

## **L'Hospital Sant Joan de Déu tracta el primer pacient pediàtric amb la teràpia CAR-T de Novartis, la primera finançada pel Sistema Nacional de Salut**

- És un nen d'Alacant de 6 anys que patia una leucèmia limfoblàstica aguda de tipus B que no responia al tractament convencional i havia patit dues recaigudes
- Després de rebre la teràpia CAR-T 19, no hi ha evidència de la malaltia i el pacient ha pogut reprendre la seva vida amb normalitat
- L'Hospital Sant Joan de Déu ja ha administrat aquesta teràpia a 16 pacients semblants en l'assaig clínic de registre promogut per Novartis
- Més del 60% dels infants participants en aquest assaig al nostre centre, que no tenien opcions de tractament potencialment eficaces, segueixen sense evidència de la malaltia, en alguns casos després de dos anys del tractament CAR-T 19
- El CAR-T 19 representa un nou paradigma en el tractament del càncer infantil que es basa en una teràpia personalitzada en la qual es redirigeix el sistema immunitari del pacient contra la seva leucèmia

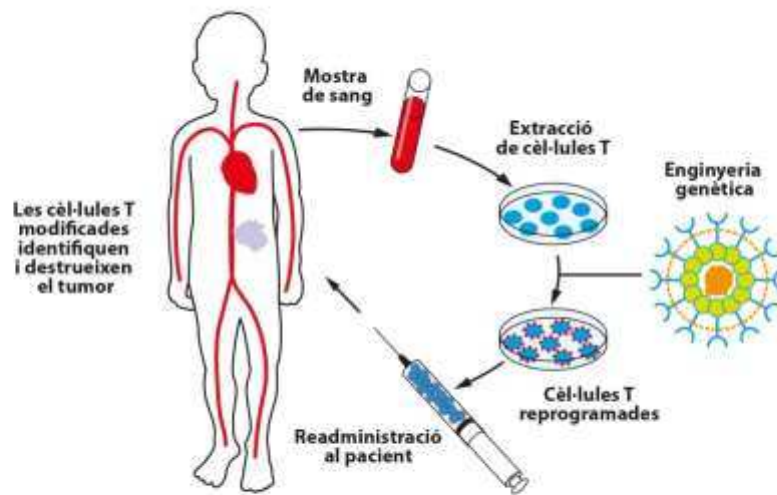
Barcelona, 25 d'abril de 2019.- L'Hospital Sant Joan de Déu Barcelona ha tractat amb èxit el primer pacient pediàtric que ha rebut la [innovadora teràpia CAR-T 19](#) sota la cobertura del Sistema Nacional de Salut a Espanya. Es tracta d'un infant d'Alacant de 6 anys afectat d'una [leucèmia limfoblàstica aguda](#) que va ser derivat a [l'Àrea d'Oncologia](#) de l'Hospital Sant Joan de Déu després d'haver patit dues recaigudes de la malaltia i haver estat sotmès a un transplantament de progenitors hematopoètics (transplantament de moll d'os). Després d'haver rebut la innovadora teràpia, el nen ha tornat a la seva ciutat i ha pogut reprendre les seves activitats habituals.

KYMRIAH® (tisagenlecleucel) de Novartis és la primera teràpia CAR-T 19 finançada pel Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social. És un exemple dels nous medicaments que permeten la personalització dels tractaments oncològics i, en aquest cas, del tractament de la leucèmia limfoblàstica aguda, el tipus de càncer més freqüent en els infants. Afecta a 3-4 de cada 100.000 nens.

## Què és el CAR-T 19?

El CAR-T 19 és una teràpia que capacita el sistema immunitari del propi pacient per què pugui reconèixer, atacar i destruir les cèl·lules canceroses de manera dirigida. Consisteix a realitzar al pacient una extracció de sang mitjançant afèresi –una tècnica que permet separar els components de la sang- per obtenir limfòcits T, un tipus de cèl·lules del seu sistema immunitari.

Els limfòcits T extrets al pacient són modificats al laboratori mitjançant tècniques d'enginyeria genètica per què expressin a la seva superfície el receptor CAR-T que és capaç de reconèixer l'antigen tumoral CD19 que expressen les leucèmies i limfomes d'estirp B i d'aquesta manera, destruir específicament les cèl·lules cancerígenes.



Un cop modificats, els limfòcits són transferits de nou al pacient.

## Experiència en l'aplicació del tractament

El cas presentat avui és el primer que finança el Sistema Nacional de Salut per a un pacient pediàtric, però l'Hospital Sant Joan de Déu té una ampla experiència en l'aplicació del tractament. Va ser un dels primers hospitals d'Europa que va començar a treballar amb la teràpia CART-19 l'any 2016, l'únic hospital d'Espanya que va participar en l'assaig clínic realitzat a nivell mundial per Novartis per demostrar la seva seguretat i efectivitat, i un dels centres que més pacients va aportar. Més del 80% dels infants que van rebre la teràpia i que no havien respost al tractament convencional van respondre al CAR-T 19 i el 62% d'ells continuen sense rastre de la malaltia als dos anys de l'estudi.

Aquesta teràpia ha estat aprovada per l'agència europea del Medicament, l'EMA, e inclosa recentment pel Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social en la seva cartera de serveis en casos molt concrets: en leucèmia limfoblàstica aguda (LLA) de cèl·lules B refractària, en recaiguda post transplantament o en segona o posterior recaiguda en pacients pediàtrics i adults joves de fins a 25 anys d'edat, i en limfoma B difús de cèl·lula gran (LBCG) en recaiguda o refractari després de dues o més línies de tractament sistèmic en pacients adults. Fins ara, aquests grups de pacients no tenien altres opcions curatives. Sant Joan de Déu és un dels centres que recentment ha estat acreditat pel Ministerio de Sanidad per administrar aquesta teràpia al nostre país.

L'Hospital Sant Joan de Déu Barcelona és el centre que més casos de càncer infantil atén actualment a Espanya (i un dels primers a Europa): 288 casos nous i 61 més per recaigudes o segona opinió al 2018. Per promoure i impulsar teràpies innovadores com el CAR-T 19 que aportin una esperança als infants amb càncer que avui no tenen opcions de curació, l'Hospital Sant Joan de Déu està projectant la creació de l'SJD Pediatric Cancer Center Barcelona, un centre d'assistència i investigació traslacional.

Fruit del treball dut a terme en els darrers anys, els investigadors han començat a tractar infants que pateixen càncers de la retina o retinoblastomes molt agressives amb un tractament experimental que busca la curació evitant la pèrdua de l'ull. També estan explorant altres tractaments de immunoteràpia per a un tipus específic de tumor cerebral inguarible i duen a terme estudis que permeten predir l'agressivitat d'altres tumors com el neuroblastoma (tumor sòlid extra cranial més freqüent en infants) o el sarcoma d'Ewing (tumor ossi). Aquesta informació pot resultar clau per prescriure el tractament més idoni en cada cas.

### **Sobre l'Hospital Sant Joan de Déu**

L'Hospital Sant Joan de Déu és un dels principals referents dins i fora de Catalunya en pediatria, obstetrícia i ginecologia, i en àrees d'alta especialització com les neurociències, la neonatologia, l'oncologia o la cardiocirurgia. El centre, que pertany a l'Orde Hospitalari de Sant Joan de Déu atén cada any més de 120.000 urgències, 25.000 ingressos i 200.000 visites, combinant la darrera tecnologia amb una assistència personalitzada basada en els seus valors d'hospitalitat i solidaritat.

#### **Més informació:**

Albert Moltó / Lourdes Campuzano

Comunicació

Hospital Sant Joan de Déu Núria/Silvia

T.: 93 253 21 50 / 605 695 277