



**SU TRABAJO SE TRADUCE EN AÑOS DE VIDA PARA LOS PACIENTES**

## **GEM/PETHEMA lidera la investigación en Mieloma Múltiple con una puerta abierta a la cura de la enfermedad**

- **Más de 5.000 pacientes con Mieloma Múltiple incluidos en los ensayos clínicos desarrollados por el Grupo Español de Mieloma (GEM) y coordinados por la Fundación PETHEMA (Programa Español de Tratamientos en Hematología) se han beneficiado del acceso a las sucesivas generaciones de nuevos fármacos que han mejorado drásticamente el pronóstico de la enfermedad, contribuyendo a consolidar nuevos y esperanzadores estándares terapéuticos en la enfermedad**
- **La Fundación PETHEMA, que apoya el trabajo del GEM es el primer promotor no comercial de naturaleza no institucional en Medicina en España y el 147º en Europa entre un total de 6.088 instituciones (EU Trials Trackers)**
- **GEM/PETHEMA conmemora el Día Mundial del Mieloma Múltiple (5 de septiembre) aportando su contribución con ensayos clínicos que auguran la curación**

**Madrid, 4 de septiembre de 2023.**- 70 hospitales españoles y casi 500 pacientes es el objetivo del ensayo clínico más ambicioso en Hematología desarrollado en España en mieloma múltiple hasta la fecha. Lo está desarrollando el grupo GEM-PETHEMA, red de investigación cooperativa sustentada por la Fundación del mismo nombre, bajo el paraguas de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH). La posibilidad de protagonizar un ensayo en mieloma múltiple de estas dimensiones hace 50 años era solo un sueño. Un grupo de especialistas soñó a lo grande y hoy es una realidad. Este 5 de septiembre, **Día Mundial del Mieloma Múltiple**, GEM-PETHEMA recuerda que España está en el top mundial de investigación en esta enfermedad y que trabaja por su curación.

La investigación puntera que desarrolla el Grupo Español de Mieloma se traduce en años de vida. Para la presidenta de la SEHH, la doctora María Victoria Mateos, también co-coordinadora del GEM, “nuestro grupo cooperativo ha realizado aportaciones muy relevantes en investigación en Hematología que han supuesto acercar la innovación a los pacientes españoles y contribuir a generar conocimiento y evidencia científica, tanto clínica como biológica, a través de sus trabajos de investigación”.

El doctor Juan José Lahuerta, uno de los creadores de la Fundación PETHEMA y co-coordinador de GEM-PETHEMA junto con los doctores Jesús San Miguel, Joan Bladé y María Victoria Mateos, recuerda los inicios: “El primer gran estudio GEM, en pacientes con Mieloma Múltiple de Nuevo Diagnóstico (MMND) fue el protocolo observacional Mieloma 2000. En 2005 logramos iniciar nuestro primer ensayo clínico Fase III”. “Cuando empezamos, finales de los años 90, en los pacientes incluidos en el Registro Español de Trasplante Autólogo en Mieloma Múltiple la mediana de supervivencia libre de progresión (SLP) se había incrementado de 15 a 35 meses. Con el ensayo

GEM12menos65, la SLP ha superado los 80 meses de mediana y tenemos la esperanza de acercarnos a la curación en los pacientes incluidos en nuestro más reciente ensayo clínico fase III”, subraya.

GEM21menos65 sucede al Fase III GEM12menos65, ensayo clínico cuyos resultados, -aún pendientes de una nueva evaluación con mayor seguimiento-, se dieron a conocer en 2022 en la Sesión Plenaria del 19 Congreso de la *International Myeloma Society*. GEM12menos65, que incluyó pacientes con mieloma múltiple de nuevo diagnóstico (MMND) tratados con VRD (bortezomib, lenalidomida y dexametasona) antes y después de un autotrasplante con melfalán o busulfán, seguido de mantenimiento dentro del ensayo clínico Fase III GEM2014MAIN, que comparó lenalidomida-dexametasona vs. lenalidomida-dexametasona-ixazomib (*Rosiñol L et al. Blood 2023*) ha logrado una Supervivencia Libre de Progresión (SLP) de 80’8 meses, la mejor nunca reportada, superando los 67,5 meses que constituían la anterior mejor referencia (*Richardson PD et al. NEJM 2022*). “Esperamos ofrecer resultados consolidados en los próximos meses”, afirma Lahuerta.

GEM21menos65, con 62 centros activos (70 previstos) y 173 pacientes incluidos (480 programados) compara el tratamiento combinado de VRD extendido hasta 18 ciclos unido a una estrategia de intervención temprana de rescate frente a Isatuximab-VRD y frente a Isatuximab-V-iberdomida en pacientes con 65 años o menos con MMND candidatos a trasplante autólogo de progenitores hematopoyéticos (TASPE).

#### **ENSAYOS GEM-PETHEMA CON RECLUTAMIENTO ABIERTO**

GEM-PETHEMA mantiene otros cuatro ensayos clínicos en fase de reclutamiento: GEM-IBERDARAX, GEM-BELMA, GEM-RANTAB y GEM-TECTAL. El primero, un ensayo fase II con 140 pacientes (41 reclutados a día de hoy), se desarrolla en 16 centros. Su objetivo es evaluar iberdomida-dexametasona sola o combinados con regímenes de tratamiento estándar de mieloma múltiple en pacientes MMND no candidatos a trasplante.

GEM-BELMA es un estudio fase I/II, abierto y multicéntrico que analiza el tratamiento de pacientes con Mieloma Múltiple en recaída y refractario a lenalidomida con belantamab mafodotin en combinación con carfilzomib y dexametasona. En la fase de preinclusión (fase I) se persigue determinar la dosis máxima tolerada y la dosis recomendada. En la fase II el objetivo es evaluar la eficacia en cuanto a tasa de respuestas completas y tasas de enfermedad mínima residual negativa después de 12 meses de tratamiento junto con la seguridad y tolerabilidad de la combinación. Este ensayo prevé incluir 60 pacientes en 15 centros españoles.

GEM-RANTAB es un estudio abierto, multicéntrico, de fase II de Elranatamab como agente único para el tratamiento del mieloma en recaída o refractario en pacientes previamente expuestos a tres clases de fármacos. Este ensayo prevé incluir 50 pacientes en 15 centros españoles.

Por último, también está abierto a reclutamiento el GEM-TECTAL, estudio piloto fase II, abierto y multicéntrico para evaluar la intervención temprana con anticuerpos biespecíficos redireccionadores de células T (teclistamab y talquetamab) en el tratamiento de primera línea del mieloma múltiple de alto riesgo de nuevo diagnóstico. Con un objetivo de 30 pacientes y la participación prevista de 10 centros.

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.

PETHEMA 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.

### **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: “Los pacientes son nuestro objetivo, y la mejoría del pronóstico y la curación, si es posible, es nuestro sueño, el de mis compañeros en la coordinación del GEM, los doctores San Miguel, Bladé y Mateos, así como de los más de 200 investigadores clínicos y biológicos que constituyen el GEM y que me gustaría nombrar uno a uno”. Lahuerta 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 y han aumentado la eficacia de los tratamientos de rescate, cambiando radicalmente la anterior, cuando la progresión inicial era el fin. Ahora, hay nuevas líneas de tratamiento con medicamentos experimentales accesibles a los pacientes a través, precisamente, de los ensayos clínicos que desarrollamos, repertorio que se amplía con nuevos ensayos clínicos desarrollados por otros actores científicos en los que ahora nuestros investigadores son invitados a participar”.

### **ANEXO INFORMATIVO:**

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

- A partir de la Fundación PETHEMA: creación de una plataforma para ensayos clínicos y estudios biológicos avanzados, centralización de datos bajo los estándares de FDA y EMA. Apoyo logístico, operacional y legal.
- **Biopsia líquida:** menos invasiva y más integral.
- Creación del Protocolo Mieloma Múltiple 2000 en menores de 70 años.
- GEM05menos65: primer ensayo clínico en Fase III de GEM-PETHEMA.
- GEM05mas65 para pacientes no candidatos a trasplante
- GEM12menos65 y GEM2014MAIN: más de 80 meses de supervivencia libre de progresión, ofrece el mejor resultado obtenido hasta la fecha en mieloma múltiple.
- GEM21menos65: en periodo de reclutamiento, el objetivo es incluir hasta 480 pacientes en el ensayo más ambicioso abordado por este grupo de investigación cooperativa hasta la fecha.
- 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.

### **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