



**EL GRUPO PETHEMA CELEBRA SU 50 ANIVERSARIO CON UN TRABAJO QUE SE TRADUCE EN AÑOS DE VIDA PARA PACIENTES CON ENFERMEDADES MALIGNAS DE LA SANGRE**

## **PETHEMA logra una mejora del pronóstico y posibilidades de curación en la mayoría de cánceres de la sangre**

- **Más de 5.000 pacientes han participado en los ensayos clínicos de mieloma múltiple del grupo PETHEMA**
- **La Fundación PETHEMA apoya el trabajo del grupo y es el primer promotor no comercial y naturaleza no institucional en Medicina en España y el 147º en Europa entre un total de 6.088 instituciones (EU Trials Trackers)**
- **El nacimiento de la Fundación bajo el paraguas de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia supuso un antes y un después en la investigación en Hematología en España pues creó la estructura necesaria para permitir el desarrollo de ensayos clínicos que han arrojado estándares terapéuticos mundiales**
- **PETHEMA afronta su futuro con ensayos clínicos que auguran la curación del mieloma múltiple, avances muy esperanzadores en el tratamiento de la leucemia aguda linfoblástica y, en general, una mejora del pronóstico y las posibilidades de curación en la mayoría de los cánceres de la sangre**

**27 de junio.-** 71 hospitales españoles y casi 500 pacientes abarca el ensayo clínico más ambicioso en Hematología desarrollado en España en mieloma múltiple hasta el momento. Es el GEM21menos65 y lo ha puesto en marcha el grupo PETHEMA, red de investigación cooperativa sustentada por la Fundación PETHEMA. La posibilidad de desarrollar un ensayo de estas dimensiones en mieloma múltiple era solo un sueño hace 50 años. Un grupo de especialistas soñó a lo grande y, bajo el paraguas de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia, creó el grupo PETHEMA que con su Fundación vino a apoyar a los investigadores españoles en este campo con el objetivo de situarse en el primer nivel mundial en investigación de las enfermedades de la sangre. Así nació el grupo PETHEMA, hoy una realidad que involucra a todos los centros sanitarios españoles en los que hay un especialista clínico en Hematología.

Su trabajo se traduce en años de vida para las personas que padecen mieloma múltiple, leucemia aguda mieloblástica, leucemia aguda linfoblástica y leucemia linfática crónica y otras enfermedades integradas en grupos emergentes que comienzan ahora a desarrollar su labor de investigación dentro del grupo PETHEMA. Estos días se han reunido en Zaragoza para actualizar conocimientos, han puesto al día los datos de los 65 ensayos clínicos, protocolos de tratamiento, guías clínicas y registros de pacientes que están en marcha, seis de ellos a punto de iniciarse. A éstos se suman 106 estudios biológicos y observacionales.

Como subraya el secretario científico del Consejo Rector de PETHEMA y coordinador del Grupo Español de Leucemia Aguda Mieloblástica (LMA-PETHEMA), el doctor Pau Montesinos, “este grupo científico es un fenómeno atípico y sobresaliente en la investigación y en la asistencia para los

pacientes hematológicos”. “Es la prueba de que con la voluntad y pasión de todos los que formamos parte de este grupo, se puede desarrollar una red cooperativa académica que abarque a prácticamente todos los hospitales de España”, señala.

El doctor Juan José Lahuerta, uno de los creador de la Fundación PETHEMA y co-coordinador del Grupo Español de Mieloma (GEM-PETHEMA), destaca la importancia que para el avance de la investigación en Hematología ha tenido el grupo PETHEMA y su Fundación en estos 50 años de vida: “La Fundación PETHEMA surgió con el único propósito de apoyar la logística de la investigación entre los miembros del grupo PETHEMA. Hasta que la Fundación no estuvo desarrollada y llegó a cubrir todas las funciones que tiene, los grupos cooperativos que componían PETHEMA no podían realizar ensayos clínicos. Podían hacer estudios observacionales o retrospectivos, podían hacer investigación pero no de la calidad necesaria para influir en el manejo de las enfermedades”.

“La Fundación se creó en 1995. Los primeros años fueron muy tormentosos porque no sabíamos cómo conseguir dinero, cómo presupuestar, qué se necesitaba para hacer un ensayo clínico, no conocíamos el trasfondo legal... Así que empezamos con ensayos clínicos muy rudimentarios y lo pasamos mal, pero poco a poco hemos ido creciendo. El primer gran estudio que se hizo en PETHEMA fue el protocolo observacional Mieloma 2000, y ya en 2005 desarrollamos el primer ensayo clínico Fase III, que es el máximo nivel de calidad y de demostración de la evidencia clínica en la escala de los ensayos clínicos”, destaca el doctor.

“En estos momentos, la Fundación PETHEMA soporta toda la estructura, que incluye el transporte, suministro y conservación de fármacos, transporte de muestras, financiación de laboratorios, relación con la Agencia Española del Medicamento, etc; un entorno muy complejo que no podíamos ni imaginar en los inicios”, relata el doctor. “Afortunadamente, salió bien y es un instrumento único en la SEHH. En España, hay muy pocas organizaciones como la nuestra capaces de soportar grupos cooperativos que hagan investigación de primer nivel”, asegura el doctor Lahuerta.

La presidenta de la SEHH, la doctora Mariví Mateos, a su vez co-coordinadora de GEM-PETHEMA, también pone de relieve su labor: “PETHEMA ha realizado aportaciones muy relevantes en investigación en Hematología que han supuesto acercar la innovación a los pacientes españoles así como contribuir a generar conocimiento y evidencia científica a través de sus trabajos de investigación”.

### **LOS PACIENTES, PRIORIDAD MÁXIMA**

“Los pacientes son la piedra angular, imprescindibles por su implicación y confianza, y son el motivo de la existencia de PETHEMA. La investigación avanzada en las enfermedades hematológicas malignas es difícil y compleja, requiere de un gran trabajo, constancia, cooperación e imaginación para poder avanzar y mejorar”. Así de claro lo expresa el doctor Montesinos. Su colega, el doctor Lahuerta aporta una perspectiva de esta importancia: “Cuando empezamos, en el registro español de trasplantes autólogo en mieloma múltiple, la mediana de supervivencia libre de progresión pasó de 15 a 35 meses. Con el ensayo GEM05, la supervivencia superó los 80 meses de mediana y con el último estudio (GEM21menos65) esperamos que ya haya pacientes curados de la enfermedad”.

“Los pacientes son nuestro objetivo, y la mejoría del pronóstico y la curación, si es posible, es nuestro sueño”, concluye Lahuerta, que augura un futuro “muy esperanzador porque los avances de los últimos años han más que triplicado la supervivencia, han ofrecido la cura a algunos enfermos, han establecido mejoras en los tratamientos de rescate cuando un paciente ha recaído; no como

antes, cuando la progresión inicial era el fin. Ahora, hay varias líneas de tratamiento con medicamentos experimentales que son accesibles a los pacientes a través precisamente de los ensayos clínicos que desarrollamos”.

El doctor Montesinos en la misma línea, indica: “Estamos logrando entre todos mejorar el pronóstico y las posibilidades de curación en la mayoría de los cánceres de la sangre. El panorama es radicalmente diferente ahora comparado con 10 años atrás, y seguramente cambie mucho todavía en la siguiente década”.

Igualmente, el doctor Josep María Ribera, coordinador del Grupo Español de Leucemia Aguda Linfoblástica (LAL-PETHEMA), aseguraba en el encuentro celebrado estos días que, en esta enfermedad, “los avances en el tratamiento son impresionantes y el futuro es muy esperanzador. El mensaje para los pacientes es optimista”. Para dimensionar la influencia e importancia del trabajo que desarrolla LAL-PETHEMA, hay que considerar que el último protocolo elaborado para el tratamiento de la enfermedad (LAL-19) está implantado en 85 hospitales de toda España.

## **ANEXO INFORMATIVO:**

### **Hitos de GEM PETHEMA:**

- A partir de la Fundación PETHEMA: Creación de una plataforma para ensayos clínicos biológicos avanzados. Centralización de los datos bajo los estándares de FDA y EMEA. Apoyo logístico y legal desde la Fundación Pethema.
- Invención de la biopsia líquida: menos invasiva y más integral.
- Creación del Protocolo Mieloma Múltiple 2000 para el abordaje de la enfermedad en menores de 70 años.
- GEM05menos65: primer ensayo clínico en Fase III que abordó GEM-PETHEMA.
- GEM12menos65: más de 80 meses de supervivencia libre de progresión reportados en dicho estudio con VRD, el GEM12 ofrece el mejor resultado obtenido hasta la fecha en el tratamiento del mieloma múltiple a nivel mundial.
- GEM21menos65: actualmente en periodo de reclutamiento, el objetivo es incluir hasta 486 pacientes en el ensayo más ambicioso abordado por este grupo de investigación cooperativa hasta la fecha. Se trata de un ensayo clínico de fase III abierto y aleatorizado que plantea un innovador abordaje del tratamiento de los pacientes con Mieloma Múltiple de reciente diagnóstico con 65 años o menos que son candidatos a trasplante de progenitores hematopoyéticos.
- GEM-PETHEMA ha desarrollado hasta la fecha 25 ensayos clínicos y ha incluido a 5.531 pacientes en todos sus estudios.
- Globalmente con mas de 160 publicaciones internacionales, casi todas ellas en el 1er cuartil, y centenares de comunicaciones en congresos internacionales, el H-index del GEM en marzo de 2023 era de 63, con mas de 20.000 citas bibliográfica reconocidas (*Web of Science*).
- GEM/PETHEMA ha desarrollado mas de 25 proyectos de investigación financiados por agencias nacionales e internacionales obtenido en convocatorias abiertas competitivas.

### **Hitos de LAL-PETHEMA:**

- Adecuación del TPH en primera línea en función de la enfermedad residual.
- Aplicación con éxito de protocolos de inspiración pediátrica a adultos con LAL.
- Incorporación de rituximab al tratamiento de la Leucemia tipo Burkitt.
- Estudio pivotal de la incorporación de imatinib al tratamiento de primera línea de la LAL Ph+.
- Acuerdo con el grupo SEHOP para tratamiento único de la LAL infantil en España.
- Demostración de la equidad de resultados del tratamiento de la LAL en los diferentes hospitales de España.

#### **Hitos de LMA-PETHEMA:**

- Establecer protocolos asistenciales con terapia dirigida en la LPA, considerados aún un estándar terapéutico.
- Aplicación con éxito de protocolos de tratamiento dirigido al riesgo en la LMA, desde los años 2000.
- Incorporación de forma ordenada y consensuada de nuevos agentes para los protocolos asistenciales en la LMA, permitiendo una atención homogénea y de calidad a los pacientes.
- Ensayos clínicos fase 1-4 desde 2010, dando acceso a terapias innovadoras a más de 1.000 pacientes con LMA.
- Establecer una plataforma diagnóstica centralizada que garantiza el acceso al diagnóstico molecular avanzado y a las terapias dirigidas para todos los centros de España.
- Colaboraciones internacionales en protocolos con otros grupos europeos, e integración en la última década de diversos grupos de LMA en el grupo (Colombia, Chile, Portugal).
- Establecer un registro epidemiológico que a fecha de hoy incorpora 23.000 pacientes con LMA/LPA, siendo de los más relevantes a nivel mundial.
- Actualmente en el registro PETHEMA LMA/LPA participan 246 instituciones de España, Portugal, Chile, Colombia, Argentina, Francia, Polonia, República Checa y Uruguay.

#### **Sobre el Programa Español de Tratamientos en Hematología (PETHEMA)**

PETHEMA es un grupo cooperativo de investigación académica independiente adscrito a la SEHH con 50 años de vida, creado para impulsar proyectos de investigación en Hematología y Hemoterapia. Está constituido por hematólogos clínicos principalmente de la red de hospitales del sistema sanitario público español pero también de algunos centros privados, hospitales europeos y latinoamericanos apoyados por centros de referencia para determinaciones analíticas complejas y donde se llevan a cabo estudios biológicos avanzados asociados a los desarrollos clínicos. La Fundación PETHEMA se creó con el objetivo de obtener y canalizar recursos para soportar la compleja gestión clínica, biológica, administrativa y financiera de las actividades de investigación desarrolladas por los diferentes Grupos Cooperativos de PETHEMA. **La Fundación PETHEMA es el primer promotor no comercial y naturaleza no institucional en Medicina en España y el 147º en Europa entre un total de 6.088 instituciones (EU Trials Trackers).**

<https://www.fundacionpethema.es/>

[LinkedIn](#) | [Twitter](#) | [Instagram](#) | [Facebook](#)

**MÁS INFORMACIÓN: Marea GlobalCOM. Maite Perea: 627575251 // Isabel Gutiérrez Jerez: 696223862**