



# El ISCIII sigue avanzando en posibles terapias contra el cáncer infantil basadas en la edición genética con CRISPR

- Una línea de estudio que un equipo del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII) lleva años desarrollando ha demostrado nuevos avances que acercan una posible aplicación clínica a medio plazo de una terapia génica contra el sarcoma de Ewing, un cáncer pediátrico poco común.

**9 de abril de 2025.** Una investigación llevada a cabo por un equipo del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII) concluye que una estrategia basada en la tecnología de edición genética CRISPR ha demostrado buenos resultados en modelos preclínicos de sarcoma de Ewing, un tipo de cáncer infantil considerado una enfermedad rara, para el que ha habido pocos avances terapéuticos en los últimos años.

El artículo que revela los resultados de esta investigación [se ha publicado en la revista \*Cancer Gene Therapy\*](#), por un equipo del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras (IIER) del ISCIII, liderado por Javier Alonso. Los autores del trabajo también pertenecen al Área de Enfermedades Raras (CIBERER) del Centro de Investigación Biomédica en Red (CIBER) del ISCIII.

El estudio ahora publicado es una continuación [del trabajo publicado en 2021](#) por el mismo equipo del ISCIII, en el que se sentaron las bases para la prueba de concepto en modelos celulares de esta estrategia terapéutica. En esta ocasión, los autores han ido más allá y han demostrado la eficacia de esta terapia génica para el tratamiento del sarcoma de Ewing en modelos preclínicos de la enfermedad, incorporando una novedad destacada: gracias a un promotor específico, se ha logrado expresar la tecnología CRISPR/Cas9 exclusivamente en las células de sarcoma de Ewing, eliminando así los posibles efectos secundarios de la edición génica.



Además, según explica el profesor de investigación del IIER-ISCIII Javier Alonso, se ha demostrado también, que es posible usar adenovirus, que ya se utilizan en otros abordajes clínicos, para vehiculizar la terapia directamente a las células tumorales, lo que abre la puerta a una aplicación clínica a medio plazo de esta terapia con CRISPR contra el sarcoma de Ewing.

Los avances en esta estrategia, explica Alonso, “suponen un salto cualitativo de gran trascendencia, ya que utilizamos un promotor ‘Ewing-específico’ que puede abrir un enorme abanico de oportunidades para el tratamiento de esta enfermedad”. De hecho, su grupo está trabajando en la utilización de este promotor para expresar otras proteínas terapéuticas y así avanzar hacia el desarrollo de nuevas terapias, muy específicas, que puedan ser evaluadas en ensayos clínicos con pacientes.

El investigador predoctoral del IIER-ISCIII Saint T. Cervera, primer firmante del artículo, explica además que gracias al uso de este promotor ‘Ewing-específico’ está más cerca la posibilidad de poder aplicar este tipo de estrategias en la práctica clínica: “En estos momentos estamos evaluando otros genes terapéuticos que en algunos casos están dando mejores resultados que los mostrados en este trabajo. Lo más importante es que hemos visto que esta estrategia es muy específica, de manera que la terapia solo afecta a las células tumorales, disminuyendo muy significativamente la probabilidad de efectos secundarios. Tenemos la esperanza que estos nuevos abordajes puedan pronto ser evaluados en ensayos clínicos en pacientes con esta enfermedad”.

La investigación ha contado con financiación del ISCIII, a través de las convocatorias de Desarrollo Tecnológico en Salud y Proyectos de I+D en Salud, y con el apoyo de varias asociaciones de pacientes comprometidas con la investigación en cáncer infantil: Asociación Pablo Ugarte, Asociación Candela Riera, Asociación Todos somos Iván, Fundación Sonrisa de Alex y Fundación FEDER. La línea de trabajo sobre sarcoma de Ewing, de hecho, [se ha visto fortalecida este año tras la firma de un acuerdo entre el ISCIII y FEDER](#). Además, [el Instituto también ha firmado recientemente un acuerdo](#) con las asociaciones sin ánimo de lucro Fundación Sonrisa de Alex y Asociación Todos Somos para seguir impulsando desde el ISCIII la investigación en cáncer infantil.

- **Referencia del artículo:** Cervera, S.T., Martínez, S., Iranzo-Martínez, M. et al. Targeted inactivation of EWSR1 FLI1 gene in Ewing sarcoma via CRISPR/Cas9 driven by an Ewing-specific GGAA promoter. *Cancer Gene Ther* (2025). <https://doi.org/10.1038/s41417-025-00887-8>.