



# Translational Research in Pediatric Oncology, Hematopoietic Transplantation and Cell Therapy Group

Publications: 7

Impact Factor: 47.<sup>918</sup>

Q1: 5



## Research Activity

### Doctoral theses

**Bueno Sánchez D.** Inmunoterapia en sarcomas pediátricos: Combinación de la terapia con células Natural Killer activadas y expandidas, y el anticuerpo anti-CXCR4 MDX1338 [dissertation]. Madrid: UAM; 2019[07/06/2019].

Directors: Pérez Martínez A,  
Vela Cuenca M.

### Publications

Fernández L, Fernández A, Mirones I, Escudero A, Cardoso L, Vela M, Lanzarot D, de Paz R, Leivas A, Gallardo M, Marcos A, Romero AB, Martínez-López J, Pérez-Martínez A. GMP-compliant manufac-

- ring of NKG2D CAR memory T cells using CliniMACS prodigy. *Front Immunol.* 2019; 10: 2361. Article. IF: 5.085; Q1
- García-Gómez S, Chaparro R, Safa A, Van den Rym A, Martínez-Barricarte R, Lorenzo L, Sánchez-Ramon S, Toledoano V, Cubillos-Zapata C, López-Collazo E, Martín-Arranz MD, Martín-Arranz E, Vela M, González-Navarro P, Pérez-Martínez A, Casanova JL, Recio MJ, de Diego RP. Double-strand break repair through homologous recombination in autosomal-recessive BCL10 deficiency. *J Allergy Clin Immun.* 2019; 143(5): 1931-4. Letter. IF: 10.228; D1
- González-García S, Mosquera M, Fuentes P, Palumbo T, Escudero A, Pérez-Martínez A, Ramírez M, Corcoran AE, Toribio ML. IL-7R is essential for leukemia-initiating cell activity of T-cell acute lymphoblastic leukemia. *Blood.* 2019; 134(24): 2171-82. Article. IF: 17.543; D1
- Méndez-Echevarría A, González-Granado LI, Alende LM, de Felipe B, Teresa D, Calvo C, Pérez-Martínez A, Raquel RG, Neth O. Fatal pneumocystis jirovecii and cytomegalovirus infections in an infant with normal TREC counts pitfalls of newborn screening for severe combined immunodeficiency. *Pediatr Infect Dis J.* 2019; 38(2): 157-60. Article. IF: 2.126; Q2
- Molina B, Vicent MG, Herrero B, Deltoro N, Ruiz J, Martínez AP, Díaz MA. Kinetics and risk factors of relapse after allogeneic stem cell transplantation in children with leukemia: A long-term follow-up single-center study. *Biol Blood Marrow Tr.* 2019; 25(1): 100-6. Article. IF: 3.853; Q2
- Vela M, Bueno D, González-Navarro P, Brito A, Fernández L, Escudero A, Valentín J, Mestre-Durán C, Arranz-Álvarez M, de Diego RP, Mendiola M, Pozo-Kreilinger JJ, Pérez-Martínez A. Anti-CXCR4 antibody combined with activated and expanded natural killer cells for sarcoma immunotherapy. *Front Immunol.* 2019; 10: 1814. Article. IF: 5.085; Q1
- Vela M, del Rosal T, Pérez-Martínez A, Valentín J, Casas I, Pozo F, Reinoso-Barbero F, Bueno D, Corral D, Méndez-Echevarría A, Mozo Y, Calvo C. Possible role of highly activated mucosal NK cells against viral respiratory infections in children undergoing haematopoietic stem cell transplantation. *Sci Rep-UK.* 2019; 9: 18792. Article. IF: 3.998; Q1



## Research projects

**Escudero López A.** Identificación de biomarcadores genéticos que ayuden a predecir la evolución del trasplante de progenitores hematopoyéticos en edad pediátrica [PI17/01921]. ISCIII. 2018-2020.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Infusión de células natural killer aloreactivas o estimuladas post trasplante haploidentífico de progenitores hematopoyéticos en pacientes pediátricos con neoplasias hematológicas (PHINK) [PI18/01301]. ISCIII. 2019-2021.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Contrato de garantía juvenil técnico de laboratorio [PEJ16/MED/TL-0713]. CM. 2017-2019.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Contrato de garantía juvenil técnico de laboratorio [PEJD-2018-PRE/BMD-

9122]. CM. 2019-2020.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** A phase I trial of memory T cells expressing an anti-NKG2D chimeric antigen receptor in children, adolescents and young adults with advanced sarcoma. Fundación Asociación Española Contra el Cáncer. 2019-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** NK cell team-2: Inmunoterapia con células natural Killer en el niño. Fundación Cris Contra el Cáncer. 2014-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Optimización de la Terapia Celular NK en sarcomas pediátricos Mediante el uso nanopartículas multifuncionalizadas. Fundación Cris Contra el Cáncer. 2013-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Rubio Aparicio PM.** Actualización y renovación de la actividad en el Servicio de Oncología Pediátrica del Hospital Universitario La Paz. Astellas Pharma S.A. 2012-Ongoing.

Management centre:  
FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Curso científico de formación continuada en trasplante pediátrico (edición III): actualización y perspectivas futuras del TPH/TOS en niños y adultos. Jazz Pharmaceuticals Iberia S.L. 2019-Ongoing.

**Pérez Martínez A.** Unidad de investigación y de terapias avanzadas en hematooncología infantil. Fundación Cris Contra el Cáncer. 2016-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Estudio mediante tecnología de alto rendimiento de la predisposición hereditaria al cáncer infantil. Fundación Cris Contra el Cáncer. 2017-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Terapia celular con el receptor antigenico quimerico NKG2D(car-nkg2d) para los tumores sólidos infantiles. Fundación Asociación Española Contra el Cáncer. 2016-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Ensayo clínica fase I/II, multicéntrico abierto, de infusión de células NK activadas para el tratamiento de niños, adolescentes y adultos jóvenes con sarcomas. Fundación La Sonrisa de Alex. 2017-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Inmunoterapia en sarcomas: combinación del anticuerpo anticxcr4 y la terapia celular NK. Fundación Cris Contra el Cáncer. 2016-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Curso científico de formación continuada en trasplante pediátrico (edición III): actualización y perspectivas futuras del TPH/TOS en niños y adultos. Jazz Pharmaceuticals Iberia S.L. 2019-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Diseño del receptor antigénico químérico NKG2D (car-nkg2d) como terapia celular en los sarcomas infantiles. Ong Otromundoesposible. 2019-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** The implications of ruxolitinib in NK cell immune reconstitution after

pediatric HSCT. Novartis Farmaceutica S.A. 2019-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Jornada de inmunoterapia en hematología oncológica pediátrica. Novartis Farmaceutica S.A. 2019-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Receptor antigénico químérico NKG2D para el tratamiento de pacientes pediátricos con leucemia aguda y leucemia mielomonocítica juvenil: validación escala clínica y primer estudio de seguridad en pacientes. Fundación Cris Contra el Cáncer. 2019-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Inmunoterapia en neosblastomas pediátricos: tratamiento dirigido a las células tumorales iniciadoras de la metástasis. Fundación Cris Contra el Cáncer. 2019-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Inmunoterapia con células natural killer en el cáncer infantil. Ayuntamiento de Pedroñeras. 2015-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Terapia celular basada en el receptor químérico NKG2D (car-nkg2d) para la leucemia infantil. Fundación Uno Entre Cien Mil. 2015-Ongoing.

Management centre: FIBHULP

**Pérez Martínez A.** Receptor antigénico químérico NKG2D para el tratamiento de pacientes pediátricos con leucemia aguda y leucemia mielomonocítica juvenil: validación a escala clínica y primer estudio de seguridad en pacientes: [GAbY cells: CART-CD45RA-NKG2D+]. Fundación Uno Entre Cien Mil. 2018-Ongoing.

Management centre: FIBHULP





## Clinical trials

**Bueno Sánchez D.** Ensayo clínico aleatorizado y multicéntrico para evaluar la efectividad y la eficiencia de una estrategia de genotipado anticipado de Voriconazol en pacientes con riesgo de aspergilosis. Type: EECC, phase IV.

HULP code: 5316.

Sponsored's protocol code: VORIGENIPHARM.  
Sponsored by: Fundación para la Investigación Biomédica Hospital Universitario La Paz.

Signed date: 07/08/2019

**González Martínez B.** Estudio fase II, abierto, multicéntrico, de un brazo único, para determinar la seguridad y la eficacia de Tisagenlecleucel en pacientes pediátricos diagnosticados de linfoma no Hodgkin (LNH) de células B maduras en recaída/refractorio (Bianca). Type: EECC, phase II.

HULP code: 5138.

Sponsored's protocol code: CCTLO19C2202.  
Sponsored by: Novartis Farmacéutica, S.A.  
Signed date: 18/03/2019

**González Martínez B.** Estudio fase II, abierto, multicéntrico, de un brazo único, para determinar la seguridad y la eficacia de tisagenlecleucel en pacientes pediátricos diagnosticados de linfoma no Hodgkin (LNH) de células B maduras en recaída/refractorio (Bianca). Type: EECC, phase II.

HULP code: ANEXO-I 5138.

Sponsored's protocol code: CCTLO19C2202.  
Sponsored by: Novartis Farmacéutica, S.A.  
Signed date: 22/10/2019

**González Martínez B.** Guía de recomendaciones de la Sehop para el tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda o bifenotípica del lactante menor de 1 año. Type: ESTUDIOS, phase NO-EPA.

HULP code: PI-3772.

Sponsored's protocol code: INTERFANT-06.

Sponsored by: Sociedad Española de Oncología y Hematología Pediátricas.

Signed date: 02/09/2019

**González Martínez B.** International study of chronic myeloid leukemia [CML] treatment and outcomes in children and adolescents - estudio internacional del tratamiento y resultados de la leucemia mieloide crónica (LMC) en niños y adolescentes. Type: ESTUDIOS, phase EPA-SP.

HULP code: PI-3327.

Sponsored's protocol code: I-CML-PED STUDY.

Sponsored by: Sociedad Española de Oncología y Hematología Pediátricas.

Signed date: 04/09/2019

**González Martínez B.** LBL 2018 - protocolo de tratamiento cooperativo internacional para niños y adolescentes con linfoma linfoblastico. Type: EECC, phase III.

HULP code: 5213.

Sponsored's protocol code: UKM17\_0023.

Sponsored by: Sociedad Española de Oncología y Hematología Pediátricas.

Signed date: 01/07/2019

**González Martínez B.** Seguimiento a largo plazo de pacientes tratados con la terapia celular Cart dirigida a CD19 basada en vectores lenti-virales. Type: EECC, phase II.

HULP code: 5191.

Sponsored's protocol code: CCTLO19A2205B.

Sponsored by: Novartis Farmacéutica, S.A.

Signed date: 28/02/2019

**Pérez Martínez A.** Estudio de fase 1 abierto para evaluar la dosis máxima tolerada, la farmacocinética y la seguridad de Ixazomib administrado por vía intravenosa a pacientes pediátricos de 0 a <18 años con leucemia linfoblástica aguda en recaída o resistente, con o sin enfermedad extramedular, o con linfoma linfoblástico en recaída o resistente. Type: EECC, phase I.

HULP code: 5317.

Sponsored's protocol code: C-16051.

Sponsored by: Millennium Pharmaceuticals, Inc.

Signed date: 27/05/2019

**Pérez Martínez A.** Estudio de fase 1/2, abierto y de un solo brazo que evalua la seguridad y eficacia del Ponatinib para el tratamiento de leucemias o tumores sólidos recurrentes o refractarios en pacientes pediátricos. Type: EECC, phase I.

HULP code: 5392.

Sponsored's protocol code: INCB 84344-102.

Sponsored by: Incyte Biosciences International Sarl.

Signed date: 29/10/2019

**Pérez Martínez A.** Estudio de fase 2B, abierto y de un solo grupo para evaluar la farmacocinética, la eficacia, la seguridad y la tolerabilidad de Letermovir en participantes pediátricos desde el nacimiento hasta menos de 18 años con riesgo de sufrir infección y/o enfermedad por CMV después de un trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas (TCMH). Type: EECC, phase II.

HULP code: ANEXO-I 5199.

Sponsored's protocol code: MK-8228-030.

Sponsored by: Merck Sharp & Dhome Corp.

Signed date: 06/03/2019

**Pérez Martínez A.** Estudio de fase 2B, abierto y de un solo grupo para evaluar la farmacocinética, la eficacia, la seguridad y la tolerabilidad de Letermovir en participantes pediátricos desde el nacimiento hasta menos de 18 años con riesgo de sufrir infección y/o enfermedad por CMV después de un trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas (TCMH). Type: EECC, phase II.

HULP code: ANEXO 2 5199.

Sponsored's protocol code: MK-8228-030.

Sponsored by: Merck & Co. Inc.

Signed date: 12/09/2019

**Pérez Martínez A.** Estudio en fase I/II de búsqueda de dosis y de la eficacia y seguridad de Ibrutinib en pacientes pediátricos con enfermedad del injerto contra el huésped crónica (EICHc). Type: EECC, phase I.

HULP code: 5313.

Sponsored's protocol code: PCYC-1146-IM.

Sponsored by: Pharmacyclics, LLC.

Signed date: 23/09/2019

**Rubio Aparicio PM.** Estudio de fase I, abierto, de grupos paralelos para investigar la seguridad, la tolerabilidad, la eficacia y la farmacocinética de Olaparib en pacientes pediátricos con tumores sólidos. Type: EECC, phase I.

HULP code: 5342.

Sponsored's protocol code: D0816C00025.

Sponsored by: AstraZeneca AB.

Signed date: 11/11/2019

**Rubio Aparicio PM.** Protocolo Umbrella SIOP-RTSG 2016- investigación integrada y guías para diagnóstico y terapia estandarizados de tumores de riñón en niños, adolescentes y adultos jóvenes. Type: ESTUDIOS, phase NO-EPA.

HULP code: PI-3210.

Sponsored's protocol code: DRKS00011208.

Sponsored by: Sociedad Española de Oncología y Hematología Pediátricas.

Signed date: 27/05/2019

## Patents and trademarks

**Vela Cuenca M, González Navarro P, Valentín Quiroga J, Escudero López A, Pérez Martínez A, Fernández Casanova L,** inventors; FIBHULP, CNIO, assignees. Anti-CXCR4 antibody combined with activated and expanded natural killer cells for cancer immunotherapy. 62/642,313 US Provisional Application; 2018 March 13.