

## **El Hospital Sant Joan de Déu trata al primer paciente pediátrico con la terapia CAR-T de Novartis, la primera financiada por el Sistema Nacional de Salud**

- Es un niño de Alicante de 6 años que padecía una leucemia linfoblástica aguda de tipo B que no respondía al tratamiento convencional y había sufrido dos recaídas
- Después de recibir la terapia CAR-T 19, no hay evidencia de la enfermedad y el paciente ha podido retomar su vida con normalidad
- El Hospital Sant Joan de Déu ya ha administrado esta terapia a 16 pacientes similares en el ensayo clínico de registro promovido por Novartis
- Más del 60% de los niños participantes en este ensayo en nuestro centro, y que no tenían opciones de tratamiento potencialmente eficaces, siguen sin evidencia de la enfermedad, en algunos casos después de dos años del tratamiento CAR-T 19
- El CAR-T 19 representa un nuevo paradigma en el tratamiento del cáncer infantil que se basa en una terapia personalizada en la que se redirige el sistema inmunitario del paciente contra su leucemia

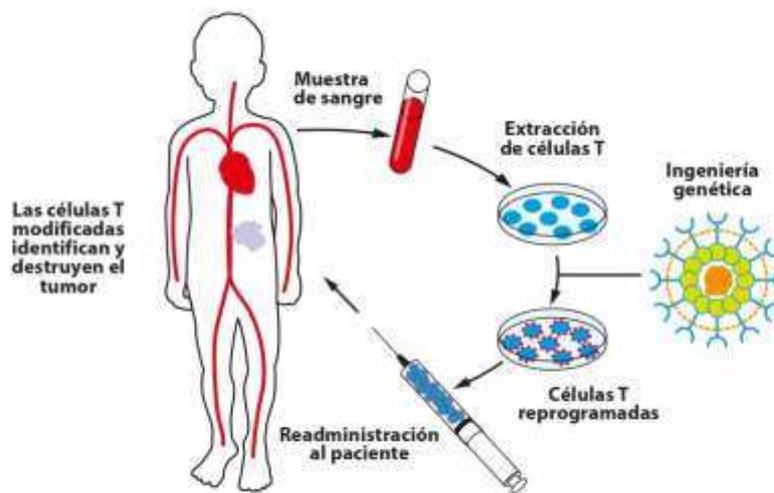
Barcelona, 25 de abril de 2019.- El Hospital Sant Joan de Déu Barcelona ha tratado con éxito el primer paciente pediátrico que ha recibido la [innovadora terapia CAR-T 19](#) bajo la cobertura del Sistema Nacional de Salud en España. Se trata de un niño de Alicante de 6 años afectado de una [leucemia linfoblástica aguda](#) que fue derivado al [Área de Oncología](#) del Hospital Sant Joan de Déu después de haber sufrido dos recaídas de la enfermedad y haber sido sometido a un trasplante de progenitores hematopoyéticos (trasplante de médula ósea). Después de haber recibido la novedosa terapia, el niño ha regresado a su ciudad y ha podido retomar sus actividades habituales.

KYMRIAH® (tisagenlecleucel) de Novartis es la primera terapia CAR-T 19 financiada por el Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social. Es un ejemplo de los nuevos medicamentos que permiten la personalización de los tratamientos oncológicos y, en este caso, del tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda, el tipo de cáncer más frecuente entre los niños. Afecta a 3-4 de cada 100.000 pequeños.

### ¿Qué es el CAR-T 19?

El CAR-T 19 es una terapia que capacita el sistema inmunitario del propio paciente para que pueda reconocer, atacar y destruir las células cancerosas de manera dirigida. Consiste en realizar al paciente una extracción de sangre mediante aféresis -una técnica que permite separar los componentes de la sangre- para obtener linfocitos T, un tipo de células de su sistema inmunitario.

Los linfocitos T extraídos al paciente son modificados en el laboratorio mediante técnicas de ingeniería genética para que expresen en su superficie el receptor CAR-T que es capaz de reconocer el antígeno tumoral CD19 que expresan las leucemias y linfomas de estirpe B y de esta manera, destruir específicamente las células cancerígenas.



Una vez modificados, los linfocitos son transferidos de nuevo al paciente.

### Experiencia en la aplicación del tratamiento

El caso presentado hoy es el primero que financia el Sistema Nacional de Salud para un paciente pediátrico, pero el Hospital Sant Joan de Déu cuenta con una amplia experiencia en la aplicación del tratamiento. Fue uno de los primeros hospitales de Europa que comenzó a trabajar con la terapia CAR-T 19 en el año 2016, el único hospital de España que participó en el ensayo clínico de registro realizado a nivel mundial por Novartis para demostrar su seguridad y efectividad, y uno de los centros que más pacientes aportó. Más del 80% de los niños que recibieron la terapia y que no habían respondido al tratamiento convencional respondieron al CAR-T 19 y el 62% de ellos continúan sin rastro de la enfermedad a los dos años del estudio.

Esta terapia ha sido aprobada por la agencia europea del medicamento, la EMA, e incluida recientemente por el Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social en su cartera de

servicios en casos muy concretos: en leucemia linfoblástica aguda (LLA) de células B refractaria, en recaída post trasplante o en segunda o posterior recaída en pacientes pediátricos y adultos jóvenes de hasta 25 años de edad, y en linfoma B difuso de célula grande (LBDCG) en recaída o refractario tras dos o más líneas de tratamiento sistémico en pacientes adultos. Estos grupos de pacientes hasta ahora no tenían otras opciones curativas. Sant Joan de Déu ha sidorecientemente acreditado por el Ministerio Sanidad para administrar esta terapia en nuestro país.

El Hospital Sant Joan de Déu Barcelona es el centro que más casos de cáncer infantil atiende en la actualidad en España (y uno de los primeros en Europa): 288 casos nuevos y 61 más por recaídas o segunda opinión en 2018. Para promover e impulsar terapias innovadoras como el CAR-T 19 que aporten una esperanza a los niños con cáncer que hoy no tienen opciones de curación, el Hospital Sant Joan de Déu está proyectando la creación del SJD Pediatric Cancer Center Barcelona, un centro de asistencia e investigación traslacional.

Fruto del trabajo llevado a cabo en los últimos años, los investigadores han comenzado a tratar niños que sufren cánceres de la retina o retinoblastomas muy agresivos con un tratamiento experimental que busca la curación evitando la pérdida del ojo. También están explorando otros tratamientos de inmunoterapia para un tipo específico de tumor cerebral incurable y llevan a cabo estudios que permiten predecir la agresividad de algunos otros tumores como el neuroblastoma (tumor sólido extra craneal más frecuente en niños) o el sarcoma de Ewing (tumor óseo). Esta información puede resultar clave para prescribir el tratamiento más idóneo en cada caso.

### **Sobre el Hospital Sant Joan de Déu**

El Hospital Sant Joan de Déu es uno de los principales referentes dentro y fuera de Catalunya en pediatría, obstetricia y ginecología, y en áreas de alta especialización como las neurociencias, la neonatología, la oncología o la cardiocirugía. El centro, que pertenece a la Orden hospitalaria de San Juan de Dios, atiende cada año más de 120.000 urgencias, 25.000 ingresos y 200.000 visitas, combinando la última tecnología con una asistencia personalizada basada en sus valores de hospitalidad y solidaridad.

#### **Más información:**

Albert Moltó / Lourdes Campuzano  
Comunicació  
Hospital Sant Joan de Déu  
T.: 93 253 21 50 / 605 695 277