.

**Sobre la Asociación Española de Pediatría**

La Asociación Española de Pediatría es una sociedad científica que representa a cerca de 12.000 pediatras que trabajan tanto en el ámbito hospitalario como de atención primaria. Está integrada por todas las sociedades científicas de pediatría regionales y las sociedades de pediatría de las distintas especialidades. El principal objetivo de la asociación es velar por la adecuada atención sanitaria, fomentar el desarrollo de la especialidad, tanto en sus aspectos asistenciales como en los docentes y de investigación, además de asesorar a todas aquellas instituciones competentes en asuntos que puedan afectar o afecten a la salud, desarrollo e integridad del niño y del adolescente, así como divulgar e informar a la población sobre cuestiones de salud infantil.