

# Terapia CAR T, un horizonte de esperanza para pacientes con mieloma múltiple sin opciones

Según los resultados de un estudio internacional fase II, liderado por el Dr. Jesús San Miguel, el 73% de los pacientes respondieron alcanzando un 33% de remisiones completas en enfermos que habían fracasado a opciones previas de tratamiento

**CUN** ■ El mieloma múltiple es el segundo cáncer hematológico (de la sangre) más frecuente. Es, en concreto, un cáncer de las células plasmáticas, situadas en la médula ósea, cuyo papel es fundamental en el sistema inmunitario. A pesar de los importantes avances experimentados en el tratamiento del mieloma múltiple, “la mayoría de los pacientes siguen recayendo de la enfermedad y terminan siendo refractarios (resistentes) a los fármacos más importantes disponibles hasta la fecha, como son los inhibidores de la proteasa, los inmunomoduladores y los anticuerpos monoclonales”, describe el Dr. San Miguel, hematólogo y director médico de la Clínica y de Medicina Clínica y Traslacional de la Universidad de Navarra.

Un nuevo tratamiento con células CAR T ha ofrecido respuestas positivas en un 73%



Dr. Jesús San Miguel, director médico de la Clínica Universidad de Navarra y de Medicina Clínica y Traslacional de la Universidad de Navarra.

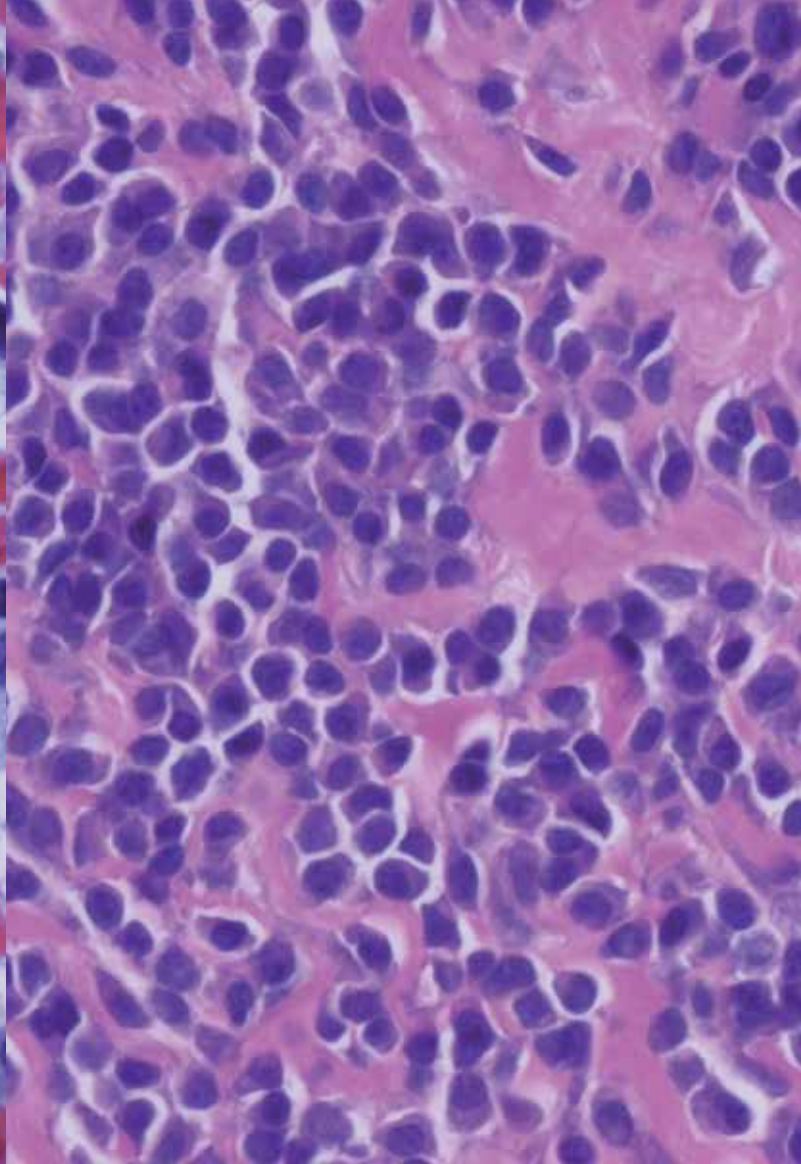
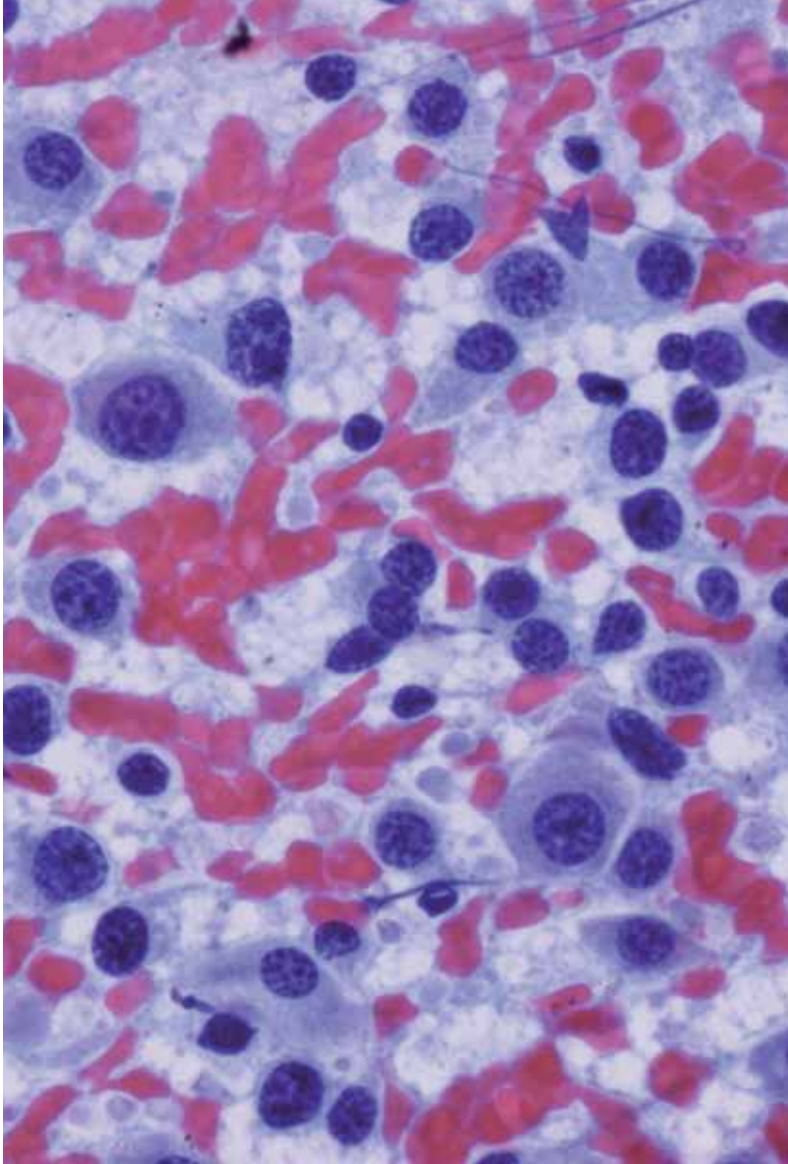
de pacientes con mieloma múltiple avanzado en recaída (recidivante) y resistente a otros tratamientos previos. Son las conclusiones del ensayo clínico fase II en el que se ha estudiado a 128 pacientes con mieloma múltiple tratados con terapia CAR-T, el mayor

Las conclusiones se han publicado en *The New England Journal of Medicine*, la revista internacional de mayor impacto en medicina.

número evaluado en el mundo hasta la fecha. Entre los datos obtenidos, destaca el de las remisiones completas de la enfermedad, conseguidas en un 33% de los pacientes.

Los resultados de la investigación liderada como investigador senior por el Dr. Jesús San Miguel se han publicado en *The New England Journal of Medicine*, la revista internacional de mayor impacto especializada en medicina. Se trata del décimo artículo que publica el Dr. Jesús San Miguel en *The New England Journal of Medicine*, en la mitad de ellos como primer o último (senior) autor.

**NUEVA TERAPIA.** La terapia con CAR T consiste en la modificación genética, en el laboratorio, de los linfocitos T (una de las principales células del sistema inmune), para que sean capaces de reconocer y



destruir las células tumorales. Este tipo de terapia “ha supuesto una revolución en el tratamiento de las leucemias linfoblásticas y de los linfomas”, apunta el investigador.

El ensayo clínico cuyos resultados acaban de publicarse se basa en la capacidad de estas nuevas células CAR T de reconocer el antígeno BCMA, presente en las células tumorales del mieloma múltiple. Este nuevo tipo de células CAR T, específicas para el tratamiento de esta enfermedad maligna, se denominan idecabtagene vicleucel (ide-cel).

**RESULTADOS POSITIVOS.** En total, han sido 128 los pacientes que recibieron tratamiento con ide-cel a dosis crecientes. Los enfermos participantes en el ensayo clínico eran refractarios (resistentes) a todos los tratamientos previos (una mediana de 6 líneas previas

antimieloma de entre 3 y 16) y presentaban una enfermedad de elevada agresividad.

El 73% de los pacientes del estudio presentaron respuestas objetivas, con un 33% de remisiones completas. La supervivencia libre de progresión de la enfermedad fue de 12 meses con la dosis óptima de  $450 \times 10^6$  de células CAR T y de 20 meses en aquellos

#### LA CIFRA

# 128

Se trata del ensayo clínico con mayor número de **pacientes tratados** con terapia CAR T, con un total de 128 enfermos incluidos con mieloma múltiple en recaída y resistente a otros tratamientos.

enfermos que lograron una remisión completa de la enfermedad.

Según describen los investigadores, la toxicidad más relevante fue la presencia de citopenias (menor número de células sanguíneas), unida al síndrome de liberación de citoquinas (reacción inmunitaria grave), si bien en la mayoría de los casos fue de carácter leve (grado 1-2), lo mismo que la neurotoxicidad, ambas fácilmente controlables. “Ha sido muy destacable la excelente calidad de vida que manifestaron los pacientes respondedores”, subraya el Dr. San Miguel.

A la vista de las conclusiones obtenidas, se puede decir que este ensayo “abre las puertas a una nueva opción terapéutica en pacientes que no tendrían otras posibilidades de tratamiento”, apuesta el investigador. Basándonos en

los resultados, “es esperable que la FDA (Agencia del Medicamento de Estados Unidos) apruebe el uso de este fármaco de forma inminente”.

El Dr. San Miguel anunció además que, a día de hoy “ya estamos participando en ensayos clínicos con distintos CAR T en fases mucho más precoces de la enfermedad, por lo que es esperable que su eficacia aumente también de forma importante”.



#### REFERENCIA

Artículo original. *Idecabtagene Vicleucel in Relapsed and Refractory Multiple Myeloma*.

# Esta publicación cuenta con la colaboración de:

---



Montiel  
JOYERO

**Montiel Joyero**

---



E N E K ● R R I

**Enekorri**

---



SEGUROS DE SALUD  
**ACUNSA**  
CLÍNICA UNIVERSIDAD  
DE NAVARRA

**Acunsa**

---



  
SmartBank

**Banco Santander**

---



bidea  
2

**Bidea 2**

---



MELIÀ  
AVENIDA AMÉRICA  
MADRID

**Melia Avenida América**



Clinica  
Universidad  
de Navarra