

Título del Proyecto:

TRATAMIENTO COMBINADO DE PRECISIÓN PARA TUMORES SÓLIDOS INFANTILES

Resumen del proyecto:

Los **tumores infantiles** que recaen o se vuelven refractarios al **tratamiento** son la **causa** más común de **muerte** por enfermedad a esta edad. El **tratamiento** actual utiliza **fármacos** descubiertos hace más de 40 años. Son **necesarias** nuevas **estrategias** para mejorar las cifras de **supervivencia** y **disminuir** la carga de toxicidades a largo plazo.

Para **curar más niños con cáncer** es esencial **desarrollar nuevos fármacos** basados en el conocimiento profundo de sus mecanismos de acción, junto con una **evaluación** muy extensa en el **laboratorio** en modelos específicamente **pediátricos**, que después lleve a ensayos clínicos en la **población infantil** para determinar la **dosis**, optimizar su mejor uso (ya sea como tratamiento único o más probablemente, como componente de una combinación de diversos fármacos), y seleccionar los pacientes de acuerdo a las características biológicas de sus propios tumores: en resumen, la **medicina de precisión en Oncología Pediátrica**.

Las **estrategias de investigación** explotan mecanismos de acción diferentes que queremos combinar para **generar medicamentos** para el **tratamiento individualizado y personalizado de niños con tumores avanzados**.

Nuestra propuesta consiste en **recabar información genética individual** de cada tumor de cada paciente mediante técnicas de secuenciación de última generación para:

- Identificar las mutaciones para las que existan **tratamientos dirigidos**. Para ello secuenciaremos el “mutanoma” a partir de las células tumorales.
- **Conocer** los **mecanismos de resistencia** desarrollados por el microambiente tumoral. Para ellos secuenciaremos el “transcriptoma” a partir de las células tumorales y células no tumorales que infiltran el tumor.
- **Encontrar** elementos de reconocimiento tumoral específicos. Para ello secuenciaremos el receptor de reconocimiento antigénico (BCR) de los linfocitos B que infiltran el tumor.

Todo ello es posible **gracias a tecnologías** de separación celular, secuenciación de última generación y análisis bioinformático. Con toda la información obtenida **fabricaremos** nanomedicamentos.

El **proyecto** está en una fase de prueba de concepto preclínico, necesaria para demostrar su factibilidad técnica y su impacto en términos de toxicidad, seguridad y eficacia. De confirmar satisfactoriamente estos aspectos fundamentales, estaremos en disposición de **diseñar una estrategia terapéutica novedosa y avanzada** para su **aplicación** en **niños con tumores avanzados** en el contexto de un ensayo clínico. Queremos señalar que dado que la especialidad de este equipo de investigación es la **Oncología Pediátrica**, nuestro proyecto se enfoca a **tumores infantiles**. Sin embargo, los resultados del mismo pueden tener impacto en el cáncer de adultos, los principios en los que se basa la propuesta pueden generalizarse también a ese tipo de pacientes.